

Orphan-Arzneimittel nach Indikationen

Gemäß der Verordnung (EG) 141/2000 zu Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten zugelassene Präparate: 106

Derzeit sind in der Europäischen Union die in der nachfolgenden Tabelle genannten 106 Medikamente als Orphan Drugs zugelassen. Davon sind die einige Wirkstoffe gegen mehr als eine seltene Erkrankung angezeigt und tauchen deshalb in der Liste mehrfach auf. Die Erkrankten-Zahlen basieren auf dem Dokument der Zuerkennung des Orphan-Status der europäischen Zulassungsbehörde EMA. Datiert dieses vor 2011, wurde die Zahl auf die aktuelle Bevölkerungszahl der EU hochgerechnet (lt. Eurostat 514 Mio. Einwohner). Unterschiedliche Zahlen der Betroffenen in einem bestimmten Anwendungsgebiet sind in unterschiedlichen Alters- und Patientengruppen begründet.

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
ADA-SCID schwerer kombinierter Immundefekt aufgrund von Adenosin-Desaminase-Mangel (ADA-SCID)	Autologe Zellen	Strimvelis®	Mai 2016	Orchard Therapeutics	2.000
Akromegalie Riesenwuchs	Pasireotid	Signifor®	Nov 2014	Novartis	102.000
Alpha-Mannosidose erbliche lysosomale Speicherkrankheit	Velmanase alfa	Lamzede®	Mrz 2018	Chiesi Farmaceutici	5.000
Amyloidose Proteinablagerungen um Nerven und Körpergewebe	Tafamidis	Vyndaqel®	Nov 2011	Pfizer	5.040
Angioödem, hereditäres z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute	Icatibant	Firazyr®	Jul 2008	Shire	128.300
Angioödem, hereditäres, Prophylaxe z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute	Lanadelumab	Takhzyro®	Nov 2018	Shire	26.000
Apnoe bei Frühgeborenen, primäre Aussetzen der Atmung über mehr als 20 Sekunden	Coffeincitrat	Peyona®	Jul 2009	Chiesi Farmaceutici	43.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Aspergillose, invasive seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion	Isavuconazol	Cresemba®	Okt 2015	Basilea	102.000
Atypisches Hämolytisch-Urämisches Syndrom (aHUS) Erkrankung der kleinen Blutgefäße	Eculizumab	Soliris®	Nov 2011	Alexion	5.000
Barraquer-Simons-Syndrom atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	120
Berardinelli-Seip-Syndrom atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	500
B-Zell-Lymphom, großes, diffuses Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Tisagen lecleucel	Kymriah®	Aug 2018	Novartis	235.500
B-Zell-Lymphom, großes, diffuses Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Axicabtagen ciloleucel	Yescarta®	Aug 2018	Gilead	235.500
B-Zell-Lymphom, primär, mediastinal, groß Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen, die sich häufig im Brustraum ansammeln	Axicabtagen ciloleucel	Yescarta®	Aug 2018	Gilead	25.500
Castleman-Krankheit abnorme Vergrößerung eines oder mehrerer Lymphknotens, oft mit gutartigen Tumoren	Siltuximab	Sylvant®	Mai 2014	Janssen-Cilag	51.000
Cholangitis, primäre biliäre Entzündung der Gallengänge, die auch das Lebergewebe angreift (bis zur Zirrhose)	Obeticholsäure	Ocaliva®	Dez 2016	Intercept	200.000
Cushing Syndrom durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut	Ketoconazol	Ketoconazole HRA®	Nov 2014	Laboratoire HRA Pharma	46.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Cushing Syndrom durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut	Pasireotid	Signifor®	Apr 2012	Novartis	23.000
Cystinablagerungen in der Hornhaut Überschüssiges Cystin wird nicht abgebaut	Mercaptamin	Cystadrops®	Jan 2017	Orphan Europe	5.000
Cytomegalievirus-Reaktivierung oder - Erkrankung, Prophylaxe bei Empfängern einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation	Letermovir	Prevymis®	Jan 2018	MSD Sharp & Dohme	195.000
Duchenne Muskeldystrophie Progressiver symmetrischer Muskelabbau	Ataluren	Translarna®	Jul 2014	PTC Therapeutics	20.000
Eierstockkrebs Rückfall, platinsensible Fälle	Trabectedin	Yondelis®	Okt 2009	Pharma Mar	121.000
Eierstockkrebs Tumore, die in den Eierstöcken beginnen und sich auf umliegendes Gewebe ausbreiten	Niraparib	Zejula®	Nov 2017	Tesaro	220.000
Erythropoetische Protoporphyrrie, Phototoxizität Genetischer Defekt bei der Blutbildung, der mit schmerzhafter Lichtunverträglichkeit einhergeht	Afamelanotid	Scenesse®	Dez 2014	Clinuvel	10.000
Faktor X-Mangel Blutgerinnungsstörung	Humaner Gerinnungsfaktor X	Coagadex®	Mrz 2016	Bioproducts	51.000
Familiäre partielle Lipodystrophie atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	1.500
Gallensäuresynthesestörung infolge von Sterol-27-Hydroxylase-Mangel, AMACR-Mangel oder CYP7A1-Mangel	Cholsäure	Kolbam®	Apr 2014	Retrophin Europe	4.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Gallensäuresynthesestörung infolge von 3β-Hydroxy-Δ ⁵ -C ₂₇ -steroid-Oxidoreductase-Mangel oder Δ ⁴ -3-Oxosteroid-5β-Reductase-Mangel	Cholsäure	Orphacol®	Sep 2013	Laboratoires CTRS	4.000
Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore, Behandlung Tumor der neuroendokrinen Zellen in Pankreas und Darm	Lutetium (177Lu) oxodotreotid	Lutathera®	Sep 2017	Advanced Accelerator Applications	82.250
Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore, Diagnose Lokalisierung von Primärtumoren und deren Metastasen per PET	Edotreotid	Somakit TOC®	Dez 2016	Advanced Accelerator Applications	180.000
Hämophilie B Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Eftrenonacog alpha	Alprolix®	Mai 2016	Swedish Orphan Biovitrum	10.000
Hämophilie B Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Albutrepenonacog	Idelvion®	Mai 2016	CSL Behring	10.000
Harnstoffzyklusstörung Harnstoffzyklusstörung aufgrund verschiedener Enzymmangelerkrankungen	Glycerolphenylbutyrat	Ravicti®	Nov 2015	Horizon Therapeutics	61.500
Hodgkin Lymphom Krebs des Lymphsystems	Brentuximab vedotin	Adcetris®	Okt 2012	Takeda	51.300
Hyperammonämie aufgrund verschiedener seltener Erkrankungen Harnstoffzyklusstörung durch Enzymmangel	Carglumsäure	Carbaglu®	Mai 2011	Orphan Europe	3.000
Hypoparathyreoidismus Unterfunktion der Nebenschilddrüse	Parathyroidhormon (rekombinant)	Natpar®	Apr 2017	Shire	180.000
Hypophosphatämie, X-chromosomal, mit röntgenologisch nachgewiesener Knochenerkrankung erblich bedingte hohe FGF23-Werte, die einen Mangel an für den Knochenaufbau wichtigem Phosphat verursachen	Burosumab	Crysvita®	Feb 2018	Kyowa Kirin	30.720

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Hypophosphatasie Behandlung der Knochenmanifestationen der Krankheit	Asfotase alfa	Strensiq®	Aug 2015	Alexion	500
Karzinoid-Syndrom Krebs in Hormon-produzierenden Zellen	Telotristat	Xermelo®	Sep 2017	Ipsen Pharma	36.000
Keratitis, neurotrophe degenerative Erkrankung der Hornhaut des Auges	Cenegermi	Oxervate®	Jul 2017	Dompé	215.000
Keratokonjunktivitis, vernal chronische schwere allergische Entzündung des Augenlids	Ciclosporin	Verkazia®	Jul 2018	Santen Oy	165.000
Kurzdarmsyndrom chronische Verdauungsstörungen nach chirurgischer Entfernung von Teilen des Darms	Teduglutid	Revestive ®	Aug 2012	Shire	22.000
Lambert-Eaton-Myasthenisches Syndrom neurologisch bedingte Muskelschwäche	Amifampridin	Firdapse®	Dez 2009	BioMarin Europe	5.300
Lawrence-Syndrom atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	50
Lebersche ererbte Amaurose ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut	Voretigen neparvovec	Luxturna®	Nov 2018	Novartis	10.000
Lebersche ererbte Optikusneuropathie (LHON) akuter, meist schmerzloser Verlust der Sehkraft innerhalb weniger Monate	Idebenon	Raxone®	Sep 2015	Santhera	10.000
Leukämie, akute lymphatische akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)	Blinatumomab	Blinicyto®	Nov 2015	Amgen	92.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Leukämie, akute lymphatische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Tisagen lecleucel	Kymriah®	Aug 2018	Novartis	61.000
Leukämie, akute lymphatische Lymphozytenüberproduktion (häufigste Blutkrebsform bei Kindern)	Ponatinib	Iclusig®	Jul 2013	Incyte Biosciences	51.000
Leukämie, akute lymphatische akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)	Inotuzumab ozogamicin	Besponsa®	Jun 2017	Pfizer	20.000
Leukämie, akute lymphatische Lymphozytenüberproduktion (häufigste Blutkrebsform bei Kindern)	Mercaptopurin	Xaluprine®	Mrz 2012	Nova Laboratories	61.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs; Myeloblastenüberproduktion	Gemtuzumab ozogamin	Mylotarg®	Apr 2018	Pfizer	51.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)	Decitabin	Dacogen®	Sep 2012	Janssen-Cilag	101.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion); mit FLT3-Mutation	Midostaurin	Rydapt®	Sep 2017	Novartis	35.500
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Daunorubicin / Cytarabin	Vyxeos®	Aug 2018	Jazz Pharmaceuticals	51.000
Leukämie, chronisch lymphatische Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion)	Obinutuzumab	Gazyvaro®	Jul 2014	Roche	154.000
Leukämie, chronisch lymphatische Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion)	Ibrutinib	Imbruvica®	Okt 2014	Janssen	153.000
Leukämie, chronisch myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)	Nilotinib	Tasigna®	Nov 2007	Novartis	51.000
Leukämie, chronisch myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)	Ponatinib	Iclusig®	Jul 2013	Incyte Biosciences	41.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Limbusstammzelleninsuffizienz nach Verbrennung / Verätzung des Auges	Lebendes (Hornhaut)Gewebeäquivalent	Holoclar®	Feb 2015	Chiesi Farmaceutici	15.000
Lungenfibrose, idiopathische bis zum Tod fortschreitende Vernarbung des Lungengewebes	Pirfenidon	Esbriet®	Mrz 2011	Roche	153.200
Lungenfibrose, idiopathische bis zum Tod fortschreitende Vernarbung des Lungengewebes	Nintedanib	Ofev®	Jan 2015	Boehringer Ingelheim	153.000
Lungenhochdruck, arterieller und chronisch thromboembolischer pulmonaler (zur Lunge führend) arterieller und chronisch-thromboembolischer Bluthochdruck in der Lunge	Riociguat	Adempas®	Mrz 2014	Bayer	103.000
Lungenhochdruck, pulmonale arterielle Hypertonie Bluthochdruck in den pulmonalen (zur Lunge führenden) Arterien	Macitentan	Opsumit®	Dez 2013	Janssen-Cilag	92.000
Lymphom, anaplastisches großzelliges Krebs des Lymphsystems	Brentuximab vedotin	Adcetris®	Okt 2012	Takeda	10.100
Lysosomaler saurer Lipase-Mangel Enzymmangel-Erkrankung	Sebelipase alfa	Kanuma®	Aug 2015	Alexion	10.000
Mantelzell-Lymphom Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten)	Ibrutinib	Imbruvica®	Okt 2014	Janssen	31.000
Mantelzell-Lymphom Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten)	Temsirolimus	Torisel®	Aug 2009	Pfizer	20.000
Mantelzell-Lymphom Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten)	Lenalidomid	Revlimid®	Jul 2016	Celgene	31.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Mastozytose Anreicherung zu vieler Mastzellen (ein Typ weißer Blutkörperchen) in den Organen	Midostaurin	Rydapt®	Sep 2017	Novartis	46.500
Merkelzellkarzinom Hautkrebs, der in den Merkelzellen beginnt	Avelumab	Bavencio®	Sep 2017	Merck	21.000
Morbus Fabry vererbter Enzymmangel	Migalastat	Galafold®	Mai 2016	Amicus Therapeutics	118.000
Morbus Gaucher Typ 1 vererbter Enzymmangel	Velaglucerase alfa	VPRIV®	Aug 2010	Shire	15.200
Morbus Gaucher Typ 1 vererbter Enzymmangel	Eliglustat	Cerdelga®	Jan 2015	Genzyme	15.000
Morbus Waldenström Lymphoplasmatisches Lymphom - ein Non-Hodgkin-Lymphom	Ibrutinib	Imbruvica®	Jul 2015	Janssen	5.000
Mukopolysaccharidose Typ IVA Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Elosulfase alfa	Vimizim®	Apr 2014	BioMarin Europe	1.500
Mukopolysaccharidose Typ VII, Sly Syndrom Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Vestronidase alfa	Mepsevii®	Aug 2018	Ultragenyx	35
Mukormykose seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion	Isavuconazol	Cresemba®	Okt 2015	Basilea	3.000
Mukoviszidose Behandlung von Bronchospasmen durch Mukoviszidose	Mannitol	Bronchitol®	Apr 2012	Pharmaxis	35.300
Mukoviszidose mit bestimmten Genmutationen vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports	Tezacaftor / Ivacaftor	Symkevi®	Okt 2018	Vertex	48.000
Mukoviszidose mit bestimmten Mutationen im CFTR-Gen vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports	Ivacaftor	Kalydeco®	Jul 2012	Vertex	35.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung verursacht durch Pseudomonas aeruginosa	Tobramycin	TOBI Podhaler®	Jul 2011	Novartis	65.000
Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung verursacht durch Pseudomonas aeruginosa	Aztreonamlysin	Cayston®	Sep 2009	Gilead	65.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Ixazomib	Ninlaro®	Nov 2016	Takeda	205.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Daratumumab	Darzalex®	Mai 2016	Janssen	205.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Pomalidomid	Imnovid®	Aug 2013	Celgene	66.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Carfilzomib	Kyprolis®	Nov 2015	Amgen	169.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Panobinostat	Farydak®	Aug 2015	Novartis	170.000
Muskelatrophie, 5q-assoziierte spinale Erkrankung der Motorneuronen durch Mangel an Survival Motorneuron-Protein (SMN)	Nusinersen	Spinraza®	Mai 2017	Biogen	21.000
Myasthenia gravis Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	Eculizumab	Soliris®	Aug 2017	Alexion	191.000
Mycosis fungoides oder Sézarny Syndrom beides sind kutane T-Zell-Lymphome	Mogamulizumab	Poteligeo®	Nov 2018	Kyowa Kirin	134.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Myelodysplastisches Syndrom böartige Veränderung des Blutbildes, Leukämievorstufe	Lenalidomid	Revlimid®	Jun 2013	Celgene	153.000
Myotonie ererbte Störung der Entspannung von Muskeln, die mit Schmerzen und Steifigkeit einhergeht	Mexiletin	Namuscla®	Dez 2018	Lupin	62.000
Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie Exzessive Tagesschläfrigkeit	Pitolisant	Wakix®	Mrz 2016	Bioprojet Pharma	205.000
Nebenniereninsuffizienz Hormonproduktion der Nebenniere unzureichend	Hydrocortison	Plenadren®	Nov 2011	Shire	228.000
neonataler Diabetes mellitus	Glibenclamid	Amglidia®	Mai 2018	AMMTek	1.000
Nephropathische Cystinose Ansammlung des Proteins Cystin in Zellen (z. B. Leukozyten, Muskel- und Leberzellen)	Cysteamin	Procysbi®	Sep 2013	Chiesi Orphan	5.000
Neuroblastom (Hochrisiko) solider Tumor der Nervenzellen; häufig im Bauch oder an der Wirbelsäule	Dinutuximab beta	Qarziba®	Mai 2017	Eusa Pharma	51.000
Neuronale Ceroid-Lipofuszinose Mangel an Tripeptidyl-Peptidase 1, einem Enzym zum Proteinabbau in den Zellen	Cerliponase alfa	Brineura®	Mai 2017	BioMarin Europe	15.000
Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom Tag-Nacht-Rhythmus-Störungen bei Blinden	Tasimelteon	Hetlioz®	Jul 2015	Vanda	169.000
Ösophagitis, eosinophil Speiseröhrenentzündung durch Eosinophile (weiße Blutkörperchen)	Budesonid	Jorveza®	Jan 2018	Dr. Falk Pharma	159.000
Pankreaskarzinom Krebs der Bauchspeicheldrüse	Irinotecan	Onivyde®	Okt 2016	Baxalta	82.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	Eculizumab	Soliris®	Jun 2007	Alexion	5.000
Perianale Fisteln bei Morbus Crohn entzündlich veränderte Gänge (Fisteln) im Bereich der Analregion	Darvadstrocel	Alofisel®	Mrz 2018	Takeda	177.500
Phenylketonurie und BH4-Mangel vererbter Defekt im Tyrosin-Stoffwechsel	Sapropterin	Kuvan®	Dez 2008	BioMarin Europe	85.000
Polyneuropathie bei Transthyretin- Amyloidose Ansammlung von Proteinen (Transthyretine) in Organen	Inotersen	Tegsedi®	Jul 2018	Ionis	153.000
Retinits pigmentosa ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut	Voretigen neparvovec	Luxturna®	Nov 2018	Novartis	153.000
Riesenastrozytom aufgrund tuberöser Sklerose, subependymales durch die genetisch bedingte tuberöse Sklerose verursachter Hirntumor	Everolimus	Votubia®	Sep 2011	Novartis	51.000
Schilddrüsenkarzinom, medulläres	Cabozantinib	Cometriq®	Mrz 2014	Ipsen Pharma	35.700
Schilddrüsenkrebs differenzierte follikuläre / papilläre / Hürthle- Zell-Schilddrüsenkarzinome	Sorafenib	Nexavar®	Nov 2014	Bayer	61.000- 199.000
Stammzelltransplantation, hämatopoetische, haploidentisch, Begleittherapie Begleittherapie bei Transplantation blutbildender Stammzellen bei Krebspatienten	Allogene T-Zellen	Zalmoxis®	Aug 2016	MolMed	16.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Stammzelltransplantation, hämatopoetische, hepatische venookklusive Erkrankung Zerstörung kleiner Blutgefäße der Leber durch Transplantation	Defibrotid	Defitelio®	Okt 2013	Gentium	3.600
Stammzelltransplantation, hämatopoetische, Vorbereitung Vorbereitung auf bestimmte Stammzell-Transplantationen	Thiotepa	Tepadina®	Mrz 2010	Adienne	31.200
Stammzelltransplantation, Mobilisierung von Knochenmarks-Stammzellen Vorbereitung bestimmter Stammzelltransplantationen	Plerixafor	Mozobil®	Aug 2009	Genzyme	50.500
Thrombotische thrombozytopenische Purpura, erworbene Blutgerinnungsstörung	Caplacizumab	Cablivi®	Aug 2018	Ablynx	130.000
Transthyretin-Amyloidose, ererbte Einlagerung von Proteinen im Herzen und im Nervensystem	Patisiran	Onpattro®	Aug 2018	Alnylam	7.200
Tuberkulose	Paraaminosalicylsäure	Granupas®	Apr 2014	Eurocept International	72.000
Tuberkulose Lungentuberkulose, multiresistent	Delamanid	Delyba®	Apr 2014	Otsuka	103.000
Tuberkulose Behandlung mehrfach resistenter Tuberkulose (MDR-TB)	Bedaquilin	Sirturo®	Mrz 2014	Janssen-Cilag	101.000
T-Zell-Lymphom, kutan (Typ Mycosis fungoides) Krebs des Lymphsystems; Überproduktion von T-Zellen (weiße Blutkörperchen)	Chlormethin	Ledaga®	Mrz 2017	Helsinn-Birex	132.000
T-Zell-Lymphom, kutanes Krebs des Lymphsystems	Brentuximab vedotin	Adcetris®	Dez 2017	Takeda	103.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Verbrennungen, tiefe Entfernung des Verbrennungsschorfs (Eschar) bei tiefen thermischen Verletzungen	proteolytische Enzyme aus Bromelain	NexoBrid®	Dez 2012	MediWound	50.600
Weichteilsarkom Krebs in den Weichteilen (Bindegewebe, Sehnen, Blutgefäße...)	Olaratumab	Lartruvo®	Nov 2016	Lilly	154.000
Xanthomatose, zerebrotendinöse Störung der Gallensaftbildung aufgrund eines Sterol-27-Hydroxylase Mangels	Chenodesoxycholsäure	Chenodesoxycholsäure Le	Apr 2017	Leadiant	10.000

Arzneimittel mit früherem Orphan-Status

Die folgenden Medikamente besitzen den Orphan-Status nicht mehr; die meisten dieser Medikamente stehen aber nach wie vor zur Behandlung der seltenen Krankheiten, gegen die sie entwickelt worden sind, zur Verfügung.

Die Anzahl der Erkrankten entspricht der Angabe in der Zuerkennung des Orphan-Status auf der Webseite der EMA.

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Akromegalie	Pegvisomant	Somavert®	Pfizer	Nov 2002	Nov. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	31.000
Barrett-Ösophagus, photodynamische Therapie	Porfimer natrium	PhotoBarr®	Pinnacle Biologics	Mrz 2004	Mai. 2012	Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen	184.600
Chronische Eisenüberladung	Deferasirox	Exjade®	Novartis	Aug 2006	Aug. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	138.400
Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome	Canakinumab	Ilaris®	Novartis	Okt 2009	Dez. 2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt	2.500
Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome	Rilonacept	Rilonacept Reg	Regeneron	Okt 2009	Okt. 2012	Rückgabe der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen; Medikament war nie im Markt	< 2.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Dermatofibrosarcoma protuberans	Imatinib	Glivec®	Novartis	Sep 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	50.500
Ductus arteriosus bei Frühgeborenen	Ibuprofen	Pedea®	Orphan Europe	Jul 2004	Jul. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	107.000
Eierstockkrebs	Olaparib	Lynparza®	AstraZeneca	Dez 2014	Mrz. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	153.000
Extravasation durch Anthracycline	Dexrazoxan	Savene®	Clinigen Healthcare	Jul 2006	Jul. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt	1.490
Familiäre adenomatöse Polyposis	Celecoxib	Onsenal®	Pfizer	Okt 2003	Mrz. 2011	Marktrücknahme, da als Zulassungsaufgabe geforderte Daten nicht geliefert werden konnten	15.000-51.000
Familiäre Lipoproteinlipasedefizienz mit Pankreatitisschüben	Alipogen tiparvec	Glybera®	uniQure biopharma	Okt 2012	Okt. 2017	Keine Verlängerung der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen	1.000
Gastrointestinale Stromatumore	Imatinib	Glivec®	Novartis	Mai 2002	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	3.100

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Gastrointestinale Stromatumore	Sunitinib	Sutent®	Pfizer	Jul 2006	Jul. 2008	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	15.400
Gliom, malignes	5-Aminolaevulinsäure	Gliolan®	Medac	Sep 2007	Sep. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt	51.200
Haarzell-Leukämie	Cladribin	Litak®	Lipomed	Apr 2004	Apr. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	182.000
Homocystinurie	Betain	Cystadane®	Orphan Europe	Feb 2007	Feb. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	8.300
Hyperammonämie wegen primären N-acetylglutamat Synthasemangels	Carglumsäure	Carbaglu®	Orphan Europe	Jan 2003	Jan. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt	80
Hypereosinophiles Syndrom / Chronische eosinophile Leukämie	Imatinib	Glivec®	Novartis	Nov 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	50.500
Idiopathische thrombozytopenische Purpura	Romiplostim	Nplate®	Amgen	Feb 2009	Feb. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt	50.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Idiopathische thrombozytopenische Purpura	Eltrombopag	Revolade®	Novartis	Mrz 2010	Dez. 2011	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt	125.000
Leberzellkrebs	Sorafenib	Nexavar®	Bayer	Okt 2007	Okt. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt	51.000
Lennox-Gastaut-Syndrom	Rufinamid	Inovelon®	Eisai	Jan 2007	Jan. 2019	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	51.000-102.000
Leukämie, akute lymphatische	Clofarabin	Evoltra®	Genzyme	Mai 2006	Jun. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	20.500
Leukämie, akute lymphatische	Imatinib	Glivec®	Novartis	Sep 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	25.000
Leukämie, akute lymphatische	Dasatinib	Sprycel®	Bristol-Myers Squibb	Nov 2006	Nov. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	36.700
Leukämie, akute myeloische	Azacitidin	Vidaza®	Celgene	Dez 2008	Dez. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt	101.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Leukämie, akute myeloische	Histamin dihydrochlorid	Ceplene®	Noventia	Okt 2008	Okt. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt	34.000
Leukämie, chronisch lymphatische	Venetoclax	Venclyxto®	AbbVie	Dez 2016	Okt. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	250.000
Leukämie, chronisch lymphatische	Ofatumumab	Arzerra®	Novartis	Apr 2010	Feb. 2019	Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen	176.000
Leukämie, chronisch myeloische	Bosutinib	Bosulif®	Pfizer	Mrz 2013	Mrz. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	81.000
Leukämie, chronisch myeloische	Imatinib	Glivec®	Novartis	Nov 2001	Nov. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	46.200
Leukämie, chronisch myeloische	Dasatinib	Sprycel®	Bristol-Myers Squibb	Nov 2006	Nov. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt	45.000
Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie)	Bosentan	Tracleer®	Janssen-Cilag	Mai 2002	Mai. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt	110.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie)	Iloprost	Ventavis®	Bayer	Sep 2003	Sep. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	112.000
Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie)	Sildenafil	Revatio®	Pfizer	Okt 2005	Nov. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	51.200
Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie)	Sitaxentan	Thelin®	Pfizer	Aug 2006	Jan. 2011	Marktrücknahme wegen möglicher Leberschäden	95.000
Lungenhochdruck, pulmonale arterielle Hypertonie	Ambrisentan	Volibris®	GlaxoSmith Kline	Apr 2008	Apr. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	103.000
Magenkrebs	Ramucirumab	Cyramza®	Lilly	Dez 2014	Dez. 2015	Ausweitung der Indikation	204.000
Morbus Fabry	Agalsidase beta	Fabrazyme®	Genzyme	Aug 2001	Aug. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	1.500
Morbus Fabry	Agalsidase alfa	Replagal®	Shire	Aug 2001	Aug. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	1.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Morbus Gaucher Typ 1	Miglustat	Zavesca®	Janssen-Cilag	Nov 2002	Nov. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt	30.000
Morbus Pompe	Alglucosidase alfa	Myozyme®	Genzyme	Mrz 2006	Mrz. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	6.850
Morbus Wilson	Zinkacetat dihydrat	Wilzin®	Orphan Europe	Okt 2004	Okt. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	30.000
Mukopolysaccharidose Typ I	Laronidase	Aldurazyme®	Genzyme	Jun 2003	Jun. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	1.250
Mukopolysaccharidose Typ II (Hunter Syndrom)	Idursulfase	Elaprase®	Shire	Jan 2007	Jan. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	1.000
Mukopolysaccharidose Typ VI	Galsulfase	Naglazyme®	BioMarin Europe	Jan 2006	Jan. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	840
Multiples Myelom	Thalidomid	Thalidomide®	Celgene	Apr 2008	Apr. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	61.100

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Multiples Myelom	Lenalidomid	Revlimid®	Celgene	Jun 2007	Jun. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt	65.000
Myelodysplastische / Myeloproliferative Erkrankungen	Imatinib	Glivec®	Novartis	Nov 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	81.000
Myelodysplastisches Syndrom	Azacitidin	Vidaza®	Celgene	Dez 2008	Dez. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt	56.500-154.000
Myelofibrose	Ruxolitinib	Jakavi®	Novartis	Aug 2012	Feb. 2015	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt	500
Myoklonische Epilepsie / Dravet's Syndrom	Stiripentol	Diacomit®	Biocodex	Jan 2007	Jan. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	20.000
Narkolepsie mit Kataplexie	Natriumoxybat	Xyrem®	UCB	Okt 2005	Jan. 2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	
Nebennierenrindenkarzinom	Mitotan	Lysodren®	Laboratoire HRA Pharma	Apr 2004	Apr. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	5.350

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Neuroblastom (Hochrisiko)	Dinutuximab	Unituxin®	United Therapeutics	Aug 2015	Mrz. 2017	Rückgabe der Zulassung durch Zulassungsinhaber	56.000
Niemann-Pick Typ C	Miglustat	Zavesca®	Janssen-Cilag	Jan 2009	Jan. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	5.000
Nierenzellkrebs	Everolimus	Afinitor®	Novartis	Aug 2009	Jul. 2011	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	201.000
Nierenzellkrebs	Sorafenib	Nexavar®	Bayer	Jul 2006	Jul. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt	154.300
Nierenzellkrebs	Sunitinib	Sutent®	Pfizer	Jul 2006	Jul. 2008	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	179.500
Nierenzellkrebs	Temsirolimus	Torisel®	Pfizer	Nov 2007	Nov. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt	179.200
Osteosarkom	Mifamurtid	Mepact®	Takeda	Mrz 2009	Mrz. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	25.300

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Ovarial-, Eileiter, Peritonealkarzinom	Rucaparib	Rubraca®	Clovis	Mai 2018	Dez. 2018	Verzicht auf den Orphan-Status, Medikament weiter im Markt	241.000
Parkinson	Levodopa / Carbidopa	Duodopa® Gel	AbbVie	Jun 2004	Nov. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	120.000
Primärer IGF-1-Mangel	Mecasermin	Increlex®	Ipsen Pharma	Aug 2007	Aug. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	100.800
Promyelozyten-Leukämie, akute	Arsentrioxid	Trisenox®	Teva	Mrz 2002	Mrz. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt.	41.000
Schilddrüsenkrebs	Lenvatinib	Lenvima®	Eisai	Mai 2015	Aug. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	154.000
Schmerzen, schwer, chronisch	Ziconotid	Prialt®	Riemser	Feb 2005	Feb. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	77.500
Sichelzellanämie	Hydroxycarbamid	Siklos®	Addmedica	Jun 2007	Jul. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	29.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Sklerodermie, systemische	Bosentan	Tracleer®	Janssen-Cilag	Jun 2007	Mai. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, nachdem dieser für die Erstindikation abgelaufen war	66.000
Stammzelltransplantation, hämatopoetische, Vorbereitung	Busulfan	Busilvex®	Pierre Fabre	Jul 2003	Jul. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	30.700
Thrombozythämie	Anagrelid	Xagrid®	Shire	Nov 2004	Nov. 2016	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	126.000
Tyrosinämie Typ I	Nitisinon	Orfadin®	Swedish Orphan Biovitrum	Feb 2005	Feb. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	5.000
T-Zell-Leukämie, akute lymphoblastische und T-Zell-Lymphom, lymphoblastisches	Nelarabin	Atriance®	Novartis	Aug 2007	Aug. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	56.000
Viszerale Leishmaniose	Miltefosin	Impavido®	Paladin Labs	Dez 2004	Dez. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	4.500
Weichteilsarkom	Trabectedin	Yondelis®	Pharma Mar	Sep 2007	Sep. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt	31.000