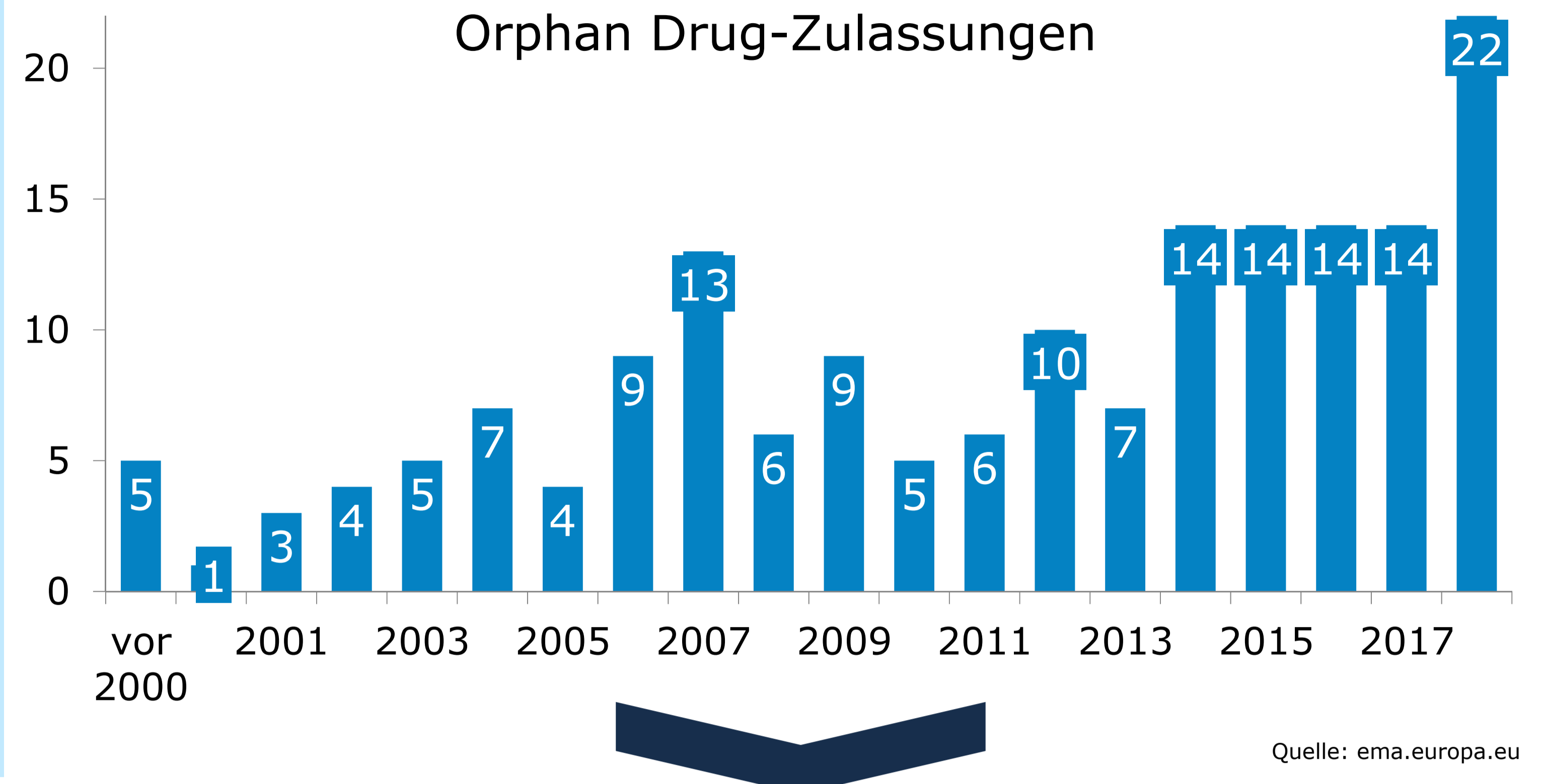


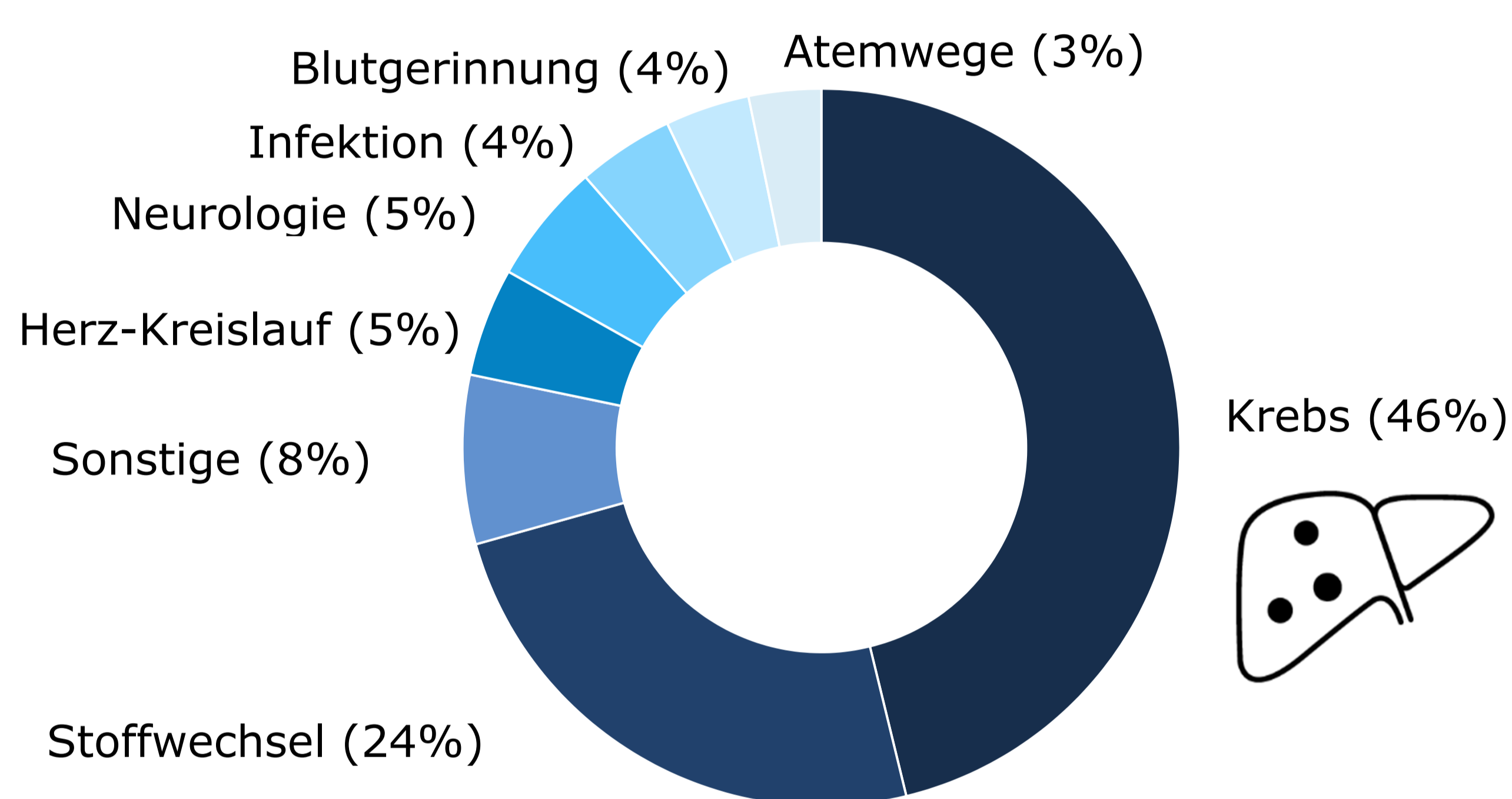
# Orphan Drugs: Engagement der forschenden Pharma- und Biotech-Firmen – damit selten nicht untherapierbar bleibt

## I Zulassung

- Forschende Pharma- und Biotech-Unternehmen haben bisher ca. 160 Medikamente für Menschen mit seltenen Erkrankungen (Orphan Drugs) auf den Markt gebracht
- 1/3 aller Medikamente mit neuem Wirkstoff, die in den vergangenen Jahre in Deutschland auf den Markt kamen, waren Orphan Drugs
- Orphan Drugs müssen im Rahmen ihrer Zulassung ihre Wirksamkeit, Sicherheit und technische Qualität unter Beweis stellen
- Orphan Drugs müssen immer ihren Zusatznutzen gegenüber Vergleichstherapien – falls es bereits welche gibt – zeigen

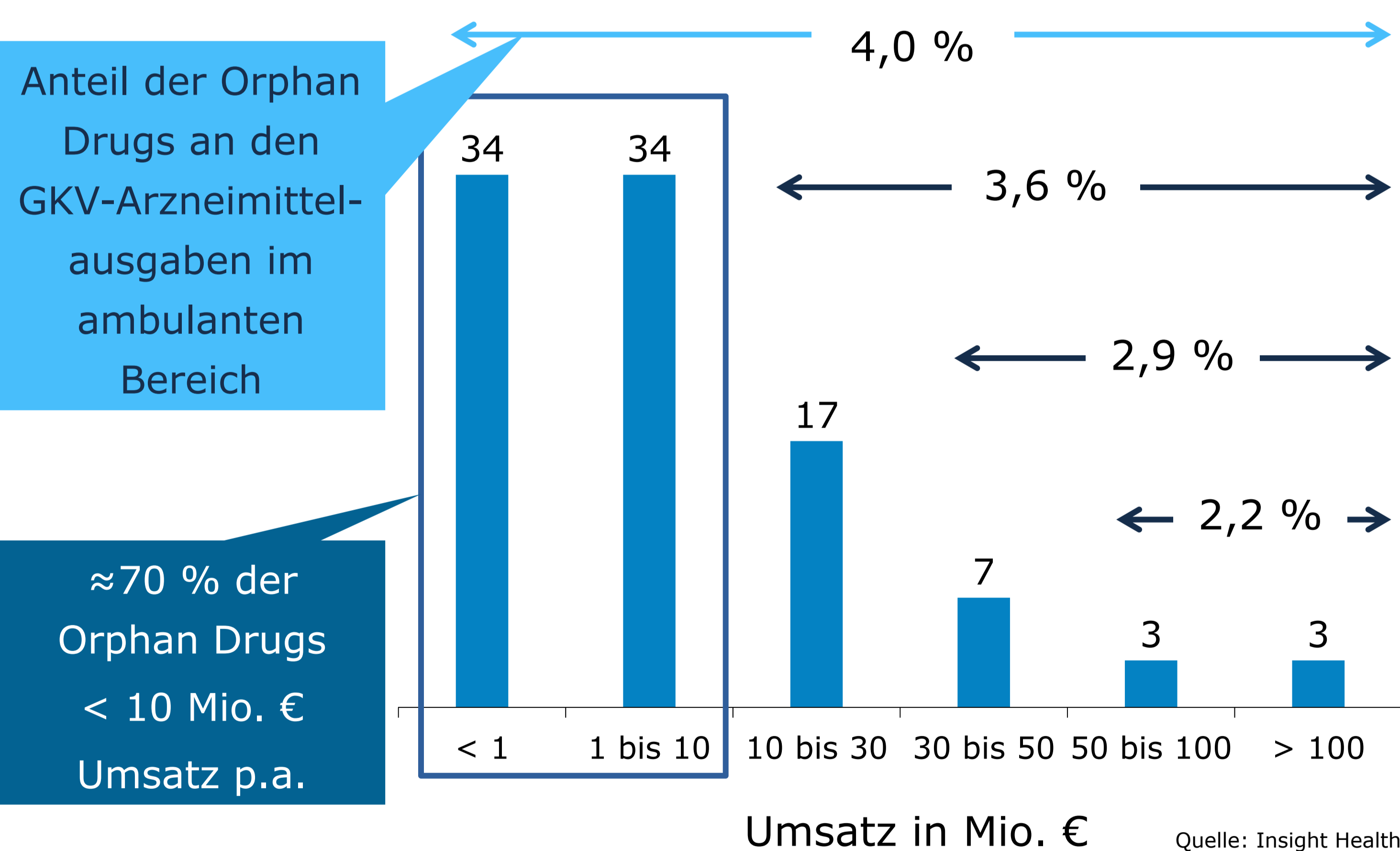


## II Anwendungsgebiete



- Rund 1.900 Entwicklungsprojekte in der EU mit Orphan Drug-Status
- Bisher Orphan Drugs für rund 130 verschiedene Anwendungsgebiete zugelassen

- Ca. 80% aller seltenen Erkrankungen sind genetisch bedingt; deshalb sind oft Kinder betroffen
- Fast die Hälfte aller Orphan Drugs ist auch für Kinder zugelassen



## III Absatz und Umsatz

- Orphan Drugs machen 4% der Gesamtarzneimittelausgaben der GKV in Deutschland im ambulanten Bereich aus
- 70% der Orphan Drugs haben weniger als 10 Mio. € Jahresumsatz; Kosten oberhalb von 50 Mio. € fallen nur in wenigen Fällen an
- Orphan Drug-Status und Marktexklusivität enden nach spätestens 10 Jahren; dann können Generika bzw. Biosimilars auf den Markt kommen

## IV Ausblick

- Der Gesetzgeber hat unlängst die Bestimmungen für Orphan Drugs in Deutschland verschärft; die Auswirkungen für die Patienten mit seltenen Erkrankungen bleiben abzuwarten
- Wichtig ist, dass die Anstrengungen auf europäischer Ebene nicht durch nationale Maßnahmen konterkariert werden
- Denn angesichts von schätzungsweise 8.000 seltenen Erkrankungen und bisher rund 160 zugelassenen Orphan Drugs bleibt weiterhin noch sehr viel zu tun!