

Geleitworte

Eva Luise Köhler, Schirmherrin der ACHSE (Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen e.V.)

V

Wolfgang Zöller, Patientenbeauftragter der Bundesregierung und Mitglied des Deutschen Bundestags

VII

Einführung

Prof. Dr. Bertram Häussler und Dr. Klaus-Jürgen Preuß

IX

Abkürzungsverzeichnis

XVII

I. Die medizinische Perspektive

- | | | |
|---|--|----|
| 1 | Seltene Krankheiten und die Arzneimittel zu ihrer Behandlung
Prof. Dr. Bertram Häussler | 1 |
| 2 | „Rare“ und „Ultra Rare Diseases“
Prof. Dr. Michael Beck | 23 |
| 3 | Das Zentrum für Seltene Erkrankungen Tübingen
Dr. Holm Graessner und Prof. Dr. Olaf Rieß | 33 |
| 4 | XP-Freu(n)de
Moni Prenting mit einem Vorwort von Prof. Dr. Mark Berneburg | 43 |
| 5 | Orphan Drugs und personalisierte Medizin aus Sicht der Kostenträger
Dr. Christoph Straub und Dr. André Breddemann | 51 |

II. Relevante Regulierungen für Orphan Drugs

- | | | |
|---|---|----|
| 1 | Rechtliche Rahmenbedingungen im Überblick
Dr. Christian Rybak und Prof. Dr. Alexander P.F. Ehlers | 63 |
| 2 | Rahmenbedingungen und Markt für Orphan Drugs – Regulierungen und Einflüsse aus der EU
Dr. Alexander Natz und Dr. Christian Grüner | 91 |

Inhalt

- | | | |
|----------|---|------------|
| 3 | Orphan Drug in der schnellen Nutzenbewertung nach dem § 35a SGB V | 115 |
| | Dr. Jörg Schickert und Andreas Schmitz | |
| 4 | Welchen Stellenwert hat Health Technology Assessment für Orphan Drugs? | 149 |
| | Dr. Annette Zentner | |
| 5 | Orphan Drugs – was sollte besser auf Ebene der EU und was eher auf der nationalen Ebene entschieden und geregelt werden? | 169 |
| | Dr. Günter Harms und Dr. Klaus-Jürgen Preuß | |
| 6 | Der GKV-Verordnungsmarkt für Orphan Drugs | 181 |
| | Dr. André Kleinfeld, Christian Bensing und Ronald Schwarz | |
| 7 | Budget Impact von Orphan Drugs – heute, morgen und übermorgen | 197 |
| | Martin Völkl und Dr. Andreas Jäcker | |

III. Ausgewählte Einzelaspekte:

- | | | |
|----------|--|------------|
| 1 | Die klinische Entwicklung von Orphan Drugs | 209 |
| | Prof. Raj Kishore | |
| 2 | Preisregulierung von Orphan Drugs in Deutschland | 219 |
| | Dr. Willi Schnorpfeil | |
| 3 | Market Access für Orphan Drugs | 243 |
| | Dr. Klaus-Jürgen Preuß | |
| 4 | Orphan Drugs – Reflexionen zum Marketing und Vertrieb | 271 |
| | Dr. Werner Föllner und Dr. Ingo Wolf | |
| 5 | Orphan Drugs: Mythen, Fakten und Hintergründe | 299 |
| | Dr. Sabine Sydow und Dr. Norbert Gerbsch | |

IV Ausblick

- 1 Europäische und nationale Initiativen zur Verbesserung der Situation von Menschen mit seltenen Erkrankungen – Das EUROPLAN-Projekt und das NAMSE-Aktionsbündnis** **315**
Dr. Matthias Wilken
 - 2 Neglected Diseases** **333**
Daniel Hagn
 - 3 Ein Ausblick 2020 – das Jahrzehnt der Orphans** **365**
Dr. Dr. Wolfgang Rüdinger
- Herausgeber und Autoren** **379**
- Stichwortverzeichnis** **391**