



ANDRÁSSY  
UNIVERSITÄT  
BUDAPEST

Andrassy Gyula Deutschsprachige Universität Budapest  
Interdisziplinäre Doktorschule  
Leiterin der Doktorschule: Prof. Dr. Ellen Bos

# THESENPAPIER<sup>1</sup> ZUR DISSERTATION

von

Ursula Jakob

2025

## **Orphan Drugs: Eine markt- und ordnungsökonomische Analyse für Deutschland**

Betreuer: Prof. Dr. Stefan Okruch

Gutachter: Prof. em. Dr. Siegfried F. Franke

Gutachter: Prof. Dr. Steffen Hamm

---

<sup>1</sup> Thesenpapier gemäß § 11 Abs. 3 GESCHÄFTSORDNUNG DER INTERDISZIPLINÄREN DOKTORSCHULE DER ANDRÁSSY GYULA UNIVERSITÄT BUDAPEST, 2024. Die Inhalte des Thesenpapiers (erweitertes Abstract) stimmen direkt oder indirekt mit den Inhalten der gleichnamigen Dissertation überein.

**Problemstellung/Zweck/Ziel der Arbeit:**

Für einen Großteil der Menschen mit einer seltenen Krankheit gibt es bisher keine zugelassene Arzneimitteltherapie, obwohl jeder Mensch auf Basis des Prinzips der Menschenwürde und internationaler Menschenrechtsverträge das Recht auf den höchstmöglichen erreichbaren Standard an Gesundheit und medizinischer Versorgung hat (vgl. beispielweise Art. 12 Internationaler Pakt über wirtschaftliche, soziale und kulturelle Rechte vom 19. Dezember 1966, BGBl.1973 II S. 1570 Nr. 62). Diese Patienten sind weitgehend von der Partizipation am Fortschritt der Medizin ausgeschlossen, was besonders bedauerlich ist, da die Förderung von Forschung, Entwicklung und Anwendung von Arzneimitteln für seltene Krankheiten („Orphan Drugs“) weltweit als gesellschaftliche Zielsetzung anerkannt wird. In Deutschland ist diese Zielsetzung im Sozialstaatsprinzip verankert, das im Grundgesetz festgeschrieben ist (vgl. Art. 20 Abs. 1 und 28 Abs. 1 Grundgesetz<sup>2</sup> für die Bundesrepublik Deutschland; Stellung der Sozialversicherung als Körperschaften des Bundes oder der Länder in Art. 87 Abs. 2 Grundgesetz). Aktuell gibt es für 95 % der etwa 5000 bis 8000 seltenen Krankheiten<sup>3</sup> noch keine wirksame Behandlung, und gleichzeitig lässt sich eine kontinuierliche Kostensteigerung bei den Preisen neuer Patentarzneimittel, einschließlich Orphan Drugs, in Verbindung mit begrenzten finanziellen Ressourcen beobachten.

Die gesellschaftliche Relevanz des Themas ergibt sich aus den tiefgreifenden Veränderungen im Arzneimittelbereich, die auch durch Globalisierung, „Entglobalisierung“, den demografischen Wandel, den Klimawandel, den Systemwettbewerb sowie die Entwicklung der Künstlichen Intelligenz und der Digitalisierung geprägt sind. Je nach ethischen und moralischen Werten einer Gesellschaft kann es Aufgabe der Politik sein, dafür zu sorgen, dass Arzneimittel allen Menschen bei Bedarf zur Verfügung stehen und dass alle Bürger gleichermaßen vom Fortschritt der Medizin profitieren. Im Rahmen dieser Arbeit wird genau auf dieses gesellschafts- und wirtschaftspolitische Problem der Arzneimittelversorgung am Beispiel der seltenen Krankheiten in Deutschland mit dem Ordnungsleitbild der sozialen Marktwirtschaft eingegangen.

---

<sup>2</sup> Grundgesetz für die Bundesrepublik Deutschland in der im Bundesgesetzblatt Teil III, Gliederungsnummer 100-1, veröffentlichten bereinigten Fassung, das zuletzt durch Artikel 1 des Gesetzes vom 19. Dezember 2022 (BGBl. I S. 2478) geändert worden ist.

<sup>3</sup> Etwa 36 Mio. Menschen in der EU sind von einer seltenen Krankheit betroffen. Die meisten leiden an Krankheiten, deren Prävalenz weniger als 1 von 100.000 Menschen betrifft. 80 % der seltenen Krankheiten haben nachweislich einen genetischen Ursprung und betreffen zwischen drei und vier Prozent der Geburten. Einige seltene Krankheiten zeigen bereits bei der Geburt oder in der Kindheit Symptome, wie z. B. spinale Muskelatrophie, lysosomale Speicherkrankheiten oder die zystische Fibrose. Im Gegensatz dazu treten mehr als die Hälfte der seltenen Krankheiten erst im Erwachsenenalter auf, darunter Nierenzellkarzinome, Gliome und die akute myeloische Leukämie. Das Wissen in der Medizin und Wissenschaft über seltene Krankheiten ist begrenzt. Die Anzahl der wissenschaftlichen Veröffentlichungen zu seltenen Krankheiten steigt kontinuierlich an. Jede Woche werden durchschnittlich fünf neue Krankheiten in der medizinischen Fachliteratur beschrieben (vgl. European Medicines Agency 2024).

Das Ziel der Arbeit ist die Herausarbeitung konsensfähiger, ziel- und ordnungskonformer Maßnahmen für den Markt von Orphan Drugs aus der Perspektive des deutschen ambulanten Arzneimittelsektors. Dabei werden sowohl bereits bestehende als auch neue Maßnahmen in der Analyse betrachtet. Diese Maßnahmen werden unter Berücksichtigung des Ordnungsleitbildes der (sozialen) Marktwirtschaft und der Marktversagenstheorie abgeleitet. Ziel- und ordnungskonforme Maßnahmen sollen dazu beitragen, die Versorgung der Patienten mit Arzneimitteln bei seltenen Krankheiten sowohl unter dem Aspekt des Knappheitsproblems des Wirtschaftens als auch unter dem vorherrschenden moralischen Werteverständnis der Gesellschaft sowohl mittel- als auch langfristig optimal zu lösen.

### **Wissenschaftliche Einordnung und Aufbau der Arbeit:**

Der Markt für Orphan Drugs wurde in der wissenschaftlichen Forschung bislang überwiegend aus einer marktanalytischen Perspektive betrachtet. Dabei lag der Schwerpunkt entweder auf einzelnen Ländern oder umfasste internationale und globale Vergleiche. Besonders intensiv wurde die Zugänglichkeit von Orphan Drugs in verschiedenen Ländern sowie die nationalen und internationalen Rahmenbedingungen für deren Zulassung, Preisgestaltung und Erstattungspolitik untersucht (Chan et al. 2020; Roll et al. 2011; Czech et al. 2020). Viele Studien haben sich auch mit den Preisen, der Umsatzentwicklung und der Budgetbelastung von Orphan Drugs in unterschiedlichen Ländern beschäftigt bzw. diese miteinander verglichen (vgl. Schlander et al. 2018; Hutchings et al. 2014; Schey et al. 2011; Czech et al. 2020; Young et al. 2017). Zudem gibt es zahlreiche Arbeiten, die sich auf eine ordnungsökonomische Analyse des Marktes für Gesundheitsgüter bzw. Arzneimittel konzentrieren (vgl. Sauerland 2002; vgl. Kuchinke 2017; vgl. Hurley 2000; vgl. Daumann und Oberender 1997; vgl. Cassel et al. 2007). Allerdings gibt es bis heute kaum Veröffentlichungen, die den Markt von Orphan Drugs aus der Perspektive der Ordnungsökonomik beleuchten. Angesichts der zuvor dargestellten gesellschaftlichen Relevanz des Themas und der aktuellen wissenschaftlichen Datenbasis analysiert diese Arbeit erstmalig den deutschen Markt für Orphan Drugs sowohl aus einer marktanalytischen als auch aus einer ordnungsökonomischen Perspektive. Die Analyse konzentriert sich auf Deutschland, da es innerhalb Europas aufgrund seiner großen Einwohnerzahl potenziell das größte Absatzpotenzial für Orphan Drugs für die pharmazeutische Unternehmen bietet und zugleich eine maßgebliche Rolle bei der internationalen Preisreferenzierung und somit bei der Preisgestaltung von Arzneimitteln in anderen europäischen Ländern spielt<sup>4</sup>.

Die Arbeit beginnt mit Kapitel I, in dem die Problemstellung, die gesellschaftliche Relevanz, das Ziel sowie die wissenschaftliche Einordnung der Arbeit beschrieben werden (siehe oben).

---

<sup>4</sup> Die internationale Preisreferenzierung beeinflusst die strategischen Entscheidungen der pharmazeutischen Unternehmen bezüglich des Markteintritts von Orphan Drugs in den jeweiligen Ländern.

Kapitel II widmet sich anschließend der Analyse des Marktes für Orphan Drugs in Deutschland, betrachtet aus der Perspektive der ambulanten Arzneimittelversorgung. Diese Analyse umfasst die Darstellung der nationalen und internationalen Rahmenbedingungen sowie eine detaillierte Untersuchung der Marktstruktur, des Marktverhaltens und des Marktergebnisses für Orphan Drugs. Der Structure-Conduct-Performance-Ansatz dient dabei als theoretischer und struktureller Leitfaden, wobei der Wettbewerb als dynamischer Prozess gemäß der Marktprozessstheorie betrachtet wird.

Kapitel III legt den Fokus auf die ordnungspolitische Analyse. Hierbei wird das Referenzmodell der Marktwirtschaft auf den relevanten Markt angewendet, wobei der Schwerpunkt auf der sozialen Marktwirtschaft deutscher Prägung liegt. Es wird geprüft, ob und in welcher Form Marktversagen in einem unregulierten Markt auftritt. Das Modell von Grosseckler (1987) ermöglicht es, die vertragstheoretische und ökonomische Legitimation öffentlicher Interventionen zu evaluieren (Tabelle 1). Basierend auf dieser Prüfung werden mögliche Interventionen vorgeschlagen und bewertet, um eine fundierte ordnungspolitische Empfehlung für oder gegen bestimmte Maßnahmen abzugeben. Die Arbeit schließt mit einem Fazit, das die zentralen Erkenntnisse zusammenfasst und in einer abschließenden Conclusio mündet.

#### **Methodik:**

Der theoretische Rahmen der Untersuchung des Marktes von Orphan Drugs wird durch die Anwendung des Structure-Conduct-Performance-Ansatzes definiert. Dieser dient als struktureller Leitfaden für die Analyse, die sich auf die Bestandteile Marktstruktur, Marktverhalten und Marktergebnis konzentriert. Das Verständnis des Wettbewerbs als dynamischer Prozess, wie es in der Marktprozessstheorie beschrieben wird, bildet ebenfalls eine Grundlage. Die Untersuchung wird aus der Perspektive des deutschen Gesundheitssystems durchgeführt, wobei der Fokus auf der Arzneimittelversorgung mit Orphan Drugs im ambulanten Bereich liegt.

Im Rahmen dieser theoretischen Grundlage erfolgt die Untersuchung der rechtlichen, regulatorischen und ökonomischen Rahmenbedingungen, die den Markt für Orphan Drugs beeinflussen. Diese Rahmenbedingungen sind entscheidend, um die Marktstruktur und das Verhalten der Marktteilnehmer vollständig zu verstehen. Aufbauend auf diesen Erkenntnissen wird eine detaillierte Analyse der Marktstruktur, des Marktverhaltens und des Marktergebnisses durchgeführt.

Im nächsten Schritt erfolgt die Identifikation von Marktversagen im Orphan Drug-Markt. Hierbei dient die Wohlfahrtsökonomik mit dem Modell der vollkommenen Konkurrenz als theoretische Grundlage, um mögliche Marktversagen zu analysieren und die Voraussetzungen für eine staatliche Intervention zu bestimmen. Mit dem Modell nach Grosseckler (erster Teil des

Prüfschemas) wird überprüft, welche Maßnahmenziele vertragstheoretisch legitimiert sind, um die notwendige Bedingung für interventionistische Eingriffe zur Behebung des Marktversagens zu klären. Dabei werden Maßnahmenziele, die nicht ausreichend legitimiert sind, aussortiert.

Anschließend wird ein Maßnahmenkatalog erstellt, der sowohl bestehende als auch neue Maßnahmen zur Behebung der identifizierten Marktversagenstatbestände enthält und sich an den legitimierten Maßnahmenzielen orientiert. Schließlich erfolgt eine Bewertung der ökonomischen Legitimität dieser Maßnahmen, wobei das Grossektler-Modell (zweiter Teil des Prüfschemas) erneut herangezogen wird. Hierbei werden die Maßnahmen auf ihre Ziel- und Ordnungskonformität sowie ihre Verhältnismäßigkeit hin überprüft, wobei ineffektive Mittel ausgeschlossen werden (Überprüfung der hinreichenden Bedingung eines staatlichen Eingriffs). Der Fokus der Ordnungskonformitätsprüfung liegt auf den Euckenschen Prinzipien (Tabelle 2) der Wettbewerbsordnung, da diese die Grundlage für das Ordnungsleitbild der (sozialen) Marktwirtschaft in Deutschland darstellen.

### Prüfschema nach Grossektler (1987)

1.	Vertragstheoretische Legitimation des Maßnahmenziels
1.1	Prüfschritt 1 = hypothetische Rechtfertigung: Erscheint es plausibel, dass sich aufgeklärte Bürger in einer Rawlsschen Urvertragssituation – d.h. bei schiedsrichterlicher Unabhängigkeit und unter dem „Schleier der Ungewissheit“ über persönliche Betroffenheit – auf das Maßnahmenziel einigen würden?
1.2	Prüfschritt 2 = Verweis auf konkludentes Verhalten: Gibt es in der Erfahrungswelt Anzeichen dafür, dass die in Rede stehende Zielsetzung vom Gros aufgeklärter und unparteiischer Bürger geteilt und Verstöße dagegen als soziale Missstände aufgefasst würden?
1.3	Teilergebnis 1: Bei positivem Prüfergebnis Teilergebnis festhalten und weiterprüfen; negative Ergebnisse werden aussortiert.
2.	Ökonomische Legitimation der Maßnahmengestaltung
2.1	Instrumentenvektor: Ermittlung denkbarer Instrumente zur Zielrealisation.
2.2	Instrumentenweise Prüfung auf Effektivität (= Zielkonformität): Unterstützt eine Maßnahme X die Erreichung des gesetzten Ziels richtungsmäßig (Richtungsbedingung) und ist sie so geartet, dass auch ein quantitativ befriedigender Zielerreichungsgrad realisiert werden kann (Stärkebedingung)? Die Prüfung umfasst auch die Analyse der Auswirkungen der Maßnahme auf andere Ziele, sei es in positiver oder negativer Ausprägung.
2.3	Aussonderungsschritt 1: Ineffektive Mittel von der weiteren Prüfung ausschließen.
2.4	Prüfung der verschiedenen Instrumente auf die Erforderlichkeit (= Ordnungskonformität <sup>5</sup> ): Sind mit der Maßnahme X <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Eingriffe in die Handlungsfähigkeit von Individuen oder</li> <li>▪ zusätzliche Kompetenzen für staatliche Stellen (abgestuft nach dem Subsidiaritätsprinzip) oder</li> <li>▪ Effekte verbunden, welche das Funktionieren des Marktmechanismus stören oder wird gegen sonstige Prinzipien aus dem Euckenschen Katalog verstoßen?</li> </ul> Ist das Ausmaß der jeweiligen Ordnungskonformität auf das zur Zielerreichung erforderliche Minimum beschränkt und kann es auch durch Justieren des vorgesehenen Instruments nicht mehr verringert werden (zielbedingte Minimalintensität der Ordnungsstörung)?
2.5	Aussonderungsschritt: Aussondern aller Instrumente bis auf das mit der absolut geringsten zielbedingten Minimalintensität der Ordnungsstörung.

<sup>5</sup> Es wird überprüft, bei welchem Instrument der Nutzen zur Erreichung des vorgegebenen Ziels mit den niedrigsten Kosten realisiert wird. Dabei erfolgt der Kostenvergleich qualitativ und indizien gestützt, indem die Verstöße gegen marktwirtschaftliche Prinzipien bewertet werden (vgl. Bender et al. 1999, S. 629).

- |     |  |
|-----|--|
| 2.6 | Prüfung auf Verhältnismäßigkeit (= Wirtschaftlichkeit): Steht der Nutzen der Zielrealisation mit Hilfe der ausgewählten Maßnahme in einem vernünftigen Verhältnis zu den Zweck- und Transaktionskosten aller Art, die mit dem Einsatz dieses Instruments verbunden sind? |
| 2.7 | Darstellung des Ergebnisses.   |

Tabelle 1: Ablaufschema zur Beurteilung wirtschaftspolitischer Maßnahmen nach Grossektler (Grossektler 1987, S. 16 a)

### Euckensche Prinzipien

1.	Konstituierende Prinzipien <sup>6</sup>
1.1	Fundamentalprinzip des umfassenden Strebens nach Konkurrenzpreisen
1.2	Prinzip des Primats der Preisstabilität
1.3	Prinzip des Offenhaltens der Märkte
1.4	Prinzip der Bevorzugung von Privateigentum als Mittel zur Zuteilung von Gestaltungsmacht
1.5	Prinzip der wettbewerbskonformen Verwendung von Vertragsfreiheit
1.6	Prinzip der Vermeidung von Haftungsbeschränkungen und der Einheit von Gestaltungsmacht und Haftung
1.7	Prinzip der Vorhersehbarkeit und Stetigkeit der Wirtschaftspolitik
2.	Regulierende Prinzipien <sup>7</sup>
2.1	Prinzip der Eindämmung und Korrektur von Marktmacht
2.2	Prinzip der gerechtigkeitsorientierten Korrektur der Einkommensverteilung unter Berücksichtigung der Auswirkungen auf Investitionen
2.3	Prinzip der Korrektur externer Effekte
2.4	Prinzip der Korrektur anomaler Angebotsreaktionen

Tabelle 2: Konstituierende und regulierende Prinzipien aus dem Euckenschen Katalog (Grossektler 1987, S. 12 a)

### Ergebnis:

Die Marktanalyse des Marktes von Orphan Drugs zeigt zusammengefasst folgendes Ergebnis: Die Investitionsbereitschaft von Pharmaunternehmen in die Forschung und Entwicklung von Orphan Drugs wird hauptsächlich durch den medizinisch-technischen Fortschritt, die europäische Orphan Drug-Verordnung (insbesondere die Gewährung der 10-jährigen

<sup>6</sup> Eucken 1990 (1952), S. 254–291.

<sup>7</sup> Eucken 1990 (1952), S. 291–304.

Marktexklusivität) sowie durch nationale und europäische Förderprogramme begünstigt. In Deutschland ist die Zugänglichkeit von Orphan Drugs für Patienten im europäischen Vergleich am höchsten, was sich in einer schnellen Verfügbarkeit und einem breiteren Erstattungsangebot dieser Arzneimittel widerspiegelt. Es ist naheliegend, dass die hohe Zugänglichkeit von Orphan Drugs in Deutschland neben dem großen Absatzpotenzial auch auf die sechsmonatige freie Preisbildung und die sofortige Erstattungsfähigkeit zurückzuführen ist. Jedoch könnte der langfristige Zugang zu Orphan Drugs für alle Patienten mit einer seltenen Krankheit in Deutschland gefährdet sein. Die Begründung hierfür liegt in der aktuellen Preisentwicklung für Orphan Drugs im Zeitverlauf (starker dynamischer Umsatzwachstum und Kostensteigerungen in den letzten Jahren), der besonderen Attraktivität der pharmazeutischen Unternehmer für bestimmte Indikationsbereiche (v.a. in der Onkologie) und der endlichen Ressourcen der gesetzlichen Krankenkassen bzw. der Volkswirtschaft insgesamt. Diese Beobachtung legt nahe, dass sowohl der europäische Rahmen für Orphan Drugs als auch die nationale Preis- und Erstattungspolitik revidiert werden müssen, um eine nachhaltige und bestmögliche Versorgung aller Patienten mit seltenen Krankheiten zu gewährleisten.

Auf der Basis der Marktversagenstheorie lassen sich folgende Marktversagenstatbestände auf dem Markt für Orphan Drugs attestieren: das Vorhandensein von Externalitäten (sowohl technologische als auch ein psychologischer externer Effekt (Altruismus)), Nichtrationalität, Informationsmängel sowie das Vorliegen öffentlicher Güter.

Die vertragstheoretische Überprüfung zeigt, dass eine vertragstheoretische Legitimation für staatliche interventionistische Eingriffe bei den Externalitäten (technologischer und psychologischer externer Effekt), Nichtrationalität, Informationsmängel und im Bereich öffentlicher Güter gegeben ist. Diese Schlussfolgerung basiert auf dem identifizierten hypothetischen Vertrag und dem Vorhandensein schlüssigen, konkludenten Verhaltens in der Vergangenheit.

Die ordnungsökonomische Analyse der ermittelten Instrumente zeigt, dass neben den etablierten Institutionen wie dem Patentschutz und der öffentlichen Förderung der Grundlagenforschung drei zusätzliche Maßnahmen zur Behebung der identifizierten Marktversagen auf dem Orphan Drugs-Markt erforderlich und zugleich wirtschaftlich sind. All diese Maßnahmen weisen eine zielbedingte Minimalintensität der Ordnungsstörung auf und sind zudem verhältnismäßig. Zu den vorgeschlagenen Maßnahmen gehören: *„Negativanreiz durch eine Reduktion von ergänzenden Schutzzertifikaten (SPC) bei „regulären“ Arzneimitteln und Staffelung der Marktexklusivitätsdauer“*, *„Verlagerung des Zulassungsrisikos in Haftungsregelungen“* und *„Vereinbarung über Erstattungsbeträge zwischen dem GKV-Spitzenverband und pharmazeutischen Unternehmern, basierend auf einer Nutzenbewertung*

*von Orphan Drugs aus einer gesamtgesellschaftlichen Perspektive und einer modifizierten Form der bisherigen Erstattungsbetragsverhandlung“.*

**Schlussfolgerung:**

Die Identifizierung dieser drei Maßnahmen ist entscheidend für die langfristige Arzneimittelversorgung von Patienten mit seltenen Krankheiten und berücksichtigt sowohl die wirtschaftliche Knappheit als auch das aktuelle gesellschaftliche Werteverständnis. Die zugrundeliegende Analyse zeigt zudem, dass das Ziel einer vollständigen Internalisation des psychologischen externen Effekts des Altruismus mit den begrenzten Ressourcen der Kostenträger (gesetzliche Krankenversicherung) und der Volkswirtschaft in Konflikt steht. Darüber hinaus deutet das Ergebnis darauf hin, dass hohe Forschungs- und Entwicklungskosten für kleine und mittlere Unternehmen eine erhebliche Markteintrittsbarriere darstellen könnten. Daher kann es sinnvoll sein, zusätzlich zu den drei identifizierten Instrumenten auch staatliche Subventionen bereitzustellen. Aus ordnungspolitischer Perspektive wird empfohlen, Maßnahmen zu ergreifen, die die operative und/oder informative Effizienz des Kapitalmarktes für Forschungsprojekte zu seltenen Krankheiten verbessern. Da gesellschaftliche Werte durch technologische, politische und wirtschaftliche Entwicklungen einem ständigen Wandel unterliegen, sollten die Handlungsempfehlungen als vorläufig betrachtet werden. Die wachsende Komplexität des nationalen und internationalen Wirtschaftsgeschehens verlangt nach einer angepassten internationalen wirtschaftlichen Ordnung und betont den Bedarf an weiterführender Forschung auf diesem Gebiet.

## LITERATURVERZEICHNIS

- Bender, Dieter; Berg, Hartmut; Cassel, Dieter; Gabisch, Günter; Grossekketter, Heinz; Hartwig, Karl-Hans et al. (1999): Vahlens Kompendium der Wirtschaftstheorie und Wirtschaftspolitik. 7., überarbeitete Auflage. München: Verlag Franz Vahlen.
- Cassel, Dieter; Müller, Christian; Sundmacher, Torsten (2007): Ökonomische Begründungen für Pharmamarktregulierungen auf verschiedenen Kompetenzebenen. Das Beispiel der Arzneimittel-Zulassungshürden in Europa. In: Zentralität und Dezentralität von Regulierung in Europa. Stuttgart: Lucius & Lucius, 2007.
- Chan, Adrienne Y. L.; Chan, Vivien K. Y.; Olsson, Sten; Fan, Min; Jit, Mark; Gong, Mengchun et al. (2020): Access and Unmet Needs of Orphan Drugs in 194 Countries and 6 Areas: A Global Policy Review With Content Analysis. In: *Value in health : the journal of the International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research* 23 (12), S. 1580–1591. DOI: 10.1016/j.jval.2020.06.020.
- Czech, Marcin; Baran-Kooiker, Aleksandra; Atikeler, Kagan; Demirtshyan, Maria; Gaitova, Kamilla; Holownia-Voloskova, Malwina et al. (2020): A review of rare disease policies and orphan drug reimbursement systems in 12 Eurasian countries. In: *Frontiers in public health* 7, S. 416.
- Daumann, Frank; Oberender, Peter (1997): Der Arzneimittelmarkt im Spannungsfeld seiner institutionellen Umgebung. In: Dimensionen des Wettbewerbs. Stuttgart: Lucius & Lucius, 1997.
- Eucken, Walter (1990 (1952)): Grundsätze der Wirtschaftspolitik. Edith Eucken und Paul K. Hensel. 6. Aufl.: Bern-Tübingen.
- European Medicines Agency (2024): Orphan designation: Overview. Rare diseases at a glance. Online verfügbar unter <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/orphan-designation-overview#rare-diseases-at-a-glance-11930>, zuletzt geprüft am 27.06.2024.
- Grossekketter, Heinz (1987): Der Beitrag der Freiburger Schule zur Theorie der Gestaltung von Wirtschaftssystemen. Erw. dt. Ms. e. Vortrags, d. am 20.06.1987 auf d. HES-Tagung in d. Harvard Business School gehalten wurde. Münster: Westfäl. Wilhelms-Univ (Volkswirtschaftliche Diskussionsbeiträge, Beitr. Nr. 90).
- Hurley, Jeremiah (2000): Chapter 2 - An Overview of the Normative Economics of the Health Sector\* \*Helpful comments were received from R. Cookson, A.J. Culyer, J.P. Newhouse, T. Rice, T. Scott and G. Stoddart. I would like to acknowledge financial support of the Ontario Ministry of Health to the Centre for Health Economics and Policy Analysis. In: Anthony J. Culyer und Joseph P. Newhouse (Hg.): *Handbook of Health Economics*, Bd. 1: Elsevier, S. 55–118. Online verfügbar unter <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1574006400801614>.

- Hutchings, Adam; Schey, Carina; Dutton, Richard; Achana, Felix; Antonov, Karolina (2014): Estimating the budget impact of orphan drugs in Sweden and France 2013-2020. In: *Orphanet journal of rare diseases* 9, S. 22. DOI: 10.1186/1750-1172-9-22.
- Kuchinke, Björn A. (2017): (Un-)Ordnungspolitik im deutschen Gesundheitswesen: Eine kritische Bestandsaufnahme. In: Justus Haucap und H. Jörg Thieme (Hg.): *Wirtschaftspolitik im Wandel: De Gruyter*, S. 367–394.
- Roll, Kathrin; Stargardt, Tom; Schreyögg, Jonas (2011): Zulassung und Erstattung von Orphan Drugs im internationalen Vergleich. In: *Gesundheitswesen (Bundesverband der Ärzte des Öffentlichen Gesundheitsdienstes (Germany))* 73 (8-9), S. 504–514. DOI: 10.1055/s-0030-1262864.
- Sauerland, Dirk (2002): *Gesundheitspolitik in Deutschland. Reformbedarf und Entwicklungsperspektiven*. Gütersloh: Verl. Bertelsmann-Stiftung (Leistungsorientierte Führung und Organisation im Gesundheitswesen, Bd. 6).
- Schey, Carina; Milanova, Tsveta; Hutchings, Adam (2011): Estimating the budget impact of orphan medicines in Europe: 2010-2020. In: *Orphanet journal of rare diseases* 6, S. 1–10.
- Schlender, Michael; Dintsios, Charalabos-Markos; Gandjour, Afschin (2018): Budgetary Impact and Cost Drivers of Drugs for Rare and Ultrarare Diseases. In: *Value in health : the journal of the International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research* 21 (5), S. 525–531. DOI: 10.1016/j.jval.2017.10.015.
- Young, Katherine Eve; Soussi, Imen; Hemels, Michiel; Toumi, Mondher (2017): A comparative study of orphan drug prices in Europe. In: *Journal of Market Access & Health Policy* 5 (1), S. 1297886.