

Antwort

der Bundesregierung

**auf die Kleine Anfrage Martin Sichert, Dr. Christina Baum, Thomas Dietz, Kay-Uwe Ziegler, Jörg Schneider, Carolin Bachmann, Jürgen Braun, Gereon Bollmann und der Fraktion der AfD
– Drucksache 20/13996 –**

Fördermaßnahmen der Bundesregierung für die Entwicklung neuer Arzneimittel für seltene Krankheiten (sogenannte Orphan Drugs)

Vorbemerkung der Fragesteller

Im Zusammenhang mit dem am 30. Oktober 2024 in Kraft getretenen Medizinforschungsgesetz (MFG) stellen sich aus Sicht der Fragesteller mehrere Fragen hinsichtlich der besonderen finanziellen Förderung und rechtlichen Bevorzugung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen, sogenannte Orphan Drugs, in Deutschland (www.recht.bund.de/bgb/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 Produktionsstandort für die Pharmabranche „wieder attraktiver“ zu machen (www.bundesgesundheitsministerium.de/presse/pressemitteilungen/nationale-pharmastrategie-beschlossen-pm-13-12-23.html). Wesentliche Bestandteile der Pharmastrategie sind demnach unter anderem gezielte Fördermaßnahmen für die Entwicklung neuer Arzneimittel für Orphan Drugs. Bei diesen besteht laut Strategiepapier der Bundesregierung ein „Marktversagen“. Aufgrund „geringer Renditeerwartungen“ fehle bei diesen Arzneimitteln das „Marktpotential“ (www.bundesregierung.de/resource/blob/975228/2291366/1b04d75b9a1b04dc1b1c618267e07c06/2025-06-07-pharmastrategie-data.pdf?download=1).

Zur Pharmastrategie der Bundesregierung gehört auch das Ziel, Arzneimittelherstellern geheime Erstattungsbeträge bei Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen zu ermöglichen. Letzteres hat die Bundesregierung mit dem MFG bereits umgesetzt. Die Forderung nach einer Einführung vertraulicher Erstattungspreise kam nicht nur vom Pharmakonzern Eli Lilly, sondern auch von vielen mittelständischen Unternehmen, so die Abgeordnete Christine Aschenberg-Dugnus auf dem jüngsten Kassengipfel in Berlin (www.aerzteblatt.de/treffer?mode=s&wo=1041&typ=1&nid=154946&s=K1%FCngelei&s=1illy).

Am 6. November 2024 hat sich auch der Gesundheitsausschuss des Deutschen Bundestages in einem Fachgespräch mit Orphan Drugs befasst (www.bundestag.de/presse/hib/kurzmeldungen-1028328). Die dort vorgebrachten Fakten und Einschätzungen stehen im Widerspruch zu der Darstellung der Bundesregierung. Wie die dort geladenen Experten erklärten, werden betroffene Pa-

tienten in Deutschland schon heute aufgrund privilegierter Zugangsregelungen viel früher mit neuen Medikamenten versorgt als in anderen Ländern (ebd.). Die Therapien seien dabei „extrem teuer“, so Prof. Josef Hecken, unparteiischer Vorsitzender 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 insgesamt 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).

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-lukrativ-e-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 (AM-NOG) in Bezug auf Orphan Drugs (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).

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).

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/pressemitteilung-n-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. November 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).

Im Februar 2024 legte das IQWiG eine weitere Auswertung vor (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.).

Vorbemerkung der Bundesregierung

Orphan Drugs spielen eine zentrale Rolle in der Behandlung seltener Krankheiten. Nach der Definition des Europäischen Parlaments handelt es sich bei einer seltenen Krankheit um eine lebensbedrohliche oder chronisch verlaufende Erkrankung, von der nicht mehr als fünf von 10 000 Menschen betroffen sind. Innerhalb der Europäischen Union (EU) sind etwa 30 Millionen Menschen von mehr als 6 000 unterschiedlichen Seltenen Erkrankungen betroffen.

Lange Zeit wurde die Entwicklung von Arzneimitteln zur Behandlung dieser Krankheiten aufgrund hoher Kosten und erwarteter geringer Markterlöse von der pharmazeutischen Industrie vernachlässigt. Mit der Einführung des Orphan Drug Act im Jahr 1983 in den USA und der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden (ABl. L 18 vom 22. Januar 2000, S. 1) hat sich diese Situation grundlegend geändert. Regulatorische und ökonomische Anreize, wie eine erleichterte Zulassung sowie eine zehnjährige Marktexklusivität, haben dazu beigetragen, dass sich die Entwicklungstätigkeit in diesem Bereich deutlich intensiviert hat. Aktuell sind in der EU etwa 152 Orphan Drugs (Stand Februar 2024) zugelassen. Hinzu kommen 83 weitere Arzneimittel, bei denen der Orphan Drug-Status nach der Zulassung zurückgegeben wurde oder nach zehn Jahren abgelaufen ist.

Die Bundesregierung beobachtet die Dynamik in diesem Bereich aufmerksam. Neben den positiven Entwicklungen, die zu einer verbesserten Versorgung von Patientinnen und Patienten mit seltenen Krankheiten geführt haben, sind auch Herausforderungen, wie die hohen Kosten für Orphan Drugs, bekannt. Diese Entwicklungen haben sowohl in Deutschland als auch auf europäischer Ebene zu einer intensiven Diskussion über die Angemessenheit und Effizienz der bestehenden Regelungen geführt.

Die Bundesregierung unterstützt Programme zur Förderung von Forschung und Innovation im Bereich Seltener Erkrankungen. Öffentliche Forschungsinitiativen, private Investitionen und Partnerschaften sollen gestärkt werden, um neue Therapieansätze schneller verfügbar zu machen. Die Bundesregierung setzt sich auf europäischer Ebene für eine gleichmäßige Verfügbarkeit von Orphan Drugs in allen Mitgliedstaaten ein.

Mit dem Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) vom 22. Dezember 2010 (BGBl. I S. 2262) wurden in Deutschland spezifische Regelungen für Orphan Drugs eingeführt, die unter anderem deren medizinischen Zusatznutzen bis zu einer Umsatzschwelle als durch die europäische Zulassung belegt ansehen. Die mit dem GKV-Finanzstabilisierungsgesetz (GKV-FinStG) vom 7. November 2022 (BGBl. I S. 1990) auf 30 Millionen Euro festgelegte Umsatzschwelle stellt dabei einen wichtigen sozialrechtlichen Mechanismus zur Herstellung der Balance zwischen der Finanzierbarkeit der Kosten durch die gesetzliche Krankenversicherung (GKV) einerseits und der Förderung von Innovationen andererseits dar. Darüber hinaus wurden durch das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) vom 9. August 2019 (BGBl. I S. 1202) weitere Anpassungen vorgenommen, um die Transparenz und Gerechtigkeit bei der Bewertung und Vergütung von Orphan Drugs zu erhöhen.

Die Bundesregierung wird die Entwicklungen im Bereich der Orphan Drugs weiterhin eng begleiten und sich sowohl auf nationaler als auch auf europäischer Ebene für eine ausgewogene Balance zwischen Anreizen für Innovation, der Finanzierbarkeit von Orphan Drugs und dem Schutz der Solidarität im Gesundheitswesen einsetzen.

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)?

Die Fragen 1 und 2 werden aufgrund des Sachzusammenhangs gemeinsam beantwortet.

Die Mitglieder der Bundesregierung, Parlamentarische Staatssekretärinnen und Parlamentarische Staatssekretäre bzw. Staatsministerinnen und Staatsminister sowie Staatssekretärinnen und Staatssekretäre sowie die Leitungen der nachgeordneten Behörden pflegen in jeder Wahlperiode im Rahmen der Aufgabewahrnehmung Kontakte mit einer Vielzahl von Akteuren aller gesellschaftlichen Gruppen. Eine Verpflichtung zur Erfassung sämtlicher geführter Gespräche bzw. deren Ergebnisse – einschließlich Telefonate – besteht nicht, und eine solche umfassende Dokumentation wurde auch nicht durchgeführt. Zudem wer-

den Gesprächsinhalte nicht protokolliert. Die Ausführungen bzw. aufgeführten Angaben erfolgen auf der Grundlage der vorliegenden Erkenntnisse sowie vorhandener Unterlagen und Aufzeichnungen. Diesbezügliche Daten sind somit möglicherweise nicht vollständig. Darüber hinaus ist deshalb eine Zuordnung der Gespräche zu den gefragten Themen nicht abschließend möglich. Aus der beigefügten Anlage 1* ergeben sich die Gespräche zwischen Vertreterinnen und Vertretern der Bundesregierung bzw. der nachgeordneten Behörden (bzgl. des Personenkreises siehe Aufzählung im ersten Satz) und pharmazeutischen Unternehmen sowie Dritten im Auftrag von pharmazeutischen Unternehmen Handelnden, welche vom 1. Januar 2022 bis zum 2. Dezember 2024 stattfanden, bei denen auf Basis der oben beschriebenen Grundlage Themen der Pharmaindustrie im Fokus standen.

3. Welche Kenntnisse hat die Bundesregierung darüber, in welchem Verhältnis die hohen Preise bei vielen Orphan Drugs zu den jeweiligen Forschungskosten stehen?

Der Bundesregierung liegen hierzu keine Erkenntnisse vor. Forschungskosten stellen kein Kriterium für die Erstattungsbetragsverhandlung bzw. -festsetzung für Arzneimittel gemäß § 130b Fünftes Buch Sozialgesetzbuch (SGB V) dar.

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)?

Laut dem Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) sind fünf Wirkstoffe bekannt, die nach dem Zeitpunkt ihrer erstmaligen Zulassung die Zulassung für ein neues Anwendungsgebiet im Bereich der Seltenen Erkrankungen erhalten haben (Polihexanid, Dabrafenib, Trametinib, Sirolimus, Amikacin). Angaben zum Datum der Zulassung des jeweiligen Anwendungsgebiets sowie den jeweiligen Jahrestherapiekosten können dem jeweiligen Nutzenbewertungsbeschluss des G-BA entnommen werden. Der Preis eines Arzneimittels wird erst mit dessen Markteinführung – und damit nach seiner Zulassung – bekannt.

Der Bundesregierung ist darüber hinaus die durch die Europäische Kommission beauftragte Evaluierung der Verordnung (EG) Nr. 141/2000, deren Beurteilungszeitraum die Jahre 2000 bis 2017 umfasste, bekannt. Darin wird auch der Gesichtspunkt der neuen Anwendungsgebiete im Bereich der Seltenen Erkrankungen bereits bekannter Arzneimittel beleuchtet.

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)?

* Von einer Drucklegung der Anlage wird abgesehen. Diese ist auf Bundestagsdrucksache 20/14602 auf der Internetseite des Deutschen Bundestages abrufbar.

Die Bundesregierung verfolgt die Entwicklung im Marktsegment der Orphan Drugs intensiv und hat in der Vergangenheit bereits Maßnahmen zur Regulierung dieses Marktsegmentes ergriffen. Hierzu zählt z. B. die Absenkung der Umsatzschwelle für Orphan Drugs bei der Nutzenbewertung auf 30 Millionen Euro durch das GKV-FinStG oder die Ausweitung der Umsatzbemessungsgrundlage auf den stationären Bereich durch das GSAV.

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?

Das Marktversagen bei Orphan Drugs wird durch die Kombination von hohen Entwicklungskosten und geringem Umsatzpotenzial geprägt. Da es mehr als 6 000 unterschiedliche Seltene Erkrankungen gibt, ist die Gesamtzahl der Betroffenen trotz der Seltenheit der einzelnen Erkrankung hoch. Allein in Deutschland leben Schätzungen zufolge etwa vier Millionen Menschen mit einer Seltenen Erkrankung, in der gesamten EU geht man von circa 30 Millionen Betroffenen aus. Hiervon sind nach Angaben des Verbandes forschender Arzneimittelhersteller (vfa) lediglich rund 170 Krankheiten mit zugelassenen Orphan Drugs behandelbar. Die Amortisierung der Entwicklungskosten eines neuen Arzneimittels sind für Orphan Drugs besonders herausfordernd, da der potenzielle Markt aufgrund der geringen Patientenzahl klein ist. Viele Seltene Erkrankungen betreffen nur einige hundert oder tausend Patienten. Das Umsatzpotenzial ist im Vergleich zu Medikamenten für andere Krankheiten demzufolge begrenzt.

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)?

Ein Marktversagen liegt vor, wenn der Marktmechanismus aus Angebot und Nachfrage nicht zu den volkswirtschaftlich wünschenswerten Ergebnissen führt. Im Arzneimittelbereich geht ein solches Marktversagen damit einher, dass sich Unternehmen der pharmazeutischen Industrie aus der Forschung und Entwicklung (F&E) zu Indikationen zurückziehen, bei denen die zu erwartenden Erträge die hohen F&E-Kosten unterschreiten (z. B. bakterielle Infektionen, Seltene Erkrankungen). Daher haben sich beispielsweise aus der Antibiotikaentwicklung die Mehrzahl der forschenden pharmazeutischen Unternehmen zurückgezogen und es wurde seit dem Jahr 2007 keine neue Klasse von Erreger-übergreifend einsetzbaren Antibiotika entwickelt.

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?

Die Argumente des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) und des G-BA, die diese jeweils im Rahmen ihrer Stellungnahmen zum Entwurf eines Medizinforschungsgesetzes formuliert haben, sind in den üblichen Verfahren in den Gesetzgebungsprozess eingeflossen.

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)?

Die Bundesregierung hat mit dem GKV-FinStG die Umsatzschwelle für Orphan Drugs von 50 auf 30 Millionen Euro abgesenkt. Hierdurch wurden zahlreiche Orphan Drugs wie alle anderen Arzneimittel einer vollumfänglichen Nutzenbewertung mit anschließender Erstattungsbeitragsverhandlung unterzogen.

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)?

Mit dem GSAV wurde im Jahr 2019 die Möglichkeit der anwendungsbegleitenden Datenerhebung (AbD) nach § 35a Absatz 3b SGB V eingeführt. Diese kann der G-BA vom pharmazeutischen Unternehmer innerhalb einer angemessenen Frist für die Nutzenbewertung Orphan Drugs, bei bedingten Zulassungen und Zulassungen unter außergewöhnlichen Umständen verlangen. Die näheren Vorgaben an die Dauer, die Art und den Umfang der Datenerhebung und Auswertung, einschließlich der zu verwendenden Formate, werden vom G-BA bestimmt. Der G-BA kann die Befugnis zur Verordnung eines solchen Arzneimittels zu Lasten der GKV auf solche Vertragsärzte oder zugelassene Krankenhäuser beschränken, die an der geforderten AbD mitwirken. Mit dieser Anforderung soll sichergestellt werden, dass eine möglichst breite und lückenlose Evidenz generiert wird. Eine Übersicht über die Studien im Rahmen der AbD findet sich auf der Internetseite des G-BA (<https://www.g-ba.de/studien/abd/>).

Für Orphan Drugs gelten grundsätzlich die gleichen Zulassungsbedingungen wie für alle anderen Humanarzneimittel. Im Grundsatz muss für eine Zulassung das Nutzen-Risiko-Verhältnis positiv sein, d. h. der Nutzen muss gegenüber den Risiken überwiegen. Das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte sowie das Paul-Ehrlich-Institut bieten hierzu wissenschaftliche regulatorische Beratung an, sowohl auf nationaler als auch auf europäischer Ebene.

Zusätzlich stehen wissenschaftliche Leitlinien für die Entwicklung von Arzneimitteln, auch für Seltene Erkrankungen, zur Verfügung (<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development/scientific-guidelines/clinical-efficacy-safety-guidelines>).

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?

Die Absenkung der Umsatzschwelle für Orphan Drugs auf 30 Millionen Euro war Ergebnis des zum Referentenentwurf des GKV-FinStG durchgeführten Stellungnahmeverfahrens und der Beratungen im parlamentarischen Verfahren.

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)?

Es wird auf die Antworten der Bundesregierung auf die Fragen 1 und 2 verwiesen.

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?

Im Rahmen der Kompetenzverteilung der EU-Verträge führt die Bundesregierung diesbezüglich keine regelmäßigen Erhebungen durch.

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?

Alle genannten Staaten informieren über Sonderregelungen für Orphan Drugs. Die Regelungen unterscheiden sich im Detail, gehen aber oft mit Gebührenreduktion für Antragstellerinnen und Antragsteller und verstärkter Beratung einher.

Indien hat nach dem Kenntnisstand der Bundesregierung derzeit keine Sonderregelungen im regulatorischen Bereich, allerdings gibt es seit dem Jahr 2017 konkrete Bestrebungen, die Strukturen gerade für Seltene Erkrankungen zu verbessern.

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?

Die tatsächlichen Arzneimittelpreise in anderen europäischen Staaten sind der Bundesregierung nicht bekannt. Sie sind in den meisten Fällen vertraulich. Mit dem Medizinforschungsgesetz (MFG) vom 23. Oktober 2024 (BGB 2024 I Nr. 324) wurde beschlossen, dass die tatsächlichen Abgabepreise in anderen europäischen Staaten zukünftig kein Kriterium mehr für die Erstattungsbetragsverhandlung bzw. -festsetzung für Arzneimittel mit einem Zusatznutzen gemäß § 130b SGB V darstellen werden.

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)?

Zu den aktuell verfügbaren Orphan Drugs in Deutschland wird auf die vom G-BA erstellte Tabelle in Anlage 2 verwiesen.*

Nach Angaben des Wissenschaftlichen Instituts der AOK in dessen Arzneiverordnungs-Report 2023 haben Orphan Drugs in Deutschland 7,134 Mio. Euro Umsatz verursacht. Die Kosten pro Patienten können dem jeweiligen Nutzenbewertungsbeschluss des G-BA entnommen werden. Angaben zu Verordnungen einzelner Kliniken oder Praxen liegen der Bundesregierung nicht vor.

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?

Nach Angaben des G-BA haben insgesamt 120 von 153 Orphan Drugs die Umsatzschwelle von 30 Mio. Euro nicht überschritten. Für sieben Arzneimittel wurde zwischenzeitlich der regulatorische Status als Orphan Drug aufgehoben. Diese Arzneimittel befinden sich weiter im deutschen Markt. Weitere sieben Arzneimittel mit Orphan-Status wurden vom deutschen Markt zurückgenommen, sodass 106 Orphan Drugs im deutschen Markt verbleiben, die die Umsatzschwelle nicht überschritten haben.

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)?

Die Bundesregierung verweist auf die vom G-BA erstellte Tabelle in Anlage 2.*

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)?

Die Fragen 19 und 20 werden aufgrund ihres Sachzusammenhangs gemeinsam beantwortet.

* Von einer Drucklegung der Anlage wird abgesehen. Diese ist auf Bundestagsdrucksache 20/14602 auf der Internetseite des Deutschen Bundestages abrufbar.

Der Bundesregierung liegen keine Hinweise auf einen entsprechenden Missbrauch vor. Der Ausschuss für Arzneimittel für seltene Leiden (Committee for Orphan Medicinal Products, COMP) prüft bei jedem potentiellen Orphan Drug, ob es die gesetzlich festgelegten Kriterien für den Orphan Drug-Status zum Zeitpunkt der Zulassung weiterhin erfüllt.

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)

Die Fragen 21 und 22 werden aufgrund ihres Sachzusammenhangs gemeinsam beantwortet.

Der Bundesregierung liegen keine Erkenntnisse über Verordnungen einzelner Kliniken oder Praxen vor.

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)?

Das Bundesministerium für Bildung und Forschung fördert Forschungsprojekte zum Thema Seltene Erkrankungen in spezifischen nationalen und internationalen Förderschwerpunkten. Dafür wurden im Bereich der Seltenen Erkrankungen folgende Fördermittel zur Verfügung gestellt:

2014: 9 258 547 Euro,
2015: 7 271 763 Euro,
2016: 8 177 871 Euro,
2017: 9 177 150 Euro,
2018: 8 566 682 Euro,
2019: 13 180 396 Euro,
2020: 11 374 979 Euro,
2021: 10 792 840 Euro,
2022: 13 735 257 Euro,
2023: 10 290 165 Euro,
2024: 10 699 333 Euro.

Die Ergebnisse der Forschungsprojekte bzw. Studien befinden sich bei abgeschlossenen Projekten in den veröffentlichten Schlussberichten in der Technischen Informationsbibliothek (TIB) (<https://www.tib.eu/de/>).

Die Bundesregierung förderte und fördert im Rahmen der Projektförderung die in der Anlage 3* aufgeführten Vorhaben unter Zuständigkeit des Projektträgers VDI/VDE mit Bezug zu Seltenen Erkrankungen.

Im Förderschwerpunkt der Seltenen Erkrankungen fördert die Bundesregierung seit 2014 über 270 Vorhaben in der Zuständigkeit des DLR Projektträgers. Aus der Anlage 4* sind die Förderung der klinischen Studien oder Unternehmen ersichtlich.

Das Bundesministerium für Gesundheit (BMG) fördert im Rahmen der Ressortforschung Projekte, die sich insbesondere mit der Versorgungssituation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen auseinandersetzen, welche aus der Anlage 5* ersichtlich sind. Arzneimittel- und/oder Biotech-Firmen waren an den Projekten nicht beteiligt. Da es sich in der Regel um mehrjährige Förderprojekte handelt, erfolgt keine Aufschlüsselung nach jährlicher Gesamtsumme der Förderung. Ergebnisse der Projektvorhaben können in den veröffentlichten Abschlussberichten auf der Homepage des BMG nachgelesen werden.

Darüber hinaus erfolgt Forschung mit Bezügen zu Seltenen Erkrankungen auch an durch die von der Bundesregierung institutionell geförderten Forschungseinrichtungen.

24. Warum hat sich die Bundesregierung trotz einer breiten Ablehnung von Fachleuten dafür entschieden, Arzneimittelherstellern mit dem Medizinforschungsgesetz zu ermöglichen, geheime Erstattungsbeiträge zu vereinbaren?

Die Ermöglichung des vertraulichen Erstattungsbeitrags für den pharmazeutischen Unternehmer führt zu mehr Flexibilität in den Verhandlungen und stellt sicher, dass pharmazeutische Unternehmer auch dann in Deutschland auf dem Markt bleiben, wenn der nutzenbasierte Erstattungsbeitrag zu potenziell negativen Auswirkungen auf die sogenannte externe Preisreferenzierung führen würde. Während in Deutschland die Erstattungsbeiträge seit Inkrafttreten des AM-NOG nicht geheim waren, sind vertrauliche Rabatte bei Arzneimittelpreisen die Vorgehensweise bei praktisch allen anderen EU-Mitgliedstaaten. Deutschland gleicht mit der Vertraulichkeit daher einen Wettbewerbsnachteil mit den allermeisten vergleichbaren Staaten aus, die seit jeher vertraulicher Preise für neue Arzneimittel vereinbart haben. Zudem gleicht Deutschland sein System somit an die international übliche Praxis an.

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)?

Es wird auf die Antworten der Bundesregierung auf die Fragen 1 und 2 verwiesen.

* Von einer Drucklegung der Anlage wird abgesehen. Diese ist auf Bundestagsdrucksache 20/14602 auf der Internetseite des Deutschen Bundestages abrufbar.

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?

Die Bundesregierung verweist zur Beantwortung der Frage auf den Bericht „AMNOG-Evaluation – Evaluation über die Auswirkungen der Änderungen der §§ 35a und 130b und der Neuregelung § 130e durch das GKV-FinStG vom 7. November 2022 auf die Versorgung mit Arzneimitteln“ des Instituts für Gesundheits- und Sozialforschung, der auf der Internetseite des BMG veröffentlicht worden ist.

Termine zwischen Arzneimittelherstellern und der Leitungsebene der Bundesregierung und der nachgeordneten Behörden vom 1. Januar 2022 bis 2. Dezember 2024

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
03.01.2022	Bundesminister Dr. Robert Habeck und Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	BioNTech	Impfstoffproduktion
04.01.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Pfizer	Terminologie regulatorische Themen
17.01.2022	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	VCI	Vorstellung der Chemie- und Pharmabranche; Handlungskonzept Chemie- und Pharmastandort Deutschland 2021
04.02.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Moderna	Diverse Themen (Videokonferenz)
10.02.2022	Staatsminister Carsten Schneider	Bundeskanzleramt	Berlin Chemie	Pharmastandort Ostdeutschland
15.02.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Verband der forschenden Arzneimittelhersteller (vfa)	EMA: Verhältnis Deutschland; Zulassung in Deutschland und Europa
16.02.2022	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Johnson & Johnson	Pharmastandort Deutschland

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
28.02.2022	Staatssekretärin Judith Pirscher	Bundesministerium für Bildung und Forschung	vfa	Wirkstoffforschung
02.03.2022	Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek zusammen mit Vizepräsident Prof. Dr. Stefan Vieths	Paul-Ehrlich-Institut	Vertretungen von Mitgliedsfirmen vom Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI)	Gespräch zu Lieferengpässen, Deutsches Hämophileregister, COVID-19 Pandemie, elektronische Gebrauchsinformation, Klinische Forschung und Therapieallergene
03.03.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Moderna	Diverse Themen (Gespräch)
03.03.2022	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Bayer AG	Pharma- und Chemiestandort Deutschland
18.03.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach und Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek	Bundesministerium für Gesundheit und Paul-Ehrlich-Institut	Moderna	Diverse Themen (Gespräch) mit CEO, u.a. zu den von Moderna geplanten Studien und Zulassungen für multivalente COVID-19-Impfstoffe
18.03.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	BAH (nun Pharma Deutschland)	Positionspapier des BAH: Verordnung (EU) 2022/123 DES EUROPÄISCHEN PARLAMENTS UND DES RATES vom 25. Januar 2022
24.03.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach, Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek,	Bundesministerium für Gesundheit, Paul-Ehrlich-Institut, Robert Koch-Institut	BioNTech	Diverse Themen (Gespräch), u.a. High-Level-Fachgespräch zur Weiterentwicklung der COVID-19-Impfstoffe

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
	Präsident Prof. Lothar Wieler			
24.03.2022	Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	vfa	Allgemeine industrie- und klimaschutzpolitische Ausrichtung des BMWK unter Beachtung der Auswirkungen des Ukraine-Konflikts; Verbesserung der Rahmenbedingungen für die pharmazeutische Industrie am Standort Deutschland; gesundheitspolitische Herausforderungen und Haltung des BMWK
07.04.2022	Parlamentarische Staatssekretärin Dr. Franziska Brantner	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	BDI (Ausschuss industrielle Gesundheitswirtschaft)	Industriepolitische Folgen und Ausrichtung des BMWK in Folge des Kriegs in der Ukraine; Rahmenbedingungen der industriellen Gesundheitswirtschaft am Standort Deutschland; strukturierter Branchendialog mit der industriellen Gesundheitswirtschaft
11.04.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	vfa	Diverse Themen (Gespräch)

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
28.04.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Moderna Germany GmbH	Diverse Themen (Grußwort und Diskussion zur Eröffnung des Standorts)
09.05.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	vfa	Diverse Themen
09.05.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	GIRP	GIRP Annual Meeting and Conference - Preparatory call
10.05.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	BAH (nun Pharma Deutschland)	BAH-Infoveranstaltung „Real-World-Data (RWD) und Real-World-Evidence (RWE)“
11.05.2022	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Boehringer Ingelheim	TRIPS
13.05.2022	Bundeskanzler Olaf Scholz, Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundeskanzleramt, Bundesministerium für Gesundheit	SOLIDA-1 der Bayer AG	Diverse Themen (Richtfest des neuen Pharmabetriebs SOLIDA-1 der Bayer AG)
20.05.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Moderna	Diverse Themen (Videokonferenz)
31.05.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Pfizer	Vorgespräch: 8. Fachsymposium Onkologie
13.06.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach,	Bundesministerium für Gesundheit,	BioNTech	Diverse Themen (Videokonferenz), u.a. BA.4/5-Neutralisation mit Omikron-

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
	Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek	Paul-Ehrlich-Institut		adaptiertem variantem COVID-19-Impfstoff
14.06.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Moderna	Diverse Themen (Videokonferenz)
15.06.2022	Vizepräsident Prof. Dr. Werner Knöss	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	BAH (nun Pharma Deutschland)	BAH-Fachgespräch - Ergebnisse der BAH-Umfrage zu den Erfahrungen mit den deutschen Bundesoberbehörden in den letzten zwei Jahren
20.06.2022	Chef des Bundeskanzleramts	Bundeskanzleramt	Pfizer	Pharmastandort Deutschland
21.06.2022	Staatsminister Carsten Schneider, Staatssekretär Dr. Jörg Kukies, Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundeskanzleramt, Bundesministerium für Gesundheit	Almirall, Bayer, Boehringer Ingelheim, Bristol Myers Squibb, Chiesi, Eli Lilly, Gilead Sciences, Merck, Moderna, Novo-Nordisk, Pfizer, Sanofi, Takeda, Teva, UCB	Pharmastandort (Ost-)Deutschland
21.06.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	BPI	BPI Branchentreff "AM Versorgung in Krisenzeiten"
24.06.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach, Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek	Bundesministerium für Gesundheit, Paul-Ehrlich-Institut	Moderna	Diverse Themen (Gespräch und Präsentation), u.a. COVID-19-Impfstoffen

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
11.07.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach, Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek	Bundesministerium für Gesundheit, Paul-Ehrlich-Institut	Moderna	Diverse Themen (Gespräch), u.a. bivalente Spikevax-Impfstoff für Herbst 2022
12.07.2022	Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek	Paul-Ehrlich-Institut	Abbvie, Bayer, Boehringer Ingelheim, Merck, MSD, Roche, Sanofi	Meeting 7er-Zulassungskreis in Langen: Fachaustausch über aktuelle Themen der Arzneimittelregulation
21.07.2022	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Merck	Pharmastandort Deutschland
21.07.2022	Bundesministerin Annalena Baerbock	Auswärtiges Amt	Salutas (Teil der Novartis-/Sandoz-Firmengruppe)	Pandemiebekämpfung, Impfstoffherstellung und -verteilung
25.08.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich zusammen mit Vizepräsident Prof. Dr. Werner Knöss	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	BPI	Titandioxid
25.08.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	MSD	Erfahrung zur Zusammenarbeit mit der Industrie beim Thema Covid19
09.09.2022	Parlamentarische Staatssekretärin Dr. Franziska Brantner	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Sanofi	GKV- Finanzstabilisierungsgesetz, Roundtable Gesundheitswirtschaft
12.09.2022	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Eli Lilly	Pharmastandort Deutschland

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
19.09.2022	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Johnson & Johnson, Janssen Deutschland	Pharmastandort Deutschland
23.09.2022	Staatssekretärin Anja Hajduk	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Roche	Rahmenbedingungen der industriellen Gesundheitswirtschaft in Deutschland, insbesondere GKV-Finanzstabilisierungsgesetz, Arzneimittelmarkt Deutschland
28.09.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Moderna	Diverse Themen (Gespräch)
29.09.2022	Chef des Bundeskanzleramts	Bundeskanzleramt	Johnson & Johnson	Weiterentwicklung AMNOG
05.10.2022	Staatsminister Carsten Schneider	Bundeskanzleramt	Berlin Chemie	Pharmastandort Ostdeutschland
13.10.2022	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies.	Bundeskanzleramt	Amgen, Bristol Myers Squibb, Eli Lilly, Janssen	Pharmastandort Deutschland
13.10.2022	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Merck, Boehringer Ingelheim, Bayer AG	Pharmastandort Deutschland
13.10.2022	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	vfa	Schutz des geistigen Eigentums, GKV – Finanzstabilisierungsgesetz
17.10.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Pharmaunternehmen	Diverse Themen (Gespräch)
19.10.2022	Vizepräsident Prof. Dr. Stefan Vieths	Paul-Ehrlich-Institut	Vertretungen von Mitgliedsfirmen vom vfa	Gespräch vfa zu verschiedenen Aspekten des Zulassungsverfahrens, EU-Pharmagesetzgebung,

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
				Digitalisierung, Klinische Prüfungen sowie Clinical Trial Regulation und Therapiebegleitende Diagnostika (CDx)
28.10.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Eli Lilly	Diverse Themen (Gespräch)
02.11.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich zusammen mit Vizepräsident Prof. Dr. Werner Knöss	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	TransCelerate	Annual meeting; Modernizing Processes in Clinical Trials, utilization of real-world data, use of AI derived data for Pharmacovigilance
03.11.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	vfa	Aktuelle Themen
14.11.2022	Staatsminister Carsten Schneider	Bundeskanzleramt	Bayer, Berlin Chemie, Dermapharm, GlaxoSmithKline, Novartis (Aeropharm, Salutas), Takeda	Pharmastandort Ostdeutschland
16.11.2022	Bundesministerin Bettina Stark-Watzinger	Bundesministerium für Bildung und Forschung	vfa	Pharmaforschung
19.11.2022	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Moderna	Diverse Themen (Telefonat)
23.11.2022	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Auftaktveranstaltung Round-Table Gesundheitswirtschaft	Themen der Gesundheitswirtschaft und künftige Herausforderungen

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
	zusammen mit Parlamentarischer Staatssekretärin Dr. Franziska Brantner		(u.a. Roche; BAH; Pro Generika; VCI; Boehringer Ingelheim)	
29.11.2022	Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek	Paul-Ehrlich-Institut	Vertretungen von Mitgliedsfirmen von Pharma Deutschland e.V.	Gespräch PEI und Pharma Deutschland e.V. (früher BAH) zu Clinical Trial Regulation, SoHo, Produktinformation, Medizinprodukte-Verordnung und Arzneimittelsicherheit
08.12.2022	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	BAH (nun Pharma Deutschland)	Podcast BAH, Perspektiven des BfArM
14.12.2022	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Merck	u.a. GKV-Finanzierungsgesetz
16.12.2022	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	vfa	Follow-up zum Gespräch vom 13.10.2022
17.01.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Moderna	Diverse Themen (Gespräch)
18.01.2023	Chef des Bundeskanzleramts	Bundeskanzleramt	Sanofi	Pharmastandort Deutschland
24.01.2023	Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Gesundheit	Boehringer Ingelheim	Rahmenbedingungen Pharma (Gespräch)
26.01.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Eli Lilly	Pharmastandort Deutschland

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
26.01.2023	Chef des Bundeskanzleramts	Bundeskanzleramt	Bayer AG	Pharmastandort Deutschland
30.01.2023	Bundesministerin Bettina Stark-Watzinger	Bundesministerium für Bildung und Forschung	BIO Deutschland	Informationsaustausch
01.02.2023	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Boehringer Ingelheim	Gründungs- und Wachstumskapital
02.02.2023	Bundeskanzler Olaf Scholz	Bundeskanzleramt	BioNTech	Besuch der Plasmidproduktion in den Behringwerken Marburg
03.02.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Bristol-Myers Squibb	Pharmastandort Deutschland
14.02.2023	Parlamentarischer Staatssekretär Prof. Dr. Franke	Bundesministerium für Gesundheit	Dr. jur.Dr. Christian Ryback, Ehlers, Ehlers & Partner, für die CSL Behring GmbH	Arzneimittel Hemgenix; hier: alternative Erstattungsmodelle
15.02.2023	Staatssekretär Sven Giegold	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Moderna Deutschland	Definition des Versorgungs- und Wettbewerbsumfelds für die Impfstoffversorgung in 2023 und Finanzierung selbiger; Stärkung des Technologiestandorts Deutschland, insbesondere zu den Ansiedlungsplänen von Moderna und den hierzu erforderlichen Rahmenbedingungen

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
16.02.2023	Bundeskanzler Olaf Scholz und Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Eli Lilly	Pharmastandort Deutschland
22.02.2023	Staatssekretär Sven Giegold	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Moderna	Impfstoffversorgung 2023 - Definition des Versorgungs- und Wettbewerbsumfelds und Finanzierung (kurzfristiges Ziel) Austausch mit BMWK zur Stärkung des Technologiestandorts Deutschland, insbesondere zu den Ansiedlungsplänen von Moderna und den hierzu erforderlichen Rahmenbedingungen (langfristiges Ziel)
24.02.2023	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	vfa, Boehringer Ingelheim, Merck, Novartis, Roche, Sanofi, Bayer, Pfizer	Investitionsprojekte der Pharmaindustrie
27.02.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Moderna	Diverse Themen (Telefonat)
28.02.2023	Bundesminister Dr. Robert Habeck zusammen mit	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Eli Lilly	Investitionen in Deutschland

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
	Staatssekretär Udo Philipp			
01.03.2023	Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Gesundheit	Boehringer Ingelheim	Rahmenbedingungen Pharma (Gespräch)
13.03.2023	Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek	Paul-Ehrlich-Institut	Moderna	Portfoliomeeting Moderna zu in der Entwicklung befindlichen Therapeutika für die Bereiche Onkologie, seltene Erkrankungen, kardiovaskuläre Erkrankungen
16.03.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Moderna	Pharmastandort Deutschland
17.03.2023	Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek	Paul-Ehrlich-Institut	Vertretungen von Mitgliedsfirmen vom BPI	Gespräch zu ATMPs, Blut- und Plasmaprodukten, Klinische Forschung und Therapieallergene
20.03.2023	Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Curevac	Telefonat
23.03.2023	Parlamentarischer Staatssekretär Mario Brandenburg	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Eli Lilly	Informationsaustausch
29.03.2023	Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek	Paul-Ehrlich-Institut	Moderna	Austauschgespräch Update zu COVID-19-Boosterimpfstoffen
05.04.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Roche	Pharmastandort Deutschland

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
18.04.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Bayer AG	Diverse Themen (Gespräch)
20.04.2023	Parlamentarische Staatssekretärin Dr. Franziska Brantner	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Pro Generika	ALBVVG; automatische Substitution von Biosimilars; Auswirkungen der EU-Abwasserrichtlinie auf die Generikahersteller
21.04.2023	Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek	Paul-Ehrlich-Institut	Rentschler Biopharma	YPO Gold Standard in Biopharma (Vortrag und Teilnahme am Panel)
02.05.2023	Bundeskanzler Olaf Scholz	Bundeskanzleramt	Boehringer Ingelheim	Grundsteinlegung Chemical Innovation Plant in Ingelheim
24.05.2023	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	u.a. Vertreterinnen und Vertreter aus den vfa	Rede / "Tag der innovativen Gesundheitsindustrie"
25.05.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Eli Lilly	Pharmastandort Deutschland
08.06.2023	Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	GSK	Pharma-Markt
15.06.2023	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	BAH (nun Pharma Deutschland)	Grußwort BAH-Veranstaltung zu Perspektiven des BfArM
21.06.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Bristol-Myers Squibb	Pharmastandort Deutschland
22.06.2023	Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Curevac	Aufsichtsratssitzung

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
12.07.2023	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Verbändeanhörung im BMG	Legislativvorschläge zur Revision des EU-AM Rechts
25.07.2023	Parlamentarischer Staatssekretär Benjamin Strasser	Bundesministerium der Justiz	Boehringer Ingelheim	Zukunft des Forschungs- und Produktionsstandorts Deutschland/ Baden-Württemberg
27.07.2023	Bundesministerin Bettina Stark-Watzinger	Bundesministerium für Bildung und Forschung	BioNTech	Krebsimmuntherapie, HI-TRON
10.08.2023	Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Curevac	CureVac
17.08.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Bayer AG und Bristol-Myers Squibb	Pharma- und Chemiestandort Deutschland
04.09.2023	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Bayer Vital	Umfeld für Klinische Forschung in Deutschland/Europa Möglichkeiten zur Vereinfachung klinischer Forschung in Deutschland
05.09.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	teva/Ratiopharm	Diverse Themen (Videokonferenz)
06.09.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Sandoz	Diverse Themen (Videokonferenz)
08.09.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Zentiva	Diverse Themen (Videokonferenz)

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
12.09.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Bayer AG	Pharma- und Chemiestandort Deutschland
13.09.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Bayer AG	Diverse Themen (Telefonat)
14.09.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Kinderarzneimittel-Gipfel	Diverse Themen
14.09.2023	Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Curevac	Gespräch
18.09.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	CEO's der Pharmaunternehmen	Diverse Themen (Austausch)
19.09.2023	Parlamentarische Staatssekretärin Dr. Franziska Brantner	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	BAH (nun Pharma Deutschland)	Keynote anlässlich der Mitgliederversammlung des BAH
24.09.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	BioNTech	Diverse Themen (Telefonat)
26.09.2023	Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Gesundheit	AmCham (Amerikanische Handelskammer), Pharmaunternehmen anwesend	Rahmenbedingungen Pharma (Keynote/Gespräch)
28.09.2023	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e.V.; Fresenius SE & Co. KGaA; vfa	Trilaterales Wirtschaftsforum des BDI: Europe's economic and climate policy Aktuelle wirtschaftspolitische Herausforderungen in Europa; Dekarbonisierung der Industrie;

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
				Zukunft der Automobilindustrie in Europa
29.09.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Bayer AG	Pharma- und Chemiestandort Deutschland
06.10.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Moderna	Diverse Themen (Gespräch)
09.10.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	BioNTech	Diverse Themen (Gespräch)
12.10.2023	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Bayer AG	Wissenschaftsstandort Deutschland
13.10.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Boehringer Ingelheim	Pharmastandort Deutschland
15.10.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Daiichi Sankyo	Diverse Themen (Gespräch)
24.10.2023	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Abbvie, Bayer, Boehringer Ingelheim, Merck, MSD, Roche, Sanofi	Aktuelle Zulassungsthemen
28.10.2023	Chef des Bundeskanzleramts	Bundeskanzleramt	German Accelerator Life Sciences, iuvando Health, LabCentral/Biolabs, Bayer, Moderna, Quanterix	Pharma Industry Round-Table in Boston

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
30.10.2023	Präsident Prof. Dr. Klaus Cichutek zusammen mit Vizepräsident Prof. Dr. Stefan Vieths	Paul-Ehrlich-Institut	Vertretungen von Mitgliedsfirmen vom vfa	Gespräch vfa zu verschiedenen Aspekten zum Medizinforschungsgesetz, Klinischen Prüfungen, IVDR, Pharmakovigilanz und Digitalisierung
02.11.2023	Präsident Prof. Dr. Karl Broich zusammen mit Vizepräsident Prof. Dr. Werner Knöss	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	vfa	Pharmaindustrie und Forschungsstandort Deutschland
10.11.2023	Vizepräsident Prof. Dr. Werner Knöss	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Apontis	Dauer Zulassungsverfahren, nationale Phase
15.11.2023	Vizepräsident Prof. Dr. Stefan Vieths	Paul-Ehrlich-Institut	Vertretungen von Mitgliedsfirmen von Pharma Deutschland e.V.	Gespräch PEI und Pharma Deutschland e.V. (früher BAH) zu wissenschaftlichen Beratungsgesprächen, elektronischer Produktinformation sowie zum Raw-Data-Projekts der EMA
17.11.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Bristol-Myers Squibb	Pharmastandort Deutschland
17.11.2023	Bundesminister Dr. Habeck, Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz, Bundesministerium für Gesundheit	Eli Lilly	Pressekonferenz, Bekanntmachung Investitionsentscheidung Pharmaunternehmen/DEU

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
22.11.2023	Parlamentarischer Staatssekretär Mario Brandenburg	Bundesministerium für Bildung und Forschung	vfa	Zukunftstechnologie RNA/Gen-/Zelltherapien
27.11.2023	Staatsminister Carsten Schneider	Bundeskanzleramt	Aeropharm, Sandoz	Pharmastandort Ostdeutschland
28.11.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Pfizer	Pharmastandort Deutschland, u.a. Pharmastrategie
30.11.2023	Bundeskanzler Olaf Scholz, Staatssekretär Dr. Jörg Kukies, Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach, Bundesminister Dr. Robert Habeck, Bundesministerin Bettina Stark-Watzinger, Staatssekretär Steffen Hebestreit	Bundeskanzleramt, Bundesministerium für Gesundheit, Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz, Bundesministerium für Bildung und Forschung, Presse- und Informationsamt der Bundesregierung	Bayer, BioNTech, Boehringer Ingelheim, Eli Lilly, Merck, Roche, Teva,	Pharma-Spitzengespräch
30.11.2023	Bundesministerin Bettina Stark-Watzinger	Bundesministerium für Bildung und Forschung	vfa	Rahmenbedingungen

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
07.12.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies, Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundeskanzleramt, Bundesministerium für Gesundheit	Sanofi	Pharmastandort Deutschland (Gespräch)
07.12.2023	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Boehringer Ingelheim	Diverse Themen (Besuch)
08.12.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	BioNTech, BioSpring, ITM Isotope Technologies Munich	Gesprächsrunde Biotechnologie, u.a. Pharmastrategie
08.12.2023	Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Gesundheit	Pro Generika e.V.	Rahmenbedingungen Pharma (Gespräch)
18.12.2023	Bundesministerin Annalena Baerbock	Auswärtiges Amt	BioNTech	Zusammentreffen mit den Firmengründern anlässlich der Eröffnung einer Impfstoffproduktionsstätte in Kigali, Ruanda
20.12.2023	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	BioNTech	Pharmastandort Deutschland
03.01.2024	Staatssekretär Sven Giegold	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	BioNTech	Aktuelle Verhandlungen zu Pandemiebereitschaftsvertrag, Investitionen BioNTech in Deutschland (Krebsforschung)
04.01.2024	Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Gesundheit	Sanofi	Produktion in Deutschland (Telefonat)

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
09.01.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Eli Lilly	Pharmastandort Deutschland, u.a. Pharmastrategie
16.01.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Novartis	Weltwirtschaftsforum Davos
16.01.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Sandoz	KI Frühwarnsystem
16.01.2024	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Merck	Europe in the New Global Economy
17.01.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	AstraZeneca	Weltwirtschaftsforum Davos
18.01.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Fresenius	Weltwirtschaftsforum Davos
18.01.2024	Bundesministerin Bettina Stark-Watzinger	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Eli Lilly	Investitionen, Start-up-Ökosystem
19.01.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Eli Lilly	Weltwirtschaftsforum Davos
23.01.2024	Bundeskanzler Olaf Scholz	Bundeskanzleramt	Bayer AG	Pharma- und Chemiestandort Deutschland
25.01.2024	Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Bayer AG	industriepolitische Themen

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
30.01.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich, Präsident Prof. Dr. Stefan Vieths	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte, Paul-Ehrlich-Institut	BioNTech	Besuch von BioNTech in Mainz in der Pipeline befindlichen Arzneimittelentwicklungen und allgemeinen Fragen der Arzneimittelzulassung; Innovation und wissenschaftliche Beratung & Zusammenarbeit der beiden Bundesoberbehörden
08.02.2024	Chef des Bundeskanzleramts	Bundeskanzleramt	Bayer AG	Unternehmensbesuch bei Bayer Pharmaceuticals in Berlin
08.02.2024	Parlamentarischer Staatssekretär Prof. Dr. Edgar Franke, Vizepräsident Prof. Dr. Werner Knöss	Bundesministerium für Gesundheit, Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Sanofi	Besichtigung Lantus Produktion und aktuelle Themen
09.02.2024	Bundeskanzler Olaf Scholz und Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Eli Lilly	Jahrestagung US Business Council in Washington D.C.
13.02.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies.	Bundeskanzleramt	Bayer AG	Pharmastandort Deutschland
14.02.2024	Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Merck	China Strategie

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
16.02.2024	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Daiichi Sankyo	Diverse Themen (Besuch des Werks)
17.02.2024	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Merck	Münchner Sicherheitskonferenz: „The Transatlantic Economic Partnership in the Face of Global Challenges and Crises“
21.02.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Abbvie, Bayer, Boehringer Ingelheim, Merck, MSD, Roche, Sanofi	Aktuelle Zulassungsthemen, Forschungsstandort Deutschland, Entwurf Medizinforschungsgesetz
13.03.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Kohlpharma GmbH	Allgemeiner Austausch
21.03.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Merck	Mavenclad
04.04.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	BPI	Vortrag: DiGAs
05.04.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Roche	Medizinforschungsgesetz, Zusammenarbeit der beiden Bundesoberbehörden
08.04.2024	Bundeskanzler Olaf Scholz, Staatssekretär Dr. Jörg Kukies, Bundesminister Prof.	Bundeskanzleramt, Bundesministerium für Gesundheit, Presse- und	Eli Lilly	Symbolischer Spatenstich bei Eli Lilly in Alzey

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
	Dr. Karl Lauterbach, Staatssekretär Steffen Hebestreit	Informationsamt der Bundesregierung		
15.04.2024	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	BioNTech	Besuch BioNTech Hub
25.04.2024	Bundeskanzler Olaf Scholz	Bundeskanzleramt	Merck	Symbolische Grundsteinlegung Life Science Advanced Research Center in Darmstadt
29.04.2024	Präsident Prof. Dr. Stefan Vieths zusammen mit Vizepräsidentin Prof. Dr. Zoe Waibler	Paul-Ehrlich-Institut	Vertretungen von Mitgliedsfirmen vom BPI	Gespräch zu ATMPs, Pharmakovigilanz, Klinischer Forschung, EU-Verordnung über Qualitäts- und Sicherheitsstandards für Substanzen menschlichen Ursprunges (Soho), Blut- und Plasmaproducte, Zulassungsaspekten und Therapieallergene
29.04.2024	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Merck	Unternehmensbesuch
29.04.2024	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Zedira GmbH	Unternehmensbesuch
30.04.2024	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Salutas Pharma GmbH	Unternehmensbesuch

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
06.05.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich zusammen mit Vizepräsident Prof. Dr. Werner Knöss	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	BAH (nun Pharma Deutschland)	Gesprächstermin mit BAH* bzw. Pharma Deutschland, Vorstellung neue Haupt-Geschäftsführung
06.05.2024	Parlamentarischer Staatssekretär Michael Kellner	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Takeda GmbH	Standortbesuch Takeda
07.05.2024	Präsident Prof. Dr. Stefan Vieths zusammen mit Vizepräsidentin Prof. Dr. Zoe Waibler, Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Paul-Ehrlich-Institut, Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Boehringer Ingelheim	Gemeinsames Gespräch bei Boehringer Ingelheim zu in der Pipeline befindlichen Arzneimittelentwicklungen und allgemeinen Fragen der Arzneimittelzulassung
13.05.2024	Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Gesundheit	Sanofi	Produktion in Deutschland (Telefonat)
14.05.2024	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	BPI	Rede beim Tag der Gesundheitswirtschaft: Warum Deutschland eine starke Gesundheitswirtschaft braucht?
16.05.2024	Präsident Prof. Dr. Stefan Vieths	Paul-Ehrlich-Institut	Boehringer Ingelheim, Sanofi, Bayer	Informeller Austausch PEI/AGAH: Current practice of PK/PD exploration

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
				of new medicines intended for sole s.c. administration during early clinical development
21.05.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Bayer Vital GmbH	Medizinforschungsgesetz, Zusammenarbeit der beiden Bundesoberbehörden
22.05.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Eli Lilly	Pharmastandort Deutschland, u.a. Pharmastrategie
24.05.2024	Parlamentarischer Staatssekretär Michael Kellner	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Takeda	Standortbesuch, Rahmenbedingungen für den Pharmastandort Deutschland und Geothermie
31.05.2024	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach zusammen mit Staatssekretär Dr. Thomas Steffen, Staatssekretär Dr. Jörg Kukies, Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Gesundheit, Bundeskanzleramt, Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Sanofi	Diverse Themen (Gespräch)
31.05.2024	Parlamentarische Staatssekretärin Dr. Franziska Brantner	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	MSD Deutschland	Medizinforschungsgesetz; unnötige Bürokratie im System der Arzneimittelbepreisung/-abgabe

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
03.06.2024	Staatsminister Carsten Schneider	Bundeskanzleramt	Wacker Chemie	Pharmastandort Ostdeutschland
06.06.2024	Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Gesundheit	Sanofi	Produktion in Deutschland (Telefonat)
07.06.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	AstraZeneca	Pharmastandort Deutschland, u.a. Pharmastrategie
11.06.2024	Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Moderna	Covid-Impfstoffe
11.06.2024	Staatssekretär Udo Philipp, Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz, Bundesministerium für Gesundheit	Moderna Inc., Moderna Deutschland	Produktionsstandort Deutschland
12.06.2024	Präsident Prof. Dr. Stefan Vieths zusammen mit Vizepräsidentin Prof. Dr. Zoe Waibler	Paul-Ehrlich-Institut	Vertretungen von Mitgliedsfirmen vom vfa	Gespräch vfa zu Reorganisation des PEI, MFG, ZEPAI, Klinischen Prüfungen, Pharmakovigilanz und Arzneimittelzulassung
13.06.2024	Parlamentarische Staatssekretärin Dr. Franziska Brantner	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Boehringer Ingelheim	Themen rund um den Pharmastandort Europa, nicht zuletzt zur Entwicklung der Diskussion um das EU-Pharmapaket; Roundtable industrielle Gesundheitswirtschaft (RTGW); AMNOG-Leitplanken und Kombinationsrabatte;

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
				Medizinforschungsgesetz inkl. vertraulicher Erstattungsbetrag
21.06.2024	Bundeskanzler Olaf Scholz	Bundeskanzleramt	Bayer AG	Gründungsakt des Translationszentrums für Zell- und Gentherapie
24.06.2024	Staatsminister Carsten Schneider	Bundeskanzleramt	Sandoz, Salutas	Pharma-Standort Ostdeutschland
24.06.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Boehringer Ingelheim	Pharmastandort Deutschland, u.a. Pharmastrategie
25.06.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Eli Lilly	Pharmastandort Deutschland, u.a. Pharmastrategie
26.06.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Sandoz	Pharmastandort Deutschland
05.07.2024	Staatsminister Carsten Schneider	Bundeskanzleramt	Sandoz, Aeropharm	Pharmastandort Ostdeutschland
08.07.2024	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Boehringer Ingelheim	Unternehmensbesuch
12.07.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies, Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundeskanzleramt, Bundesministerium für Gesundheit	Sanofi	Pharmastandort Deutschland (Videokonferenz)
15.07.2024	Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Gesundheit	Sanofi	Produktion in Deutschland (Telefonat)

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
22.07.2024	Bundeskanzler Olaf Scholz, Staatssekretär Steffen Hebestreit	Bundeskanzleramt, Presse- und Informationsamt der Bundesregierung	Gilead, ViiV	Welt-Aids-Konferenz München
24.07.2024	Bundesminister Prof. Dr. Karl Lauterbach	Bundesministerium für Gesundheit	Sanofi	Diverse Themen (Telefonat)
15.08.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Roche	Pharmastandort Deutschland
22.08.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Roche	Pharmastandort Deutschland, u.a. Pharmastrategie
22.08.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich, Vizepräsidentin Prof. Dr. Zoe Waibler	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte, Paul-Ehrlich-Institut	Moderna	Portfoliomeeting zu ATMP Therapeutika; zu in der Pipeline befindlichen Arzneimittelentwicklungen und allgemeinen Fragen der Arzneimittelzulassung
30.08.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies, Staatssekretär Udo Philipp, Staatssekretärin Judith Pirscher	Bundeskanzleramt, Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz, Bundesministerium für Bildung und Forschung	AstraZeneca	Pharmastandort Deutschland
06.09.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Pfizer	Vorgespräch Fachsymposium Onkologie

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
17.07.2024	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Merck	Nicht aktenkundig
07.09.2024	Bundesminister Dr. Robert Habeck	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Boehringer Ingelheim Hellas	Panelveranstaltung "Greece - Germany: Investment Success Stories"
10.09.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Boehringer Ingelheim	Spätsommerempfang: Boehringer Ingelheim
17.09.2024	Staatssekretärin Judith Pirscher	Bundesministerium für Bildung und Forschung	BIO Deutschland	Biotechnologie-Industrie
19.09.2024	Parlamentarische Staatssekretärin Dr. Franziska Brantner	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Ascendis	Laborbesichtigung; Medizinforschungsgesetz; AMNOG
01.10.2024	Staatssekretär Udo Philipp	Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Bayer AG/IG BCE	Covestro
02.10.2024	Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Gesundheit	Sanofi	Verschiedene Themen (Gespräch)
08.10.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich zusammen mit Vizepräsident Prof. Dr. Werner Knöss	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Sanofi	AI, Digital biomarkers, Real-World Data, Patient experience data, ePI
14.10.2024	Staatssekretär Dr. Jörg Kukies,	Bundeskanzleramt, Bundesministerium für Wirtschaft und Klimaschutz	Daiichi Sankyo	Pharmastandort Deutschland

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
	Staatsekretär Udo Philipp			
14.10.2024	Bundeskanzler Olaf Scholz und Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Bayer AG, Boehringer Ingelheim, Daiichi-Sankyo, Eli Lilly, Merck, Roche	Gespräch im Bundeskanzleramt zu Rahmenbedingungen Pharmastandort
16.10.2024	Chef des Bundeskanzleramts	Bundeskanzleramt	Vetter Pharma	Table Forum Schlüsselindustrien
18.10.2024	Staatsminister Carsten Schneider und Staatssekretär Dr. Jörg Kukies	Bundeskanzleramt	Sandoz, Aeropharm	Pharmastandort Deutschland
30.10.2024	Präsident Prof. Dr. Stefan Vieths zusammen mit Vizepräsidentin Prof. Dr. Zoe Waibler	Paul-Ehrlich-Institut	Vertretungen von Mitgliedsfirmen von Pharma Deutschland e.V.	Gespräch PEI und Pharma Deutschland zur Zusammenarbeit der BOB, PEI und BfArM, elektronischen Produktinformation, G-BA/Gemeinsame Beratung und MFG
07.11.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Pfizer	Fachsymposium Onkologie, Medizinforschungsgesetz
18.11.2024	Präsident Prof. Dr. Karl Broich	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	Abbvie, Bayer, Boehringer Ingelheim, Merck, MSD, Roche, Sanofi	Medizinforschungsgesetz, EU Regularien, Klinische Studien, Lieferengpässe

Termin	Mitglied bzw. VertreterIn der Bundesregierung/ der nachgeordneten Behörde	Name des Ressorts/ der nachgeordneten Behörde	Name des/der beteiligten Arzneimittelhersteller	Thema/Format
20.11.2024	Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Gesundheit	AmCham (Amerikanische Handelskammer), Pharmaunternehmen anwesend	Rahmenbedingungen Pharma (Keynote/Gespräch)
28.11.2024	Bundeskanzler Olaf Scholz und Staatssekretär Steffen Hebestreit	Bundeskanzleramt, Presse- und Informationsamt der Bundesregierung	Roche	Grundsteinlegung des Diagnostik-Produktionszentrums
29.11.2024	Präsident Prof. Dr. Stefan Vieths	Paul-Ehrlich-Institut	Glaxo Smith Kline	Portfoliomeeting mit GSK zu in der Pipeline befindlichen Arzneimittelentwicklungen und allgemeinen Fragen der Arzneimittelzulassung
29.11.2024	Staatssekretär Dr. Thomas Steffen	Bundesministerium für Gesundheit	Sanofi	Produktion in Deutschland (Telefonat)
05.12.2024	Vizepräsident Prof. Dr. Werner Knöss	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	vfa	Gespräch

Quelle: Bundesregierung

Hersteller von Orphan Drugs

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
AbbVie Deutschland GmbH	nein	Mirvetuximab Soravtansin	Elahere	Monotherapie zur Behandlung von erwachsenen Patientinnen mit Folatrezeptor-alpha (FR α)-positivem, platinresistentem, high-grade serösem epitheliale Ovarial-, Tuben- oder primärem Peritonealkarzinom, die zuvor ein bis drei systemische Behandlungslinien erhalten haben	14.11.2024
Ablynx N.V.; Sanofi-Aventis Deutschland GmbH	nein	Caplacizumab	Cablivi	indiziert für die Behandlung von Erwachsenen mit einer Episode der erworbenen Form der thrombotischen thrombozytopenischen Purpura (aTTP)	30.08.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Akcea Therapeutics Germany GmbH	ja	Inotersen	Tegsedi	zur Behandlung von Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2 bei erwachsenen Patienten mit hereditärer Transthyretin-Amyloidose (hATTR)	06.07.2018
Akcea Therapeutics Germany GmbH	ja	Volanesorsen	Waylivra	zur unterstützenden Behandlung neben einer Diät Erwachsener mit genetisch bestätigtem familiären Chylomikronämiesyndrom (FCS) und einem hohen Risiko für Pankreatitis, bei denen das Ansprechen auf eine Diät und eine triglyzeridsenkende Therapie unzureichend war.	03.05.2019
Alexion Pharma Germany GmbH	nein	Asfotase alfa	Strensiq	Langzeit-Enzymersatztherapie bei Hypophosphatasie	28.08.2015

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Alexion Pharma Germany GmbH	nein	Danicopan	Voydeya	als Zusatztherapie zu Ravulizumab oder Eculizumab zur Behandlung von Erwachsenen mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH), die eine residuale hämolytische Anämie haben	19.04.2024
Alnylam Germany GmbH	ja	Givosiran	Givlaari	Behandlung einer akuten hepatischen Porphyrie (AHP) bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren.	02.03.2020
Alnylam Germany GmbH	ja	Lumasiran	Oxlumo	zur Behandlung der primären Hyperoxalurie Typ 1 (PH1) in allen Altersgruppen	19.11.2020
Alnylam Germany GmbH	ja	Patisiran	Onpattro	zur Behandlung der hereditären Transthyretin-Amyloidose (hATTR-Amyloidose) bei erwachsenen Patienten mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2	27.08.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Alnylam Germany GmbH	ja	Vutrisiran	Amvuttra	Behandlung der hereditären Transthyretin-Amyloidose (hATTRAmyloidose) bei Erwachsenen mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2	15.09.2022
Amgen GmbH	nein	Blinatumomab	Blincyto	Monotherapie zur Behandlung von pädiatrischen Patienten im Alter von 1 Jahr oder älter mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Philadelphia-Chromosom-negativen (Ph-) CD19-positiven (CD19+) B Vorläufer ALL im Rahmen der Konsolidierungstherapie - AWG E	24.06.2021
Amgen GmbH	nein	Blinatumomab	Blincyto	Zur Behandlung Erwachsener mit CD19-positiver, rezidivierender oder refraktärer B-Vorläufer akuter lymphatischer Leukämie (ALL). Bei Patienten mit Philadelphia-Chromosom-positiver B-Vorläufer ALL sollte die Behandlung mit	22.12.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				mindestens 2 Tyrosinkinase-Inhibitoren (TKI) fehlgeschlagen sein, und sie sollten keine alternativen Behandlungsoptionen haben.	
Amgen GmbH	nein	Blinatumomab	Blincyto	wird als Monotherapie angewendet zur Behandlung von Erwachsenen mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19positiver B Vorläufer-ALL in erster oder zweiter kompletter Remission mit einer minimalen Resterkrankung (MRD) von mindestens 0,1 %.	18.01.2019
Amgen GmbH	nein	Blinatumomab	Blincyto	BLINCYTO wird als Monotherapie angewendet zur Behandlung von pädiatrischen Patienten im Alter von 1 Jahr oder älter mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach	23.08.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiert ist.	
Amgen GmbH	nein	Blinatumomab	Blinicyto	akute lymphatische Leukämie	23.11.2015
Amgen GmbH	nein	Carfilzomib	Kyprolis	in Kombination mit Daratumumab und Dexamethason [...] zur Behandlung von Erwachsener mit multiplem Myelom indiziert, die mindestens eine vorangegangene Therapie erhalten haben	17.12.2020
Amgen GmbH	nein	Carfilzomib	Kyprolis	Multiples Myelom	29.06.2016
Amicus Therapeutics GmbH	nein	Migalastat	Galafold	ist für die Dauerbehandlung von Erwachsenen und Jugendlichen ab einem Alter von 12 Jahren und älter mit gesicherter Morbus Fabry Diagnose	23.07.2021

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				(α -Galaktosidase A-Mangel) indiziert, die eine auf die Behandlung ansprechende Mutation aufweisen	
Amivas Ireland Ltd	nein	Artesunat	Artesunate Amivas	schwere Malaria, ab Geburt	22.01.2021
Amryt Pharma GmbH	nein	Birkenrindenextrakt	Filsuvez	Behandlung von oberflächlichen Wunden im Zusammenhang mit dystropher und junktionaler Epidermolysis bullosa bei Patienten ab 6 Monaten	21.06.2022
Argenx Germany GmbH	nein	Efgartigimod alfa	Vyvgart	zusätzlich zur Standardtherapie zur Behandlung von Erwachsenen mit generalisierter Myasthenia gravis (gMG) angewendet, die Anti-Acetylcholin-Rezeptor (AChR)-Antikörper positiv sind	10.08.2022

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
ARIAD Pharmaceuticals GmbH	nein	Ponatinib	Iclusig	1. bei chronischer myeloischer Leukämie (CML) 2. bei Philadelphia-Chromosom positiver akuter Lymphoblastenleukämie	01.07.2013
Ascendis Pharma Endocrinology GmbH	ja	Lonapegsonmatropin	Skytrofa	Wachstumsstörungen bei Kindern und Jugendlichen von 3 bis 18 Jahren aufgrund unzureichender Sekretion des endogenen Wachstumshormons (Wachstumshormonmangel (GHD))	11.01.2022
Ascendis Pharma Endocrinology GmbH	ja	Palopegteriparatid	Yorvipath	eine PTH-Ersatztherapie für die Behandlung von Erwachsenen mit chronischem Hypoparathyreoidismus	17.11.2023

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Astellas Pharma GmbH	ja	Gilteritinib	Xospata	Monotherapie zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit rezidivierter oder refraktärer akuter myeloischer Leukämie (AML) mit einer FLT3-Mutation	24.20.2019
Astellas Pharma GmbH	ja	Zolbetuximab	Vyloy	ist in Kombination mit Fluoropyrimidin- und Platin-haltiger Chemotherapie zur Erstlinienbehandlung von erwachsenen Patienten mit lokal fortgeschrittenem inoperablem oder metastasiertem HER2-negativem Adenokarzinom des Magens oder des gastroösophagealen Übergangs (gastro-oesophageal junction, GEJ) angezeigt, deren Tumore Claudin (CLDN) 18.2 positiv sind	19.09.2024
AstraZeneca GmbH	nein	Selumetinib	Koselugo	Die Koselugo-Monotherapie ist bei Kindern ab 3 Jahren und Jugendlichen zur Behandlung von	17.06.2021

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				symptomatischen, inoperablen plexiformen Neuro-fibromen (PN) bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1) indiziert.	
Basilea Pharmaceutica International Ltd.	nein	Isavuconazol	Cresemba	1. Invasive Aspergillose Mukormykose	15.10.2015
Biogen GmbH	ja	Nusinersen	Spinraza	Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie	20.05.2017
Biogen GmbH	ja	Omaveloxolon	Skyclarys	Behandlung der Friedreich-Ataxie bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 16 Jahren.	09.02.2024
Biogen GmbH	ja	Tofersen	Qalsody	zur Behandlung von Erwachsenen mit amyotropher Lateralsklerose (ALS), die mit einer Mutation im Superoxid-Dismutase 1 (SOD1)-Gen assoziiert ist.	29.05.2024

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
BioMarin	ja	Cerliponase alfa	Brineura	Zur Behandlung der neuronalen Ceroid-Lipofuszinose (NCL) Typ 2, auch als Tripeptidyl-Peptidase 1 (TPP1)-Mangel bezeichnet	30.05.2017
BioMarin	ja	Elosulfase alfa	Vimizim	Mukopolysaccharidose vom Typ IVA (Morquio A Syndrom, MPS IVA)	27.04.2014
BioMarin	ja	Pegvaliase	Palynziq	Zur Behandlung von Patienten ab dem Alter von 16 Jahren mit Phenylketonurie (PKU), deren Phenylalaninwerte im Blut trotz vorausgegangener Anwendung verfügbarer Behandlungsoptionen nicht ausreichend eingestellt sind	03.05.2019
BioMarin	ja	Vosoritid	Voxzogo	Behandlung der Achondroplasie bei Patienten ab 2 Jahren, bei denen die Epiphysen noch nicht geschlossen sind.	26.08.2021
BioMarin	ja	Valoc-tocogen	Roctavian	Behandlung schwerer Hämophilie A (kongenitaler Faktor-VIII-	24.08.2022

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
		Roxapar- vovec		Mangel) bei Erwachsenen ohne Faktor-VIII-Inhibitoren in der Vorgeschichte und ohne nachweisbare Antikörper gegen Adenoassoziertes Virus Serotyp 5 (AAV5)	
BioMarin	ja	Vosoritid	Voxzogo	Behandlung der Achondroplasie bei Patienten ab 4 Monaten bis 2 Jahren, bei denen die Epiphysen noch nicht geschlossen sind. Die Diagnose Achondroplasie sollte durch entsprechende Gentests bestätigt werden	25.10.2023
Bioprojet	nein	Pitolisant	Wakix	Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie bei Jugendlichen und Kindern ab 6 Jahren	24.02.2023
Bioprojet	nein	Pitolisant	Wakix	Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie	31.03.2016

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Blueprint Medicines (Germany) GmbH	nein	Avapritinib	Ayvakyt	Monotherapie zur Behandlung Erwachsener mit aggressiver systemischer Mastozytose (ASM), systemischer Mastozytose mit assoziierter hämatologischer Neoplasie (SM-AHN) oder Mastzelleukämie (MCL) nach mindest einer systemischen Therapie	24.03.2022
Blueprint Medicines (Germany) GmbH	nein	Avapritinib	Ayvakyt	Behandlung erwachsener Patienten mit inoperablen oder metastasierten gastrointestinalen Stromatumoren (GIST), die die Thrombozyten-Wachstumsfaktor-Rezeptor-alpha („Platelet-Derived Growth Factor Receptor Alpha“, PDGFRA)-D842V-Mutation beherbergen	24.09.2020
Boehringer Ingelheim Pharma	nein	Nintedanib	Ofev	Behandlung anderer chronischer progredient, fibrosierender interstitieller Lungenerkrankungen (ILDs)	13.07.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
GmbH & Co. KG					
Boehringer Ingelheim Pharma GmbH & Co. KG	nein	Nintedanib	Ofev	Behandlung einer interstitiellen Lungenerkrankung bei Erwachsenen mit systemischer Sklerose (SSc-ILD)	17.04.2020
Boehringer Ingelheim Pharma GmbH & Co. KG	nein	Nintedanib	Ofev	zur Behandlung der idiopathischen Lungenfibrose	15.01.2015
Bristol-Myers Squibb	nein	Fedratinib	Inrebic	zur Behandlung krankheitsbedingter Splenomegalie oder	08.02.2021

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
GmbH & Co. (vormals Celgene GmbH, siehe Anmerkungen)				Symptomen bei Erwachsenen mit primärer Myelofibrose, Post-Polycythaemia Vera-Myelofibrose oder Post-Essentielle Thrombozythämie-Myelofibrose, ohne Vorbehandlung mit (JAK)Inhibitoren oder Vorbehandlung mit Ruxolitinib.	
Bristol-Myers Squibb GmbH & Co. KGaA	nein	Luspatercept	Reblozyl	Behandlung von transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die keine vorausgegangene Erythropoetin (EPO)-basierte Therapie erhalten haben und dafür geeignet sind (AWG D) Behandlung	27.03.2024

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				von transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) ohne Ringsideroblasten, mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die auf eine Erythropoetin (EPO)-basierte Therapie nicht zufriedenstellend angesprochen haben oder dafür nicht geeignet sind (AWG E)	
Bristol-Myers Squibb GmbH & Co. KGaA	nein	Luspatercept	Reblozyl	Behandlung Erwachsener mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) mit Ringsideroblasten, mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die auf eine Erythropoetin-basierte Therapie nicht zufriedenstellend angesprochen haben oder dafür nicht geeignet sind	25.06.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Bristol-Myers Squibb GmbH & Co. KGaA	nein	Luspatercept	Reblozyl	Behandlung von Beta-Thalassämie, die mit transfusionsabhängiger Anämie verbunden ist.	25.06.2020
Bristol-Myers Squibb GmbH & Co. KGaA	nein	Pomalidomid	Imnovid	für die Behandlung des Multiplen Myeloms bei erwachsenen Patienten, die mindestens eine vorausgegangene Therapie, darunter Lenalidomid, erhalten haben	31.05.2019
Bristol-Myers Squibb GmbH & Co. KGaA	nein	Pomalidomid	Imnovid	rezidiertes und refraktäres multiples Myelom	05.08.2013

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Chiesi GmbH	nein	Metreleptin	Myalepta	Leptin-Ersatztherapie, in Kombination mit einer Diät zur Behandlung der Folgen eines Leptinmangels bei Patienten mit Lipodystrophie (LD)	29.07.2018
Chiesi GmbH	nein	Velmanase alfa	Lanzede	Enzymersatztherapie zur Behandlung neurologischer Manifestationen bei Patienten mit leichter bis mittelschwerer α Mannosidose	23.03.2018
Clinuvel (UK) Limited	nein	Afamelanotid	Scenese	Prävention von Phototoxizität bei erwachsenen Patienten mit erythropoetischer Protoporphyrinurie (EPP)	22.12.2014
CSL Behring GmbH	nein	Albutrepenonacog alfa	Idelvion	Therapie und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie B (kongenitaler Faktor-IX-Mangel)	11.03.2016
CSL Behring GmbH	nein	Etranacogen	Hemgenix	zur Behandlung von schwerer und mittelschwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-	20.02.2023

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
		Dezaparvovec		Mangel) bei Erwachsenen ohne Faktor-IXInhibitoren in ihrer Vorgeschichte.	
Deciphera Pharmaceuticals (Netherlands) B.V.	nein	Ripretinib	Qinlock	Behandlung Erwachsener mit fortgeschrittenen gastrointestinalen Stromatumoren (GIST), die zuvor eine Behandlung mit drei oder mehr Kinase-Hemmern, einschließlich Imatinib, erhalten haben.	18.10.2021
Genzyme GmbH	nein	Eliglustat	Cerdelga	Morbus Gaucher Typ 1	19.01.2015
Gilead Sciences GmbH	nein	Axicabtagen-Ciloleucel	Yescarta	zur Behandlung Erwachsener mit rezidiviertem oder refraktärem diffus großzelligem B-Zell-Lymphom (DLBCL) und primär mediastinalem großzelligem B-Zell-Lymphom (PMBCL) nach zwei oder mehr systemischen Therapien.	23.08.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Gilead Sciences GmbH	nein	Axicabtagen-Ciloleucel	Yescarta	zur Behandlung von Erwachsenen mit diffus großzelligem B-ZellLymphom (DLBCL) und hochmalignem B-Zell-Lymphom (HGBL), das innerhalb von 12 Monaten nach Abschluss einer Erstlinien-Chemoimmuntherapie rezidiert oder gegenüber dieser refraktär ist.	14.10.2022
Gilead Sciences GmbH	nein	Axicabtagen-Ciloleucel	Yescarta	Behandlung von Erwachsenen mit rezidiertem oder refraktärem (r/r) folliculärem Lymphom (FL) nach drei oder mehr systemischen Therapien	21.06.2022
Gilead Sciences GmbH	nein	Brexucabtagen Autoleucel	Tecartus	zur Behandlung von Erwachsenen ab 26 Jahren mit rezidivierter oder refraktärer (r/r) akuter lymphatischer B-Vorläuferzell Leukämie (ALL)	02.09.2022

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Gilead Sciences GmbH	nein	Brexucabtagen Autoleucel	Tecartus	angewendet zur Behandlung von Erwachsenen mit rezidiviertem oder refraktärem Mantelzell-Lymphom (MCL) nach zwei oder mehr systemischen Therapien, die einen Bruton-Tyrosinkinase-(BTK)Inhibitor einschließen.	14.12.2020
GlaxoSmithKline GmbH & Co. KG	nein	Momelotinib	Omjjara	Behandlung von krankheitsbedingter Splenomegalie oder Symptomen bei Erwachsenen mit moderater bis schwerer Anämie, die an PMF, Post-PV-MF oder Post-ET-MF erkrankt sind, und die nicht mit einem JAKi vorbehandelt sind oder die mit Ruxolitinib behandelt wurden.	25.01.2024
GlaxoSmithKline	nein	Niraparib	Zejula	als Monotherapie zur Erhaltungstherapie bei Erwachsener mit fortgeschrittenem epitheliale (FIGO-Stadien III und IV) high-grade	16.11.2017

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
GmbH & Co. KG				Karzinom der Ovarien, der Tuben oder mit primärem Peritonealkarzinom, die nach einer Platin-basierten ErstlinienChemotherapie ein Ansprechen (komplett oder partiell) haben	
Global Blood Therapeutics Germany GmbH	nein	Voxelotor	Oxbryta	bei Erwachsenen, Kindern und Jugendlichen ab 12 Jahren zur Behandlung von hämolytischer Anämie infolge Sichelzellkrankheit als Monotherapie oder in Kombination mit Hydroxycarbamid	14.02.2022
Hansa Biopharma AB	nein	Imlifidase	Idefirix	indiziert für die Desensibilisierungs-behandlung von erwachsenen Nierentransplantationspatienten, die Antikörper besitzen, welche zu einer positiven Kreuzprobe gegen einen verfügbaren verstorbenen Spender führen	25.08.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Immedica Pharma Germany GmbH	nein	Pegzilarginase	Loargys	zur Behandlung von Arginase-1-Mangel (ARG1-D), auch bekannt als Hyperargininämie, bei Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern im Alter ab 2 Jahren.	15.12.2023
Immuno-core Ireland Ltd.	nein	Tebentafusp	Kimmtrak	Monotherapie bei der Behandlung von HLA (humanes LeukozytenAntigen)-A*02:01-positiven erwachsenen Patienten mit inoperablem oder metastasiertem uvealem Melanom.	01.04.2022
Incyte Biosciences Germany GmbH	ja	Pemigatinib	Pemazyre	Pemazyre wird als Monotherapie angewendet zur Behandlung von Erwachsenen mit lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem Cholangiokarzinom mit einer Fibroblasten-Wachstumsfaktor-	26.03.2021

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Rezeptor-2 (fibroblast growth factor receptor 2, FGFR2)-Fusion oder einem FGFR2-Rearrangement, das nach mindestens einer vorherigen systemischen Therapielinie fortgeschritten ist.	
Incyte Biosciences Germany GmbH	ja	Tafasitamab	Minjuvi	in Kombination mit Lenalidomid gefolgt von einer MINJUVIMonotherapie für die Behandlung bei erwachsenen Patienten mit rezidiviertem oder refraktärem diffusem großzelligem B-Zell-Lymphom (diffuse large B-cell lymphoma, DLBCL), für die eine autologe Stammzelltransplantation (ASZT) nicht infrage kommt.	26.08.2021
InterMune Deutschland GmbH	nein	Pirfenidon	Esbriet	leichte bis mittelschwere idiopathische pulmonale Fibrose (IPF)	27.02.2011

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Ipsen Pharma GmbH	nein	Odevixibat	Bylvay	zur Behandlung der progressiven familiären intrahepatischen Cholestase (PFIC) bei Patienten im Alter ab 6 Monaten	16.07.2021
Ipsen Pharma GmbH	nein	Elafibranor	Iqirvo	Behandlung der primär biliären Cholangitis (PBC) in Kombination mit Ursodeoxycholsäure (UDCA) bei Erwachsenen die nicht ausreichend auf UDCA ansprechen, oder als Monotherapie bei Patienten, die UDCA nicht vertragen	19.09.2024
Ipsen Pharma GmbH	nein	Telotristatethyl	Xermelo	Behandlung der Karzinoid-Syndrom-bedingten Diarrhö in Kombination mit einer Somatostatin-Analogen (SSA)-Therapie bei Erwachsenen mit unzureichender Kontrolle unter SSA-Therapie	17.09.2017
Janssen-Cilag GmbH	nein	Macitentan	Opsumit	pulmonal arterielle Hypertonie (PAH)	20.12.2013

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Janssen-Cilag GmbH	ja	Bedaquilin	Sirturo	wird angewendet bei erwachsenen und pädiatrischen Patienten (im Alter von 5 Jahren bis unter 12 Jahren und mit einem Körpergewicht von mindestens 15 kg) als Teil einer geeigneten Kombinationstherapie der multiresistenten pulmonalen Tuberkulose [multi-drug-resistant Mycobacterium tuberculosis (MDR-TB)], wenn ein wirksames Behandlungsregime aufgrund von Resistenz oder Unverträglichkeit nicht anders zusammengestellt werden kann	29.03.2021
Janssen-Cilag GmbH	ja	Bedaquilin	Sirturo	bei Jugendlichen (im Alter von 12 Jahren bis unter 18 Jahren und mit einem Körpergewicht von mindestens 30 kg) als Teil einer geeigneten	27.01.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Kombinationstherapie der multiresistenten pulmonalen Tuberkulose	
Janssen-Cilag GmbH	ja	Bedaquilin	Sirturo	multiresistente pulmonale Tuberkulose bei Erwachsenen	05.03.2014
Janssen-Cilag GmbH	ja	Ciltacabtagen autoleucel	Carvykti	zur Behandlung Erwachsener mit rezidiviertem und refraktärem Multiplen Myelom, mind 1 Vortherapie (darunter Immunmodulator und Proteasom-Inhibitor), mit Progress und refraktär gegenüber Lenalidomid	19.04.2024
Janssen-Cilag GmbH	ja	Daratumumab	Darzalex	ist indiziert in Kombination mit Bortezomib, Lenalidomid und Dexamethason für die Behandlung erwachsener Patienten mit neu diagnostiziertem multiplen Myelom, die für eine autologe Stammzelltransplantation geeignet sind.	21.10.2024

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Janssen-Cilag GmbH	ja	Daratumumab	Darzalex	in Kombination mit Pomalidomid und Dexamethason für die Behandlung Erwachsener mit Multiplem Myelom, mit mind. 1 Vortherapie mit einem Proteasom-Inhibitor und Lenalidomid erhalten haben und refraktär gegenüber Lenalidomid waren oder 2 Vortherapien erhalten haben, die Lenalidomid und einen ProteasomInhibitor enthielten, und die während oder nach der letzten Therapie eine Krankheitsprogression gezeigt haben.	23.06.2021
Janssen-Cilag GmbH	ja	Daratumumab	Darzalex	in Kombination mit Cyclophosphamid, Bortezomib und Dexamethason für die Behandlung Erwachsener mit neu diagnostizierter systemischer Leichtketten-Amyloidose (AL)	23.06.2021

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Janssen-Cilag GmbH	ja	Daratumumab	Darzalex	in Kombination mit Bortezomib, Thalidomid und Dexamethason für die Behandlung erwachsener Patienten mit neu diagnostiziertem multiplen Myelom, die für eine autologe Stammzelltransplantation geeignet sind	20.01.2020
Janssen-Cilag GmbH	ja	Daratumumab	Darzalex	in Kombination mit Lenalidomid und Dexamethason für die Behandlung erwachsener Patienten mit neu diagnostiziertem multiplen Myelom, die für eine autologe Stammzelltransplantation nicht geeignet sind	19.11.2019
Janssen-Cilag GmbH	ja	Daratumumab	Darzalex	in Kombination mit Bortezomib, Melphalan und Prednison für die Behandlung erwachsener Patienten mit neu diagnostiziertem Multiplen Myelom, die für eine autologe Stammzelltransplantation nicht geeignet sind	31.08.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Janssen-Cilag GmbH	ja	Daratumumab	Darzalex	Monotherapie und Kombinationstherapie multiples Myelom	20.05.2016 (Mono) 28.04.2017 (Kombi)
Janssen-Cilag GmbH	ja	Decitabin	Dacogen	zur Behandlung erwachsener Patienten ab einem Alter von 65 Jahren mit neu diagnostizierter de novo oder sekundärer akuter myeloischer Leukämie (AML) gemäß der Klassifikation der WHO, für die eine Standard-Induktionstherapie nicht in Frage kommt.	20.09.2012
Janssen-Cilag GmbH	ja	Ibrutinib	Imbruvica	in Kombination mit Rituximab zur Behandlung Erwachsener mit nicht vorbehandelter chronischer lymphatischer Leukämie (CLL)	28.08.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Janssen-Cilag GmbH	ja	Ibrutinib	Imbruvica	in Kombination mit Rituximab ist indiziert zur Behandlung Erwachsener mit Morbus Waldenström	02.08.2019
Janssen-Cilag GmbH	ja	Ibrutinib	Imbruvica	in Kombination mit Obinutuzumab ist indiziert zur Behandlung Erwachsener mit nicht vorbehandelter chronischer lymphatischer Leukämie	02.08.2019
Janssen-Cilag GmbH	ja	Ibrutinib	Imbruvica	in Kombination mit Bendamustin und Rituximab (BR) zur Behandlung erwachsener Patienten mit chronisch lymphatischer Leukämie (CLL), die mindestens eine vorangehende Therapie erhalten haben.	25.08.2016
Janssen-Cilag GmbH	ja	Ibrutinib	Imbruvica	als Einzelsubstanz indiziert	26.05.2016

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				zur Behandlung erwachsener Patienten mit nicht vorbehandelter chronischer lymphatischer Leukämie (CLL)	
Janssen-Cilag GmbH	ja	Ibrutinib	Imbruvica	1. chronische lymphatische Leukämie rezidiertes oder refraktäres Mantelzell-Lymphom 3. Morbus Waldenström	21.10.2014; 03.07.2015
Janssen-Cilag GmbH	ja	Siltuximab	Sylvant	Behandlung von erwachsenen Patienten mit MCD, die HIV- und HHV8-negativ sind	22.05.2014
Janssen-Cilag GmbH	ja	Talquetamab	Talvey	Monotherapie zur Behandlung Erwachsener mit rezidiertem und refraktärem multiplen Myelom, die zuvor bereits mindestens drei Therapien erhalten haben	22.08.2023

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Jazz Pharmaceuticals	nein	Daunorubicin/Cytarabin	Vyxeos	Behandlung der neu diagnostizierten, therapiebedingten akuten myeloischen Leukämie (t-AML) oder AML mit myelodysplastischen Veränderungen (AML-MRC).	23.08.2018
Jazz Pharmaceuticals Germany GmbH	nein	Cannabidiol	Epidyolex	zur adjuvanten Behandlung von Krampfanfällen im Zusammenhang mit Tuberöser Sklerose (TSC) angewendet, bei Patienten ab 2 Jahren	16.04.2021
Jazz Pharmaceuticals Germany GmbH	nein	Cannabidiol	Epidyolex	Lennox-Gastaut-Syndrom: „Epidyolex wird, zusammen mit Clobazam, bei Patienten ab 2 Jahren für die adjuvante Behandlung von Krampfanfällen, im Zusammenhang mit dem Lennox-GastautSyndrom (LGS) (B)	19.09.2019

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Jazz Pharmaceuticals Germany GmbH	nein	Cannabidiol	Epidyolex	Dravet-Syndrom: „Epidyolex wird, zusammen mit Clobazam, bei Patienten ab 2 Jahren für die adjuvante Behandlung von Krampfanfällen, im Zusammenhang mit dem Dravet-Syndrom (DS) angewendet.“ (A)	19.09.2019
Kyowa Kirin GmbH	nein	Burosumab	Crysvita	Behandlung FGF23-bedingter Hypophosphatämie bei tumorinduzierter Osteomalazie in Verbindung mit phosphaturischen mesenchymalen Tumoren, die nicht durch eine Operation kurativ behandelt oder nicht lokalisiert werden können, bei Kindern und Jugendlichen im Alter von 1 bis 17 Jahren, und bei	25.07.2022

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Erwachsenen	
Kyowa Kirin GmbH	nein	Burosumab	Crysvita	Behandlung der X-chromosomalen Hypophosphatämie (XLH) bei Erwachsenen (B)	30.09.2020
Kyowa Kirin GmbH	nein	Burosumab	Crysvita	Behandlung der X-chromosomalen Hypophosphatämie (XLH) bei Kindern und Jugendlichen im Alter von 1 bis 17 Jahren mit röntgenologischem Nachweis einer Knochenerkrankung (A)	19.02.2018
Kyowa Kirin GmbH	nein	Mogamulizumab	Poteligeo	Behandlung von erwachsenen Patienten mit Mycosis fungoides (MF) oder Sézary-Syndrom (SS) mit mind. einer vorherige systemische Therapie	22.11.2018
Laboratoires CTRS	nein	Cholsäure	Orphacol	bei angeborenen Störungen der primären Gallensäuresynthese	12.09.2013

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Lupin Europe GmbH	nein	Mexiletin	Namuscla	Symptomatische Behandlung der Myotonie bei Erwachsenen mit nicht-dystrophen myotonen Störungen	18.12.2018
Mirum Pharmaceuticals International B.V.	nein	Maralixibat	Livmarli	zur Behandlung der progressiven familiären intrahepatischen Cholestase (PFIC) bei Patienten ab dem Alter von 3 Monaten	28.06.2024
MSD SHARP & DOHME GMBH	nein	Letermovir	Prevymis	Prophylaxe einer Cytomegalievirus(CMV)-Reaktivierung und Erkrankung bei erwachsenen CMV-seropositiven Empfängern [R+] einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation	08.01.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
MSD SHARP & DOHME GMBH	nein	Letermovir	Prevymis	Prophylaxe einer Cytomegalievirus (CMV)-Erkrankung bei CMVseronegativen Empfängern [R-] eines Nierentransplantats von CMVseropositiven Spendern [D+] angewendet	15.11.2023
MSD SHARP & DOHME GMBH	nein	Riociguat	Adempas	Behandlung von PAH bei pädiatrischen Patienten im Alter von unter 18 Jahren und einem Körpergewicht von ≥ 50 kg der WHOFunktionsklassen (FK) II bis III in Kombination mit EndothelinRezeptorantagonisten.	31.05.2023
MSD SHARP & DOHME GMBH	nein	Riociguat	Adempas	Erwachsene Patienten mit Pulmonal Arterieller Hypertonie (PAH) zur Verbesserung der körperlichen Leistungsfähigkeit (B)	27.03.2014
MSD SHARP & DOHME GMBH	nein	Riociguat	Adempas	Erwachsene Patienten mit inoperabler oder nach chirurgischer	27.03.2014

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Behandlung persistierender bzw. rezidivierender CTEPH zur Verbesserung der körperlichen Leistungsfähigkeit (A)	
MSD Sharp & Dohme GmbH	nein	Sotatercept	Winrevair	Behandlung von Erwachsenen mit pulmonaler arterieller Hypertonie (PAH) in der WHO-Funktionsklasse II und III, in Kombination mit anderen Therapien gegen PAH	22.08.2024
Mundipharma	nein	Rezafungin	Rezzayo	Behandlung der invasiven Candidainfektion bei Erwachsenen	22.12.2023
MYR GmbH	nein	Bulevirtid	Hepcludex	chronische Hepatitis-Delta-Virus (HDV)-Infektion Erwachsener mit kompensierter Lebererkrankung, die im Plasma (oder Serum) positiv auf HDV-RNA getestet wurden	31.07.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Novartis Pharma AG	ja	Midostaurin	Rydapt	als Monotherapie zur Behandlung Erwachsener mit aggressiver systemischer Mastozytose (ASM), systemischer Mastozytose mit assoziierter hämatologischer Neoplasie (SM-AHN) oder Mastzelleukämie (MCL).	18.09.2017
Novartis Pharma AG	ja	Midostaurin	Rydapt	für Erwachsene mit neu diagnostizierter akuter myeloischer Leukämie (AML), die eine FLT3-Mutation aufweisen, in Kombination mit einer Standard-Chemotherapie mit Daunorubicin und Cytarabin zur Induktion und mit einer Hochdosis-Chemotherapie mit Cytarabin zur Konsolidierung und anschließender Monotherapie zur Erhaltungstherapie bei Patienten in kompletter Remission	18.09.2017

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Novartis Pharma AG	ja	Onasemnogen-Abepravovec	Zolgensma	Patienten mit 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, oder Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und bis zu 3 Kopien des SMN2-Gens.	18.05.2020
Novartis Pharma GmbH	ja	Dabrafenib	Finlee	<p>in Kombination mit Trametinib zur Behandlung des malignen Gliom mit einer BRAF-V600E-Mutation, ab 1 Jahr:</p> <p>AWG A: low-grade glioma (LGG), die eine systemische Therapie benötigen;</p> <p>AWG B: high-grade glioma (HGG), die zuvor mindestens eine</p>	05.01.2024

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Strahlen- und/oder Chemotherapie erhalten haben	
Novartis Pharma GmbH	ja	Iptacopan	Fabhalta	Monotherapie zur Behandlung von vorbehandelten (AWG A) und nicht vorbehandelten (AWG B) Erwachsenen mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH), die eine hämolytische Anämie aufweisen.	17.05.2024
Novartis Pharma GmbH	ja	Midostaurin	Rydapt	angewendet bei Erwachsenen mit neu diagnostizierter akuter myeloischer Leukämie (AML)	18.09.2017
Novartis Pharma GmbH	ja	Midostaurin	Rydapt	angewendet als Monotherapie bei Erwachsenen mit aggressiver systemischer Mastozytose, systemischer Mastozytose mit assoziierter hämatologischer Neoplasie, Mastezelleukämie	18.09.2017

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Novartis Pharma GmbH	ja	Panobinostat	Farydak	rezidiertes und/oder refraktäres Multiples Myelom	28.08.2015
Novartis Pharma GmbH	ja	Pasireotid	Signifor	Akromegalie	19.11.2014
Novartis Pharma GmbH	ja	Pasireotid	Signifor	Morbus Cushing	24.04.2012
Novartis Pharma GmbH	ja	Ruxolitinib	Jakavi	Behandlung von krankheitsbedingter Splenomegalie oder Symptomen bei Erwachsenen mit primärer Myelofibrose, PostPolycythaemia-vera-Myelofibrose oder Post-EssentiellerThrombozythämie-Myelofibrose	23.08.2012

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Novartis Pharma GmbH	ja	Tisagenlecleucel	Kymriah	Behandlung von Erwachsenen mit rezidiviertem oder refraktären folliculärem B-Zell-Lymphom nach zwei oder mehr Vortherapien	29.04.2022
Novartis Pharma GmbH	ja	Tisagenlecleucel	Kymriah	Zur Behandlung von Kindern, Jugendlichen und jungen Erwachsenen im Alter bis zu 25 Jahren mit refraktärer oder rezidivierter (Rezidiv nach Transplantation oder zweites oder späteres Rezidiv) akuter lymphatischer B-Zell-Leukämie (ALL)	23.08.2018
Novartis Pharma GmbH	ja	Tisagenlecleucel	Kymriah	Zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit rezidiviertem oder refraktärem diffus großzelligem B-Zell-Lymphom (DLBCL) nach zwei oder mehr Linien einer systemischen Therapie	23.08.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Novartis Pharma GmbH	ja	Trametinib	Spexotras	in Kombination mit Dabrafenib zur Behandlung des malignen Gliom mit einer BRAF-V600E-Mutation, ab 1 Jahr: AWG A: low-grade glioma (LGG), die eine systemische Therapie benötigen; AWG B: high-grade glioma (HGG), die zuvor mindestens eine Strahlen- und/oder Chemotherapie erhalten haben	15.11.2023
Novartis Pharma GmbH	ja	Voretigen Neparvovec	Luxturna	Behandlung von erwachsenen und pädiatrischen Patienten mit Sehverlust aufgrund einer erblichen Netzhautdystrophie	22.11.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Novartis Pharma GmbH	ja	Asciminib	Scemblix	zur Behandlung Erwachsener mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden	25.08.2022
Novo Nordisk Pharma GmbH	nein	Somapacitan	Sogroya	zur Substitution des endogenen Wachstumshormons GH: bei Erwachsenen (AWG B) mit einem Wachstumshormonmangel (AGHD) und Kindern ab 3 und Jugendlichen (AWG A) mit Wachstumsstörung aufgrund eines Wachstumshormonmangels (GHD)	31.03.2021; 24.07.2023

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Orchard Therapeutics GmbH	nein	Atidarsagen auto-temcel/OTL-200	Libmeldy	Behandlung von metachromatischer Leukodystrophie (MLD), die durch Mutationen in beiden Allelen des Gens für die Arylsulfatase A (ARSA) gekennzeichnet ist, welche zu einer Verringerung der enzymatischen Aktivität von ARSA führt. [bei Kindern mit im späten Säuglings- oder frühen Kindesalter auftretenden Formen, ohne klinische Manifestation der Erkrankung; bei Kindern mit der im frühen Kindesalter auftretenden Form mit frühzeitiger klinischer Manifestation der Erkrankung, die jedoch noch selbständig gehen können, vor dem Einsetzen einer kognitiven Verschlechterung]	17.12.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Otsuka Novel Products GmbH	nein	Delamanid	Delyba	zur Anwendung im Rahmen einer geeigneten Kombinationsbehandlung für multiresistente Lungentuberkulose bei Erwachsenen, Jugendlichen, Kindern und Kleinkindern mit einem KG von mind. 10 kg indiziert, wenn eine andere wirksame Behandlung aufgrund von Resistenzen oder aus Gründen der Verträglichkeit nicht zusammengestellt werden kann	27.04.2014
Pfizer Pharma GmbH	ja	Gemtuzumab Ozogamicin	Mylotarg	für die Kombinationstherapie mit Daunorubicin (DNR) und Cytarabin (AraC) zur Behandlung von Patienten ab 15 Jahren mit nicht vorbehandelter, neu diagnostizierter CD33-positiver akuter myeloischer Leukämie (AML), ausgenommen akuter Promyelozytenleukämie (APL)	19.04.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Pfizer Pharma GmbH	ja	Glasdegib	Daurismo	in Kombination mit niedrig dosiertem Cytarabin (LDAC, low-dose cytarabine) für die Behandlung von neu diagnostizierter de novo oder sekundärer akuter myeloischer Leukämie (AML) bei Erwachsener die nicht für eine Standard-Induktions-chemotherapie infrage kommen.	26.06.2020
Pfizer Pharma GmbH	ja	Inotuzumab Ozogamicin	Besponsa	Monotherapie zur Behandlung von Erwachsenen mit rezidivierender oder refraktärer CD22-positiver B-Vorläufer ALL (akuter lymphatischer Leukämie)	28.06.2017
Pfizer Pharma GmbH	ja	Isavuconazol	Cresemba	zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen ab 1 bis < 18 Jahr mit Mukormykose bei Patienten, bei denen eine Behandlung mit Amphotericin B nicht angemessen ist (AWG B)	22.08.2024

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Pfizer Pharma GmbH	ja	Isavuconazol	Cresemba	zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen ab 1 bis < 18 Jahr mit invasiver Aspergillose (AWG A)	22.08.2024
Pfizer Pharma GmbH	ja	Somatogon	Ngenla	Behandlung von Kindern und Jugendlichen ab einem Alter von 3 Jahren mit Wachstumsstörung durch unzureichende Ausschüttung von Wachstumshormon	14.02.2022
Pfizer Pharma GmbH	ja	Tafamidis	Vyndaqel	Vyndaqel ist indiziert zur Behandlung der Wildtyp- oder hereditären Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit Kardiomyopathie (ATTR-CM). AWG B	27.02.2020
Pfizer Pharma GmbH	ja	Tafamidis	Vyndaqel	Vyndaqel ist indiziert zur Behandlung der Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit symptomatischer Polyneuropathie	16.11.2011

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				im Stadium 1, um die Einschränkung der peripheren neurologischen Funktionsfähigkeit zu verzögern. AWG A	
Pierre Fabre Pharma GmbH	nein	Tabelecleucel	Ebvallo	Monotherapie für die Behandlung erwachsener und pädiatrischer Patienten ab 2 Jahren mit rezidivierter oder refraktärer Epstein-BarrVirus positiver Posttransplantations-lymphoproliferativer Erkrankung (EBV+ PTLD), mit mind. 1 Vortherapie.	16.12.2022
Plusultra pharma GmbH	nein	Sirolimus	Hyftor	wird angewendet zur Behandlung von mit tuberöser Sklerose assoziierten fazialen Angiofibromen bei Erwachsenen, Kindern und Jugendlichen im Alter von 6 Jahren und älter.	15.05.2023
PTC Therapeutics	nein	Eladocagene exuparvovec	Upstaza	Behandlung von Patienten im Alter ab 18 Monaten mit einer klinisch, molekularbiologisch und	18.07.2022

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Internatio- nal Limited				genetisch bestätigten Diagnose eines Aromatische-L-Aminosäure-Decarboxylase-(AADC)-Mangels mit einem schweren Phänotyp	
Recordati Rare Dise- ases Germany GmbH	nein	Osilodrostat	Isturisa	Isturisa ist indiziert zur Behandlung von Er- wachsener mit endogenem Cushing-Syndrom	09.01.2020
Rhythm Phar- maceuticals Inc	nein	Setmelano- tid	Imcivree	Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls im Zusammenhang mit ge- netisch bestätigtem Bardet-Biedl-Syndrom bei Erwachsenen und Kindern ab 6 Jahren	02.09.2022

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Rhythm Pharmaceuticals Inc.	nein	Setmelanotid	Imcivree	bei Erwachsenen und Kindern ab 6 Jahren zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls im Zusammenhang mit genetisch bestätigtem, durch Funktionsverlustmutationen bedingtem biallelischem Proopiomelanocortin-Mangel (einschließlich PCSK1) oder biallelischem Leptinrezeptor-Mangel	16.07.2021
Roche Pharma AG	ja	Glofitamab	Columvi	Monotherapie für die Behandlung von Erwachsenen mit rezidiviertem oder refraktärem diffus großzelligem B-ZellLymphom (DLBCL) nach zwei oder mehr systemischen Behandlungslinien	07.07.2023
Roche Pharma AG	ja	Mosunetuzumab	Lunsumio	Behandlung von Erwachsenen mit rezidivierendem oder refraktärem follikulärem Lymphom,	03.06.2022

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				die bereits mindestens zwei systemische Behandlungen erhalten haben	
Roche Pharma AG	ja	Obinutuzumab	Gazyvaro	in Kombination mit Chemotherapie, gefolgt von einer Gazyvaro Erhaltungstherapie bei Patienten mit einem Therapieansprechen, wird angewendet bei Patienten mit nicht vorbehandeltem fortgeschrittenem Follikulärem Lymphom AWG C	18.09.2017
Roche Pharma AG	ja	Obinutuzumab	Gazyvaro	in Kombination mit Bendamustin, gefolgt von einer Gazyvaro Erhaltungstherapie, wird angewendet bei Patienten mit Follikulärem Lymphom (FL), die auf eine Behandlung mit Rituximab oder einem Rituximab-haltigen Regime nicht angesprochen haben oder während bzw.	13.06.2016

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				bis zu sechs Monate nach der Behandlung progredient wurden. AWG B	
Roche Pharma AG	ja	Obinutuzumab	Gazyvaro	wird in Kombination mit Chlorambucil bei Erwachsenen mit nicht vorbehandelter chronischer lymphatischer Leukämie (CLL) angewendet, die aufgrund von Begleiterkrankungen für eine Therapie mit einer vollständigen Dosis von Fludarabin nicht geeignet sind AWG A	23.07.2014
Roche Pharma AG	ja	Polatuzumab Vedotin	Polivy	in Kombination mit Rituximab, Cyclophosphamid, Doxorubicin und Prednison (R-CHP) wird angewendet zur Behandlung erwachsener Patienten mit bisher unbehandeltem diffusem großzelligem B-ZellLymphom (DLBCL)	24.05.2022
Roche Pharma AG	ja	Polatuzumab Vedotin	Polivy	in Kombination mit Bendamustin und Rituximab zur Behandlung erwachsener Patienten mit	16.01.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				rezidivierendem oder refraktärem diffusem großzelligem B-Zell-Lymphom (DLBCL), die nicht für eine hämato-poetische Stammzelltransplantation in Frage kommen.	
Roche Pharma AG	ja	Risdiplam	Evrysdi	zur Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA) bei Patienten ab einem Alter von mindestens zwei Monaten, mit einer klinisch diagnostizierten SMA Typ I, Typ II oder Typ III oder mit einer bis vier Kopien des SMN2-Gens.	26.03.2021
Roche Pharma AG	ja	Risdiplam	Evrysdi	wird angewendet zur Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA) bei Patienten (0 bis 2 Monate) mit einer klinisch diagnostizierten Typ 1-, Typ 2- oder Typ 3-SMA oder mit einer bis vier Kopien des SMN2-Gens (1).	16.08.2023

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Roche Pharma AG	ja	Satralizumab	Enspryng	Monotherapie oder in Kombination mit einer immunsuppressiven Therapie zur Behandlung von Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren, die anti-Aquaporin-4-IgG-seropositiv sind.	24.06.2021
Sanofi-Aventis Deutschland GmbH	ja	Caplacizumab	Cablivi	zur Behandlung von Jugendlichen ab 12 Jahren und einem Körpergewicht von mindestens 40 kg, die an einer Episode von erworbener thrombotisch-thrombozytopenischer Purpura (acquired thrombotic thrombocytopenic purpura, aTTP) leiden, in Verbindung mit Plasmapherese und Immunsuppression angewendet	30.08.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Sanofi-Aventis Deutschland GmbH	ja	Olipudase_alfa	Xenozyme	Enzymersatztherapie zur Behandlung von Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase (ASMD) außerhalb des zentralen Nervensystems bei Kindern, Jugendlichen und Erwachsenen mit Typ A/B oder Typ B	24.06.2022
Sanofi-Aventis Deutschland GmbH	ja	Sutimlimab	Enjaymo	Behandlung der hämolytischen Anämie bei Erwachsenen mit Kälteagglutinin-Krankheit (cold agglutinin disease, CAD).	15.11.2022
Santhera Pharmaceuticals	ja	Idebenon	Raxone	Sehstörungen mit Leberscher Hereditärer Optikusneuropathie	08.09.2015

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Santhera Pharmaceuticals GmbH	ja	Vamorolon	Agamree	für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren.	14.12.2023
SERB GmbH	nein	Glucarpidase	Voraxaze	wird angewendet zur Verringerung toxischer MTX-Plasmakonzentrationen bei Erwachsenen und Kindern (im Alter ab 28 Tage) mit verzögerter Ausscheidung von MTX, oder wenn das Risiko einer MTX-Toxizität besteht	11.01.2022
Servier Deutschland GmbH	nein	Ivosidenib	Tibsovo	Monotherapie zur Behandlung Erwachsener mit lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem Cholangiokarzinom (CCA) mit einer IDH1-R132-	04.05.2023

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Mutation, die zuvor bereits mit mindestens einer systemischen Therapie behandelt worden sind. (AWG B)	
Servier Deutschland GmbH	nein	Ivosidenib	Tibsovo	in Kombination mit Azacitidin zur Behandlung Erwachsener mit neu diagnostizierter akuter myeloischer Leukämie (AML) mit einer Isocitrat-Dehydroge-nase-1 (IDH1)-R132-Mutation, die für eine Standard-Induktionstherapie nicht geeignet sind (AWG A)	04.05.2023
SIFI S.p.A.	nein	Polihexanid	Akantior	Behandlung der Akanthamöben-Keratitis, ≥ 12 Jahren	22.08.2024
Stemline Therapeutics B.V.	nein	Tagraxofusp	Elzonris	wird angewendet als Monotherapie zur Erstlinien-Behandlung erwachsener Patienten mit	07.01.2021

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				blastischer plasmazytoider dendritischer Zellneoplasie	
Swedish Orphan Biovitrum AB	ja	Pegcetacoplan	Aspaveli	zur Behandlung Erwachsener mit nicht vorbehandelter, paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH), die hämolytisch anämisch sind.	06.05.2024
Swedish Orphan Biovitrum GmbH	ja	Cabozantinib	Cometriq	bei medullärem Schilddrüsenkarzinom mit progredienter, nicht resektabler, lokal fortgeschrittener oder metastasierter Erkrankung	21.03.2014
Swedish Orphan Biovitrum GmbH		Eftrenonacog alfa	Alprolix	Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel). ALPROLIX kann bei allen Altersgruppen angewendet werden	12.05.2016
Swedish Orphan Biovitrum GmbH	ja	Glycerolphenylbutyrat	Ravicti	zur Behandlung der Harnstoffzyklusstörungen - Säuglinge 0<2 Jahren	18.12.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Swedish Orphan Biovitrum GmbH	ja	Glycerolphénylbutyrat	Ravicti	als Zusatztherapie bei Pat. \geq 2 Monaten mit Harnstoffzyklusstörungen	27.11.2015
Swedish Orphan Biovitrum GmbH	ja	Pegcetacoplan	Aspaveli	Behandlung Erwachsener mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH), die nach Behandlung mit einem C5-Inhibitor für mindestens 3 Monate nach wie vor anämisch sind.	13.12.2021
Synageva BioPharma Limited	nein	Sebelipase alfa	Kanuma	langfristige Enzymersatztherapie mit einem Mangel an lysosomaler saurer Lipase	28.08.2015
Takeda GmbH	nein	Teduglutid	Revestive	Kurzdarmsyndrom	30.08.2012
Takeda GmbH	ja	Darvadstrocel	Alofisel	zur Behandlung von komplexen perianalen Fisteln bei erwachsenen	23.03.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Patienten mit nichtaktivem/gering aktivem lumenalen Morbus Crohn	
Takeda GmbH	ja	Ixazomib	Ninlaro	in Kombination mit Lenalidomid und Dexamethason für die Behandlung des multiplen Myeloms bei erwachsenen Patienten indiziert, die mindestens eine vorausgegangene Therapie erhalten haben	21.11.2016
Takeda GmbH	ja	Lanadelumab	Takhzyro	Routinemäßige Prophylaxe von wiederkehrenden Attacken des hereditären Angioödems (HAE) ab 2 Jahren	15.11.2023
Takeda GmbH	ja	Lanadelumab	Takhzyro	wird bei Patienten ab 12 Jahren zur routinemäßigen Prophylaxe von wiederkehrenden Attacken des hereditären Angioödems (HAE) angewendet.	22.11.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Takeda GmbH	ja	Maribavir	Livtencity	Behandlung einer Cytomegalievirus(CMV)-Infektion und/oder Erkrankung, die refraktär ist (mit oder ohne Resistenz) gegenüber einer oder mehreren vorhergehenden Therapien, bei Erwachsenen, die sich einer hämatopoetischen Stammzelltransplantation (HSCT) oder einer Transplantation solider Organe (SOT) unterzogen haben.	09.11.2022
Takeda GmbH	ja	rADAMTS13 (Apadamtase alfa)	Adzynma	Enzymersatztherapie (EET) zur Behandlung eines ADAMTS13 Mangels bei Kindern und Erwachsenen mit kongenitaler thrombotisch-thrombozytopenischer Purpura (cTTP)	01.08.2024
Takeda GmbH	ja	Teduglutid	Revestive	zur Behandlung von Patienten ab dem Alter von 1 Jahr mit Kurzdarmsyndrom	29.06.2016

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
TESARO Bio Germany GmbH	nein	Niraparib	Zejula	Monotherapie zur Erhaltungstherapie bei erwachsenen Patientinnen mit Rezidiv eines Platin-sensiblen, gering differenzierten serösen Karzinoms der Ovarien, der Tuben oder mit primärer Peritonealkarzinose (nach einer Platin-basierte Chemotherapie in Remission)	16.11.2017
UCB Pharma GmbH	nein	Rozanolixizumab	Rystiggo	Zusatzbehandlung zur Standardtherapie von generalisierter Myasthenia gravis (gMG) bei Erwachsenen, die Antikörper-positiv bezüglich Anti-Acetylcholinrezeptor(AChR) sind (A) Zusatzbehandlung zur Standardtherapie von gMG bei Erwachsenen, die Antikörper-positiv bezüglich Anti-Muskelspezifische Tyrosinkinase(MuSK) sind (B)	05.01.2024

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Ultragenyx Germany GmbH	nein	Vestronidase alfa	Mepsevii	für die Behandlung nicht-neurologischer Krankheitsanzeichen der Mukopolysaccharidose VII (MPS VII; Sly-Syndrom)	23.08.2018
Vanda Pharmaceuticals Inc.	nein	Tasimelteon	Hetlioz	Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom (Non-24) bei völlig blinden Erwachsenen	03.07.2015
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten ab 6 Monaten mit einer R117H-CFTR-Mutation im CFTR-Gen.	09.06.2020
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	zur Behandlung von Säuglingen im Alter von mindestens 6 Monaten, Kleinkindern und Kindern mit einem Körpergewicht zwischen 5 kg und weniger als 25 kg mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose), die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen:	09.12.2019

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	zur Behandlung von Kindern mit CF ab 12 Monaten mit einem Körpergewicht zwischen 7 kg und weniger als 25 kg, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R (F)	-
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	zur Behandlung von Patienten mit CF ab 18 Jahren, bei denen eine R117H-Mutation im CFTR-Gen vorliegt (G)	-
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	zur Behandlung von Kindern mit CF ab 2 Jahren mit einem Körpergewicht von weniger als 25 kg, die eine der folgenden Gating-	-

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R (E)	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	zur Behandlung der CF bei Patienten ab 6 Jahren mit einer der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen: G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R (D)	-
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung der zystischen Fibrose im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Tezacaftor/Ivacaftor bei Patienten im Alter von 12 Jahren oder älter, die heterozygot bezüglich der F508del-Mutation im CFTR-Gen sind (B)	-

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung der zystischen Fibrose im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Tezacaftor/Ivacaftor bei Patienten im Alter von 12 Jahren oder älter, die homozygot bezüglich der F508delMutation im CFTR-Gen sind (A)	-
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	zur Behandlung der CF bei Patienten ab 6 Jahren mit einer G551DMutation im CFTR-Gen (C)	-
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung von Patienten mit CF von 6 bis 11 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem zweiten Allel eine Mutation aufweisen, die nicht den MF-, RF- oder Gating-Mutationen zuzuordnen ist oder bei denen die	07.01.2022

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Mutation auf dem 2. Allel unbekannt ist (Patienten mit F508delMutation und anderer/unbekannter Mutation)AWG E	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung von Patienten mit CF von 6 bis 11 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem 2. Allel eine RF-Mutation aufweisen (Patienten mit F508del/RFMutation)AWG D	07.01.2022
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung von Patienten mit CF von 6 bis 11 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem zweiten Allel eine Gating-Mutation aufweisen (Patienten mit F508del/Gating-Mutation)AWG C	07.01.2022
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung von Patienten mit CF von 6 bis 11 Jahren, die	07.01.2022

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				homozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind (hF508delMutation) AWG B	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung von Patienten mit CF von 6 bis 11 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem 2. Allel eine MF-Mutation aufweisen (Patienten mit F508del/MF-Mutation) AWG A	07.01.2022
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten im Alter von 12 Jahren oder älter mit heterozygoter F508del-Mutation und einer Mutation auf dem zweiten Allel, die keine Minimalfunktions-, keine Gating- und keine Restfunktionsmutation ist oder bei denen die	26.04.2021

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Mutation auf dem zweiten Allel unbekannt ist („andere/unbekannte Mutationen“) AWG E	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten im Alter von 12 Jahren oder älter, die heterozygot bezüglich der F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem zweiten Allel eine RestfunktionsMutation aufweisen AWG D	26.04.2021
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten im Alter von 12 Jahren oder älter, die heterozygot bezüglich der F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem zweiten Allel eine Gating-Mutation aufweisen AWG C	26.04.2021
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten im Alter von 12	21.08.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Jahren oder älter, die homozygot bezüglich der F508del-Mutation im CFTR-Gen sind (hF508del) (B)	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten im Alter von 12 Jahren oder älter, die heterozygot bezüglich der F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem zweiten Allel eine MinimalfunktionsMutation aufweisen (A)	21.08.2020
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung der zystischen Fibrose (cystic fibrosis, CF) bei Patienten von 6 bis 11 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation sind und eine der folgenden Mutationen im CFTR-Gen (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator) aufweisen: P67L, R117C,	25.11.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G und 3849+10kbC→T (F508del/RF) (B)	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	Behandlung der zystischen Fibrose (cystic fibrosis, CF) bei Patienten von 6 bis 11 Jahren, die homozygot für die F508del-Mutation sind (hF508del). (A)	25.11.2020
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	zur Behandlung ab 4 Monaten, mit einem Körpergewicht von 5 kg < 25 kg mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose), die eine R117HCFTR-Mutation aufweisen	03.11.2020
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor	Kalydeco	zur Behandlung ab 4 Monaten, mit einem Körpergewicht von 5 kg < 25 kg mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose), die eine der folgenden	03.11.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor	Symkevi	Behandlung der zystischen Fibrose (cystic fibrosis, CF) bei Patienten von 6 bis 11 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation sind und eine der folgenden Mutationen im CFTR-Gen (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator) aufweisen: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G und 3849+10kbC→T (F508del/RF) (B)	03.11.2020
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor	Symkevi	Behandlung der zystischen Fibrose (cystic fibrosis, CF) bei Patienten von 6 bis 11 Jahren, die	03.11.2020

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				homozygot für die F508del-Mutation sind (hF508del). (A)	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung von Patienten mit CF von 2 bis 5 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem zweiten Allel eine Mutation aufweisen, die nicht den MF-, RF- oder Gating-Mutationen zuzuordnen ist oder bei denen die Mutation auf dem 2. Allel unbekannt ist (Patienten mit F508delMutation und anderer/unbekannter Mutation) AWG E	22.11.2023
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung von Patienten mit CF von 2 bis 5 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem zweiten	22.11.2023

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Allel eine Gating-Mutation aufweisen (Patienten mit F508del/Gating-Mutation) AWG C	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung von Patienten mit CF von 2 bis 5 Jahren, die homozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind (Patienten mit hF508del-Mutation) AWG B	22.11.2023
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung von Patienten mit CF von 2 bis 5 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem 2. Allel eine MF-Mutation aufweisen (F508del/MF-Mutation) AWG A	22.11.2023
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung von Patienten mit CF von 6 bis 11 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem zweiten Allel eine Mutation aufweisen, die nicht den MF-,	07.01.2022

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				RF- oder Gating-Mutationen zuzuordnen ist oder bei denen die Mutation auf dem 2. Allel unbekannt ist (Patienten mit F508del Mutation und anderer/unbekannter Mutation) AWG E	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung von Patienten mit CF von 6 bis 11 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem 2. Allel eine RF-Mutation aufweisen (Patienten mit F508del/RF Mutation) AWG D	07.01.2022
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung von Patienten mit CF von 6 bis 11 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem zweiten Allel eine Gating-Mutation aufweisen (Patienten mit F508del/Gating-Mutation) AWG C	07.01.2022

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung von Patienten mit CF von 6 bis 11 Jahren, die homozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind (Patienten mit hF508del-Mutation) AWG B	07.01.2022
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung von Patienten mit CF von 6 bis 11 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem 2. Allel eine MF-Mutation aufweisen (F508del/MF-Mutation) AWG A	07.01.2022
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten im Alter von 12 Jahren oder älter, die heterozygot bezüglich der F508del-Mutation sind und auf dem zweiten Allel eine Mutation tragen, die keine Minimalfunktions-, keine Gating- und keine Restfunktions-Mutation ist oder bei denen	26.04.2021

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				die Mutation auf dem zweiten Allel unbekannt ist („andere/unbekannte Mutationen“) AWG E	
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten im Alter von 12 Jahren oder älter, die heterozygot bezüglich der F508del-Mutation sind und auf dem zweiten Allel eine Restfunktions-Mutation tragen AWG D	26.04.2021
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten im Alter von 12 Jahren oder älter, die heterozygot bezüglich der F508del-Mutation sind und auf dem zweiten Allel eine Gating-Mutation (inkl. der R117H-Mutation) tragen AWG C	26.04.2021

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten im Alter von 12 Jahren oder älter, die homozygot bezüglich der F508del-Mutation im CFTR-Gen sind (hF508del) (B)	21.08.2020
Vertex Pharmaceuticals	nein	Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor	Kaftrio	Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten im Alter von 12 Jahren oder älter, die heterozygot bezüglich der F508del-Mutation im CFTR-Gen sind und auf dem zweiten Allel eine MinimalfunktionsMutation aufweisen (A)	21.08.2020
Vertex Pharmaceuticals	nein	Tezacaftor/Ivacaftor	Symkevi	Behandlung der zystischen Fibrose (cystic fibrosis, CF) bei Patienten ab 12 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation sind und eine RF-Mutation im CFTR-Gen aufweisen	31.10.2018

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
Vertex Pharmaceuticals	nein	Tezacaftor/Ivacaftor	Symkevi	Behandlung der zystischen Fibrose (cystic fibrosis, CF)	31.10.2018
Vifor Pharma Deutschland GmbH	ja	Avacopan	Tavneos	in Kombination mit Rituximab oder Cyclophosphamid für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit schwerer, aktiver Granulomatose mit Polyangiitis (GPA) oder mikroskopischer Polyangiitis (MPA)	11.01.2022
Vifor Pharma Deutschland GmbH	ja	Sparsentan	Filspari	zur Behandlung von Erwachsenen mit primärer Immunglobulin ANephropathie (IgAN)	19.04.2024
Zogenix GmbH	nein	Fenfluramin	Fintepla	zur Behandlung von Krampfanfällen im Zusammenhang mit dem Lennox-Gastaut-Syndrom bei Patienten ab 2 Jahren als	24.01.2023

Hersteller	Mehrere Orphan Drugs ohne Überschreitung der Umsatzschwelle	Wirkstoff	Handelsname	Indikation/Anwendungsgebiet	Zulassung des Anwendungsgebiets
				Zusatztherapie zu anderen Antiepileptika	
Zogenix GmbH	nein	Fenfluramin	Fintepla	Fintepla wird angewendet bei Patienten ab einem Alter von 2 Jahren zur Behandlung von Krampfanfällen im Zusammenhang mit dem Dravet-Syndrom als Zusatztherapie zu anderen Antiepileptika.	18.12.2020

Quelle: Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA)

Projektförderung der Bundesregierung unter Zuständigkeit Projektträger VDI/VDE

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
01.08.2014 - 31.03.2019	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Universität Regensburg	GO-Bio 6: CampoNeuro - Therapie- und Biomarker- Entwicklung für Patienten mit Amyotropher Lateralsklerose (ALS)	6,60
01.02.2015 – 31.07.2018	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Rheinische Friedrich- Wilhelms-Universität Bonn	PET-Liganden als In-vivo- Diagnostika für neuroinflammatorische, neurodegenerative und neuroonkologische Erkrankungen - Neuro- D11B	0,32
01.01.2019 - 30.04.2023	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Max-Delbrück-Centrum für Molekulare Medizin in der Helmholtz-Gemeinschaft (MDC)	GO-Bio 8: T-Zell-Therapie gegen Blutkrebs	4,90

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
01.02.2021- 31.07.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	High Tech Corporate Services GmbH	GO-Bio 7B: Aktivierte Treg - Toleranzinduktion zur Therapie von Erkrankungen mit überschießender Immunreaktion am Beispiel der Graft-versus-Host- Disease (GvHD)	5,36
01.10.2021 - 30.09.2022	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Eberhard Karls Universität Tübingen	GBi2S: Virusfreie Gentherapie für retinale Erkrankungen (REVeyeVE)	0,11
01.10.2022 - 30.09.2024	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Max-Planck-Gesellschaft zur Förderung der Wissenschaften e.V.	GBi2M: Virusfreie Gentherapie für retinale Erkrankungen (REVeyeVE- 2) - technische Aspekte	0,25
01.10.2022 - 31.05.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Eberhard Karls Universität Tübingen	GBi2M: Virusfreie Gentherapie für retinale Erkrankungen (REVeyeVE- 2) - biologisch-medizinische Aspekte	0,60

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
01.10.2022 - 30.09.2023	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Ludwig-Maximilians- Universität München	GBi3S: Entwicklung einer KI zur Optimierung von Diagnostik und Therapie seltener und schwieriger Erkrankungen (lysi)	0,12
01.10.2023 - 30.09.2024	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Leibniz-Institut für Altersforschung - Fritz- Lipmann-Institut e. V. (FLI)	GBi4S: Neue Therapien für mitochondriale Erkrankungen unter Nutzung eines existierenden Wirkstoffs (H2S_for_Life)	0,10
01.10.2023 - 30.09.2024	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Rheinische Friedrich- Wilhelms-Universität - Universitätsklinikum Bonn	GBi4S: Eine Künstliche Intelligenz zur Differentialdiagnostik von Skelettdysplasien (Bone2Gene)	0,11
01.12.2023- 30.06.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Captain T Cell GmbH	GO-Bio 8B: TCR-T- Zelltherapie zur	4,01

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			Behandlung von soliden Tumoren (Captain-T-Cell-2)	
01.10.2024 - 30.09.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Rheinische Friedrich- Wilhelms-Universität - Universitätsklinikum Bonn	GBi5S: Eine künstliche Intelligenz zur Beurteilung medizinischer Bilddaten von Patienten mit seltenen Erkrankungen (GestaltMatcher)	0,12
01.10.2024 - 30.09.2026	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Rheinische Friedrich- Wilhelms-Universität - Universitätsklinikum Bonn	GBi4M: Künstliche Intelligenz für die Diagnose und Überwachung von genetischen Knochenerkrankungen (Bone2Gene-2) - KI und Geschäftsentwicklung	0,60
01.10.2024 - 30.09.2026	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Otto-von-Guericke- Universität Magdeburg	GBi4M: Künstliche Intelligenz für die Diagnose und Überwachung von genetischen	0,46

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			Knochenerkrankungen (Bone2Gene-2) - Datenarchive und Radiologisches Screening	

Quelle: Bundesministerium für Bildung und Forschung

Projektförderung der Bundesregierung unter Zuständigkeit Projektträger DLR

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
01.07.2014 - 31.07.2024	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Universität Heidelberg	Randomisierte, kontrollierte, multizentrische Therapiestudie zur Initialtherapie der Erstmanifestation des idiopathischen nephrotischen Syndroms im Kindesalter mit Mycophenolatmofetil versus Prednison (INTENT Studie)	3,13
01.02.2014 - 31.10.2018	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Eberhard Karls Universität Tübingen	Anti-inflammatorische pulmonale Therapie mit Amitriptylin und Placebo bei Mukoviszidose- Patienten – eine	0,8

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			Parallelgruppen-Studie der Phase III	
01.04.2015 - 31.12.2017	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Ludwig-Maximilians- Universität München	Effekte von Acetyl-DL- Leucin auf zerebelläre Ataxie - eine multizentrische, randomisierte, doppelblinde, plazebo- kontrollierte, 2-Weg- Crossover Phase III Studie	1,04
01.08.2015 - 31.12.2024	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Technische Universität Dresden	Eine randomisierte Phase- III-Studie zum Vergleich von Arsentrioxid (ATO) in Verbindung mit ATRA und Idarubicin versus ATRA in Kombination mit einer Anthracyclin-basierten Chemotherapie (AIDA) bei Patienten mit neu	1,96

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			diagnostizierter, akuter Promyelozytenleukämie mit Hochrisikomerkmale	
01.05.2015 - 31.08.2027	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Heinrich-Heine-Universität Düsseldorf	Kontrollierte Therapiestudie zur Vakzinierung neudiagnostizierter Glioblastompatienten mit Tumorlysat-beladenen, reifen Dendritischen Zellen integriert in die Standardradiochemotherapi e	3,63
01.02.2016 - 31.01.2026	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Universität Heidelberg	Verbesserung des funktionellen Ergebnisses für Patienten mit neu diagnostiziertem Grad II oder III-Gliom mit Kodeletion von 1p/19q -	2,95

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			IMPROVE CODEL: eine NOA-Studie	
01.10.2017 - 30.06.2021	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Ludwig-Maximilians- Universität München	Wiederverwendung von Hydroxychloroquin zur Behandlung von Erkrankungen mit Störung der Surfactantfunction; Studienkoordination	0,95
01.10.2017 - 30.09.2020	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Universitätsmedizin der Johannes Gutenberg- Universität Mainz	E-Rare-Verbund: Wiederverwendung von Hydroxychloroquin zur Behandlung von Erkrankungen mit Störung der Surfactantfunktion; Monitoring und Projektmanagement	0,47
01.06.2017 - 31.05.2021	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Charité - Universitätsmedizin Berlin	E-Rare Verbund: Propranolol zur Prävention der schweren	0,7

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			Frühgeborenen- Retinopathie	
01.09.2017 - 31.12.2023	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Georg-August-Universität Göttingen	E-Rare Verbund: Eine klinische Phase II Studie zur Untersuchung der Sicherheit, Verträglichkeit und Wirksamkeit des Rho- Kinase-Inhibitors Fasudil als neue krankheitsmodifizierende Therapie bei der Amyotrophen Lateralsklerose (ALS), Partner Göttingen	1,13
01.08.2017 - 31.12.2022	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Technische Universität München	E-Rare Verbund: Eine klinische Phase II Studie zur Untersuchung der Sicherheit, Verträglichkeit und Wirksamkeit des Rho-	0,6

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			Kinase-Inhibitors Fasudil als neue krankheitsmodifizierende Therapie bei der Amyotrophen Lateralsklerose (ALS), Partner München	
01.12.2017 - 30.11.2020	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Universität zu Lübeck	DPem - eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte klinische Studie zur Sicherheit und Wirksamkeit einer adjuvanten Therapie mit Dimethylfumarat bei Patienten mit bullösem Pemphigoid	0,2
01.02.2018 - 31.01.2021	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Immungenetics AG	DPem- Eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte	0,31

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			klinische Studie zur Sicherheit und Wirksamkeit einer adjuvanten Therapie mit Dimethylfumarat bei Patienten mit bullösem Pemphigoid	
01.05.2019 - 30.04.2024	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Albert-Ludwigs-Universität Freiburg	GAIN - Deutsches Netzwerk für die Erforschung und Therapieoptimierung von Patienten mit Multi-Organ- Autoimmunerkrankungen - Teilprojekt 11: Sicherheit und Wirksamkeit von Abatacept in Patienten mit CTLA4 Insuffizienz und LRBA Defizit (ABACHAI)	0,99
01.05.2019 - 30.04.2026	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Universitätsklinikum Jena	CONNECT-GENERATE - Deutsches Netzwerk zur Erforschung autoimmuner	0,93

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			Enzephalitiden - Teilprojekt 7 Klinische Studie	
01.11.2020 - 30.06.2024	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Eberhard Karls Universität Tübingen	Sicherheit und Wirksamkeit einer beidseitigen, einmaligen subretinalen Injektion von rAAV.hCNGA3 in Erwachsenen und Kindern, die an CNGA3 verursachter Achromatopsie leiden	1,71
01.04.2020 - 31.03.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Friedrich-Alexander- Universität Erlangen- Nürnberg	Wirksamkeit und Sicherheit eines ins Fruchtwasser verabreichten Ektodysplasin-A1- Ersatzproteins als vorgeburtliche Behandlungsmöglichkeit für Jungen mit X- chromosomaler	0,29

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			hypohidrotischer ektodermaler Dysplasie	
01.05.2021 - 31.10.2026	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Charité - Universitätsmedizin Berlin	MUST - Eine Phase 1 und 1/2a Studie zur Untersuchung von Sicherheit und Wirksamkeit einer autologen Muskelstammzelltherapie (Satori-01) zur Behandlung einer angeborenen Harninkontinenz bei Epispadie	3,31
01.03.2021 - 30.06.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Rheinische Friedrich- Wilhelms-Universität Bonn	Phase I/II-Studie zur Meclofenamat/Temozolomi d-Kombinationstherapie bei rezidiertem, MGMT- Promotor-methyliertem Glioblastom (MecMeth)	1,85

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
01.07.2022 - 31.03.2027	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Deutsches Zentrum für Neurodegenerative Erkrankungen e.V. (DZNE) in der Helmholtz- Gemeinschaft	ABCD - Eine randomisierte, doppel-blinde, Placebo- kontrollierte Pilotstudie zur Evaluation der Wirksamkeit und Sicherheit einer B-Zell- Depletion mit Rituximab bei Patienten mit Amyotropher Lateralsklerose (ALS)	1,27
01.06.2022 - 31.05.2026	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Universität Heidelberg	PROTECT- Der Einfluss einer prophylaktischen mTOR-Inhibitor Behandlung bei Säuglingen mit einer Tuberösen Hirnsklerose auf die langfristige neuropsychologische Entwicklung	3,5

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
01.02.2023 - 30.06.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Medizinische Hochschule Hannover (MHH)	CurePML – Allogene BK- Virus-spezifische T-Zell- Therapie bei Patienten mit progressiver multifokaler Leukoenzephalopathie	1,69
01.02.2023 - 30.06.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Universität Heidelberg	PerSurge - Klinische und translationale kontrollierte Studie zur perioperativen Perampanel-Behandlung von Patientinnen und Patienten mit progressivem Glioblastom	1,57
01.02.2023 - 30.06.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Charité - Universitätsmedizin Berlin	MyD88L65P-TCR – Präzisions-Immuntherapie für MyD88 L265P mutierte Lymphome mit einem tumorspezifischen T-Zell- Rezeptor	3,34

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
01.04.2023 - 30.06.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Ludwig-Maximilians- Universität München	AdCAR-AML - Adapter- CAR-T-Zellen in der Behandlung der rezidierten/refraktären akuten myeloischen Leukämie als Proof-of- Concept zur Etablierung einer Therapieplattform für unterschiedliche Zielantigene – Teilprojekt Klinische Studie	1,03
01.04.2023 - 30.06.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Miltenyi Biotec B.V. & Co. KG	AdCAR-AML - Adapter- CAR-T-Zellen in der Behandlung der rezidierten/refraktären akuten myeloischen Leukämie als Proof-of- Concept zur Etablierung einer Therapieplattform für	1,65

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			unterschiedliche Zielantigene – Teilprojekt Nonclinical Studies / CMC support	
01.04.2023 - 30.06.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Friedrich-Alexander- Universität Erlangen- Nürnberg	AdCAR-AML - Adapter- CAR-T-Zellen in der Behandlung der rezidierten/refraktären akuten myeloischen Leukämie als Proof-of- Concept zur Etablierung einer Therapieplattform für unterschiedliche Zielantigene – Teilprojekt IMP Herstellung	0,9
01.09.2023 - 31.12.2028	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Philipps-Universität Marburg	PREdict - Klinische Studie zur vorgeburtlichen Dexamethasontherapie beim klassischen	3,46

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			adrenogenitalen Syndrom in Folge eines 21- Hydroxylase-Mangels.	
01.07.2023 - 30.06.2026	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Ruhr-Universität Bochum	Move-PCD - Eine multizentrische randomisierte, kontrollierte longitudinale Studie der Auswirkung eines sechsmonatigen individualisierten und überwachten Aktivitätsprogrammes auf die Lebensqualität bei Kindern, Jugendlichen und Erwachsenen mit primärer ziliärer Dyskinesie (PCD)	1,18
01.01.2025 - 31.12.2028	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Universitätsklinikum Würzburg	iFLT3CART - Eine First-in- Human klinische Phase-I Studie mit FLT3 CAR-T	5,35

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			Zellen in Kombination mit dem FLT3-Inhibitor Gilteritinib zur adoptiven Immuntherapie der akuten myeloischen Leukämie	
01.04.2016 - 30.06.2019	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Bioscientia Institut für Medizinische Diagnostik GmbH	Verbundprojekt: Multidisziplinäres Netzwerk zur Erforschung der Pathogenese, der klinischen Präsentation und der Prognose zystischer Nierenerkrankungen im Kindesalter - Molekulargenetische Charakterisierung zystischer Nierenerkrankungen und verwandter Ziliopathien	0,4

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
01.10.2018 - 31.03.2022	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Lead Discovery Center GmbH	ERAAT - Alpha1 AntiTrypsin Deficiency (ATD): Identifikation von IRE1 Modulatoren, welche die Sekretion von ZA1AT wieder herstellen und das Potential haben, bei ATD- Patienten die Lungenfunktion zu verbessern sowie Leberschäden zu verhindern	0,6
01.04.2020 - 30.09.2023	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Limbach Genetics GmbH	NEOCYST - Multidisziplinäres Netzwerk zur Erforschung der Pathogenese, der klinischen Präsentation und der Prognose hereditärer zystischer	0,45

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			Nierenerkrankungen im Kindesalter - TP2.7: Molekulare Charakterisierung	
01.06.2020 - 31.12.2023	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Miltenyi Biotec B.V. & Co. KG	AspecTNMO - Messung autoantigenspezifischer T- Zellen als neue diagnostische Sensoren und therapeutische Ziele bei Neuromyelitis optica - Isolierung von T-Zellen	0,31
01.03.2021 - 29.02.2024	Bundesministerium für Bildung und Forschung	Syte Capital GmbH	LQTS-NEXT - Zur nächsten Ebene der Risikovorhersage bei Patienten mit langem QT-Syndrom - Teilprojekt Deep Learning	0,26
01.10.2021 - 30.06.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	ProtaGene CGT GmbH	DBAGeneCure - Präklinische Studie zur Sicherheit und Wirksamkeit	0,36

Laufzeit	Ministerium	Zuwendungsempfänger	Vorhaben	Zuwendungshöhe in Millionen Euro
			einer lentiviral-vermittelten Gentherapie für die Behandlung von Patient*innen mit Diamond Blackfan Anämie	
01.05.2022 - 30.04.2025	Bundesministerium für Bildung und Forschung	MIRECA MEDICINES GmbH	TreatRB - Übersetzung von cGMP-Analoga in eine Behandlung für Retinitis pigmentosa, TP Pharmakokinetik, Toxikologie und Biomarker	0,11

Quelle: Bundesministerium für Bildung und Forschung