Deutscher Bundestag **Drucksache 21/8347**

21. Wahlperiode 06.10.2026

Kleine Anfrage

der Abgeordneten Martin Sichert, Dr. Christina Baum, Carina Schießl, Claudia Weiss, Kay-Uwe Ziegler, Thomas Dietz, Joachim Bloch, Nicole Hess, Tobias Ebenberger, Dr. Christoph Birghan, Birgit Bessin, Kerstin Przygodda, Alexis L. Giersch, Martina Kempf, Stefan Möller, Dr. Paul Schmidt, Gereon Bollmann und der Fraktion der AfD

Versorgungslage, Zulassung und Kostenentwicklung bei Orphan Drugs in Deutschland

Orphan Drugs, also Arzneimittel zur Behandlung seltener Erkrankungen, nehmen innerhalb des deutschen und europäischen Arzneimittelmarktes eine besondere Stellung ein. Aufgrund geringer Patientenzahlen gelten für diese Arzneimittel erleichterte Zulassungsbedingungen sowie besondere regulatorische und wirtschaftliche Anreize. Gleichzeitig steigen die Ausgaben der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) für Orphan Drugs seit Jahren deutlich an.

Kritiker verweisen auf hohe Therapiekosten, begrenzte Evidenzlagen und mögliche Fehlanreize im Zulassungssystem. Befürworter betonen hingegen die Bedeutung innovativer Therapien für Patienten mit seltenen Erkrankungen, für die bislang oftmals keine wirksamen Behandlungsmöglichkeiten bestehen (www.vfa.de/de/forschung-entwicklung/seltene-erkrankungen/orphan-drugs-medikamente-gegen-seltene-erkrankungen.html, https://health.ec.europa.eu/medicinal-products/product-types/orphan-medicinal-products_en?prefLang=de, www.vfa.de/de/forschung-entwicklung/seltene-erkrankungen/orphan-drugs-im-amnog, www.gkv-90prozent.de/ausgabe/27/meldungen/27_orphandrugs/27_orphandrugs.html, www.gkv-90prozent.de/ausgabe/36/kurzmeldungen/36_gamsi-telegramm/36_gamsi-telegramm.html, www.aekno.de/aerzte/rheinisches-aerzteblatt/ausgabe/artikel/2022/april-2022/kosten-fuer-orphan-drugs-haben-sich-verfuenffacht, www.gkv-90prozent.de/ausgabe/17/meldungen/17_orphan-drugs/17_orphan-drugs.html, www.vfa.de/de/forschung-entwicklung/seltene-erkrankungen/fakten-zu-orphan-drugs, www.bundesgesundheitsministerium.de/themen/praevention/gesundheitsgefahren/seltene-erkrankungen, www.eurordis.org, www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite_58496.html).

Wir fragen die Bundesregierung:

1. Wie viele Arzneimittel mit Orphan-Drug-Status sind aktuell in Deutschland verkehrsfähig, und wie hat sich diese Zahl gegenüber dem in der Antwort der Bundesregierung auf die Kleine Anfrage auf Bundestagsdrucksache 20/14602 genannten Stand (ca. 152 in der EU zugelassene Orphan Drugs, Stand: Februar 2024) verändert?

2. Wie hat sich die Zahl in Deutschland zugelassener Orphan Drugs in den vergangenen zehn Jahren entwickelt (bitte jahresweise und, soweit möglich, getrennt nach Erstzulassung und zwischenzeitlich entfallenem Orphan-Status darstellen)?
3. Für welche seltenen Erkrankungen bestehen nach Kenntnis der Bundesregierung derzeit keine zugelassenen Therapieoptionen, und wie viele Patienten in Deutschland sind hiervon schätzungsweise betroffen?
4. Wie hoch waren nach Kenntnis der Bundesregierung die jährlichen GKV-Ausgaben für Orphan Drugs in den vergangenen zehn Jahren (bitte jahresweise angeben; soweit die Bundesregierung wie auf Bundestagsdrucksache 20/14602 auf fehlende eigene Statistiken verweist: auf welche Datenquellen, z. B. GKV-Spitzenverband oder Wissenschaftliches Institut der AOK (WIdO), stützt sie sich, und warum erhebt sie diese Daten nicht selbst)?
5. Welchen Anteil an den gesamten GKV-Arzneimittelausgaben machten Orphan Drugs nach Kenntnis der Bundesregierung zuletzt aus, und wie hat sich dieser Anteil über zehn Jahre entwickelt?
6. Welche zehn Orphan Drugs verursachten nach Kenntnis der Bundesregierung zuletzt die höchsten GKV-Ausgaben (bitte mit Wirkstoff, Indikation und Jahresumsatz, soweit nicht durch Vertraulichkeit nach § 130e des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) ausgeschlossen)?
7. In wie vielen Fällen wurde bei Orphan Drugs nach Überschreiten der Umsatzschwelle in der regulären Nutzenbewertung kein oder ein nur geringer Zusatznutzen festgestellt (bitte absolute Zahl und Anteil an allen überprüften Orphan Drugs angeben)?
8. Welche Erkenntnisse liegen der Bundesregierung gegebenenfalls über die finanziellen Auswirkungen des sogenannten fiktiven Zusatznutzens auf die GKV vor, und wenn ihr dazu keine vorliegen, hält sie eine entsprechende Quantifizierung für geboten?
9. Sieht die Bundesregierung Handlungsbedarf bei der Regelung des § 35a SGB V, wonach bei Orphan Drugs mit der EU-Zulassung ein Zusatznutzen als belegt gilt, und wenn nein, warum nicht?
10. In wie vielen Fällen wurden Patienten nach Kenntnis der Bundesregierung über mehrere Jahre mit Orphan Drugs behandelt, deren Zusatznutzen später nicht bestätigt werden konnte?
11. Welche Maßnahmen hält die Bundesregierung gegebenenfalls für geeignet, um bereits zum Markteintritt eine belastbarere Evidenzgrundlage gegenüber zweckmäßigen Vergleichstherapien sicherzustellen (z. B. anwendungsbegleitende Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V)?
12. Erkennt die Bundesregierung eine Gefahr von Fehlanreizen durch die wirtschaftliche Privilegierung von Orphan Drugs?
13. Welche Maßnahmen bestehen gegebenenfalls zur Verhinderung eines missbräuchlichen „Orphanisierungseffekts“, bei dem Arzneimittel gezielt in kleine Teilindikationen aufgespalten werden, und in wie vielen Fällen wurde ein solcher Effekt nach Kenntnis der Bundesregierung festgestellt?
14. Hat sich die Bundesregierung mit der Frage beschäftigt, ob Orphan Drugs Auswirkungen auf die langfristige Finanzierbarkeit der GKV haben, und wenn ja, zu welchem Ergebnis ist sie gekommen?

15. Welche Maßnahmen plant die Bundesregierung gegebenenfalls zur Verbesserung der Versorgung von Patienten mit seltenen Erkrankungen (bitte mit Bezug zum Nationalen Aktionsplan bzw. Nationalen Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen [NAMSE] darstellen, vgl. www.namse.de/aktionsbuendnis-1)?
16. Wie bewertet die Bundesregierung die Versorgungssituation hinsichtlich der Orphan Drugs in Apotheken und mobilen Verteilern im ländlichen Raum?
17. Welche Rolle spielen nach Auffassung der Bundesregierung universitäre Zentren für seltene Erkrankungen bei der Versorgung und Forschung?
18. Welche Bundesmittel fließen derzeit gegebenenfalls in die Forschung und Entwicklung zu seltenen Erkrankungen und Orphan Drugs (bitte gegenüber den Angaben auf Bundestagsdrucksache 20/14602 aktualisieren)?
19. Welche Rolle spielen europäische Zulassungsbehörden (Europäische Arzneimittel-Agentur [EMA] bzw. Committee for Orphan Medicinal Products [COMP]) und europäische Förderprogramme im Bereich der Orphan Drugs?
20. Welche Erkenntnisse liegen der Bundesregierung gegebenenfalls über Preisunterschiede von Orphan Drugs innerhalb der EU vor?
21. Welche Maßnahmen bestehen gegebenenfalls zur Verbesserung der Transparenz bei der Preisbildung und Erstattung?
22. Welche Schlussfolgerungen zieht die Bundesregierung aus der bisherigen Entwicklung des Orphan-Drug-Marktes in Deutschland und der EU?
23. Bestehen Absichten oder laufende Initiativen, Orphan Drugs in der Ukraine produzieren zu lassen?

Berlin, den 2. Oktober 2026

Dr. Alice Weidel, Tino Chrupalla und Fraktion

Gesamtherstellung: H. Heenemann GmbH & Co. KG, Buch- und Offsetdruckerei, Bessemerstraße 83–91, 12103 Berlin, www.heenemann-druck.de
Vertrieb: Bundesanzeiger Verlag GmbH, Postfach 10 05 34, 50445 Köln, Telefon (02 21) 97 66 83 40, Fax (02 21) 97 66 83 44, www.bundesanzeiger-verlag.de
ISSN 0722-8333