

# REPORT ORPHAN DRUGS



Die Bedeutung regulatorischer  
Rahmenbedingungen  
für die Versorgung von Menschen mit  
Seltenen Krebserkrankungen

Juli 2025





# INITIATIVE ORPHAN DRUGS

## Report Orphan Drugs: Die Bedeutung regulatorischer Rahmenbedingungen für die Versorgung von Menschen mit Seltenen Krebserkrankungen

### Herausgeber

Werter GmbH  
Sonnenstr. 19 – Eingang 1, 80331 München  
Telefonnummer: +49 89 748486-50  
[www.werter.com](http://www.werter.com)

Die Ausarbeitung des vorliegenden Reports erfolgte mit freundlicher Unterstützung der Unternehmen Incyte Biosciences Germany GmbH, Ipsen Pharma GmbH, Jazz Pharmaceuticals Germany GmbH, Pharming Group N.V. und Kyowa Kirin GmbH.



München, Juli 2025

# Inhaltsverzeichnis



|  |           |
|--|-----------|
| <b>Zusammenfassung</b>   | <b>2</b>  |
| <b>I. Entwicklung der medizinischen Versorgung in der Onkologie</b>  | <b>3</b>  |
| a. Entwicklung der 5-Jahres-Überlebensrate   | 3         |
| b. Behandlung von Tumorerkrankungen: Trend zur personalisierten Medizin  | 3         |
| c. Politische Initiativen im Bereich Onkologie und Orphan Drugs  | 4         |
| <b>II. Orphan Drugs: Regulatorischer Hintergrund</b>   | <b>6</b>  |
| a. Auf europäischer Ebene: Zulassung von Orphan Drugs  | 6         |
| b. Deutschland: Orphan Drugs im AMNOG  | 7         |
| <b>III. Fokus: Marktzugang von Arzneimitteln zur Behandlung onkologischer Seltener Erkrankungen in Deutschland</b>                   | <b>8</b>  |
| a. Auswirkungen der ordnungspolitischen Instrumente auf die Versorgung mit Orphan Drugs  | 8         |
| b. AMNOG: Herausforderungen für Orphan Drugs in der Onkologie  | 9         |
| c. Anpassung der Umsatzschwelle mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz  | 10        |
| <b>IV. Analyse: Bedeutung spezialisierter pharmazeutischer Unternehmen für die Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen</b> | <b>12</b> |
| b. Ergebnisse  | 13        |
| <b>V. Aktuelle Entwicklungen und Handlungsempfehlungen</b>   | <b>16</b> |
| <b>Quellen</b>   | <b>18</b> |

# Zusammenfassung



Der Kampf gegen den Krebs ist eines der zentralen gesundheitspolitischen Ziele in Deutschland und Europa. Krebs ist jedoch keine einzelne Erkrankung, sondern ein Sammelbegriff für über **300 komplexe onkologische Krankheitsbilder, die sich stark voneinander unterscheiden**. Der medizinisch-technologische Fortschritt führt dazu, dass die Eigenschaften onkologischer Erkrankungen immer genauer entziffert und spezifische Therapieoptionen entwickelt werden. In der Folge sind einzelne Wirkstoffe für immer kleinere und seltener Patientenpopulationen geeignet. **Etwa 20% aller Krebsfälle sind auf eine Seltene Krebserkrankung zurückzuführen.**

Um den betroffenen Patientinnen und Patienten zu helfen, werden in der Onkologie immer mehr innovative Therapien zur Behandlung Seltener Erkrankungen, sogenannte **Orphan Drugs**, erforscht, entwickelt und zugelassen. Aufgrund kleiner Patientenpopulationen sind die Umsatzerwartungen bei den meisten Orphan Drugs begrenzt und Investitionen in die Entwicklung weniger attraktiv. Zudem ist die Durchführung klinischer Studien mit besonderen Herausforderungen verbunden.

Um die Forschung und Entwicklung dieser Arzneimittel trotz dieser Hürden voranzutreiben, wurden auf europäischer Ebene im Zulassungsverfahren und in Deutschland im Rahmen der **AMNOG-Nutzenbewertung** gezielte Anreize geschaffen. Die Orphan-Regelung im AMNOG hat sich dabei als Erfolgsgeschichte erwiesen und ist ein Pull-Mechanismus für Innovationen: **Deutschland bietet den schnellsten und umfassendsten Zugang zu Orphan-Arzneimitteln in Europa.**

Aufgrund der Rahmenbedingungen durch die Orphan-Regelung in Deutschland und der Anreize bei der Zulassung auf europäischer Ebene hat sich eine Reihe von kleinen und mittelgroßen biopharmazeutischen Unternehmen auf die Entwicklung von Orphan Drugs spezialisiert. Derartige spezialisierte Pharmaunternehmen sind für die Hälfte der neu eingeführten Orphan Drugs verantwortlich und liefern Innovationen dort, wo bislang keine oder nur wenige

Behandlungsoptionen für Menschen mit Selteneren Erkrankungen zur Verfügung standen. Darüber hinaus tragen sie wesentlich zur klinischen Forschung in Deutschland bei und ermöglichen durch Studien einen frühen Zugang zu innovativen Therapien. Auf der anderen Seite sind diese Unternehmen im Besonderen von **stabilen regulatorischen Rahmenbedingungen** im Bereich Orphan Drugs abhängig.

Um die Versorgung mit innovativen Orphan Drugs langfristig sicherzustellen, müssen sich die Arzneimittelhersteller auf die gegebenen Voraussetzungen verlassen können. **Kurzfristige Eingriffe in funktionierende Marktmechanismen**, wie im Jahr 2022 durch das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz, können sich **negativ auf die Forschungsanreize** auswirken und damit insbesondere das Geschäftsmodell kleinerer, spezialisierter pharmazeutischer Unternehmen gefährden. Die Folge können **Marktrücknahmen oder Nichteinführungen innovativer Arzneimittel sein**. Eine vorausschauende und konsistente Regulierung ist essenziell, um Innovationen in der Onkologie und bei Selteneren Erkrankungen weiter zu fördern.

# I. Entwicklung der medizinischen Versorgung in der Onkologie



Krebs ist eine vielschichtige Gruppe von Krankheiten mit einer großen Vielfalt an Typen und Subtypen mit unterschiedlichen Ursachen und Merkmalen. Die Erkrankung jeder Person ist einzigartig und ein Produkt von genetischen und molekularen Veränderungen. Die daraus entstehende Komplexität muss auch in der medizinischen Behandlung berücksichtigt werden.

Aufgrund enormer Fortschritte in der Krebsforschung haben sich in Deutschland die Möglichkeiten der Früherkennung und Diagnostik von Krebserkrankungen, aber vor allem der Therapie von an Krebs erkrankten Menschen, über die letzten Jahre und Jahrzehnte deutlich verbessert. Ein positives Ergebnis dieser Entwicklung ist, dass sich Krebs in vielen Fällen von einer unheilbaren Krankheit zu einer chronischen Erkrankung entwickelt hat.

## a. Entwicklung der 5-Jahres-Überlebensrate

Die absolute 5-Jahres-Überlebensrate beträgt laut Robert Koch-Institut (RKI) über alle Krebsarten hinweg derzeit 62% bei Männern und 66% bei Frauen. Schätzungen zufolge leben hierzu lande aktuell etwa 4,5 Millionen Menschen mit oder nach Krebs („Cancer Survivors“). Bei etwa 2,6 Millionen dieser Menschen liegt die Krebsdiagnose bereits fünf oder mehr Jahre zurück.

Die relativen 5-Jahres-Überlebensraten sind ein Maß für die Überlebenschancen von Krebspatientinnen und -patienten im Vergleich mit der allgemeinen Bevölkerung gleichen Alters und Geschlechts.<sup>1</sup> Sie sind in hohem Maße von der Tumortyp abhängig. So konnten bei Leukämien, Haut-, Brust-, oder Prostatakrebs erhebliche Fortschritte erzielt werden. Mittlerweile werden Überlebensraten von über 90% erreicht.<sup>2</sup> Eine populationsbasierte Studie aus Deutschland zeigt beispielsweise, dass sich die Prognose für

das Multiple Myelom innerhalb von 20 Jahren deutlich verbessert hat. Der Anteil der Erkrankten, die das 5-Jahres-Überleben erreichten, stieg von 37% auf 62%.<sup>3</sup>

Bei anderen Krebsarten, wie bösartigen Tumoren der Bauchspeicheldrüse und Mesotheliome, ist die Prognose weiterhin schlecht, mit 5-Jahres-Überlebensraten von unter 10%. Ebenfalls ist die Überlebensrate bei seltenen Krebserkrankungen gegenüber häufigen Tumoren deutlich geringer.<sup>4</sup> Das macht den weiterhin hohen Bedarf an neuen Behandlungsoptionen deutlich.

## b. Behandlung von Tumorerkrankungen: Trend zur personalisierten Medizin

Die Medizin unterscheidet heute schon mehrere hundert Krebsarten. Mit zunehmender wissenschaftlicher Erkenntnis wird immer genauer differenziert. Einige Krebsarten sind relativ häufig. Dazu zählen Brust-, Prostata-, Darm-, Lungen-, Magen-, Haut- und Knochenmarkkrebs. Ca. 20% aller Krebsfälle sind jedoch auf eine Seltene Krebserkrankung zurückzuführen.<sup>5</sup>

Große Fortschritte verspricht insbesondere die personalisierte Medizin, deren Basis in der Onkologie die zielgerichteten Therapien darstellen. Zielgerichtete Therapien werden heute in der Behandlung verschiedener Tumorerkrankungen eingesetzt und können prinzipiell allein (Monotherapie), in Kombination mit einer Chemotherapie, einer Strahlentherapie oder mit einer weiteren zielgerichteten Therapie eingesetzt werden. Unter dem Begriff werden Arzneimittel zusammengefasst, die sich gezielt gegen bestimmte biologische Merkmale des Tumors richten, die vorab mit speziellen Tests bestimmt werden müssen.

<sup>1</sup> Robert Koch Institut (RKI): [Krebs gesamt](#). Zentrum für Krebsregisterdaten. 08.10.2024.

<sup>2</sup> Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ). [Krebsstatistiken: So häufig ist Krebs in Deutschland](#). 22.12.2023.

<sup>3</sup> Eisfeld C, Kajüter H, Möller L, et al.: *Time trends in survival and causes of death in multiple myeloma: a population-*

*based study from Germany.* BMC Cancer 06.04.2023; 23 (1): 317 [CrossRef](#) [MEDLINE](#) [PubMed Central](#)

<sup>4</sup> Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ). [RATIONALE nimmt seltene Krebserkrankungen in den Fokus](#). 16.12.2024

<sup>5</sup> Eckert, A: [Diagnose, Therapie, Prognose: Seltene Krebserkrankungen](#). Esanum, 24.02.2024.

Ob diese Therapien eingesetzt werden können, hängt somit davon ab, ob die jeweiligen Zielstrukturen tatsächlich im Tumorgewebe vorhanden sind. Dies eröffnet die Möglichkeit individueller und zielgerichteter Therapieoptionen für bestimmte Patientenpopulationen. Entsprechend fallen diese Arzneimittel zunehmend in die Kategorie der sogenannten Orphan Drugs.<sup>6</sup> In Deutschland sind seit dem Jahr 2011 133 onkologische Arzneimittel auf den Markt gekommen. Davon waren fast 40% Orphan Drugs.<sup>7</sup>

In der Onkologie werden kontinuierlich Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen erforscht und zugelassen. Allerdings stehen in vielen Krebserkrankungen auch heute noch keine adäquaten Behandlungsoptionen zur Verfügung. Nach wie vor werden häufig Chemotherapien mit hoher Toxizität eingesetzt. Allerdings werden fortwährend neue Zielstrukturen als Ansatzpunkte für zielgerichtete Therapien entdeckt. Das Potenzial zur Behandlung onkologischer Erkrankungen ist daher bei weitem noch nicht ausgeschöpft.

Eine Vielfalt an Behandlungsoptionen ist in der Onkologie zudem dringend erforderlich. Tumore können während oder nach der Behandlungszeit mutieren und sich verändern. Manche Therapieoptionen, die zunächst eingesetzt werden, wirken nicht mehr oder die Erkrankung bricht nach einem ersten Therapieerfolg erneut aus. In diesen Fällen sind alternative Optionen notwendig, die eingesetzt werden können.

Auch mit Blick auf die Behandlungsergebnisse bestehen weiterhin erhebliche Unterschiede zwischen häufigen und Seltenen Krebserkrankungen. So zeigen internationale Studien, dass die 5-Jahres-Überlebensrate bei seltenen Krebsformen im Durchschnitt deutlich niedriger liegt als bei häufigeren Tumorarten.<sup>8</sup> Diese Differenz unterstreicht die medizinische Dringlichkeit, auch für kleinere Patientengruppen gezielt neue Therapien zu entwickeln. Die eingeschränkten Therapieoptionen, insbesondere in

fortgeschrittenen oder rezidivierenden Verläufen, machen die kontinuierliche Forschung und die zeitnahe Verfügbarkeit von Orphan Drugs in der Onkologie unverzichtbar. Zu jenen zählen auch Therapien gegen Krebs bei Kindern, da nahezu alle Krebserkrankungen bei Kindern als Seltene Erkrankung gelten.<sup>9</sup>

## c. Politische Initiativen im Bereich Onkologie und Orphan Drugs

Sowohl der Kampf gegen den Krebs als auch eine Verbesserung der Versorgung von Menschen mit Selteneren Erkrankungen sind ausgewiesene politische Missionen auf europäischer und deutscher Ebene. Forschung und Entwicklung in diesen medizinischen Bereichen, aber auch der Aufbau entsprechender Versorgungsstrukturen werden gefördert. Ausdruck dieser Missionen sind eine Vielzahl an politischen Initiativen. Diese machen den Stellenwert deutlich, den die Politik einer Verbesserung der Versorgung von Menschen mit onkologischen und Seltenen Erkrankungen beimisst.

Im Bereich der Onkologie bildet „**Europe's Beating Cancer Plan**“ einen zentralen Baustein der EU-Gesundheitsstrategie. Mit einem Budget von vier Milliarden Euro sollen Prävention, Diagnostik und Versorgung systematisch verbessert werden. Auf nationaler Ebene wurde bereits 2008 der **Nationale Krebsplan** ins Leben gerufen, um die Zusammenarbeit aller relevanten Akteure in der Krebsbekämpfung zu stärken. Eine im Herbst 2024 durch das Bundesministerium für Gesundheit (BMG) initiierte Neuausrichtung verfolgt das Ziel, Digitalisierung, Künstliche Intelligenz, Prävention und Langzeitüberleben stärker zu berücksichtigen.<sup>10</sup> Ergänzend dazu bündelt die **Nationale Dekade gegen Krebs** wissenschaftliche und medizinische Kompetenzen mit dem Ziel, Krebserkrankungen künftig wirksamer vorzubeugen und die Lebensqualität Betroffener zu verbessern. In eine ähnliche Richtung zielt die Initiative „**Vision Zero**“, die von

<sup>6</sup> Als Orphan Drugs werden Arzneimittel zur Prävention, Diagnose und Behandlung von Seltenen Erkrankungen bezeichnet.

<sup>7</sup> Eigene Auswertung basierend auf Daten des AMNOG-Monitors. Betrachtungszeitraum: 01.01.2011-17.10.2024.

<sup>8</sup> Gatta G, Capoccia R, Botta L et al.: *Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of*

*RARECAREnet—a population-based study*. The Lancet Oncology August 2017; 18 (8): p1022-1039.

<sup>9</sup> Deutsche Krebsgesellschaft (DKG): [Seltene Krebsarten – Stiefkind der Krebsforschung?](#) Onko Internetportal. 26.01.2017.

<sup>10</sup> Bundesministerium für Gesundheit (BMG). [Nationaler Krebsplan startet in die nächste Phase](#). 06.11.2024.

verschiedenen Akteuren aus Wissenschaft, Medizin und Gesellschaft getragen wird.

Auch im Bereich Seltener Erkrankungen existieren wichtige politische Initiativen. Das 2010 gegründete **Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit Seltener Erkrankungen (NAMSE)** verfolgt das Ziel, bestehende Maßnahmen zu bündeln und die Lebenssituation der Betroffenen zu verbessern. **Orphanet Deutschland**, ein Teil eines europaweiten Informationsnetzwerks, stellt seit 2021 unter der Koordination

des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) verlässliche Informationen zu Seltenen Erkrankungen bereit. Ergänzt wird dieses Angebot durch spezialisierte **Zentren für Seltene Erkrankungen (ZSE)** sowie **Zentren für Personalisierte Medizin (ZPM)**, die vor allem an Universitätskliniken angesiedelt sind und eine hohe Expertise in der Diagnostik und Behandlung komplexer Krankheitsbilder bieten.

## II. Orphan Drugs: Regulatorischer Hintergrund



Für einen Großteil der Selderen Erkrankungen steht bislang keine oder keine zufriedenstellende Behandlung zur Verfügung.<sup>11</sup> Zudem gibt es wesentlich weniger medizinische und wissenschaftliche Erkenntnisse über Seltene Erkrankungen. Das liegt unter anderem an einem Mangel an Investitionen in die Erforschung Seltener Krankheiten. Eine zentrale Ursache dafür ist, dass sich aufgrund der kleinen Patientenpopulationen die risikobehaftete Investition in Forschung und Entwicklung von Orphan Drugs für pharmazeutische Unternehmen weniger lohnt. Um diesem Problem entgegenzuwirken und Forschungsaktivitäten bei Selderen Erkrankungen zu stärken, wurden sowohl in Deutschland als auch auf europäischer Ebene regulatorische Anreize eingeführt.

### a. Auf europäischer Ebene: Zulassung von Orphan Drugs

Arzneimittel für Seldene Erkrankungen werden in der EU zentral von der Europäischen Kommission in Zusammenarbeit mit der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) zugelassen. Im Jahr 2000 wurden in der EU die rechtlichen Grundlagen für Regelungen zu Orphan Drugs geschaffen und in der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 beschrieben. Diese Verordnung regelt die Verfahren und Kriterien für die Ausweisung eines Arzneimittels als Orphan Drug durch die Europäische Kommission (*orphan designation*). In der Orphan-Drug-Verordnung bestimmt Artikel 3 die Kriterien, die ein Antragsteller wissenschaftlich nachweisen muss, damit sein Arzneimittel als Orphan Drug in der Europäischen Union anerkannt und ausgewiesen wird. Es müssen mehrere Bedingungen erfüllt sein (Art. 3 VO (EG) Nr. 847/2000):

- Von der Erkrankung sind nicht mehr als 5 von 10.000 Menschen in der Europäischen Union betroffen (Prävalenzkriterium).

- Das Arzneimittel muss zur Behandlung einer lebensbedrohlichen Erkrankung oder einer Krankheit bestimmt sein, die zu chronischer Invalidität führen kann.
- Zum Zeitpunkt der Antragstellung darf noch keine zufriedenstellende Methode für die Diagnose, Verhütung oder Behandlung der betreffenden Erkrankung zugelassen sein (*no satisfactory method*) oder das Arzneimittel muss für die Betroffenen einen erheblichen Nutzen (*significant benefit*) gegenüber bereits verfügbaren Therapiemaßnahmen aufweisen. Ein erheblicher Nutzen ist definiert als klinisch relevanter Vorteil oder bedeutender Beitrag zur Behandlung von Patientinnen und Patienten. Bei dem für die Zulassung ausschlaggebenden (erheblichen) Nutzen kann es sich sowohl um einen klinisch relevanten Vorteil (Wirksamkeit, Sicherheit) als auch um einen bedeutenden Beitrag zur Behandlung von Patientinnen und Patienten (Verfügbarkeit, Handhabung) handeln.

Um die Entwicklung und Vermarktung von Orphan Drugs attraktiv zu gestalten, hat die EU spezielle Anreize für pharmazeutische Unternehmen geschaffen. Damit wird Herstellern auch in kleinen Märkten die Möglichkeit gegeben, die Kosten von Forschung und Entwicklung, Produktion und Vermarktung zu decken und wirtschaftlich zu arbeiten. Zu den Anreizen zählen:

- Unterstützung bei der Erstellung von Prüfplänen (*protocol assistance*) sowie eine wissenschaftliche Beratung (*scientific advice*) durch die europäische Zulassungsagentur EMA,
- direkter Zugang zum zentralisierten Zulassungsverfahren der EMA,
- Wegfall der Zulassungsgebühren sowie finanzielle Unterstützung in Form von

---

<sup>11</sup> Orphanet: [Über Orphan Drugs](#).

- Gebührenreduzierung für wissenschaftliche Beratung und regulatorische Verfahren,
- exklusives Vermarktungsrecht von zehn Jahren. Ähnliche Medikamente werden in dieser Dekade für diese Erkrankung nur dann zugelassen, wenn sie besser wirksam oder verträglich sind oder in Ausnahmefällen helfen, Versorgungsengpass zu überwinden.

### **b. Deutschland: Orphan Drugs im AMNOG**

In Deutschland wurden mit dem 2011 eingeführten Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) zusätzliche Anreize geschaffen, Medikamente für Seltene Erkrankungen auf den Markt zu bringen. Bei der Frühen Nutzenbewertung, die Teil des AMNOG-Verfahrens zur Bewertung eines Zusatznutzens eines neuen Arzneimittels gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie (zVT) ist, gelten für die Orphan Drugs besondere Regelungen. Gemäß den rechtlichen Rahmenbedingungen des § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V ist der medizinische Zusatznutzen mit Verweis auf die bei Zulassung bereits durchgeführte Nutzenbewertung belegt.

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA)

entscheidet ausschließlich über dessen Ausmaß. Es müssen keine Daten zum Vergleich mit einer zweckmäßigen Vergleichstherapie vorgelegt werden. Dadurch hat das pharmazeutische Unternehmen eine positive Ausgangsposition bei den anschließenden Erstattungsbetragsverhandlungen mit dem GKV-Spitzenverband.

Mit der Sonderstellung für Orphan Drugs in der Nutzenbewertung soll für pharmazeutische Unternehmer ein Anreiz geschaffen werden, trotz wirtschaftlicher Risiken die Entwicklung von Arzneimitteln für Seltene Erkrankungen voranzutreiben. Zugleich wurde berücksichtigt, dass die Durchführung großer klinischer Studien für die Hersteller mit großen Herausforderungen verbunden ist und aufgrund der kleinen Patientenpopulation oftmals wirtschaftlich und technisch nicht möglich ist.

Der Vorteil der Orphan-Regelung entfällt, wenn der Umsatz eines Arzneimittels innerhalb von 12 Monaten 30 Mio. Euro (bis zum Jahr 2022: 50 Mio. Euro) übersteigt, was zu einer Neubewertung des Zusatznutzens auf Basis eines Vergleichs mit einer festgelegten zVT führt.

### **III. Fokus: Marktzugang von Arzneimitteln zur Behandlung onkologischer Seltener Erkrankungen in Deutschland**

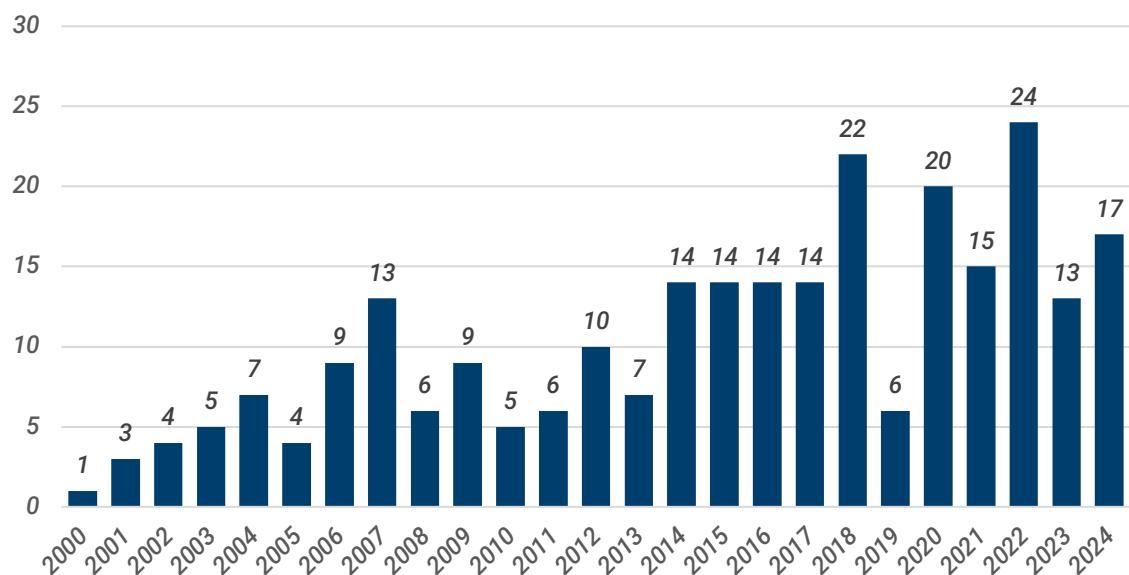
Die Regelungen auf europäischer und deutscher Ebene mit dem Zweck, Anreize für Investitionen in Forschung und Entwicklung von Arzneimitteln für Seltene Erkrankungen zu schaffen, haben zu beachtlichen Erfolgen geführt. Sie bringen aber auch einige Herausforderungen mit sich. Diese sollen im Folgenden genauer betrachtet werden.

## a. Auswirkungen der ordnungspolitischen Instrumente auf die Versorgung mit Orphan Drugs

Die Arzneimittelversorgung für Patientinnen und Patienten mit Seltenen Erkrankungen hat in den letzten 20 Jahren beträchtliche Fortschritte

gemacht. Dazu haben die Orphan Designation auf EU-Ebene und die Orphan-Regelung in Deutschland maßgeblich beigetragen. Bis Ende 2023 wurden mehr als 230 Arzneimittel als Orphan Drugs gegen mehr als 170 Krankheiten in der EU zugelassen.<sup>12</sup> Die Anzahl der neu zugelassenen Orphan Drugs ist seit der europäischen Orphan Drug-Verordnung deutlich angestiegen. Nach der Einführung des AMNOG 2011 und der darin enthaltenen Orphan-Regelung hat sich die Anzahl der Neuzulassungen weiter beschleunigt (vgl. Grafik 1).

## Grafik 1: Zulassungen für Medikamente mit Orphan Drug-Status in der Europäischen Union, 2000-2023<sup>13</sup>



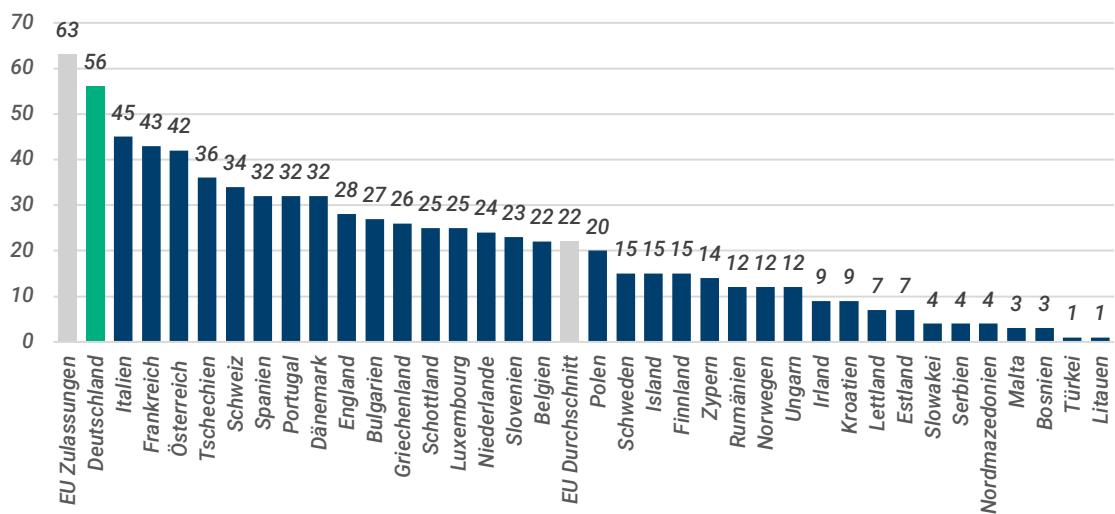
<sup>12</sup> Verband Forschender Arzneimittelhersteller (vfa): [Die Orphan Drug-Verordnung ist ein Erfolg](#). 31.12.2023.

<sup>13</sup> Verband Forschender Arzneimittelhersteller (vfa): [Medikamente gegen seltene Erkrankungen](#). 03.02.2025.

Das AMNOG schafft die Rahmenbedingungen dafür, dass Deutschland den umfassendsten und schnellsten Zugang zu Orphan Arzneimitteln in Europa hat. Von 63 in der EU zugelassenen Orphan Drugs stehen in Deutschland 56 zur Verfügung (vgl. Grafik 2).<sup>14</sup> Die Orphan-Regelung ist somit ein Pull-Mechanismus für Innovationen: Orphan Drugs kommen in Deutschland im Schnitt 45 Tage nach der Zulassung auf den

Markt – der EU-Durchschnitt liegt bei 548 Tagen.<sup>15</sup> Sie machen inzwischen einen Anteil von 34% der jährlichen Neueinführungen aus.<sup>16</sup> Diese Zahlen zeigen eindrücklich die Effektivität der ordnungspolitischen Maßnahmen auf europäischer und deutscher Ebene, welche die Versorgung von Menschen mit Selteneren Erkrankungen durch gezielte Anreizsetzung verbessern.

**Grafik 2: Anzahl der verfügbaren Orphan Drugs in Europa, 2019-2022<sup>17</sup>**



### b. AMNOG: Herausforderungen für Orphan Drugs in der Onkologie

Die Orphan-Regelung im AMNOG stellt in Deutschland einen reibungslosen und schnellen Zugang zu Orphan Drugs sicher. Bei Überschreitung der Umsatzschwelle und erneuter Nutzenbewertung bringt die Evidenzgenerierung für Arzneimittel zur Therapie Seltener Erkrankungen jedoch besondere Herausforderungen mit sich. Aufgrund kleiner Patientenpopulationen sind randomisierte kontrollierte Studien (*randomized controlled trials*, RCTs) der höchsten Evidenzstufe häufig nicht möglich. In Fällen mit einem besonders hohen medizinischen Bedarf

ist es zudem aus ethischen Gründen nicht tragbar, den Patientinnen und Patienten im Vergleichsarm das innovative Arzneimittel im Falle eines Therapieversagens vorzuenthalten.

Generell stehen pharmazeutische Unternehmen in der Arzneimittelentwicklung vor der Herausforderung, die Evidenzanforderung von Zulassung und Nutzenbewertung in ihrer Studienplanung und den Entwicklungsprogrammen zu vereinbaren. Dies kann aufgrund der unterschiedlichen Bewertungszwecke zwischen Zulassungsbehörden und HTA-Instituten erhebliche Schwierigkeiten mit sich bringen. Auf EU-Ebene wurde in der Vergangenheit auf neue

<sup>14</sup> European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA): *Patients W.A.I.T. Indicator 2023 Survey*. Juni 2024.

<sup>15</sup> ÄrzteZeitung. [G-BA-Chef Hecken: Beim Zugang zu Orphan Drugs und Onkologika ist Deutschland Spitze](#). 19.04.2024.

<sup>16</sup> Verband Forschender Arzneimittelhersteller (vfa): *Medikamente gegen seltene Erkrankungen*. 03.02.2025

<sup>17</sup> European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA): *Patients W.A.I.T. Indicator 2023 Survey*. Juni 2024.

Erkenntnisse, Methoden und Datenverfügbarkeiten reagiert und die Zulassungsverfahren wurden entsprechend angepasst, um sicherzustellen, dass dringend benötigte Arzneimittel den Patientinnen und Patienten ohne Verzögerung zugänglich gemacht werden können.

Beim nachgelagerten AMNOG-Verfahren in Deutschland wurden bisher nicht in derselben Weise Anpassungen vorgenommen. Besondere Therapiesituationen werden im Rahmen der frühen Nutzenbewertung meist nicht berücksichtigt. Klinische Studien, die den methodischen Anforderungen einer RCT nicht entsprechen, werden vom IQWiG bzw. vom G-BA in der Regel nicht anerkannt. Hinzu kommen in der Onkologie Studien, die aufgrund der langen Beobachtungszeiten statt des patientenrelevanten Endpunkts des Gesamtüberlebens (*overall survival*) das progressionsfreie Überleben (*progression-free survival, PFS*) in den Blick nehmen, das vom G-BA jedoch bislang meist nicht als Endpunkt berücksichtigt wird.

Die Folge ist meist eine negative Nutzenbewertung mit einer schweren Ausgangslage bei den Erstattungsbetragsverhandlungen, die mit den im GKV-Finanzstabilisierungsgesetz eingeführten Leitplanken zusätzlich beeinträchtigt werden. Die Leitplanken entfalten ihre Wirkung, wenn kein Zusatznutzen, ein geringer oder ein nicht-quantifizierbarer Zusatznutzen festgestellt wird. Das kann auch Orphan Drugs betreffen, wenn diese die Umsatzschwelle überschritten haben. Besonders verheerend ist der Effekt, wenn lediglich eine zweckmäßige Vergleichstherapie mit einem geringen Preisniveau zur Verfügung steht. Das ist in der Onkologie nicht selten, da vergleichsweise günstige Chemotherapien noch häufig eingesetzt werden. Kann das zielgerichtete Orphan Drug aufgrund der methodischen Herausforderungen keinen Zusatznutzen zeigen, fällt es preislich auf ein Niveau unterhalb der Vergleichstherapie.

### c. Anpassung der Umsatzschwelle mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz

Im Herbst 2022 gab es den ersten größeren regulatorischen Eingriff in die Orphan-Regelung im AMNOG: Die Umsatzschwelle, deren

Überschreitung der Auslöser für eine Vollbewertung im AMNOG ist, wurde von zuvor 50 Mio. Euro auf 30 Mio. Euro herabgesetzt. Begründet wurde diese Maßnahme mit notwendigen Einsparungen für die GKV. Grundgedanke der Umsatzschwelle ist, dass nur diejenigen Arzneimittel von der Orphan-Regelung profitieren, die aufgrund eines geringen Jahresumsatzes auf einen höheren Preis angewiesen sind. Bei umsatztarken Orphan Drugs soll die Schwelle finanzielle Einsparungen für das GKV-System generieren.

Im Vorfeld der Absenkung der Umsatzschwelle im Rahmen des GKV-FinStG wurde jedoch keine umfassende Evaluation durchgeführt, welche Auswirkung diese Maßnahme auf die Versorgung haben wird. Viele pharmazeutische Unternehmen wurden daher von der Anpassung überrascht.

Die im Dezember 2024 vorgelegte Evaluation zu den Auswirkungen durch das GKV-FinStG, die vom IGES-Institut durchgeführt wurde, hat die Auswirkungen der Senkung der Umsatzschwelle untersucht und ist zu folgendem Ergebnis gekommen:<sup>18</sup>

- Für das Jahr 2024 erfasst die Evaluation fünf Arzneimittel, die eine Neubewertung nach Überschreitung der Umsatzschwelle durchliefen, die ohne Einführung des GKV-FinStG nicht stattgefunden hätte.
- Daraus ergeben sich für 2024 hypothetische Einsparvolumina zwischen 8 Mio. Euro (5 Prozentpunkte zusätzlicher Rabatt) und 32 Mio. Euro (20 Prozentpunkte zusätzlicher Rabatt).
- Das Einsparziel von 100 Mio. Euro pro Jahr könnte damit nur erreicht werden, wenn sich die Einsparungen über die Jahre kumulieren und umso höher werden, je mehr Orphan Drugs die Schwelle überschreiten.

Die Ergebnisse verdeutlichen, dass eine Anpassung der Orphan-Regelung im AMNOG eine nur bedingt geeignete Maßnahme darstellt, um signifikante Einsparungen für das GKV-System zu erreichen. Zudem sind davon insbesondere die pharmazeutischen Hersteller betroffen, die sich

<sup>18</sup> Bundesministerium für Gesundheit (BMG). [AMNOG-Evaluation](#). Dezember 2024.

auf die politische gewollte Erforschung und Entwicklung von Orphan Drugs spezialisiert haben.

Ohnehin zeigen Untersuchungen zur Preisentwicklung von Orphan Drugs, dass die inflationsbereinigten, normalisierten Behandlungskosten seit Einführung des AMNOG im Jahr 2011 bis 2024 um 6% gesunken sind. Werden die verhandelten Erstattungsbeträge mit einbezogen, ergibt sich sogar ein Rückgang um 24%. Diese Entwicklung deutet darauf hin, dass das AMNOG auch im Bereich der Orphan Drugs als wirkungsvolles Instrument zur Preisregulierung fungiert und somit zur finanziellen Stabilisierung des Gesundheitssystems beiträgt.<sup>19</sup>

Ferner ist zu beachten, dass bei der Berechnung der Umsatzschwelle nicht der Herstellerabgabepreis, sondern der Apothekenverkaufspreis herangezogen wird. Somit sind dabei auch die Margen von Apotheken und Großhandel sowie die Umsatzsteuer beinhaltet – der tatsächliche Umsatz für die pharmazeutischen Unternehmen liegt damit deutlich unterhalb dem für die Umsatzschwelle herangezogenen Wert von 30 Mio. Euro.

Ein erstes konkretes Beispiel für die Auswirkungen der abgesenkten Umsatzschwelle im Rahmen der Orphan-Regelung ist der Wirkstoff Midostaurin. Dieser ist zugelassen zur Behandlung der akuten myeloischen Leukämie (AML) mit FLT3-Mutation und wurde 2018 vom G-BA

mit einem „beträchtlichen“ Zusatznutzen bewertet. Nach Überschreitung der nun geltenden, abgesenkten Schwelle von 30 Millionen Euro, wurde Midostaurin einer erneuten Bewertung unterzogen, mit dem Ergebnis, dass kein Zusatznutzen mehr anerkannt wurde. Begründet wurde dies mit einer Weiterentwicklung des Therapiestandards seit der Erstbewertung, zu dem Midostaurin selbst weiterhin zählt. In einer Pressemitteilung vom 2. Mai 2024 betont der unparteiische Vorsitzende des G-BA, Prof. Josef Hecken, dass Midostaurin in Kombination mit Chemotherapie nach wie vor dem aktuellen Therapiestandard entspricht. Dennoch könne nach den Maßgaben der aktuellen Bewertungssystematik kein Zusatznutzen ausgewiesen werden.<sup>20</sup>

Eine Studie des Verbands der forschenden Pharma-Unternehmen (vfa) zeigt zudem, dass eine Streichung der Orphan-Regelung im AMNOG gravierende Folgen für die Verfügbarkeit neuer Medikamente zur Behandlung Seltener Erkrankungen hätte. 57% der Orphan Drugs hätten demnach bei Wegfall der Regelung und entsprechenden Preisabschlägen ein sehr hohes oder maximales Risiko einer Marktrücknahme.<sup>21</sup> Neben der Gefahr der Marktrücknahmen würden zudem Anreize für die Einführung neuer Produkte in Deutschland wegfallen, was die Arzneimittelversorgung nachhaltig beeinträchtigen würde.

<sup>19</sup> Maag L, Höer A, Müller G: Preisregulierung durch Nutzenbewertung bei seltenen Erkrankungen. MVF 02.06.2024; 17 (3): 73-75; vgl.: Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen (ATSE): [Mythen und Fakten zu seltenen Erkrankungen und Orphan Drugs](#). März 2025.

<sup>20</sup> Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA): [Behandlung der akuten myeloischen Leukämie: G-BA kann Wirkstoff](#)

[Midostaurin keinen Zusatznutzen mehr bescheinigen](#). 02.05.2025.

<sup>21</sup> Verband Forschender Arzneimittelhersteller (vfa): [Abschaffung der Orphan Drug-Regelung: Nur zu Lasten der Patientenversorgung](#). 06.01.2025.

# IV. Analyse: Bedeutung spezialisierter pharmazeutischer Unternehmen für die Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen



Die unerwartete Absenkung der Umsatzschwelle im Rahmen der Orphan-Regelung im AMNOG stellt insbesondere auf Orphan Drugs spezialisierte pharmazeutische Unternehmen vor Herausforderungen, weil bei diesen durch die Absenkung verursachte Umsatzrückgänge nicht durch das restliche Portfolio kompensiert werden können. Die Entwicklung von Orphan Drugs ist für die forschenden Unternehmen mit hohen Kosten und Risiken verbunden. Die Maßnahmen auf europäischer Ebene und im Rahmen des AMNOG in Deutschland führen dazu, dass mehr Unternehmen solche Investitionen tätigen. Zusätzlich zu etablierten Unternehmen, die neben anderen Arzneimitteln auch Orphan Drugs erforschen und entwickeln, haben sich einige kleinere und mittelgroße pharmazeutische Unternehmen darauf spezialisiert, Therapien für Seltene Erkrankungen zu entwickeln.

Diese Unternehmen nehmen im pharmazeutischen Innovationswettbewerb eine bedeutende Rolle ein, indem sie die Hersteller- und Produktvielfalt stärken und Innovationen dort liefern, wo bislang keine oder nur wenige Behandlungsoptionen bestanden. Mit der Durchführung klinischer Studien in Deutschland ermöglichen sie zudem einen frühzeitigen Zugang für Patientinnen und Patienten bereits vor dem eigentlichen Marktzugang. Damit stärken sie nachhaltig den Innovationsstandort und leisten einen wichtigen Beitrag zum deutschen Gesundheits- und Forschungskosystem.

Zugleich sind diese Unternehmen im Besonderen von stabilen regulatorischen Rahmenbedingungen abhängig, auch weil sie aufgrund ihrer Spezialisierung in der Regel nur über ein kleineres Produktpotfolio verfügen und Veränderungen sie daher wirtschaftlich besonders hart treffen können. Um die Bedeutung dieser auf die Entwicklung von Orphan Drugs spezialisierten pharmazeutischen Unternehmen für die Versorgung von Menschen mit Seltenen

(onkologischen) Erkrankungen zu untersuchen, wurde auf Basis von Daten aus dem „AMNOG-Monitor“ eine Analyse durchgeführt.

## a. Vorgehen und Operationalisierung

Berücksichtigt wurden in der Analyse alle Nutzenbewertungsverfahren des G-BA, die seit Einführung des AMNOG (Startdatum 01.01.2011) durchgeführt wurden. Die jüngsten Daten, die berücksichtigt werden konnten, sind die Verfahren, die mit G-BA Beschluss am 17.10.2024 abgeschlossen worden sind. Produkte, die nicht (mehr) in Deutschland vertrieben werden, wurden für die Auswertung nicht berücksichtigt. Die Analyse wurde für alle Orphan Drugs und speziell für alle Orphan Drugs in der Onkologie durchgeführt. Die Daten aus dem „AMNOG-Monitor“ wurden mithilfe deskriptiver Statistik ausgewertet.

Als spezialisierte pharmazeutische Unternehmen wurden die Hersteller klassifiziert, bei denen mindestens 50% der in Deutschland vertriebenen Produkte den Orphan-Status der EMA (*orphan designation*) als Arzneimittel zur Behandlung Seltener Erkrankungen besitzen. Die 50%-Grenze wurde gewählt, da davon auszugehen ist, dass, wenn mindestens die Hälfte des Portfolios eines Herstellers aus Orphan Drugs besteht, die Forschung und Entwicklung dieser Arzneimittel-Kategorie eine zentrale Rolle bei der strategischen Ausrichtung des jeweiligen Unternehmens einnimmt.

Um die Aussagekraft der 50%-Grenze zusätzlich zu überprüfen, wurde ein Quervergleich mit der globalen Mitarbeiterzahl und Jahresumsatzvolumen vorgenommen. Von den insgesamt 40 Unternehmen, die als spezialisierte pharmazeutische Unternehmen klassifiziert wurden, überschreiten nur drei die Grenze von 10.000 Mitarbeitenden weltweit. Beim Umsatz liegen 37 der 40 Unternehmen unterhalb der Schwelle

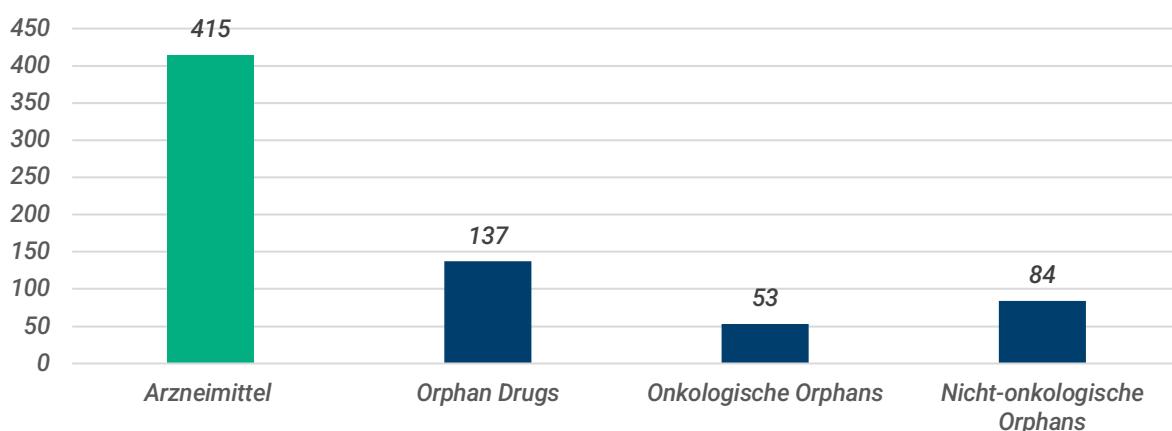
von 10 Mrd. Euro pro Jahr. Bei den spezialisierten pharmazeutischen Unternehmen handelt es sich somit überwiegend um kleinere und mittelgroße Unternehmen.

## b. Ergebnisse

**Übersicht der untersuchten Fälle** Insgesamt wurden im untersuchten Zeitraum 468

Arzneimittel im AMNOG-Verfahren bewertet, für die im Anschluss ein Erstattungsbetrag verhandelt wurde. Davon werden 415 nach wie vor in Deutschland vertrieben. Rund ein Drittel der registrierten Arzneimittel hatten zum Zeitpunkt der Bewertung eine *orphan designation*.<sup>22</sup> Im Bereich Onkologie haben 133 Arzneimittel das AMNOG durchlaufen. Davon waren 53, also rund 40%, Orphan Drugs (vgl. Grafik 3).

**Grafik 3: Anzahl im AMNOG bewerteter Arzneimittel, 2011-2024 (eigene Darstellung basierend auf Daten des AMNOG-Monitors)**



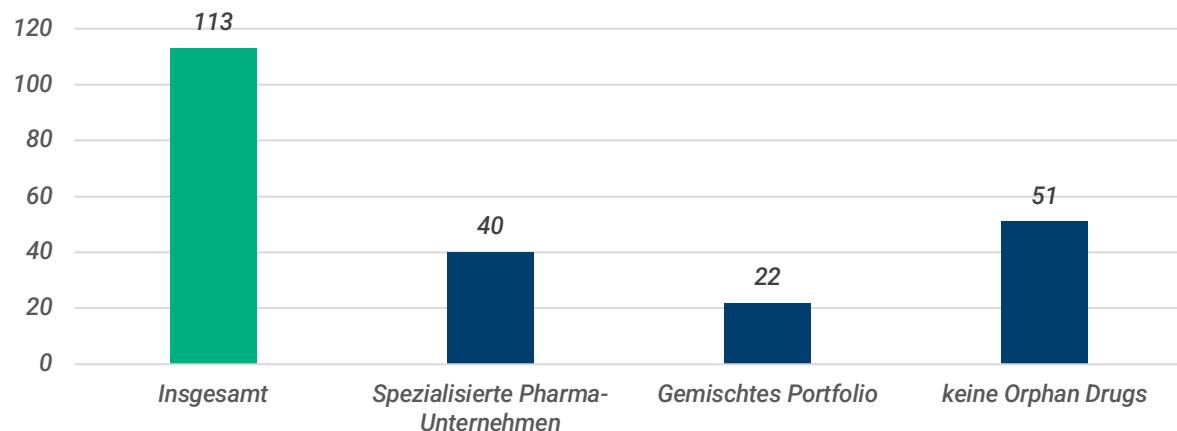
**Anteil spezialisierter pharmazeutischer Unternehmen** 113 Unternehmen haben im betrachteten Zeitraum AMNOG-pflichtige Arzneimittel in Deutschland eingeführt. 40 davon wurden in der Analyse als spezialisierte pharmazeutische Unternehmen identifiziert (Anteil Orphan Drugs im Portfolio  $\geq 50\%$ ). Das entspricht gut 35% der gesamten Unternehmen. Die neu eingeführten Orphan Drugs gehen auf 62 unterschiedliche

Unternehmen zurück. Auf Orphan Drugs spezialisierte pharmazeutische Unternehmen vertrieben insgesamt 87 Produkte. Davon besitzen insgesamt 68 eine *orphan designation*, was einem Anteil von fast 80% entspricht. Die spezialisierten pharmazeutischen Unternehmen sind insgesamt für die Hälfte der neu eingeführten Orphan Drugs verantwortlich (vgl. Grafik 4).

<sup>22</sup> Die Zahlen decken sich mit Analysen des vfa (<https://www.vfa.de/de/wirtschaft-politik/amnog>) und des AMNOG-Reports der DAK (<https://www.dak.de/presse/bundesthemen/umfragen-studien/amnog-report-2024-kosten-fuer-neue-arthneimittel->

[steigen-immer-weiter-an-trotz-massnahmen-zur-ausgabenbegrenzung\\_76668](https://www.vfa.de/de/wirtschaft-politik/amnog)). Laut vfa durchliefen bis Ende 2023 429 Produkte das AMNOG. Laut DAK-Report wurden bis zum 31.05.2024 für 440 Produkte eine AMNOG-Nutzenbewertung veranlasst.

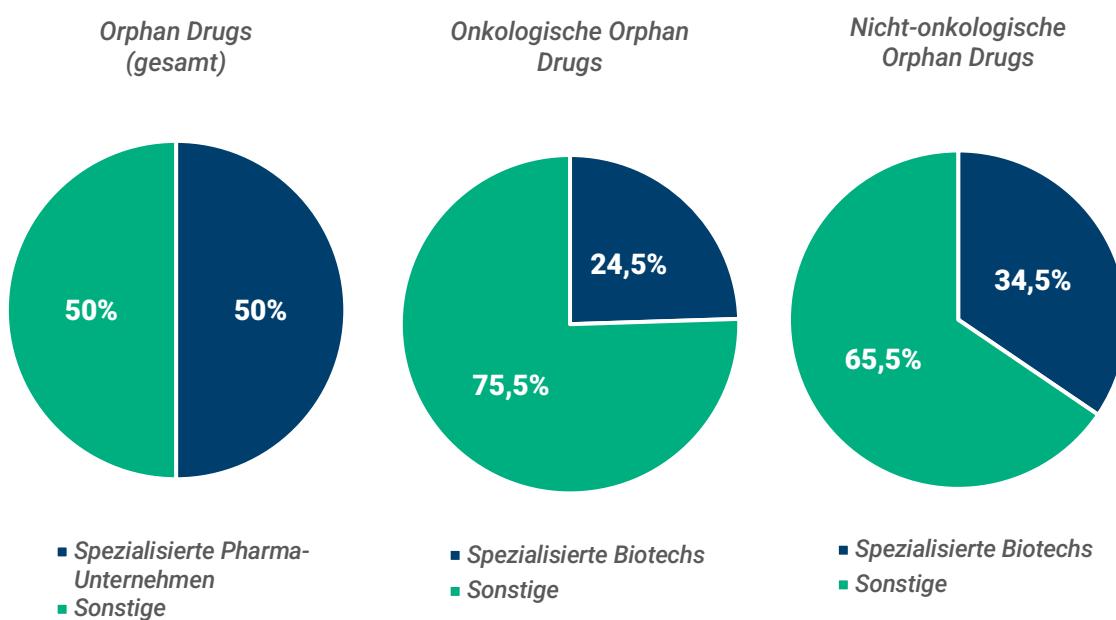
**Grafik 4: Anzahl pharmazeutischer Unternehmen im AMNOG-Verfahren, 2011-2024 (eigene Darstellung basierend auf Daten des AMNOG-Monitors)**



**Orphan Drugs in der Onkologie** Onkologische Arzneimittel wurden von 44 unterschiedlichen Unternehmen in den deutschen Markt eingeführt. Insgesamt haben 29 Unternehmen onkologische Orphan-Arzneimittel auf den Markt gebracht. Davon sind elf auf Orphan Drugs spezialisierte pharmazeutische Unternehmen. 13 der von spezialisierten Unternehmen

vertriebenen Orphan Drugs sind aus dem Bereich der Onkologie, 55 sind nicht-onkologisch. Der Anteil der onkologischen Orphan Drugs, die von spezialisierten pharmazeutischen Unternehmen vertrieben werden, liegt bei 24,5%, der Anteil der nicht-onkologischen Orphan Drugs bei 65,5% (vgl. Grafik 5).

**Grafik 5: Verteilung eingeführter Orphan Drugs auf Unternehmenstypen, 2011-2024 (eigene Darstellung basierend auf Daten des AMNOG-Monitors)**



Dass die Hälfte der in Deutschland eingeführten Arzneimittel für Seltene Erkrankungen auf spezialisierte pharmazeutische Unternehmen

zurückzuführen ist, zeigt eindrücklich, welchen Beitrag diese Hersteller für die Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen leisten.

Auch ein Anteil von fast einem Viertel bei der Entwicklung von Orphan Drugs zur Behandlung besonders betroffen, wenn kurzfristige regulatorische Anpassungen zu Einsparungszwecken beschlossen werden, wie es bei der Absenkung der Umsatzschwelle im Rahmen des GKV-FinStG der Fall war.

Eine erneute unvorhersehbare Anpassung des Regulierungsrahmens würde die Geschäftsgrundlage der hoch spezialisierten pharmazeutischen Unternehmen in Deutschland weiter

von Krebserkrankungen zeichnet ein deutliches Bild. Diese spezialisierten Unternehmen sind gefährden. Mögliche Folgen wären, dass bereits eingeführte Arzneimittel vom Markt verschwinden, Arzneimittel erst später in Deutschland auf den Markt kommen oder die Zulassung in der EU mit Verzögerung erfolgt. Außerdem würde ein starker Anreiz verloren gehen, Medikamente zur Behandlung von Erkrankungen zu entwickeln, wo derzeit noch keine oder nur unzureichende Therapieoptionen bestehen.

# V. Aktuelle Entwicklungen und Handlungsempfehlungen



Die Orphan Drug-Regelungen auf europäischer und deutscher Ebene haben wirksame Anreize für die Entwicklung von Arzneimitteln zur Behandlung Seltener Erkrankungen geschaffen. Die Maßnahmen haben zu den gewünschten Ergebnissen geführt und es wurde in den vergangenen Jahren eine Vielzahl innovativer Orphan Drugs zugelassen. Das GKV-Finanzstabilisierungsgesetz hat in diesen funktionierenden Mechanismus eingegriffen. Die langfristigen Folgen für die Versorgung, zum Beispiel aufgrund von Marktrücknahmen oder Nichteinführungen, wurden dabei nicht vorab geprüft. Auch aktuell lassen sich diese kaum abschätzen, wie eine Evaluation des Gesetzes durch das BMG zeigt<sup>23</sup>.

Auf europäischer Ebene befindet sich mit dem EU-Pharmapaket ein umfassendes Reformpaket der europäischen Arzneimittelregulierung im parlamentarischen Prozess. Im Rahmen des Pakets sollen unter anderem Patent- und Unterlagenschutz für neue Arzneimittel reformiert werden. Der grundsätzlich geltende Unterlagenschutz soll dabei verkürzt werden. Verlängerungen des Unterlagenschutzes sollen möglich sein, zum Beispiel wenn ein Unternehmen Forschung und Entwicklung in Europa durchführt oder wenn ein Arzneimittel für eine Indikation mit einem hohen ungedeckten medizinischen Bedarf entwickelt wurde. Außerdem soll die Marktexasklusivität für Orphan Drugs angepasst werden. Künftig soll diese standardmäßig auf neun Jahre festgesetzt, unter bestimmten Voraussetzungen jedoch auf 13 Jahre verlängert werden – wenn z.B. das Medikament in allen Mitgliedsstaaten zur Verfügung steht oder wenn es einen hohen medizinischen Bedarf deckt.

Angesichts angespannter GKV-Finanzen wird in der gesundheitspolitischen Debatte weiterhin über mögliche Einsparungen diskutiert und Rufe

nach einer Reform des AMNOG werden lauter. Auch Einsparungen bei den Arzneimittelausgaben und Orphan Drugs werden insbesondere von Kassenseite ins Spiel gebracht.<sup>24</sup>

Forderungen, Orphan Drugs einer vollumfänglichen Nutzenbewertung zu unterziehen bei Geltung derselben Evidenzanforderungen, wie an Arzneimittel für „breite“ Indikationen, sind abzulehnen. Perspektivisch müssen Herausforderungen in der Evidenzgenerierung und den Studiendesigns in der AMNOG-Nutzenbewertung stärker Berücksichtigung finden. In Fällen, in denen Studien höchster Evidenzstufe nicht durchführbar oder nicht angemessen sind, muss die bestmögliche verfügbare Evidenz akzeptiert werden. Dazu zählen unter anderem auch alternative methodische Optionen und die Nutzung indirekter bzw. historischer Vergleiche.

Die Verbesserung der Arzneimittelversorgung Seltener Erkrankungen ist eine bedeutende politische Mission und Ausdruck des solidarischen Gesundheitssystems. Aus Sicht der medizinischen Versorgung ist die Sonderrolle für Orphan Drugs damit weiter sinnvoll. Dabei gilt der Grundsatz, dass Patientinnen und Patienten nicht aufgrund der Seltenheit ihrer Erkrankung diskriminiert werden dürfen.<sup>25</sup>

Notwendig ist dafür ein funktionierender Wettbewerb, in dem Investitionen durch die gesetzten Rahmenbedingungen kanalisiert werden und die Arzneimittelentwicklung incentiviert wird. Versuche, die Ausgabenentwicklung der GKV durch eine Abschwächung der Anreize zur Arzneimittelentwicklung zu bremsen, gehen gegen dieses erklärte Ziel und den Grundsatz eines solidarischen Gesundheitssystems.

Mit der Nationalen Pharmastrategie und der Umsetzung des Medizinforschungsgesetzes im

<sup>23</sup> Bundesministerium für Gesundheit (BMG). [AMNOG-Evaluation](#). Dezember 2024.

[und der EU](#). 125. Sitzung des Gesundheitsausschusses. 06.11.2024.

<sup>24</sup> Deutscher Bundestag. [Fachgespräch zu den aktuellen Entwicklungen und Herausforderungen bei der Zulassung und Markteinführung sogenannter Orphan Drugs in Deutschland](#)

<sup>25</sup> Ebd.

Jahr 2024 hat die Bundesregierung Schritte eingeleitet, um die pharmazeutische Industrie in Deutschland zu stärken sowie speziell Forschung und Entwicklung zu fördern. Maßnahmen, die sich gegen funktionierende Anreize wie die Orphan-Regelung richten und einseitig die Ausgaben für Arzneimittel in den Blick nehmen, drohen, dem erklärten Ziel der Strategie entgegenzuwirken und den Pharmastandort Deutschland unattraktiver für Investitionen zu machen.

Unternehmen brauchen langfristige Perspektiven und Planungssicherheit. Grundsätzlich kann es unvorhersehbare negative Folgen für die Versorgung von Menschen mit Seldenen Erkrankungen haben, wenn ohne eine solide Folgenabschätzung in etablierte Mechanismen im Rahmen des Zugangs zu Arzneimitteln eingegriffen wird. Kurzfristige Markteingriffe, wie die Absenkung der Umsatzschwelle im GKV-FinStG, gefährden das Geschäftsmodell insbesondere kleinerer, spezialisierter pharmazeutischer

Unternehmen und damit langfristig das Angebot an innovativen Arzneimitteln für Seltene Erkrankungen und dies speziell in der Onkologie. Um die Versorgung von Orphan Drugs in Deutschland auch in Zukunft sicherzustellen, ist entschlossenes politisches Handeln gefragt.

## **1. Keine weiteren, kurzfristigen Eingriffe in die Orphan-Regelung im AMNOG!**

Angesichts der Bedeutung von Arzneimitteln zur Behandlung Seltener onkologischer Erkrankungen für die Versorgung ist von weiteren Eingriffen in die Rahmenbedingungen für Orphan Drugs abzusehen.

## **2. Rückkehr zur ursprünglichen Umsatzschwelle von 50 Mio. Euro!**

Um Anreize für Forschung und Entwicklung zu stärken und diese nachhaltig zu sichern, bedarf es der Rückkehr zur ursprünglichen Umsatzschwelle von 50 Mio. Euro.

# Quellen



Arbeitsgemeinschaft Therapie Seltene Erkrankungen (ATSE): [Mythen und Fakten zu seltenen Erkrankungen und Orphan Drugs](#). März 2025.

ÄrzteZeitung. [G-BA-Chef Hecken: Beim Zugang zu Orphan Drugs und Onkologika ist Deutschland Spitze](#). 19.04.2024.

Bundesministerium für Gesundheit (BMG). [AMNOG-Evaluation](#). Dezember 2024.

DAK: [AMNOG-Report 2023: GKV-Finanzstabilisierungsgesetz und seine Auswirkungen](#). März 2023.

Deutscher Bundestag. [Fachgespräch zu den aktuellen Entwicklungen und Herausforderungen bei der Zulassung und Markteinführung sogenannter Orphan Drugs in Deutschland und der EU](#). 125. Sitzung des Gesundheitsausschusses. 06.11.2024.

Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ). [Krebsstatistiken: So häufig ist Krebs in Deutschland](#). 22.12.2023.

Deutsches Krebsforschungszentrum (DKFZ). [RATIONALE nimmt seltene Krebserkrankungen in den Fokus](#). 16.12.2024

Eckert, A: [Diagnose, Therapie, Prognose: Seltene Krebserkrankungen](#). Esanum, 24.02.2024.

European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA): [Patients W.A.I.T. Indicator 2023 Survey](#). Juni 2024.

Eisfeld C, Kajüter H, Möller L, et al.: *Time trends in survival and causes of death in multiple myeloma: a population-based study from Germany*. BMC Cancer 6. April 2023; 23 (1): 317 [CrossRef](#) [MEDLINE](#) [PubMed Central](#)

Gatta G, Capoccacia R, Botta L et al.: *Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet—a population-based study*. The Lancet Oncology August 2017; 18 (8): p1022-1039.

Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA): [Behandlung der akuten myeloischen Leukämie: G-BA kann Wirkstoff Midostaurin keinen Zusatznutzen mehr bescheinigen](#). 02.05.2025.

Maag L, Höer A, Müller G: *Preisregulierung durch Nutzenbewertung bei seltenen Erkrankungen*. MVF 02.06.2024; 17 (3): 73-75.

Mackert, D: [Orphan Drugs. Wenn Seltenheit auf Wirksamkeit trifft](#). PZ, 22.12.2023.

Orphanet: [Über Orphan Drugs](#).

Robert Koch Institut (RKI): [Krebs gesamt](#). Zentrum für Krebsregisterdaten. 08.10.2024.

Verband Forschender Arzneimittelhersteller (vfa): [Abschaffung der Orphan Drug-Regelung: Nur zu Lasten der Patientenversorgung](#). 06.01.2025.

Verband Forschender Arzneimittelhersteller (vfa): [Die Orphan Drug-Verordnung ist ein Erfolg](#). 31.12.2023.

Verband Forschender Arzneimittelhersteller (vfa): [Medikamente gegen seltene Erkrankungen](#). 03.02.2025.