

## Inhaltsverzeichnis

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