

Orphan Drugs im EU-Zulassungsverfahren oder bereits zugelassen, aber noch nicht in Deutschland auf den Markt gebracht

Diese Liste enthält in die Zukunft gerichtete Aussagen, die auf den gegenwärtigen Annahmen und Prognosen derjenigen Unternehmen beruhen, deren Projekte genannt werden. Verschiedene bekannte wie auch unbekannt Risiken, Ungewissheiten und anderer Faktoren können dazu führen, dass der tatsächliche Fortgang dieser Projekte wesentlich von der hier gegebenen Einschätzung abweicht, was auch das Einstellen der Projekte einschließt. Der vfa und seine Mitgliedsunternehmen übernehmen keinerlei Verpflichtung, solche zukunftsgerichteten Aussagen fortzuschreiben und an zukünftige Ereignisse oder Entwicklung anzupassen. Alle Angaben ohne Gewähr. Stand: 25.02.2025

Wirkstoff	Anwendungsgebiet	Hersteller	ATMP	Gentech	Orphan Drug	Kurzbeschreibung des Medikaments	EU-Zulassung erteilt	CHMP Status (Positive Opinion)	EU-Zulassungsantrag gestellt
Medikament zugelassen, aber in Deutschland noch nicht auf dem Markt									
Ciclosporin	vernale Keratokonjunktivitis	Santen Oy	nein	nein	ja	Medikament mit schon bekanntem Wirkstoff; wird angewendet zur Behandlung der schweren vernalen Keratokonjunktivitis, einer seltenen Erkrankung, bei Kindern ab 4 Jahren	06.07.2018		26.10.2023
Pretomanid	Tuberkulose	TB Alliance mit Mylan	nein	nein	ja	NME; 6-Nitroimidazo-Oxazin, der die bakterielle Proteinsynthese hemmt und die der Ketomykolsäure der Zellwand; Anwendung als Tablette in Kombination mit Bequalin und Linezolid; Ermöglicht wesentliche Verkürzung der Behandlung, und zwar oral (ohne Spritzen)	31.07.2020	26. Mrz 20	Mrz 19
Octreotid	Akromegalie	Amryt Pharmaceuticals	nein		ja	Medikament mit schon bekanntem Wirkstoff; wird angewendet zur Erhaltungstherapie bei erwachsenen Patienten mit Akromegalie, die auf die Behandlung mit Somatostatinanaloga angesprochen und diese vertragen	02.12.2022		
Retifanlimab	Merkelzellkarzinom	Incyte	nein	ja	ja	NME; Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper gegen das PD-1-Immuncheckpoint-Molekül	19.04.2024	23.02.2024	23.03.2023
Ganaxolon	Mit Anfällen assoziierte CDKL5-Mangel-Störungen	Marinus Pharmaceuticals	nein	nein	ja	NME; GABAA-Rezeptor-Modulator, der sowohl auf synaptische als auch auf extrasynaptische GABAA-Rezeptoren wirkt; die Erkrankung ist derzeit nicht behandelbar	26.07.2023	26.05.2023	Okt 21
Mitapivat	Pyruvat-Kinase-Mangel	Agios Pharmaceuticals	nein	nein	ja	NME; Pyruvat-Kinase-Stimulans, das insbesondere die Pyruvat-Kinase der roten Blutkörperchen aktiviert und deren ATP-Synthese aufrechterhält	09.11.2022	16. Sep 22	Jun 21
Fosdenopterin	Kofaktor-Molybdän-Mangel	TMC Pharma	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff enthält kovalent gebundenes Molybdän; erstes Arzneimittel gegen Molybdän-Mangel Typ A	15.09.2022	22. Jul 22	Nov 21
Polihexanid	Acanthamoeben-Keratitis	Sifi	nein	nein	ja	Medikament mit bekanntem Wirkstoff; Anti-Amöben-Polymer, das sowohl auf die Trophozoiten als auch auf die Zysten des Protozoen Acanthamoeba wirkt	22.08.2024		Mai 22
Serplulimab	Kleinzelliges Lungenkarzinom (SCLC)	Shanghai Henlius Biotech	nein	ja	ja	NME; Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper, der PD-L1 bindet und dadurch die Reaktivität von zytotoxischen T-Zellen gegen Tumorzellen verstärkt.	04.02.2025	20.09.2024	23.03.2023
Acoramidis	Transthyretin-Amyloid-Kardiomyopathie	BridgeBio Pharma	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein hochaffiner Stabilisator von tetramerem Transthyretin (TTR) und verhindert dadurch die Ablagerung von fehlgefaltetem monomerem TTR, die die Ursache für die Transthyretin-Amyloid-Kardiomyopathie ist.	11.02.2025	13.12.2024	01.02.2024

Seladelpar	Primäre biliäre Cholangitis	Gilead Sciences	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein selektiver Agonist des Peroxisome-proliferator-activated-Receptors (PPAR) δ , der die Produktion von Gallensäure, eines wichtigen Mediators cholestatischer Toxizität, in vitro und in vivo hemmt und außerdem antiinflammatorisch wirkt.	20.02.2025	13.12.2024	29.02.2024
Tiratricol	MCT8-Mangel ((Allan-Herndon-Dudley-Syndrome)	Egetis Therapeutics	nein	nein	ja	NME; Emticate is indicated for the treatment of peripheral thyrotoxicosis in patients with monocarboxylate transporter 8 (MCT8) deficiency (Allan-Herndon-Dudley Syndrome), from birth.	13.02.2025	12.12.2024	
EU-Zulassung beantragt; „Positive Opinion“ vom CHMP erteilt									
Imetelstat	Myelodysplastisches Syndrom	Geron	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein Inhibitor der Telomerase, die in Krebszellen vermehrt vorkommt und ihnen hilft, sich schnell zu teilen und zu vermehren.		13.12.2024	28.09.2023
Eplontersen	Hereditäre Transthyretin-vermittelte Amyloid-Polyneuropathie (ATTRv-PN)	AstraZeneca	nein	ja	ja	NME; Wirkstoff ist ein an einen Liganden gekoppeltes Antisense-Oligonukleotid, das die Produktion von Transthyretin (TTR) reduzieren und dadurch alle Typen der ATTR, einer systemischen, progredienten und tödlichen Erkrankung behandeln soll.		18.10.2024	26.10.2023
EU-Zulassung beantragt; noch keine „Positive Opinion“									
Temolosomid	Neuroblastom	Orphelia Pharma	nein	nein	ja	Medikament mit einem schon bekannten Wirkstoff in neuer Darreichungsform (Lösung); zur Behandlung von Kindern mit Neuroblastom, falls andere Therapien nicht wirksam waren.			24.10.2023
Etuveidigen Autotemcel	Wiskott-Aldrich-Syndrom	Boston Children's Hospital	ja	ja	ja	NME; Autologe CD34+ hämatopoietische Stammzellen, die ex vivo mit einem lentiviralen Vektor transduziert werden, der für das humane Wiskott-Aldrich-Syndrom-Protein kodiert. Dieses ist für die Funktion von Immunzellen essentiell.			24.12.2024
Doxecitin/ Doxribtimin	Thymidin-Kinase-2(TK2)-Defizienz	UCB	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist eine 1:1.-Kombination aus zwei Nukleosid-Substraten, die bei Patient:innen mit TK2-Defizienz durch die verbleibende Aktivität der TK2 oder andere zelluläre Enzyme in Nukleosid-Monophosphate konvertiert werden. Dadurch wird der bestehende Mangel in den Mitochondrien kompensiert und so die mitochondriale DNA-Synthese und die Funktion der Organellen verbessert.			28.11.2024
Rilzabrutinib	Immun-vermittelte Erkrankungen (z.B. ITP, Asthma)	Sanofi Aventis	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein oraler, reversibler, kovalent bindender BTK-Inhibitor, der zur Behandlung schwerer immun-vermittelter Krankheiten eingesetzt werden soll. BTK (Bruton-Tyrosinkinase) wird in B-Zellen und Mastzellen exprimiert und spielt eine kritische Rolle bei verschiedenen immun-vermittelten Krankheitsprozessen.			31.10.2024

Belumosudil	Chronische Graft-versus-Host-Erkrankung	Sanofi Aventis	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein Inhibitor von Serin/Threonin-Kinasen, darunter die Rho-assoziierten Proteinkinasen ROCK1 und ROCK2, die im Rahmen der Entzündungsreaktion bei der Graft-versus-Host-Erkrankung verschiedene proinflammatorische Signalwege triggern, u.a. den JAK-STAT-Signalweg.			03.10.2024
Sebetralstat	hereditäres Angioödem (Prävention)	KalVista Pharmaceuticals	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein oraler Inhibitor von Plasma-Kallikrein, der als Bedarfsmedikation zur Behandlung und Verhinderung von Attacken beim hereditären Angioödem gegeben wird.			15.08.2024
Pridopidin	Chorea Huntington	Prilenia	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein oraler, hochselektiver Agonist des Sigma-1-Rezeptors, der in Gehirn und Rückenmark stark exprimiert wird und verschiedene wichtige Prozesse reguliert, die bei neurodegenerativen Erkrankungen gestört sind. Die Aktivierung des Rezeptors stimuliert verschiedene protektive Signalwege in den Zellen und stellt die Kalzium-Homöostase wieder her.			15.08.2024
Mirdametinib	Neurofibromatose-Typ-1-assoziiertes plexiformes Neurofibrom (NF1-PN)	SpringWorks Therapeutics	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein hochgradig selektiver, nicht ATP-kompetitiver Inhibitor der MEK1- und MEK2-Kinasen. Es hemmt die Phosphorylierung der MAP-Kinasen ERK1 und ERK2 und dadurch das Wachstum von Tumorzellen..			15.08.2024
Vimseltinib	Tenosynovialer Riesenzell-Tumor	Deciphera	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein oral verfügbarer "switch-control"-Tyrosinkinaseinhibitor, der selektiv den Rezeptor für den Kolonie-stimulierenden Faktor 1 (CSF1R) hemmen soll.			18.07.2024
Zanidatamab	HER2+ Gallengangskarzinom	Jazz Pharmaceuticals	nein	ja	ja	NME; Wirkstoff ist ein bispezifischer Antikörper, der zwei nicht überlappende Epitope des HER2-Antigens auf Tumorzellen erkennt und dadurch eine doppelte Blockade dieses Wachstumsfaktor-Rezeptors, seine Entfernung von der Zelloberfläche und eine immunvermittelte Zytotoxizität gegen die Tumorzellen bewirkt.			20.06.2024
L-Acetylleucine	Niemann-Pick-Krankheit	IntraBio Ireland Ltd.	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein neuroprotektiv wirksames Enantiomer der verzweigt-kettigen Aminosäure Leucin und kann bei Patient:innen mit dem Typ C der Niemann-Pick-Krankheit die Progression hinauszögern.			20.06.2024
Dorocubicel	Allogene Stammzelltransplantation	ExCellThera Inc.	ja	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein Produkt aus Zellen von Nabelschnurblut, das Engraftment und Rekonstitution des Immunsystems bei allogener Stammzelltransplantation beschleunigen soll.			20.06.2024
Delandistrogene moxeparvovec	Duchenne-Muskeldystrophie	Roche	ja	ja	ja	NME; Wirkstoff ist eine Gentherapie, die in Skelett-, respiratorischer und kardialer Muskulatur die Expression eines verkürzten Dystrophin-Proteins bewirkt und dadurch die Ursache der Muskeldystrophie, den Mangel an funktionellem Dystrophin, bekämpft.			20.06.2024

Sepiapterin	Phenylketonurie	PTC Therapeutics	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein chiraler heterozyklischer Naturstoff aus der Klasse der Pterine bzw. Pteridine, der signifikant die Blutkonzentrationen von Phenylalanin bei erwachsenen und pädiatrischen Patient:innen mit Phenylketonurie (PKU) reduziert.			23.05.2024
Deutivacaftor/ Tezacaftor/ Vanzacaftor	Mukoviszidose	Vertex	nein	nein	ja	NME; zur Behandlung von Mukoviszidose, wenn beim Patienten oder der Patientin mindestens eine F508del-Mutation oder eine andere Mutation im Transmembrane Conductance Regulator (CFTR)-Gen vorliegt, bei der das Medikament Wirksamkeit zeigt.			23.05.2024
Mozafancogene autotemcel	Fanconi-Anämie	Rocket Pharmaceuticals	ja	ja	ja	NME; Wirkstoff besteht aus autologen, für CD34-Expression angereicherten hämatopoetischen Stamm- und Vorläuferzellen von Patienten mit Fanconi-Anämie des Subtyps A, denen das FANCA-Gen eingepflanzt wird, um die Expression von funktionierendem FANCA-Protein zu ermöglichen. Mutationen im FANCA-Gen verhindern bei Patient:innen mit Fanconi-Anämie die normale DNA-Reparatur, was zu Chromosomen-Brüchen, erhöhter Sensitivität gegenüber oxidativem und Umwelt-Stress sowie zu Fehlfunktionen des Knochenmarks führen kann.			28.03.2024
Resminostat	Kutanes T-Zell-Lymphom	4SC AG	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein oral verfügbarer Inhibitor von Histoneacetylasen (HDACs), der durch Akkumulation hochgradig acetylierter Histone, Behinderung des Chromatin-Remodelings, Hemmung der Transkription von Tumorsuppressor-Genen und der Zellteilung zur Apoptose der Tumorzellen führt.			29.02.2024
Nirogacestat	Desmoid-Tumoren	SpringWorks Therapeutics	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein γ -Secretase-Inhibitor, der den Notch-Signalweg und das Zellwachstum blockiert.			29.02.2024
Vorasidenib	Grad-2-Gliome mit IDH-Mutationen	Servier	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein oral verfügbarer Inhibitor der mutierten Formen der Enzyme Isocitrat-Dehydrogenase 1 und 2 (IDH1/2), der die Blut-Hirn-Schranke passieren kann und gegen Gliome mit solche Mutationen wirksam ist.			25.01.2024 (beschleunigtes Zulassungsverfahren)
Troriluzole	Zwangsstörungen	Biohaven	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff hemmt den Glutamat-Signalweg im ZNS, der bei Zwangsstörungen überaktiv ist.			26.10.2023
Givinostat	Duchenne- und Becker-Muskeldystrophie	Italfarmaco	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein Inhibitor von Histone-Deacetylasen (HDACs), die in Muskelfasern mit defektem Dystrophin überaktiv sind und die Regeneration von Muskeln sowie die Adaptation von Mikrofasern an die Kontraktion beeinträchtigen.			17.08.2023
Leniolisib	Aktiviertes Phosphoinositol-3-Kinase-delta-Syndrom (APDS)	Pharming	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein oraler, selektiver Inhibitor der δ -Untereinheit der Phosphoinositol-3-Kinase (PI3K δ) zur Behandlung des seltenen primären Immundefizienz-Syndroms "Aktiviertes Phosphoinositol-3-Kinase-delta-Syndrom" (APDS) bei Patient:innen ab 12 Jahren			27.10.2022

Obecabtagene autoleucel	B-Zell Akute lymphoblastische Leukämie (B-ALL), relapsiert oder therapierefraktär	Autolus	ja	nein	ja	NME; Gegen CD19 gerichtetes CAR-T-Zell-Therapeutikum zur Behandlung der B-Zell Akute lymphoblastische Leukämie bei Erwachsenen.			02.04.2022, Orphan-Status 13.4.2022
Beremagene geperpavec	Dystrophe Epidermolysis bullosa (dominant oder rezessiv)	Krystal Biotech	ja	ja	ja	NME: Gentherapie mittels nicht replikationsfähigem Herpes Simplex-Virus-1-Vektor			
Mavorixafor	Behandlung des WHIM-Syndroms	X4 Pharmaceuticals	nein	nein	ja	NME; ist ein selektiver Antagonist des C-X-C Chemokin-Rezeptors 4 (CXCR4). Er blockiert die Bindung des Liganden 12 (= stromal derived factor-1) an CXCR4. Erste Therapie zur Behandlung des WHIM-Syndroms, einer Immundefizienz, die nach den Symptomen Warzen, Hypogammaglobulinämie, Infektionen und Myelokathexis benannt ist. Zulassung beantragt für Betroffene ab 12 Jahren. Ziel ist die Steigerung der Zahl der zirkulierenden reifen Neutrophilen und Lymphozyten.			24.01.2025 (von der EMA akzeptiert)
Trofinetide	Rett-Syndrom	Acadia Pharmaceuticals	nein	nein	ja	NME; zur Behandlung des Rett-Syndroms (eine neurologische Entwicklungsstörung) bei Erwachsenen und Minderjährigen ab 2 Jahren.			15.01.2025
Eflornithine	High-risk Neuroblastoma	Norgine	nein	nein	ja	Medikament mit schon bekanntem Wirkstoff; zur Behandlung von high-risk Neuroblastoma			07.01.2025
Diflunisal	ATTR Amyloidose	Purpose Pharma International	nein	nein	ja	Medikament mit schon bekanntem Wirkstoff; zur Behandlung von ATTR-Amyloidose			01.02.2024
Rilonacept	Idiopathische Pericarditis	k.A.	nein	ja	ja	Medikament mit schon bekanntem Wirkstoff; zur Behandlung der idiopathischen Pericarditis			