

Nr. 49/2025
vom 11. November 2025

Orphan Drugs brauchen mehr Aufmerksamkeit

Seite 1/3

- Bessere Versorgung bei seltenen Krankheiten nötig
- AMNOG gezielt weiterentwickeln
- vfa legt neues Impulspapier vor

Rückfragen an:

Dr. Jochen Stemmler
Telefon 030 20604-203
j.stemmler@vfa.de

Seltene Erkrankungen brauchen besonderes Augenmerk – und ein verlässliches Umfeld für Therapie-Innovationen. Eine zentrale Rolle spielt dabei die bestehende gesetzliche Orphan-Drug-Regelung. Dennoch lässt sich die Versorgung gezielt verbessern, wie ein neues Impulspapier des vfa zeigt.

„Wir dürfen keine Zwei-Klassen-Medizin nach Häufigkeit der Erkrankung zulassen“, betont vfa-Präsident Han Steutel. „Seltene Krankheiten sind nicht weniger wichtig als häufige. Die Orphan-Drug-Regelung sorgt dafür, dass pharmazeutische Forschung auch dort stattfindet, wo die Patientenzahlen klein sind.“

Eine Studie der Unternehmensberatung Simon-Kucher & Partners im Auftrag des vfa unterstreicht dies: Ohne die bestehenden Rahmenbedingungen wären viele Therapien für seltene Erkrankungen in Deutschland wirtschaftlich nicht mehr tragfähig. Das hätte gravierende Folgen für die Versorgung der Betroffenen – denn gerade bei kleinen Patientengruppen sind umfangreiche Studien oft nicht durchführbar. Unrealistische Evidenzanforderungen würden dringend benötigte Diagnose- und Therapieinnovationen bremsen. Angesichts von vielen tausend seltenen Erkrankungen, für die noch keine wirksame Therapie existiert, wäre das eine frustrierende Perspektive für die Betroffenen.

Bessere Versorgung möglich

Charlottenstraße 59
10117 Berlin
Telefon 030 206 04-0
www.vfa.de

Um den Zugang zu innovativen Therapien bei seltenen Erkrankungen langfristig zu sichern, hat der vfa ein Impulspapier vorgelegt, das konkrete Vorschläge für eine zukunftsfeste Versorgung macht. Ohne angemessene Weichenstellungen droht dieser Bereich der Medizin schnell zu verkümmern:

- Das AMNOG (Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der gesetzlichen Krankenversicherung) braucht eine funktionierende Orphan-Drug-Regelung und realistische Evidenzanforderungen für Medikamente in besonderen Therapiesituationen.
- Einheitliche Diagnosepfade, der verstärkte Einsatz von Genomsequenzierung – da viele seltene Krankheiten auf Gendefekten beruhen – sowie die digitale Vernetzung der Referenzzentren sollen sicherstellen, dass Betroffene schneller als heute die richtige Diagnose erhalten. Das ist die Voraussetzung für eine gezielte Therapiewahl.
- Zudem müssen Screening-Programme regelmäßig und zügig erweitert werden, sobald eine Therapie für eine Erkrankung verfügbar ist.

Klug weiterentwickeln

„Deutschland hat das Wissen, die Infrastruktur und die Innovationskraft, um die Versorgung bei seltenen Erkrankungen entscheidend zu verbessern“, so Steutel. „Jetzt kommt es darauf an, eine Reformdebatte zum Wohle der Patientinnen und Patienten zu führen.“

Das Impulspapier ist abrufbar unter: <https://www.vfa.de/de/gesundheitsversorgung/orphan-drugs/drei-punkte-plan-seltene-erkrankungen>

Die Studie von Simon-Kucher & Partners findet sich hier: <https://www.vfa.de/de/gesundheitsversorgung/orphan-drugs/abschaffung-orphan-drug-regelung-amnog.html>

Ein Verzeichnis aller Medikamente mit aktuellem oder früherem Orphan-Drug-Status ist ebenfalls verfügbar: www.vfa.de/orphans

Deutschland. Er vertritt die Interessen von 50 weltweit führenden Herstellern und ihren rund 90 Tochter- und Schwesterfirmen in der Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik. Die Mitglieder des vfa stehen für mehr als die Hälfte des deutschen Arzneimittelmarktes und beschäftigen in Deutschland rund 100.000 Mitarbeiter:innen. Rund 20.000 davon arbeiten in Forschung und Entwicklung.

Seite 3/3

Pressemitteilung
Nr. 49/2025
vom 11. November 2025

Folgen Sie uns auf unseren Social Media Kanälen:

[LinkedIn](#)

[Instagram](#)

[Threads](#)

[Bluesky](#)