

13 „Neue“ gegen die 8.000 „Seltenen“

In 2023 zugelassene Orphan Drugs



Selten ist nicht selten: 300 Millionen Menschen leben weltweit mit einer Orphan Disease.

Quelle:
vfa; <https://go.sn.pub/vfa>

Im vergangenen Jahr wurden nach Angaben des Verbands der forschenden Pharmaunternehmen (vfa) in Deutschland insgesamt 30 Arzneimittel mit neuem Wirkstoff eingeführt, die meisten gegen unterschiedliche, teils seltene Tumorarten wie das Cholangiokarzinom oder das multiple Myelom. Auch gegen weitere seltene Erkrankungen kamen neue medikamentöse Therapien – sogenannte Orphan Drugs – auf den Markt: **Tab. 1** liefert einen Überblick über die jeweiligen Wirkstoffe und Handelsnamen der Hersteller für die einzelnen Indikationen sowie die Zahl der Betroffenen in der Europäischen Union (EU). Bis heute sind in der EU mehr als 200 Medikamente gegen „die Seltenen“ zugelassen worden. Doch die Herausforderung bleibt weiter gigantisch: Rund 8.000 solcher Erkrankungen sind inzwischen wissenschaftlich identifiziert, insgesamt vier Millionen Menschen allein in Deutschland sind davon betroffen. Aber für lediglich 5% der seltenen Erkrankun-

gen stehen derzeit geeignete Medikamente zur Verfügung. Das heißt: Es muss dringend weiter geforscht und entwickelt werden.

Universitätszentren als Ansprechpartner

Aber es geht auch darum, die Versorgung betroffener Patientinnen und Patienten zu verbessern: Schon der Weg zur entsprechenden Diagnose gleicht für sie oft einer Odyssee – im Schnitt vergehen sieben Jahre, in denen viele, oft ratlose Ärztinnen und Ärzte konsultiert werden. Ein Lichtblick: Haus- und Fachärzte in der ambulanten Versorgung sind inzwischen nicht mehr auf sich allein gestellt – durch die vom Nationalen Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Erkrankungen initiierte und vorangetriebene Zentrenbildung an den meisten Unikliniken sind Netzwerke entstanden, die entscheidend zur Diagnosefindung und anschließender Therapie beitragen können. khp ■

Tab. 1 Im Jahr 2023 neu zugelassene Orphan Drugs

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Unternehmen	Erkrankte in der EU
Großes, diffuses B-Zell-Lymphom (DLBCL): Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Glofitamab	Columvi®	Roche	205.000
	Epcoritamab	Tepkinly®	AbbVie	
Candidiasis, invasiv: Pilzinfektion	Rezafungin	Rezzayo®	Mundipharma	53.000
Cholangiokarzinom: Krebs des Gallengangs	Ivosidenib	Tibsovo®	Laboratoires Servier	58.000
Duchenne Muskeldystrophie: Muskelschwund wegen Dystrophinmangel	Vamorolon	Agamree®	Santhera	35.700
Epileptische Anfälle durch CDKL5-Mangel: CDKL5-Mangel, verursacht durch Mutationen im Cyclin-abhängigen Kinase-ähnlichen 5 (CDKL5) Gen	Ganaxolon	Ztalmy®	Marinus	26.750
Faziale Angiofibrome aufgrund tuberöser Sklerose: Gutartige Tumore im Gesicht	Sirolimus	Hyftor®	Plusultra	44.600
Hoch- oder niedriggradige Gliome: Maligner Hirntumor	Dabrafenib	Finlee®	Novartis	115.000
Hämophilie B: Faktor-IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Etranacogen-Dezaparvovec	Hemgenix®	CSL Behring	8.900
Hyperargininämie: Arginase-1-Mangel	Pegzilarginase	Loargys®	Immedica	2.600
Hypoparathyreoidismus: Unterfunktion der Nebenschilddrüse	Palopegteriparatid	Yorvipath®	Ascendis	143.000
Akute myeloische Leukämie (AML)	Ivosidenib	Tibsovo®	Laboratoires Servier	49.000
Multiples Myelom: Knochenmarkskrebs – Überproduktion maligner Plasmazellen	Talquetamab	Talvey®	Janssen	192.000