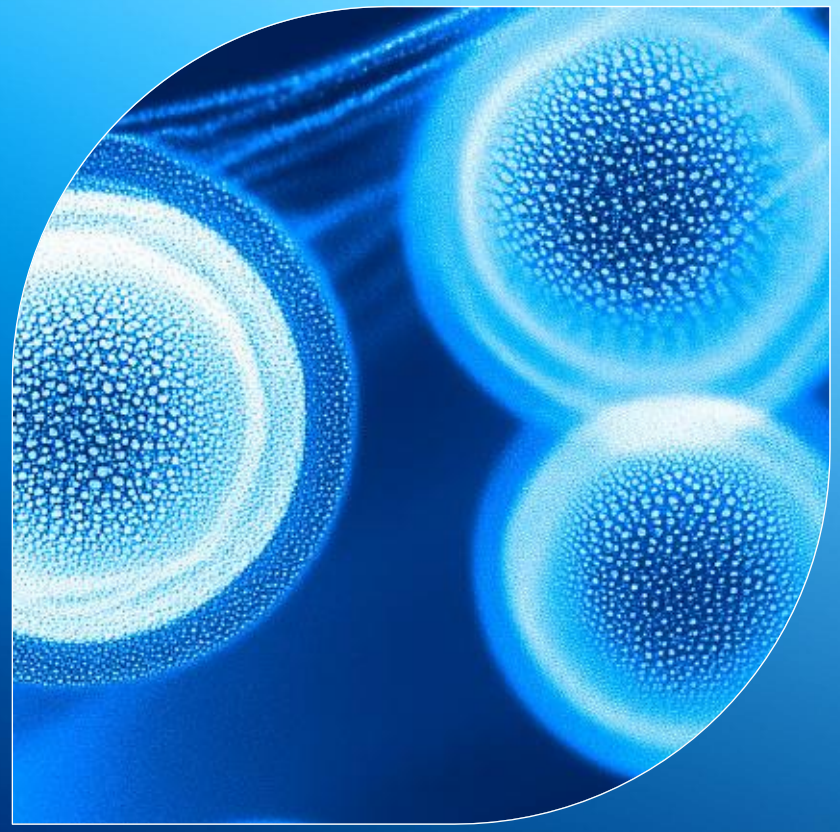
Gemeinsam handeln für Menschen mit Seltenen Erkrankungen: Kernforderungen zur Förderung der Arzneimittelversorgung

Parlamentarisches Frühstück
von ELHKS, Alexion, Ipsen & UCB



Jannes Moritz
Manager Public & Governmental Affairs
Ipsen Pharma GmbH

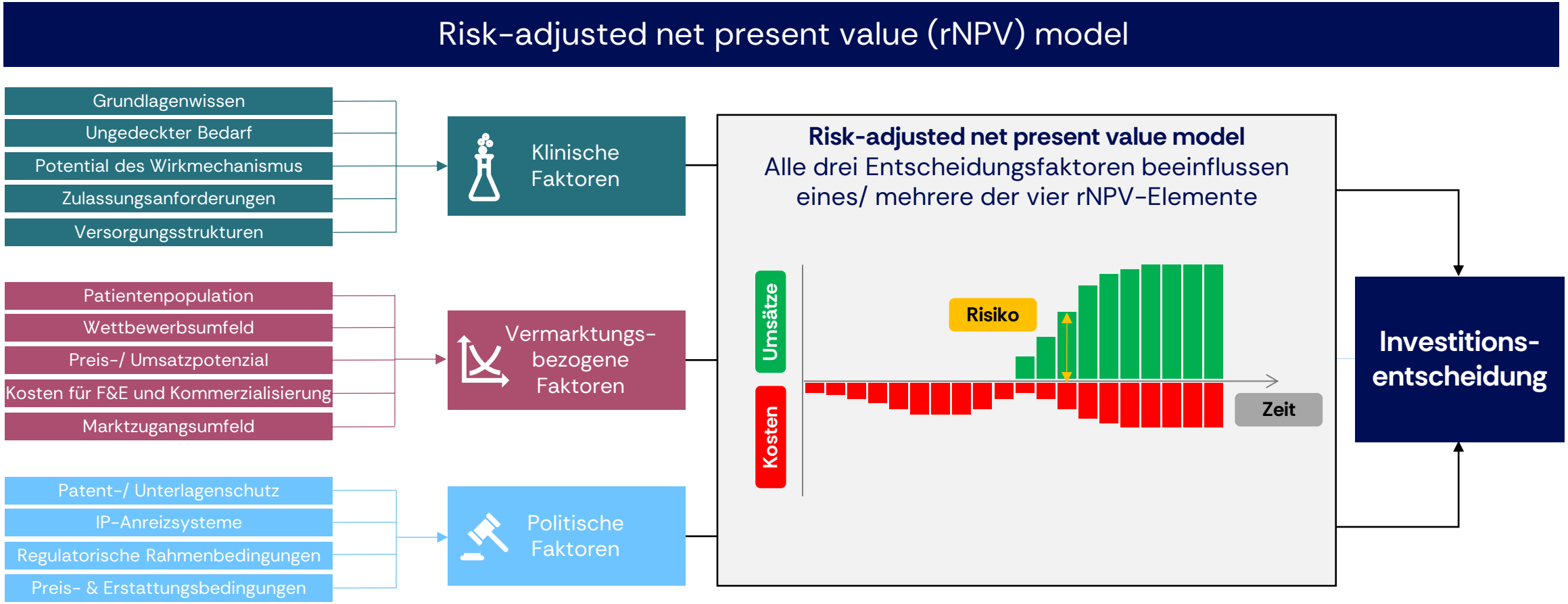
13.11.2025

IPSEN

CRSC-DE-000242

Pharmazeutische F&E bei Seltenen Erkrankungen: Investitionsentscheidungen unter hohen Risiken

Eine Annäherung an das grundlegende pharmazeutische Innovationsmodell



Quelle: Neez E., Gentilini A., Hutchings A. (2021): Addressing unmet needs in extremely rare and paediatric-onset diseases: how the biopharmaceutical innovation model can help identify current issues and find potential solutions. Prepared by Dolon Ltd. 2021 [online] Abrufbar unter: https://dolon.com/dolon/wp-content/uploads/2021/07/Addressing-unmet-needs-in-extremely-rare-and-paediatric-onset-diseases.pdf

Herausforderungen bei der Erforschung & klinischen Entwicklung von Arzneimitteln für Seltene Erkrankungen

F&E von Orphan Drugs aufwändiger und risikoreicher als bei „breiten“ Indikationen

	Non Orphan Drug	Orphan Drug	Ultra Orphan Drug
F&E Dauer (Jahre)[2]	12,8	15,1	17,2
Failure Rate[1]	86 %	94 %	–

1 Wong C.M., Siah K.W., Lo A.W. (2019): Estimation of clinical trial success rates and related parameters. Biostatistics. 2019;20(2):273–286.
2 Tufts CSDD Impact Report (2018): Patent-to-launch Time for Orphan Drugs is 2.3 Years Longer vs. Other Drugs. May/June 2018;20(3).

Politisches Anreizsystem für Orphan Drugs: EU schafft Anreize für F&E – GER fördert Zugang

Abgestimmtes System zur Sicherstellung von Innovation & Versorgungszugang

Orphan Drug-Status bei EU-Zulassung (EU-Verordnung 141/2000)

Kriterien:
- Seltenheit und Schwere der Erkrankung
- Signifikanter Zusatznutzen vs. Therapiestandard

Anreize für Forschung & Entwicklung:
- 10 Jahre Marktexklusivität
- Gebührenreduktionen & wiss. Beratung

+

Orphan Drug-Regelung im AMNOG (§ 35a SGB V)

Kriterien:
- Aktiver Orphan Drug-Status
- Geltung bis Umsatzschwelle € 30 Mio./ 12 Monate

Förderung des Marktzugangs:
- Anerkennung medizinischer Zusatznutzen
- Quantifizierung des Zusatznutzen durch G-BA

Politisches Anreizsystem für Orphan Drugs: EU schafft Anreize für F&E – GER fördert Zugang

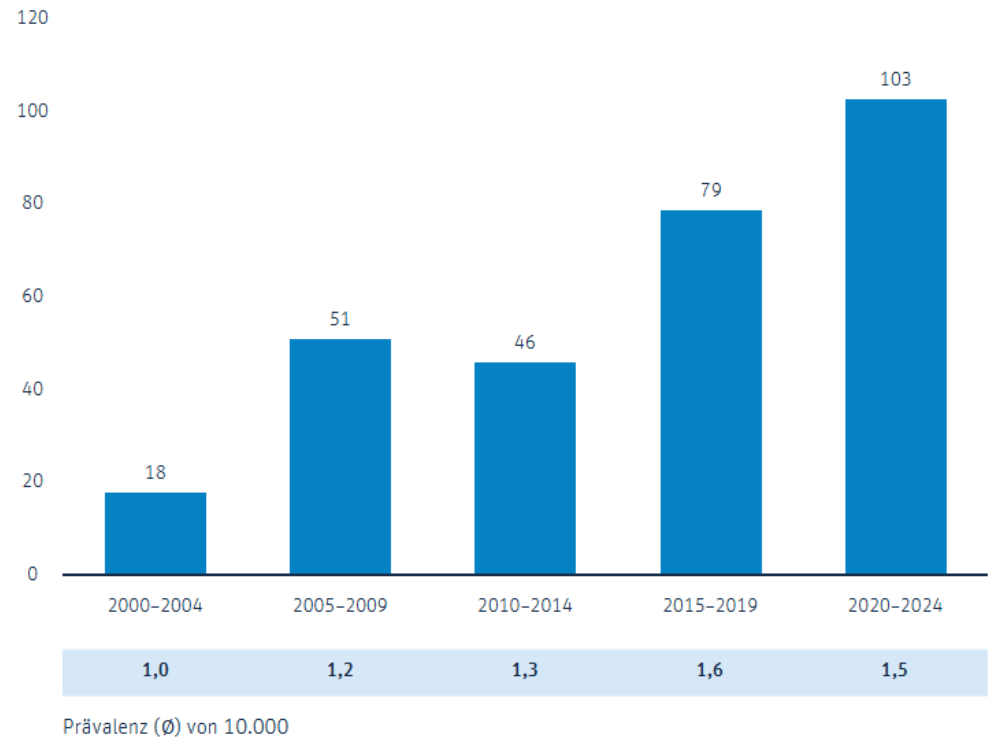
Erfolge des EU-Anreizsystems für Orphan Drugs nicht riskieren!

Orphan Drug-Status bei EU-Zulassung (EU-Verordnung 141/2000)

Kriterien:
- Seltenheit und Schwere der Erkrankung
- Signifikanter Zusatznutzen vs. Therapiestandard

Anreize für Forschung & Entwicklung:
- 10 Jahre Marktexklusivität
- Gebührenreduktionen & wiss. Beratung

Anzahl und Prävalenz der Orphan Drug-Zulassungen[1]
(Stand 31.12.2024)



Quelle: vfa (2025): Spotlight Pharma Market 02.25 – Orphan Drugs [online]. Abrufbar unter: https://www.vfa.de/de/gesundheit-versorgung/spotlight-pharma-market/orphan-drug

Politisches Anreizsystem für Orphan Drugs: EU schafft Anreize für F&E – GER fördert Zugang

Erfolge des Deutschen Anreizsystems für Orphan Drugs nicht riskieren!

- In GER haben Patient*innen **Zugang zu 89 % aller zentral zugelassenen Orphan Drugs!**[1]
- In GER stehen Orphan Drugs im EU-Vergleich **Patient*innen am schnellsten zur Verfügung – im Median 45 Tage nach Zulassung!**[1]
- **57% der verfügbaren Orphan Drugs wären ohne Orphan Drug-Regelung im AMNOG wirtschaftlich kaum/ nicht mehr tragfähig!**[2]

Orphan Drug-Regelung im AMNOG (§ 35a SGB V)

Kriterien:
- Aktiver Orphan Drug-Status
- Geltung bis Umsatzschwelle € 30 Mio./ 12 Monate

Förderung des Marktzugangs:
- Anerkennung medizinischer Zusatznutzen
- Quantifizierung des Zusatznutzen durch G-BA

1 EFPIA (2025): EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2024 Survey. [online] Abrufbar unter: https://www.efpia.eu/media/oeganukm/efpia-patients-wait-indicator-2024-final-110425.pdf
2 Simon Kucher (2024): Die Bedeutung der Orphan Drug-Regelung im AMNOG für die Patientenversorgung. Eine Bewertung anhand einer retrospektiven Simulation

Kernforderungen zur Stärkung der Arzneimittelversorgung für Menschen mit Seltenen Erkrankungen

Rahmenbedingungen und Anreize für F&E gewährleisten

- Stärkung des EU-Fördersystems für F&E zu Seltenen Erkrankungen – keine Abschwächung des Orphan Drug-Status
- Verlängerung der EU-Marktexklusivität für “ultra rare orphans”
- Weitere Entbürokratisierung & Beschleunigung klinischer Studien: MedizinregisterG & Nationale Pharmastrategie bieten Chancen

Patientenzugang zu Orphan Drugs nachhaltig sichern

- Erhalt der Orphan-Drug-Regelung im AMNOG-Nutzenbewertungsverfahren – bei sachgerechter Berechnung der Umsatzschwelle
- Rücknahme der AMNOG-Leitplanken
- Anpassung der Evidenzanforderungen an Arzneimittel für besondere Therapiesituationen – § 5 Abs. 3 AM-NutzenV („bestverfügbare Evidenz“)

Orphan Drugs sind keine Kostentreiber

Hohe Versorgungsrelevanz & gesicherter Zugang bei stabilen Ausgaben

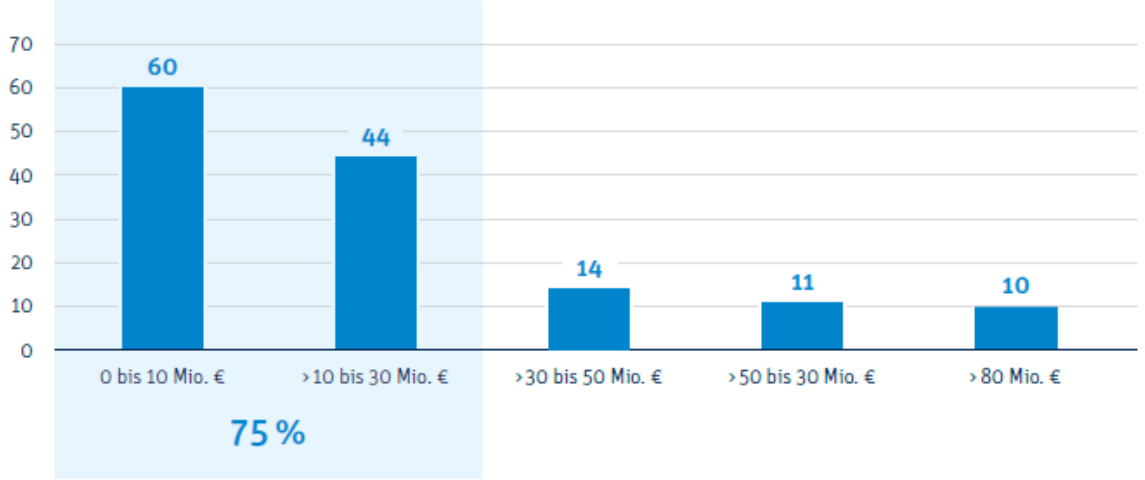
4,9 Mrd. €

Ausgabenvolumen für Orphan Drugs 2024

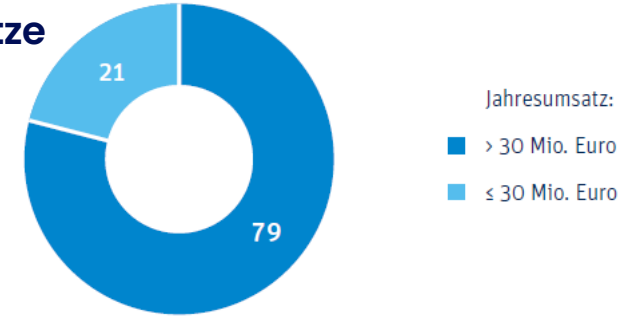
- **Konstante GKV-Umsätze mit Orphan Drugs** – seit 2021 rund 4,5 Mrd. € GKV-Umsatz/ Jahr bei +13% Orphan Drugs[1]

Innovationskreislauf funktioniert!
Mehr therapeutische Innovationen für Patient*innen, bei konstanten Ausgaben

Anzahl aktiver Orphan Drugs nach Umsatzvolumen gruppiert[2]
(Stand 31.12.2024)



Anteil Orphan Drug-Umsätze unter vollumfänglicher AMNOG-Bewertung[2]:



[1] vfa nach IQVIA (2025): Arzneimittelmarkt in 10 Zahlen. [online] Abrufbar unter: https://www.vfa.de/de/gesundheit-versorgung/arzneimittelmarkt/arzneimittelmarkt-in-zahlen
[2] vfa nach IQVIA (2025): Spotlight Pharma Market – Orphan Drugs. Ausgabe 02.25. [online] Abrufbar unter: https://www.vfa.de/de/gesundheit-versorgung/spotlight-pharma-market/orphan-drug

Vielen Dank!