

## Orphan Drugs

Orphan Drugs sind Arzneimittel für seltene Leiden. Die Kriterien, nach denen ein Arzneimittel als Orphan Drug eingestuft wird, sind in Artikel 3 der Verordnung EG Nr. 141/2000 definiert.

### Zulassung und Nutzenbewertung

Übersicht Neuzulassungen Orphan Drugs (2022-2026) durch die EMA<sup>1</sup>

Jahr	Zulassungen insgesamt	Zulassungen Orphans
2026 (bis März)	23	8
2025	104	21
2024	114	22
2023	77	24
2022	89	25

Die Zulassung von sogenannten Orphan Drugs erfolgt zentral durch die EU-Kommission. Diese haben einen Sonderstatus, der unter anderem in der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 geregelt ist. Demnach erhalten sie für zehn Jahre Marktexklusivität in der zugelassenen therapeutischen Indikation, bezogen auf ein ähnliches Arzneimittel.

Neben dieser Sonderregelung haben Orphan Drugs auch im Nutzenbewertungsverfahren eine Sonderstellung. Zwar durchlaufen sie gemäß § 35a SGB V Abs. 1 das Nutzenbewertungsverfahren des G-BA, jedoch gilt ein Zusatznutzen durch das Zulassungsverfahren bereits als belegt – ein sogenannter fiktiver Zusatznutzen. Das bedeutet, dass die Klassifizierung des Zusatznutzens für ein Orphan Drug im Ergebnis „erheblich“, „beträchtlich“, „gering“ oder „nicht quantifizierbar“ lauten kann. Die Prädikate „Zusatznutzen nicht belegt“ bzw. „geringer Zusatznutzen“ sind für Orphan Drugs nicht möglich, da ein Zusatznutzen als belegt gilt. Wird innerhalb von zwölf Monaten ein GKV-Umsatz von 30 Millionen Euro für das Orphan Drug überschritten, erfolgt eine vollständige Nutzenbewertung gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie durch den G-BA.

In einer Studie des IQWiG aus dem Jahr 2024 wurde untersucht, inwieweit zugelassene Orphan Drugs zu einer Verbesserung patientenrelevanter Endpunkte geführt haben. Dabei wurde auf die im Rahmen der Nutzenbewertung eingereichten Dossiers zurückgegriffen. Zudem wurde untersucht, inwieweit Orphan Drugs einen unmet medical need abdecken. In diesem Zusammenhang analysierte das IQWiG auch die Nutzenbewertungsbeschlüsse des G-BA zu Orphan Drugs im Zeitraum vom 1. Januar 2011 bis zum 30. September 2021.

**Laut Studie kam der G-BA in fast 80 Prozent der Fälle zu dem Ergebnis eines nicht quantifizierbaren Zusatznutzens.**<sup>2</sup> Aufgrund des Privilegs, welches für Orphan Drugs gilt, stellt dies das schlechteste mögliche Ergebnis dar. Ursache hierfür ist häufig die

<sup>1</sup> <https://www.ema.europa.eu/en/committees/committee-medicinal-products-human-use-chmp>

<sup>2</sup> <https://www.cambridge.org/core/journals/international-journal-of-technology-assessment-in-health-care/article/results-of-health-technology-assessments-of-orphan-drugs-in-germanylack-of-added-benefit-evidence-gaps-and-persisting-unmet-medical-needs/2576A23C63003BD36D9D0190831CB5B1>

unzureichende Evidenzlage, da zum Bewertungszeitpunkt kaum nutzbare Daten vorlagen.

Vor dem Hintergrund, dass der Zusatznutzen eines Orphan Drugs bereits mit der Zulassung als belegt gilt, ist festzustellen, dass die Evidenzlage dieser Arzneimittel häufig schlechter ist als die anderer Arzneimittel. **Eine Stärkung der Versorgungsqualität durch Evidenzförderung ist daher unabdingbar.**

Die steigende Zahl an Therapien mit eingeschränkter Evidenz zum Zeitpunkt der Zulassung stellt das AMNOG-Verfahren vor Probleme: Bei fehlenden Daten ist die fundierte Evidenzbewertung zum Zusatznutzen erschwert. Entsprechend muss der Druck hin zur Evidenzgenerierung erhöht werden.

Auch der finanzielle Aspekt ist bei den Orphan Drugs nicht zu vernachlässigen: **Obwohl sie im Jahr 2021 lediglich 0,07 Prozent der Verordnungen ausmachten, hatten sie einen Anteil von 12,8 Prozent an den Arzneimittelausgaben, was rund 6,8 Milliarden Euro entspricht.**<sup>3</sup>

Vor dem Hintergrund der Stärkung der Versorgungsqualität durch Evidenzförderung, fordert die AOK Gemeinschaft die folgenden Änderungen.

### **Forderungen AOK-Gemeinschaft**

Die grundsätzliche Freistellung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen von einer umfassenden Nutzenbewertung bis zum Erreichen einer Umsatzschwelle hat sich nicht bewährt: Der diesen Arzneimitteln per Gesetz zugesprochene Zusatznutzen konnte nachfolgend oftmals nicht bestätigt werden – eine Erkenntnis, die den Betroffenen bislang erst viel zu spät zur Verfügung steht. Dabei haben auch Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen einen Anspruch auf frühzeitige Transparenz zur Einschätzung ihrer Behandlungsoptionen. **Entsprechend ist die Sonderregelung für Arzneimittel für seltene Erkrankungen in der Nutzenbewertung zu streichen. So ist künftig eine Vollbewertung für Arzneimittel für seltene Leiden durch den gemeinsamen Bundesausschuss zu legitimieren.**

Zum Schutz von Patientinnen und Patienten sowie zur vereinfachten Datengenerierung ist eine **Beschränkung des Einsatzes von Arzneimitteln mit hoher Evidenzunsicherheit (zum Beispiel besondere Zulassungen, Orphan Drugs) beziehungsweise der Notwendigkeit für weitere Datengenerierung auf entsprechend qualifizierte Zentren und Behandlungsfälle mit besonders hohem medizinischem Bedarf einzuführen.** Dabei kann mit einem Zuwachs an Evidenz auch eine Ausweitung der Behandlung erfolgen.

---

<sup>3</sup> [https://link.springer.com/chapter/10.1007/978-3-662-66041-6\\_18](https://link.springer.com/chapter/10.1007/978-3-662-66041-6_18)