

## **Inhaltsverzeichnis**

|  |           |
|--|-----------|
| <b>Zusammenfassung .....</b>   | <b>11</b> |
| <b>1. Einleitung.....</b>  | <b>15</b> |
| <b>2. Ziel- und Aufgabenstellung.....</b>  | <b>17</b> |
| <b>3. Material und Methode.....</b>  | <b>19</b> |
| <b>3.1 Analyse der Zulassung von Orphan drugs durch die EMA.....</b>   | <b>19</b> |
| <b>3.2 Analyse der Frühen Nutzenbewertung von Orphan drugs.....</b>  | <b>21</b> |
| <b>3.3 Analyse der Preisentwicklung in Deutschland .....</b>   | <b>22</b> |
| <b>4. Ergebnisse der Analyse der Zulassung, der Frühen Nutzenbewertung und der Preisentwicklung.....</b>   | <b>23</b> |
| <b>4.1 Zulassungen von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen durch die European Medicines Agency im Zeitraum von Januar 2011 bis Juni 2014.....</b> | <b>23</b> |
| <b>4.2 Evidenzlevel der Wirksamkeitsstudien.....</b>   | <b>34</b> |
| <b>4.3 Frühe Nutzenbewertung, beteiligte Einrichtungen und Verfahrensablauf</b>  | <b>43</b> |
| <b>4.4 Preisentwicklung bei Arzneimitteln für seltene Erkrankungen in Deutschland .....</b>  | <b>69</b> |
| <b>5. Diskussion der Ergebnisse .....</b>  | <b>83</b> |
| <b>6. Schlussfolgerungen .....</b>   | <b>91</b> |
| <b>7. Literaturverzeichnis .....</b>   | <b>93</b> |