

## **Kleine Anfrage**

**der Abgeordneten Martin Sichert, Dr. Christina Baum, Thomas Dietz, Kay-Uwe Ziegler, Jörg Schneider, Carolin Bachmann, Jürgen Braun, Gereon Bollmann und der Fraktion der AfD**

### **Fördermaßnahmen der Bundesregierung für die Entwicklung neuer Arzneimittel für seltene Krankheiten – sogenannte Orphan Drugs**

Im Zusammenhang mit dem am 30. Oktober 2024 in Kraft getretenen Medizin-  
forschungsgesetz (MFG) stellen sich aus Sicht der Fragesteller mehrere Fragen  
hinsichtlich der besonderen finanziellen Förderung und rechtlichen Bevorzu-  
gung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen, sogenannte Orphan Drugs,  
in Deutschland ([www.recht.bund.de/bgbl/1/2024/324/VO.html](http://www.recht.bund.de/bgbl/1/2024/324/VO.html)). Mit dem MFG  
werden laut dem Bundesministerium für Gesundheit (BMG) wesentliche Teile  
der Pharmastrategie der Bundesregierung umgesetzt. Deren Ziel sei es,  
Deutschland mit einem konkreten Aktionsplan als Forschungs- und Produkti-  
onsstandort für die Pharmabranche „wieder attraktiver“ zu machen ([www.bund  
esgesundheitsministerium.de/presse/pressemitteilungen/nationale-pharmastrate-  
gie-beschlossen-pm-13-12-23.html](http://www.bundesgesundheitsministerium.de/presse/pressemitteilungen/nationale-pharmastrate-<br/>gie-beschlossen-pm-13-12-23.html)). Wesentliche Bestandteile der Pharmastrate-  
gie sind demnach unter anderem gezielte Fördermaßnahmen für die Entwick-  
lung neuer Arzneimittel für Orphan Drugs. Bei diesen besteht laut Strategiepa-  
pier der Bundesregierung ein „Marktversagen“. Aufgrund „geringer Renditeer-  
wartungen“ fehle bei diesen Arzneimitteln das „Marktpotential“ ([www.bundes-  
regierung.de/resource/blob/975228/2291366/1b04d75b9a1b04dc1b1c618267e0  
7c06/2025-06-07-pharmastrategie-data.pdf?download=1](http://www.bundes-<br/>regierung.de/resource/blob/975228/2291366/1b04d75b9a1b04dc1b1c618267e0<br/>7c06/2025-06-07-pharmastrategie-data.pdf?download=1)).

Zur Pharmastrategie der Bundesregierung gehört auch das Ziel, Arzneimittel-  
herstellern geheime Erstattungsbeträge bei Arzneimitteln mit neuen Wirk-  
stoffen zu ermöglichen. Letzteres hat die Bundesregierung mit dem MFG be-  
reits umgesetzt. Die Forderung nach einer Einführung vertraulicher Erstat-  
tungspreise kam nicht nur vom Pharmakonzern Eli Lilly, sondern auch von vie-  
len mittelständischen Unternehmen, so die Abgeordnete Christine Aschenberg-  
Dugnus auf dem jüngsten Kassengipfel in Berlin ([www.aerzteblatt.de/treffer?m  
ode=s&wo=1041&typ=1&nid=154946&s=K1%FCngelei&s=lilly](http://www.aerzteblatt.de/treffer?m<br/>ode=s&wo=1041&typ=1&nid=154946&s=K1%FCngelei&s=lilly)).

Am 6. November 2024 hat sich auch der Gesundheitsausschuss des Deutschen  
Bundestages in einem Fachgespräch mit Orphan Drugs befasst ([www.bundesta  
g.de/presse/hib/kurzmeldungen-1028328](http://www.bundesta<br/>g.de/presse/hib/kurzmeldungen-1028328)). Die dort vorgebrachten Fakten und  
Einschätzungen stehen im Widerspruch zu der Darstellung der Bundesregie-  
rung. Wie die dort geladenen Experten erklärten, werden betroffene Patienten  
in Deutschland schon heute aufgrund privilegierter Zugangsregelungen viel frü-  
her mit neuen Medikamenten versorgt als in anderen Ländern (ebd.). Die The-  
rapien seien dabei „extrem teuer“, so Prof. Josef Hecken, unparteiischer Vorsit-  
zender des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA; ebd.). Nur 0,07 Prozent  
aller Rezepte in Deutschland entfielen auf Orphan Drugs (ebd.). Diese Rezepte  
stünden jedoch für 12,8 Prozent der Arzneimittelausgaben in Höhe von insge-

samt mehr als 50 Mrd. Euro (ebd.). 6,4 Mrd. Euro an Arzneimittelausgaben gehen damit allein auf das Konto von Orphan Drugs (ebd.).

Tatsächlich gibt es Orphan Drugs, die ihrem jeweiligen Hersteller einen Jahresumsatz von mehr als 1 Mrd. Euro einbringen ([www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/woran-wir-forschen/orphan-drugs-medikamente-gegen-seltene-erkrankungen.html](http://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/woran-wir-forschen/orphan-drugs-medikamente-gegen-seltene-erkrankungen.html)).

Extremstes Beispiel sei das Krebsmedikament Lenalidomid, berichtete die BUKO Pharmakampagne 2020 (BUKO = Bundeskoordination Internationalismus). Seit Markteinführung hatte das Mittel damals bereits einen weltweiten Umsatz von mehr als 55 Mrd. Euro erzielt ([https://bukopharma.de/de/publikationen/pharma-brief-archiv/167-2020/389-pb2020-07\\_01-orphan-drugs-lukrative-nische](https://bukopharma.de/de/publikationen/pharma-brief-archiv/167-2020/389-pb2020-07_01-orphan-drugs-lukrative-nische)). Es wurde mit zeitlichem Abstand für drei Krebsarten als Orphan zugelassen und bekam so insgesamt 19 Jahre zusätzliche Marktexklusivität. Das bedeutete faktisch eine erhebliche Verlängerung des Patentschutzes (ebd.). Dieses Monopol galt für alle Indikationen, also auch für ältere, für die der Schutz ansonsten längst abgelaufen wäre (ebd.). Eine weitere Fehlentwicklung, so der Bericht, seien neue Orphan-Indikationen für alte Präparate, die längst keinen Schutz mehr genossen. Das treffe auf 19 Prozent aller zugelassenen Orphans zu. Damit verbunden seien krasse Preissteigerungen, die – so die EU-Kommission – in keinem Verhältnis zu den Forschungskosten stünden (ebd.).

Maximilian Blindzeller vom Spitzenverband der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV-SV) konstatierte, dass der Markt für Orphan Drugs „umsatzträchtig, hochprofitabel und stark wachsend“ sei. Es sei an der Zeit, die Förderung neu zu justieren. Nötig seien Belege für einen Zusatznutzen und angemessene Preise. Der GKV forderte schon 2019 eine regulatorische Weiterentwicklung des Gesetzes für die Neuordnung des Arzneimittelmarktes (AMNOG) in Bezug auf Orphan Drugs ([www.gkv-90prozent.de/ausgabe/12/meldungen/12\\_hochpreisstrategien\\_onkologie/12\\_hochpreisstrategien\\_onkologie.html](http://www.gkv-90prozent.de/ausgabe/12/meldungen/12_hochpreisstrategien_onkologie/12_hochpreisstrategien_onkologie.html)).

Im Fachgespräch am 6. November 2024 bezog sich Maximilian Blindzeller auf ein Privileg, das der deutsche Gesetzgeber Arzneimitteln gegen seltene Leiden gewährt: Orphan Drugs müssen hierzulande nicht das reguläre Verfahren zur Nutzenbewertung durchlaufen. Sobald sie auf europäischer Ebene zugelassen sind, wird der Zusatznutzen des Medikaments qua Gesetz angenommen. Durch diesen fiktiven Zusatznutzen kann für dieses Arzneimittel ein höherer Preis festgelegt werden. Erst wenn das Arzneimittel einen Jahresumsatz von 30 Mio. Euro (bis November 2022 lag die Grenze bei 50 Mio. Euro) überschreitet, erfolgt eine reguläre Nutzenbewertung. 2022 war mehr als jedes dritte neu in Deutschland eingeführte Medikament ein Orphan Drug ([www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/woran-wir-forschen/orphan-drugs-medikamente-gegen-seltene-erkrankungen.html](http://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/woran-wir-forschen/orphan-drugs-medikamente-gegen-seltene-erkrankungen.html)).

Diese Zusatznutzenfiktion garantiere einen Premiumpreis – auch für Arzneimittel, die aufgrund zahlreicher Zulassungserweiterungen über die ursprüngliche Orphan-Indikation hinaus zeigen, dass sie einer Privilegierung kaum bedürft hätten, so der GKV-SV auf seiner Website ([www.gkv-90prozent.de/ausgabe/12/meldungen/12\\_hochpreisstrategien\\_onkologie/12\\_hochpreisstrategien\\_onkologie.html](http://www.gkv-90prozent.de/ausgabe/12/meldungen/12_hochpreisstrategien_onkologie/12_hochpreisstrategien_onkologie.html)).

Das Privileg des fiktiven Zusatznutzens sei keineswegs gerechtfertigt, teilte das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) bereits 2022 mit ([www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite\\_58496.html](http://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite_58496.html)). Eine Auswertung hatte gezeigt, dass die Feststellung eines fiktiven Zusatznutzens bei Marktzugang von Orphan Drugs in mehr als der Hälfte der Fälle bei einer späteren Überprüfung nicht bestätigt wird. Das habe Folgen für die Qualität der Patientenversorgung, so Dr. Thomas Kaiser, Leiter des IQWiG, der als Sachverständiger des Fachgesprächs am 6. Novem-

ber 2024 teilnahm. Neue Arzneimittel würden in diesen Fällen ohne Datengrundlage bevorzugt eingesetzt. „Die Patientinnen und Patienten haben dann viel Hoffnung in ein neues Arzneimittel gesetzt, für das erst Jahre später klar wird, dass es gar keinen Nachweis einer Überlegenheit gegenüber den vorhandenen Therapieoptionen gibt.“ Bei Orphan Drugs geht es besonders häufig um neue Medikamente gegen Krebs ([www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/woran-wir-forschen/orphan-drugs-medikamente-gegen-seltene-erkrankungen.html](http://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/woran-wir-forschen/orphan-drugs-medikamente-gegen-seltene-erkrankungen.html)).

Im Februar 2024 legte das IQWiG eine weitere Auswertung vor ([www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite\\_112512.html](http://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite_112512.html)). Darin hatte das Institut untersucht, welche Auswirkung die Privilegierung der Orphan Drugs auf die Preise der GKV hat. Ergebnis: Die reguläre Nutzenbewertung nach Überschreiten der Umsatzgrenze führt in den meisten Fällen zu einer spürbaren weiteren Preissenkung für die Versichertengemeinschaft. Für Dr. Thomas Kaiser ist damit erneut belegt: Auch Orphan Drugs könnten – und sollten – eine reguläre Nutzenbewertung durchlaufen, und zwar alle.

Der IQWiG-Chef sprach dabei auch eine ausdrückliche Warnung aus: Auswertungen wie diese wären künftig nicht mehr möglich, falls die Hersteller künftig geheime Erstattungsbeträge bei Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen vereinbaren könnten. So sah es damals ein Referentenentwurf für das Medizinforschungsgesetz vor. Die geheimen Erstattungspreise stießen später auch bei vielen anderen Experten auf Ablehnung. Dennoch stehen sie heute im Gesetz (ebd.).

Wir fragen die Bundesregierung:

1. Welche Gespräche fanden im Zeitraum vom 1. Januar 2022 bis heute zwischen Vertretern der Bundesregierung und bzw. oder nachgeordneter Behörden und Arzneimittelherstellern oder mit Dritten im Auftrag von Arzneimittelherstellern handelnden Personen oder Unternehmen (beispielsweise Lobby-Agenturen, Beratungsunternehmen oder Anwaltskanzleien) statt, und inwiefern sind in diesen Gesprächen jeweils in Bezug auf Orphan Drugs die Nutzenbewertung und bzw. oder die Umsatzschwelle Gegenstand gewesen (bitte tabellarisch nach Termin, Namen der beteiligten Arzneimittelhersteller, wie hochrangig die Bundesregierung jeweils vertreten war, Gesprächsthema aufschlüsseln)?
2. Welche Gespräche fanden im Zeitraum vom 1. Januar 2022 bis heute zwischen Vertretern der Bundesregierung und bzw. oder nachgeordneter Behörden und Arzneimittelherstellern oder mit Dritten im Auftrag von Arzneimittelherstellern handelnden Personen oder Unternehmen (beispielsweise Lobby-Agenturen, Beratungsunternehmen oder Anwaltskanzleien) statt, die vertrauliche Erstattungsbeträge oder die Pharmastrategie zum Inhalt hatten (bitte tabellarisch nach Termin, Namen der beteiligten Arzneimittelhersteller, wie hochrangig die Bundesregierung jeweils vertreten war, Gesprächsthema aufschlüsseln)?
3. Welche Kenntnisse hat die Bundesregierung darüber, in welchem Verhältnis die hohen Preise bei vielen Orphan Drugs zu den jeweiligen Forschungskosten stehen?
4. Welche Kenntnisse hat die Bundesregierung über neue Orphan-Indikationen für ältere Präparate, und welche Kenntnisse hat die Bundesregierung in dem jeweiligen Fall über die Steigerung der Kosten für die Solidargemeinschaft nach der Zulassung des jeweiligen Präparats zur Behandlung einer seltenen Erkrankung (bitte tabellarisch nach Art und Name des Präparats, Datum der Zulassung als Orphan Drug sowie Preis der Behandlung pro Patient und Jahr vor und nach der Zulassung aufschlüsseln)?

5. Hat die Bundesregierung Hinweise von Kritikern darauf erhalten, dass die starken Preissteigerungen bei vielen Orphan Drugs in keinem Verhältnis zu den Forschungskosten stehen, wenn ja, inwiefern, und wie hat die Bundesregierung den jeweiligen Kritikern darauf geantwortet bzw. welche Maßnahmen hat die Bundesregierung daraufhin ergriffen, um die Solidargemeinschaft nicht ungerechtfertigt stark zu belasten (bitte tabellarisch nach Namen der Kritiker, Art der Kontaktaufnahme, Inhalt der Kritik und Reaktion der Bundesregierung aufschlüsseln)?
6. An welchen Zahlen und Fakten macht die Bundesregierung das von ihr im in der Vorbemerkung der Fragesteller genannten Strategiepapier postulierte Marktversagen bei Arzneimitteln für seltene Erkrankungen fest?
7. An welchen Zahlen und Fakten macht die Bundesregierung das von ihr im Strategiepapier postulierte Marktversagen bei Impfstoffen und Arzneimitteln zur Pandemieprävention fest (bitte nach Art der Erkrankung und Form des Marktversagens aufschlüsseln)?
8. Inwiefern hat die Bundesregierung Kenntnis von der Anfang 2024 geäußerten Kritik des IQWiG an vertraulichen Erstattungsbeträgen erhalten, und wie hat die Bundesregierung gegenüber dem IQWiG bzw. dem G-BA darauf reagiert?
9. Welche Anstrengungen hat die Bundesregierung in der 20. Legislaturperiode unternommen, um das AMNOG – wie vom IQWiG bereits 2022 vorgeschlagen – dahin gehend zu ändern, dass auch Orphan Drugs eine reguläre Nutzenbewertung durchlaufen (bitte tabellarisch nach Art der Aktivität, Datum, Namen der beteiligten Personen, beteiligtem Bundesministerium, beteiligter nachgeordneter Behörde der Bundesregierung aufschlüsseln)?
10. Was hat die Bundesregierung in den vergangenen zehn Jahren unternommen, um die Evidenz- bzw. Datenlage bezüglich der Wirksamkeit und Sicherheit von Orphan Drugs zu verbessern (bitte nach Art der Initiative, Datum, Ergebnis auflisten)?
11. Warum hat die Bundesregierung die Umsatzschwelle für Orphan Drugs in dem von ihr im Oktober 2022 verabschiedeten GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinSt) auf 30 Mio. Euro festgelegt, obwohl in den ersten Gesetzentwürfen noch von einer Absenkung der Umsatzschwelle für Orphan Drugs auf 20 Mio. Euro die Rede war?
12. Welche Gespräche fanden im Zeitraum vom 1. Januar 2022 bis Oktober 2022 zwischen Vertretern der Bundesregierung und bzw. oder nachgeordneter Behörden und Arzneimittelherstellern statt, die das Thema Umsatzschwelle für Orphan Drugs zum Inhalt hatten (bitte tabellarisch nach Datum, Namen der beteiligten Arzneimittelhersteller, beteiligtem Bundesministerium, beteiligter nachgeordneter Behörde der Bundesregierung aufschlüsseln)?
13. Welche Kenntnisse hat die Bundesregierung darüber, wie andere Länder der Europäischen Union (EU) bei der Nutzenbewertung von Orphan Drugs verfahren, zu welchen Ergebnissen sie kommen und ob dort ebenfalls Umsatzschwellen für die Nutzenbewertung dieser Arzneimittel gesetzlich vorgegeben werden?
14. Welche Kenntnisse hat die Bundesregierung darüber, wie die Zulassung von Orphan Drugs in den USA, Japan, der Schweiz, Brasilien, Indien und China gesetzlich geregelt ist bzw. erfolgt und nach welchen Regeln die Nutzenbewertung dieser Arzneimittel in dem jeweiligen Land gehandhabt wird?

15. Welche Kenntnisse hat die Bundesregierung darüber, ob es Preisvergleiche für die Kosten von Orphan Drugs innerhalb der EU gibt, und wenn es diese nicht gibt, warum nicht bzw. warum werden solche Preisvergleiche nicht von der Bundesregierung selbst erstellt?
16. Welche Kenntnisse hat die Bundesregierung darüber, welche Orphan Drugs in Deutschland aktuell zur Behandlung von Patienten eingesetzt werden (bitte nach Name des Präparats, Indikation, verordneter Menge pro Jahr, Verordner (Klinik bzw. Praxis), Kosten pro Patienten, Gesamtkosten pro Jahr aufschlüsseln)?
17. Wie viele der in Deutschland verordneten Orphan Drugs haben nach Kenntnis der Bundesregierung bis Oktober 2022 die Umsatzschwelle von 50 Mio. Euro nicht überschritten, und wie viele der in Deutschland verordneten Orphan Drugs haben die Umsatzschwelle von 30 Mio. Euro seit November 2022 nicht überschritten?
18. Welche Kenntnisse hat die Bundesregierung über die Hersteller von Orphan Drugs, und welche dieser Hersteller vertreiben mehrere Orphan Drugs, deren Umsatz bis Oktober 2022 unter der Schwelle von 50 Mio. Euro bzw. seit November 2022 unter der Schwelle von 30 Mio. Euro lag (bitte nach Namen der Hersteller, Produkt, Indikation und Jahr aufschlüsseln)?
19. Welche Maßnahmen hat die Bundesregierung ggf. getroffen, um zu verhindern, dass die gesetzliche Regelung der Umsatzschwelle für Orphan Drugs von Arzneimittelherstellern missbraucht wird, z. B. indem sie Produkte ohne Zusatznutzen verkaufen und damit sowohl Patienten als auch die Solidargemeinschaft schädigen?
20. Inwiefern sind der Bundesregierung seit 2014 Fälle bekannt geworden, in denen Hersteller von Orphan Drugs die Regelung des fiktiven Zusatznutzens oder andere Vergünstigungen für Orphan Drugs missbraucht haben, sei es in Deutschland, in der EU oder einem anderen Land der Welt (bitte nach Land, Hersteller, Produkt und Art des Missbrauchs aufschlüsseln)?
21. Welche Kenntnisse hat die Bundesregierung darüber, von welchen Ärzten bzw. Praxen oder Kliniken in Deutschland Orphan Drugs besonders häufig verschrieben werden (bitte nach Namen, Produkt, Menge und jährlichen Kosten aufschlüsseln)?
22. Welche Kenntnisse hat die Bundesregierung über die Häufigkeit der Verschreibung von Orphan Drugs in der Onkologie (bitte nach Diagnose, Region, Name der Klinik bzw. Praxis, Fachgebiet der Onkologie, Anzahl der Verschreibungen aufschlüsseln)?
23. Welche Forschungsprojekte und bzw. oder Studien zum Thema Seltene Erkrankungen hat die Bundesregierung in den vergangenen zehn Jahren gefördert, welche Arzneimittel- und bzw. oder Biotech-Firmen waren daran beteiligt, welche Ergebnisse konnten im Rahmen dieser Studien bisher gewonnen werden, und welche Fördermittel hat die Bundesregierung dafür zur Verfügung gestellt (bitte nach Jahren, Projektträger, beteiligten Forschungseinrichtungen, beteiligten Unternehmen, beteiligten Bundesministerien und bzw. oder nachgeordneten Behörden, Höhe der Förderung und Sponsor aufschlüsseln)?
24. Warum hat sich die Bundesregierung trotz einer breiten Ablehnung von Fachleuten dafür entschieden, Arzneimittelherstellern mit dem Medizinforschungsgesetz zu ermöglichen, geheime Erstattungsbeträge zu vereinbaren?

25. Welche Gespräche fanden vom 1. Januar 2022 bis heute zwischen Vertretern der Bundesregierung und bzw. oder nachgeordneter Behörden und Arzneimittelherstellern statt, die das Thema vertrauliche Erstattungsbeiträge zum Inhalt hatten (bitte tabellarisch nach Datum, Namen der beteiligten Arzneimittelhersteller, beteiligtem Bundesministerium, beteiligter nachgeordneter Behörde der Bundesregierung aufschlüsseln)?
26. Wie bewertet die Bundesregierung die Auswirkungen des GKV-Finanzstabilisierungsgesetzes auf die Versorgung mit Arzneimitteln – vor allem mit Blick auf die Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen (Orphan Drugs) – bzw. welchen Stand hat der Prozess der Überprüfung der AMNOG-Reform unter Beteiligung der Stakeholder in Form einer externen Evaluation erreicht, den die Bundesregierung in der Antwort auf die Schriftliche Frage 124 des Abgeordneten Erich Irlstorfer auf Bundestagsdrucksache 20/11712 angekündigt hat?

Berlin, den 27. November 2024

**Dr. Alice Weidel, Tino Chrupalla und Fraktion**



