

ПЕРЕЧЕНЬ РЕДКИХ МЕДИЦИНСКИХ ТЕХНОЛОГИЙ ЕВРОСОЮЗА

Данный Перечень является переводом Перечня редких («сиротских») медицинских технологий Евросоюза.

Перечень Евросоюза был сгруппирован, согласно фармакотерапевтической классификации, в него были внесены незначительные корректировки названий в соответствии с российской медицинской терминологией. В связи с тем, что эксперты Форумного комитета не проводили анализ доказательств эффективности медицинских технологий, включенных в Перечень, они не могут быть уверены в уровне доказанности их эффективности и жизненной необходимости.

АНАЛЬГЕТИКИ, НЕСТЕРОИДНЫЕ ПРОТИВОВОСПАЛИТЕЛЬНЫЕ ПРЕПАРАТЫ, СРЕДСТВА ДЛЯ ЛЕЧЕНИЯ РЕВМАТИЧЕСКИХ ЗАБОЛЕВАНИЙ И ПОДАГРЫ

Наименование медицинской технологии	Показание к применению в качестве редкой медицинской технологии
Белок 144 TGF-бета1-ингибитор (TSLDASIIWAMMQN)	Лечение системной склеродермии
Галофунгинон гидробромид	Лечение системной склеродермии
Гусперимус тригидрохлорид	Лечение грануломатоза Вегенера
Зиконотид	Лечение хронической боли, требующей интраспинальной анальгезии
Пептид 144 TGF-бета1-ингибитор (TSLDASIIWAMMQN)	Лечение локализованной склеродермии
Соматропин	Лечение задержки роста у больных ювенильным хроническим артритом
Человеческий иммуноглобулин	<ul style="list-style-type: none">• Лечение дерматомиозита• Лечение полимиозита
1,3- пропанэдисульфоновая кислота, динатриевая соль	Лечение вторичного амилоидоза
R-сальбутамол сульфат	Лечение кожных форм системной красной волчанки

СРЕДСТВА ДЛЯ ЛЕЧЕНИЯ АЛЛЕРГИЧЕСКИХ РЕАКЦИЙ

Икатибант ацетат	Лечение ангионевротического отека (отека Квинке)
------------------	--

Рекомбинантный человеческий С1-ингибитор	Лечение ангионевротического отека вызванного дефицитом С1 ингибитора
Рекомбинантный ингибитор человеческого плазменного калликреина	Лечение ангиодемы

СРЕДСТВА, ВЛИЯЮЩИЕ НА ЦЕНТРАЛЬНУЮ НЕРВНУЮ СИСТЕМУ

Апоморфин гидрохлорид (ингаляционное применение)	Лечение периодов выключения болезни Паркинсона при отсутствии ответа на пероральные лекарственные средства
Аримокломол	Лечение бокового амиотрофического склероза
Дефероксамин мезилат	Лечение травматического повреждения спинного мозга
Диметил сульфоксид	Лечение тяжелого закрытого повреждения мозга
Ксалипроден гидрохлорид	Лечение бокового амиотрофического склероза
Леводопа+карбидопа (гастроинтестинальное применение)	Лечение поздних стадий болезни Паркинсона с выраженными двигательными нарушениями при отсутствии ответа на пероральные лекарственные средства
Мелатонин	Не 24-часовые расстройства засыпания и пробуждения у слепых людей с отсутствием восприятия света
Натрия оксидат	Лечение нарколепсии (сонной болезни)
Руфинамид	Лечение синдрома Леннокса-Гасто
Стирипентол	Лечение тяжелой миоклонической эпилепсии в детском возрасте
Фампридин	Лечение синдрома Гийен-Барре
α-1-кислота гликопротеин	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение отравления трициклическими антидепрессантами • Лечение отравления кокаином
(2S)-2-[(4R)-2-оксо-4-пропилтетрагидро-1H-пиррол-1-yl] бутанамид	Лечение прогрессирующей миоклонической эпилепсии
1-{3-[3-(4-хлорофенил)пропокси]пропил} пиперидин, гидрохлорид	Лечение нарколепсии
3,4- диаминопиридин фосфат	Лечение миастенического синдрома Ламберта-Итона
4-амино-(6R,S)-5,6,7,8-тетрагидро-L-биоптерин дигидрохлорид	Лечение средней степени и тяжелого повреждения мозга
5-(2,6-дифлуоро-фенокуси)-3(R,S)-{2(S)-[2(S)-(3-метоксикарбонил-2(S)-{3-метил-2(S)-[(квинолин-2-карбонил)-амино]-бутириламино}-пропиониламино)-3-метил-бутириламино]-пропиниламино}-4-оксо-пентановой кислоты метиловый эфир	Лечение повреждения мозга в неонатальном периоде

5'-CTG CCA CGT TCT CCT GC-(2' метокси)A-(2' метокси)C-(2' метокси)C-3'	Лечение генерализованной формы миастении с бульбарным параличом
5-метил-пиридин-2-сульфоновая кислота {6-(2-гидрокси-этокси)-5-(2-метокси-фенокси)-2-[2-(1H-тетразол-5-yl)-пиридин-4-yl]-пиримидин-4-yl}-амид натрия натриевая соль	Лечение субарахноидального кровоизлияния, вызванного аневризмой
H-D-Asp-D-Gln-D-Ser-D-Arg-D-Pro-D-Val-D-Gln-D-Pro-D-Phe-D-Leu-D-Asn-D-Leu-D-Thr-D-Thr-D-Pro-D-Arg-D-Lys-D-Pro-D-Arg-D-Pro-D-Pro-D-Arg-D-Arg-D-Arg-D-Gln-D-Arg-D-Arg-D-Lys-D-Lys-D-Arg-D-Gly-NH ₂	Лечение нейросенсорной тугоухости (острая слуховая травма, внезапная глухота и хирургическая слуховая травма)
H-Val-Ile-Val-Lys-Leu-Ile-Pro-Ser-Thr-Ser-Ser-Ala-Val-Asp-Thr-Pro-Tyr-Leu-Asp-Ile-Thr-Tyr-His-Phe-Val-Ala-Gln-Arg-Leu-Pro-Leu-OH	Лечение генерализованной формы миастении
N-3[[4(аминоиминометил)бензоил]амино]пропил]-1-[[2,4-дихлоро-3-[[2,4-диметил-8-квинолинил)окси]метил]фенил]сульфонил]-(2S)-2-пирролидинкарбоксамид, ди(метансульфонат)	Лечение средней степени и тяжелого повреждения мозга

СРЕДСТВА ДЛЯ ПРОФИЛАКТИКИ И ЛЕЧЕНИЯ ИНФЕКЦИЙ

Азтреонам лизинат (ингаляционное применение)	Лечение грам-отрицательной бактериальной легочной инфекции с кистозным фиброзом
Амикацин сульфат (липосомальный)	Лечение легочной инфекции с кистозным фиброзом, вызванной синегнойной палочкой (<i>Pseudomonas aeruginosa</i>)
Амфотерицин В (для ингаляционного применения)	Профилактика легочной грибковой инфекции у пациентов с факторами риска
Артезуат	Лечение малярии
Гепатит С иммуноглобулин	Профилактика рекуррентного вируса гепатита С, индуцированного заболеванием печени печеночного трансплантата
Дигидроартемизинин, пиперакуин	Лечение малярии
Колистиметат натрия	Лечение легочной инфекции, вызванной синегнойной палочкой (включая колонизацию) с кистозным фиброзом
Милтефозин	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение висцерального лейшманиоза • Лечение амебных кератитов
Опсакан	Лечение менингококковой инфекции
Очищенная инактивированная вирусная вакцина японского энцефалита	Профилактика японского энцефалита

SA14-4-2	
Паромомицин сульфат	Лечение висцерального лейшманиоза
Рамопланин	Профилактика инфицирования, обусловленная ванкомицин резистентными энтерококками у групп пациентов, имеющих риск инфицирования
Рекомбинантная модифицированная вакцина вируса Ankara экспрессирующего туберкулезный антиген 85A	Профилактика туберкулеза BCG вакцинированных людей
Рекомбинантные человеческие моноклональные антитела к hsp90	Лечение инвазивных грибковых инфекций
Рибавирин	Лечение геморрагической лихорадки с почечным синдромом
Темоциллин натрия	Лечение легочной инфекции, вызванной Burkholderia cepacia с кистозным фиброзом
Тобрамицин (ингаляционный порошок)	Лечение легочной инфекции, вызванной синегнойной палочкой, с кистозным фиброзом
Химерное моноклональное антитело к шига-токсину (дизентерийному токсину) 1 и 2	Лечение шига-токсин продуцирующей бактериальной инфекции
Человеческий поликлональный иммуноглобулин золотистого стафилококка и человеческий поликлональный иммуноглобулин эпидермального стафилококка	Профилактика позднего начала сепсиса у недоношенных новорожденных в гестационном возрасте равном или меньшем 32 недель
Человеческий стафилококковый иммуноглобулин	Лечение стафилококковой бактериемии
Человеческий цитомегаловирусный иммуноглобулин	Профилактика наследственной цитомегаловирусной инфекции
Человеческое моноклональное антитело против Pseudomonas aeruginosa серотип O11	Лечение пневмонии, вызванной синегнойной палочкой (Pseudomonas aeruginosa) серотипа O11
(1R,2S) 6-бромо-альфа-[2-(диметиламино)этил]-2-метокси-альфа-(1-нафтил)-бета-фенил-3-квинолинэтанол	Лечение туберкулеза
N-адамантанил-N'-геранил-этиленедиамин	Лечение туберкулеза

ПРОТИВООПУХОЛЕВЫЕ, ИММУНОДЕПРЕССИВНЫЕ И СОПУТСТВУЮЩИЕ СРЕДСТВА

Аденовирус-интерферон гамма – закодированная ДНК последовательность	Лечение кожной Т-клеточной лимфомы
Аденовирус-опосредованный Герпес Симплекс ген вирус-тимидин	Лечение тяжелой степени глиомы с последующим применением

киназы	ганцикловира натрия
Азацитидин	Лечение миелодиспластического синдрома
Акадезин	Лечение В-cell хронического лимфотического лейкоза (В-CLL)
Анти эпидермальный фактор роста рецептора антитела h-R3	Лечение глиомы
Антисмысловой олигонуклеотид 5'-d[P-тио](CCCTG CTCCC CCCTG GCTCC)-3'	Лечение острого миелобластного лейкоза
Анти-эпителиальная клетка, полученная адгезией молекул / анти-CD3 моноклональное антитело	Лечение рака яичников
Аплидин	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение острого лимфобластного лейкоза • Лечение множественной миеломы
Арсения триоксид	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение острого промиелоцитарного лейкоза • Лечение миелодиспластического синдрома • Лечение множественной миеломы
Аутогенная вакцина почечных опухолевых клеток	Лечение почечно-клеточной карциномы
Аутологический вторичный опухолевый gp96 термический протеин-пептид комплекс	Лечение почечно-клеточной карциномы
Аутологичные dendritic клетки, работающие в импульсном режиме с лизатом аутологичных опухолевых клеток	Лечение глиомы
Аутологичный опухолевый иммуноглобулин идиотип двойной к гемоцианину	Лечение фолликулярной лимфомы
Бекатекарин	Лечение опухолей желчных протоков
Биотинилированные анти-тенасциновые моноклональные антитела для применения с иттрием-90	Лечение глиомы
Бросталлицин	Лечение саркомы мягких тканей
Бычьей желчи экстракт	Лечение рака поджелудочной железы
Вандетаниб	Лечение медуллярной карциномы щитовидной железы
Вирус герпеса симплекса с отсутствующей инфицированной клеткой белком 34.5	Лечение глиомы
Гемтузумаб озогамицин	Лечение острого лейкоза
Генно-модифицированные аллогенные (человеческие) опухолевые клетки для экспрессии IL-7, GM-CSF, CD80 и CD154, в фиксированной комбинации с ДНК-основой двойного стволового спирального	Лечение почечно-клеточной карциномы

(петлевого) иммуномодулятора	
Гиматекан	Лечение глиомы
Гистамин дигидрохлорид	Лечение острого миелоидного лейкоза
Гомогаррингтонин	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение хронического миелолейкоза • Лечение острого миелобластного лейкоза
Дасатиниб	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение острого лимфобластного лейкоза • Лечение хронического миелолейкоза
Денилейкин дифтитокс	Лечение кожной Т-клеточной лимфомы
Деоксирибоза фосфоротионат (5'-tct-ccc-agc-gtg-cgc-cat-3') (1)	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение хронической лимфоцитарной лейкемии • Лечение множественной миеломы
Деутериум оксид	Лечение рака поджелудочной железы
Децитабин	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение миелодиспластического синдрома • Лечение острого миелобластного лейкоза
Доксорубин гидрохлорид (липосомальный)	Лечение саркомы мягких тканей
Доксорубин карбон /железо магнитно заряженные частицы	Лечение гепатоцеллюлярной карциномы
Доксорубин полиизогексилцианоакрилат наночастицы	Лечение гепатоцеллюлярной карциномы
Занолимуаб	Лечение периферической Т-клеточной лимфомы (узловая, экстранодальная лейкоэмическая/диссеминированная)
Зосуквидар тригидрохлорид	Лечение острого миелобластного лейкоза
Иматиниб	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение хронического миелолейкоза • Лечение злокачественных гастроинтестинальных стромальных опухолей • Лечение острого лимфобластного лейкоза • Лечение дерматофибросаркомы • Лечение мастоцитоза • Лечение хронического эозинофильного лейкоза и синдрома гиперэозинофилии • Лечение миелодиспластических/миелопролиферативных заболеваний
Имексон	Лечение рака яичников
Иодин (131I) химерные IgG моноклональные антитела cG250	Лечение почечно-клеточной карциномы

Иттрий (90Y) антиферритин поликлональные антитела	Лечение Ходжкинской лимфомы
Йод (131I) анти-СЕА бараньи -человеческие химерные моноклональные антитела	Лечение рака поджелудочной железы
Йод (¹³¹ I) анти-нуклеогистон Н1 химерные биотин моноклональные антитела	Лечение глиомы
Йод (131I) анти-тенасцин моноклональное антитело 81С6	Лечение глиомы
Йод (¹³¹ I) тозитумомаб	Лечение фолликулярной лимфомы
Карбоксипептидаза G2	Дополнительная терапия пациентов с риском токсичности метотрексата
Кармустин (раствор для внутриопухолевого введения)	Лечение глиомы
Катумаксомаб	Лечение рака желудка
Кладрибин (подкожное применение)	Лечение безболевого не-Ходжкинской лимфомы
Лестаургиниб	Лечение острого миелоидного лейкоза
Метастабильный технеций 99 [^{99m} Tc] демогастрин 2	Лечение медуллярной карциномы щитовидной железы
Мидостаурин	Лечение острого миелобластного лейкоза
Митоган	Лечение карциномы коры надпочечника
Мурамил трипептид фосфатидил этаноламин	Лечение остеосаркомы
Мышиное (крысиное) анти-идиотипическое антитело против ОС125 антитела против СА125 антигена	Лечение рака яичников
Мышьяковый триоксид	Лечение острого миелобластного лейкоза
Наптумомаб эстафенатокс	Лечение почечно-клеточной карциномы
Неларабин	Лечение острого лимфобластного лейкоза
Неморубицин гидрохлорид	Лечение гепатоцеллюлярной карциномы
Нилотиниб	Лечение хронического миелолейкоза
Нилотиниб гидрохлорид моногидрат	Лечение желудочно-кишечных стромальных опухолей
Олигонуклеотид фосфоротиоат (ТАААСGТТАТААСGТТАТGАСGТСАТ), натриевая соль	Лечение глиомы
Ореговомаб	Лечение рака яичников
Очеловеченные агонист анти-CD28 моноклональные антитела	Лечение В-клеточного хронического лимфотического лейкоза (В-CLL)
Очеловеченный фрагмент антитела (Ер-САМ)-усеченный синегнойный экзотоксин белкового синтеза	Лечение Ер-САМ-позитивной сквамозной клеточной карциномы головы и шеи
Пазопаниб гидрохлорид	Лечение почечно-клеточной карциномы
Паклитаксел (липосомальный)	Лечение рака поджелудочной железы

Паклитаксел (мицеллярный)	Лечение рака яичников
Панобиностат лактат	Лечение кожной Т-клеточной лимфомы
Пегилированная аргинин деиминаза	Лечение гепатоцеллюлярной карциномы
Порфирин натрия (фотосенсибилизатор для использования перед фотодинамической терапией)	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение холангиокарциномы • Лечение тяжелой дисплазии пищевода Баррета
Пралатрексат	Лечение периферической Т-клеточной лимфомы (узловая, экстранодальная лейкоэмическая/диссеминированная)
Ранпирназа	Лечение злокачественной мезотелиомы
Растворимые дрожжи бета-1,3/1,6-глюкан	Профилактика орального мукозита у пациентов с раком головы и шеи, проходящих радиационную терапию
Рекомбинантная модифицированная вакцина Ankara экспрессирующая человеческий 5T4	Лечение почечно-клеточной карциномы
Рекомбинантный антителый дериват против человеческой CD19 and CD3	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение оболочечно-клеточной лимфомы • Лечение хронического лимфатического лейкоза
Рекомбинантный гистидин-направленный идиотип иммуноглобулина Fab фрагмент клонированных рецепторов В-клеток	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение множественной миеломы • Лечение фолликулярной лимфомы • Лечение тканево-клеточной лимфомы
Рекомбинантный человеческий интерлейкин-21	Лечение почечно-клеточной карциномы
Рубитекан	Лечение рака поджелудочной железы
Сабарубицин	Лечение мелкоклеточного рака легких
Синегнойный экзотоксин (область II/III)-интерлейкин 13 химерный белок	Лечение глиомы
Сиплизумаб	Лечение Т-клеточной и НК-клеточной опухолей
Сорафениб тозилат	Лечение почечно-клеточной карциномы Лечение гепатоцеллюлярной карциномы
Субэроиланилид гидроксамовая кислота	Лечение кожной Т-клеточной лимфомы
Сульфонируемый монофосфорилируемый манноза олигосахарид	Лечение гепатоцеллюлярной карциномы
Талактоферрин альфа	Лечение почечно-клеточной карциномы
Талидомид	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение множественной миеломы • Лечение узловатой эритемы при лепре или вторичных осложнений лепры* • Лечение отторжения трансплантата*

Темсиролимус	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение почечно-клеточной карциномы • Лечение лимфомы из клеток мантии
Тималфазин	Лечение гепатоцеллюлярной карциномы
Типифарниб	Лечение острого миелоидного лейкоза
Тозитумомаб	Лечение фолликулярной лимфомы
Трабектедин	Лечение рака яичников
Троксацитабин	Лечение острого миелоидного лейкоза
Фенретинид	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение первичных злокачественных костных опухолей • Лечение саркомы мягких тканей
Флуороурацил	Лечение глиобластомы
Форозезин гидрохлорид	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение острого лимфобластного лейкоза • Лечение кожной Т-клеточной лимфомы
Химерные IgG моноклональные антитела сG250	Лечение почечно-клеточной карциномы
Химерные-анти-интерлейкин-6 моноклональные антитела	Лечение почечно-клеточной карциномы
Циленгитид	Лечение глиомы
Цисплатин (липосомальный)	Лечение рака поджелудочной железы
Цитохром Р450 изоформа 2В1 трансфектный ген клеток человеческой эмбриональной почки 293 инкапсулированные в полимер целлюлозы сульфат	Лечение рака поджелудочной железы в комбинации с ифосфамидом
Человеческие моноклональные антитела против CD4	Лечение кожной Т-клеточной лимфомы
Человеческий интерлейкин-2 (гликозилированный тетрасахарид, гликозилированный трисахарид и негликозилированный (ингаляционное применение)	Лечение почечно-клеточной карциномы
Человеческий теломеразы ревертазы транскриптазы пептид (611-626)	Лечение рака поджелудочной железы
Человеческое моноклональное антитело против HLA-DR	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение Ходжкинской лимфомы • Лечение хронического лимфатического лейкоза • Лечение множественной миеломы
Человеческое моноклональное антитело против ингибитора клеток киллеров Ig-подобных рецепторов	Лечение острого миелобластного лейкоза
Эверолимус	Лечение почечно-клеточной карциномы
Эктейнаседин 743	Лечение саркомы (поверхностных тканей)
Энзастаурин гидрохлорид	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение глиомы

	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение диффузной В-клеточной лимфомы
Эпотилон В	Лечение рака яичников
(1R, 2R, 4S)-4-{(2R)}	Лечение саркомы мягких тканей
(1R,2R,4S)-4-{(2R)-2-[(3S,6R,7E,9R,10R,12R,14S,15E,17E,19E,21S,23S,26R,27R,34aS)-9,27-дигидрокси-10,21-диметокси-6,8,12,14,20,26-гексаметил-1,5,11,28,29-пентаоксо-1,4,5,6,9,10,11,12,13,14,21,22,23,24,25,26,27,28,29,31,32,33,34,34a-тетракоза	Лечение ранних злокачественных опухолей кости
(2-аминоэтил) карбаминовая кислота (2R,5S,8S,11S,14R,17S,19aS)-11-(4-аминобутил)-5-бензил-8-(4-бензилокси бензил)-14-(1H-индол-3-илметил)-4,7,10,13,16,19-гексаоксо-17-фенилоктадекагидро-3a,6,9,12,15,18-гексаазапентациклооктадецен-2-ил эстер, ди[(S)-2-амин	Лечение функциональных гастро-энтеро панкреатической эндокринных опухолей
(E)-(1S,4S,10S,21R)-7-[(Z)-этилидин]-4,21- диизопропил-2-окса-12,13-дитиа-5,8,20,23-тетраазабицикло[8.7.6]трикос-16-ен-3,6,9,19,22-пентон	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение периферической Т-клеточной лимфомы (узловая, экстраузловая и диссеминированная) • Лечение кожной Т-клеточной лимфомы
(R, S)-3-(бромометил)-3-бутанол-1-ил-дифосфат	Лечение почечно-клеточной карциномы
(Z)-N-[2-(диэтиламино)этил]-5-[(5-флуоро-2-оксо-1,2-дигидро-3хиндол-3-илидин)метил]-2,4-диметил-1H-пиррол-3-карбоксамид (S)-2-гидроксисукцинат	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение злокачественных гастроинтестинальных опухолей • Лечение почечно-клеточной карциномы
1,2-бис(метилсульфонил)-1-(2-хлорэтил)-2-[(метиламино)карбонил]гидразин	Лечение острого миелобластного лейкоза
17-аллиламино-17-деметоксигелданамицин	Лечение хронического миелолейкоза
26 основание простого скрученного фосфодиэстеразного ДНК олигонуклеотида (1)	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение рака поджелудочной железы • Лечение почечно-клеточной карциномы
2-метокси-5-[(1Z)-2-(3,4,5-триметоксифенил)этинил]-фенол	Лечение анапластического рака щитовидной железы
2-хлоро-9-[2-деокси-2-флуоро-β-D-арабинофуранозил] аденин	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение острого лимбобластного лейкоза • Лечение острого миелобластного лейкоза
3-(4'аминоизоиндолин-1'-один)-1-пиперидин-2,6-дион	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение множественной миеломы • Лечение миелодиспластического синдрома
4-[123I]иодо-L-фенилаланин	Диагностика и лечение глиомы

4-амино-1-[5-О-[(2R,4S)-2-оксидо-4-(4-пиридинил)-1,3,2-диоксафосфоринан-2-ил]-β-D-арабинофуранозил]-2(1H)-пиримидинон	Лечение гепатоцеллюлярной карциномы
4-амино-5-оксо-4 (пиридин-1-илметил) пролин	Лечение почечно-клеточной карциномы
4-имино-1, 3-дiazобикло-[3.1.0]-гексан-2-один	Лечение рака поджелудочной железы
5(S)-(2'-гидрокси этокси)-20(S)- кампротедин	Лечение остеосаркомы
5,10-метилен-тетрагидрофолиевая кислота	Лечение рака поджелудочной железы в комбинации с 5-флуороурацилом
5'-О-(транс-9'-октадеценоил)-1-β-D-арабинофуранозил цитозин	Лечение острого миелобластного лейкоза
5-10-метилен-тетрагидрофолат	Лечение рака поджелудочной железы в сочетании с 5-флуороурацилом
5-аминолевуленовая кислоты гидрохлорид	Интра-операционная фотодинамическая диагностика резидуальной глиомы
EU/3/04/247	Лечение множественной миеломы
G17(9) гастрин-дифтерийный анатоксин конъюгат	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение рака поджелудочной железы • Лечение рака желудка
HLA класс I/II связанные опухолевые ассоциированные пептиды (ADF-ARO-CCN-GUC-K67-MET- MMP-MUC-RGS)	Лечение почечно-клеточной карциномы
HLA-A2 ограниченный CD8 Т-клеточной линией, экспрессирующей MART-1 Т-клеточный рецептор	Лечение MART-1 позитивной злокачественной миеломы в HLA-A2 позитивных пациентов
L-аспаргиназа	Лечение острого лимфобластного лейкоза
L-аспаргиназа инкапсулированная в эритроциты	Лечение острого лимфобластного лейкоза
N-(2-амино-фенил)-4-[(4-пиридин-3-ил-пиримидин-2-иламино)-метил] бензамид	Лечение Ходжкинской лимфомы
N-(метил-дизаациклогексил-метилбензамид)-азафенил-аминотиопиррол	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение злокачественных желудочно-кишечных опухолей • Лечение множественной миеломы • Лечение мастоцитоза
N-ацетилсаркозил-глицил-L-валил-D-алло-изолецил-L-треонил-L-норвалил-L-изолеуцил-L-аргинил-L-пролил-N-этиламид	Лечение саркомы мягких тканей
R-1-[2,3-дигидро-2-оксо-1-пивалоилметил-5-(2-пиридил)-1 H-1,4-бензодиазепин-3-ил]-3-(3-метиламинофенил)мочевина	Лечение карциноида желудка
TGF-β2 специфический фосфоротионат антисмысловой олигодеоксинуклеотид	Течение тяжелой формы глиомы
Val-Leu-Gln-Glu-Leu-Asn-Val-Thr-Val (Pr1 нанопептид, последовательность 169-177, протеиназа 3)	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение острого миелобластного лейкоза • Лечение хронического миелолейкоза

- Лечение миелодиспластических синдромов

СРЕДСТВА, ВЛИЯЮЩИЕ НА КРОВЬ

Анагрелид гидрохлорид	Лечение эссенциальной тромбоцитемии
Аутологические CD34+ клетки, зараженные ретровирусным переносчиком, содержащим ген аденозин-деаминазы	Лечение тяжелого комбинированного иммунодефицита, связанного с дефицитом аденозин-деаминазы
Дексразоксан	Лечение антрациклиновых кровоизлияний
Гидроксимочевина	Лечение серповидно клеточного синдрома
Меполизумаб	Лечение синдрома гиперэозинофилии
Миристоил-пептидил рекомбинантный человеческий CD59	Лечение пароксизмальной ночной гемоглобинурии
Рекомбинантная человеческая порфобилиноген деаминаза	Лечение острой перемежающийся порфирии
Рекомбинантный мегакариопоэз-стимулирующий белок	Лечение идеопатической тромбоцитопенической пурпуры
Рекомбинантный протеин, содержащий человеческий фактор свертывания IX, прикрепленный к Fc части IgG1	Лечение гемофилии В (наследственный дефицит фактора IX)
Рекомбинантный человеческий растворимый Fc- гамма рецептор Iib	Лечение идиопатической тромбоцитопенической пурпуры
Рекомбинантный человеческий фактор XIII (составляющий две А субъединицы)	Лечение наследственного дефицита фактора XIII
Ретровирусный гамма-с cDNA содержащий вектор	Лечение тяжелого комбинированного иммунодефицита XI
Сапроптерин	Лечение гиперфенилаланинемии
Тетрагидробиоптерин	Лечение гиперфенилаланинемии
Титана диоксид и бизоктризол	Лечение UV-A и видимых индуцированных светом фоточувствительных расстройств (хронические актинические дерматиты, кожные порфирии, актиническая почесуха и солнечная крапивница)
Человеческий коагуляционный фактор X	Лечение наследственного дефицита фактора X
Экстракт листа сорго двухцветного, крылоплодного стебля, Piper guineense семени и цветка гвоздики	Лечение серповидно-клеточной анемии
Экулизумаб	Лечение пароксизмальной ночной гемоглобинурии
Элтромбопаг оламин	Лечение идиопатической тромбоцитопенической пурпуры
Эптаког альфа (активированный)	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение диффузных альвеолярных геморрагий • Лечение пост-неонатальной интрацеребральной геморрагии • Лечение наследственного аденоматозного полипоза

4-(3,5-бис-(гидрокси-пентил)-1,2,4) триазол-1-ил)-бензойная кислота	Лечение хронической перегрузки железом требующей терапии хелатообразования
4,5-дигидро-2-(2,4-дигидрооксипентил)-4-метилтиазол-4(S)-карбоксильная кислота	Лечение хронической перегрузки железом требующей терапии хелатообразования
5,6,7,8- тетрагидробиоптерин	Лечение гиперфенилаланинемии
Н-Тирозин-глицин-фенилаланин-глицин-глицин-ОН	Лечение хронического идиопатического миелофиброза

СРЕДСТВА, ВЛИЯЮЩИЕ НА СЕРДЕЧНО - СОСУДИСТУЮ СИСТЕМУ

Альфимепраза	Лечение острой окклюзии периферических артерий
Амбрисентан	Лечение легочной артериальной гипертензии и хронической тромбоэмболической легочной гипертензии
Бозентан	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение легочной артериальной гипертензии и хронической тромбоэмболической легочной гипертензии • Лечение системной склеродермии* • Лечение легочной гипертензии при болезнях соединительной ткани*
Вазоактивный кишечный пептид	Лечение легочной артериальной гипертензии и хронической тромбоэмболической легочной гипертензии
Дефибротид	Лечение венозной окклюзии печени
Ибупрофен	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение открытого артериального протока • Профилактика открытого артериального протока у недоношенных новорожденных в гестационный срок менее 34 недель
Илопрост	Лечение вторичной легочной гипертензии: легочная гипертензия при болезнях соединительной ткани*, легочная гипертензия вызванная ЛС, портопульмонарная гипертензия, легочная гипертензия ассоциированная с врожденными заболеваниями сердца, хроническая тромбоэмболическая легочная гипертензия
Пиридоксалат гемоглобин полиоксиэтилен	Лечение кардиогенного шока
Силденафил	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение легочной артериальной гипертензии и хронической

	<ul style="list-style-type: none"> тромбоэмболической легочной гипертензии Лечение легочной гипертензии при болезнях соединительной ткани*
Ситаксентан натрия	Лечение легочной артериальной гипертензии и хронической тромбоэмболической легочной гипертензии
Тиларгинин ацетат	Лечение кардиогенного шока
Трепростинил диэтаноламин (оральное применение)	Лечение легочной артериальной гипертензии и хронической тромбоэмболической легочной гипертензии
Трептостинил натрия	Лечение легочной артериальной гипертензии и хронической тромбоэмболической легочной гипертензии
Элафин	Лечение легочной артериальной гипертензии и хронической тромбоэмболической легочной гипертензии
2-{4-[(5,6-дифенилпиразин-2-ил)(изопропил)амино]бутоксид}-N-(метилсульфонил)ацетамид	Лечение легочной артериальной гипертензии и хронической тромбоэмболической легочной гипертензии
L-трео-3,4-дигидроксифенилсерин	Лечение ортостатической гипотензии у пациентов с вегето-сосудистой дистонией и у пациентов с множественной системной атрофией

ДИАГНОСТИЧЕСКИЕ СРЕДСТВА

Йод (123I) амилоидной сыворотки P	Диагностика степени гистологически доказанного амилоидоза
-----------------------------------	---

СРЕДСТВА ДЛЯ ЛЕЧЕНИЯ ЗАБОЛЕВАНИЙ ЖЕЛУДОЧНО - КИШЕЧНОГО ТРАКТА

Антисмысловой NF-карраВ р65 олигонуклеотид	<ul style="list-style-type: none"> Лечение тяжелой формы язвенного колита Лечение болезни Крона
Гепарин связанный эпидермальный фактор роста, подобный фактору роста (НВ-EGF), аминокислоты 74-148	Профилактика некротического энтероколита
Натрия бутират (ректальное применение)	Профилактика радиационных проктитов
Панкреатические энзимы (перекрестно связанные энзимы кристаллов липазы, протеазы, амилазы)	Лечение малабсорбции, связанной с экзокринной недостаточностью поджелудочной железы
Рекомбинантная микробная липаза	Лечение малабсорбции, связанной с экзокринной недостаточностью поджелудочной железы

Фенилэфрин гидрохлорид	Лечение недержания кала при резервуарном илеоанальном анастомозе
Фумагилдин	Лечение диареи связанной с кишечной микроспоридиальной инфекцией
Человеческие аутологичные мезенхимальные стволовые клетки, экстрагированные из жировой ткани	Лечение анальной фистулы
Человеческие гетерологические клетки печени (для инъекций)	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение острой печеночной недостаточности • Лечение дефицита орнитин-транскарбамилазы
[gly2] Рекомбинантный человеческий глюкагон-подобный пептид	Лечение синдрома короткой кишки

ГОРМОНЫ И СРЕДСТВА, ВЛИЯЮЩИЕ НА ЭНДОКРИННУЮ СИСТЕМУ

Гидрокортизон (таблетки модифицированного высвобождения)	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение надпочечниковой недостаточности • Лечение врожденной гиперплазии надпочечников*
Мекасермин	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение синдрома отсутствия чувствительности к предшественнику гормона роста • Лечение первичного инсулино-подобного дефицита фактора роста 1 вследствие молекулярного или генетического дефекта*
Микофенолата мофетил	Дополнительное лечения синдрома Кушинга
Пегвисомант	Лечение акромегалии
Прастерон	Лечение надпочечниковой недостаточности

СРЕДСТВА ДЛЯ ЛЕЧЕНИЯ ЗАБОЛЕВАНИЙ ПОЧЕК И МОЧЕВЫВОДЯЩИХ ПУТЕЙ

Абетим натрия	Лечение волчаночного нефрита
Комплимент фактор Н	Лечение атипического гемолитического уремического синдрома, связанного с наследственной аномальной системой комплимента
Левамизол гидрохлорид	Лечение нефротического синдрома
Этилефрин	Лечение приапизма
(-)-17-(циклопропилметил)-3,14 β-дигидрокси-4,5 α-эпокси-6β-[N-метил-транс-3-(3-фурил) акриламид] морфинан гидрохлорид (в/в применение)	Лечение уремического зуда

**СРЕДСТВА ДЛЯ ЛЕЧЕНИЯ ОФТАЛЬМОЛОГИЧЕСКИХ
ЗАБОЛЕВАНИЙ, НЕ ОБОЗНАЧЕННЫЕ В ДРУГИХ РУБРИКАХ**

Антисмысловой олигонуклеотид (TATCCGGAGGGCTCGCCATGCTGCT)	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение ретинопатии недоношенных • Лечение неоваскулярной глаукомы • Профилактика отторжения роговичного трансплантата
Белок 70 E. Coli, подвергшийся тепловому шоку с S-антигеном сетчатки быка	Лечение аутоиммунного увеита
Генно-инженерные моноклональные антитела специфичные к факту роста β2	Профилактика появления рубцов после операции по поводу глаукомы
Мекасермин ринфабат	Профилактика ретинопатии у недоношенных новорожденных в гестационном возрасте менее 32 недель
Такролимус гидрат	Лечение весеннего кератоконъюнктивита
Флуоцинолон ацетонид (продолгованный освобожденный имплантат стекловидного тела???)	Лечение неинфекционного увеита направленное на задний сегмент глаза
Цикло {{(E,Z)-(2S,3R,4R)-3-гидрокси-4-метил-2-(метиламино)нона-6,8-диеноил}-L-2-аминобутирил-N-метил-глицил-N-метил-L-леуцил-L-валил-N-метил-L-леуцил-L-аланил-D-аланил-N-метил-L-леуцил-N-метил-L-леуцил-N-метил-L-валил}	Лечение хронического неинфекционного увеита
Циклоспорин	Лечение весеннего кератоконъюнктивита
Человеческий плазминоген	Лечение древесного конъюнктивита
4,7,10,13,16,19- докозагексаеновая кислота	Лечение пигментного ретинита
HLA-B27 дериват пептид (аминокислота 125-138)	Лечение аутоиммунного увеита

СРЕДСТВА, ВЛИЯЮЩИЕ НА ОРГАНЫ ДЫХАНИЯ

Авиптадил	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение острого повреждение легкого (респираторный дистресс-синдром взрослых) • Лечение саркоидоза
Ацетилцистеин	Лечение идеопатического легочного фиброза
Бимосиамоз динатрия	Лечение острого повреждения легкого (респираторный дистресс-

	синдром взрослых)
Кофеин цитрат	Лечение первичной апноэ недоношенных новорожденных
Лузупульtid	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение острого респираторного дистресс-синдрома • Лечение аспирационной пневмонии, требующей интубации и искусственной вентиляции
Пирфенидон	Лечение идеопатического легочного фиброза
Синапульtid, дипальмитолфосфатидилхолин, пальмитоил-олеоил фосфатидилглицерол и пальмитиновая кислота	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение синдрома аспирации меконием • Лечение острого повреждения легких (респираторный дистресс-синдром взрослых) • Профилактика респираторного дистресс-синдрома у недоношенных с гестационным возрастом менее 32 недель • Профилактика респираторного дистресс-синдрома у недоношенных с гестационным возрастом менее 37 недель
Эстрадиол гемигидрат и прогестерон	Профилактика бронхолегочной дисплазии у недоношенных новорожденных с гестационным возрастом менее 30 недель

СРЕДСТВА, ПРИМЕНЯЕМЫЕ ПРИ ТРАНСПЛАНТАЦИИ ОРГАНОВ И ТКАНЕЙ

Беклометазон 17, 21-дипропионат (оральное использование)	Лечение отторжения кишечного трансплантата
Будесонид (пероральное применение)	Лечение реакции «трансплантата против хозяина»
Бусульфан (в\в применение)	Предварительное лечение до трансплантации гематопозитических клеток
Герпес симплекс 1 вирус-тимидин киназа и усеченный низко родственный нерв фактор роста к рецептору трансфектных донорских лимфоцитов	Дополнительная терапия при трансплантации гематопозитических клеток
Инолимомаб	Лечение отторжения трансплантата
Кардиотрофин - 1	Профилактика ишемического/реперфузионного повреждения, связанного с пересадкой органов
Метокссален	Лечение реакции «трансплантата против хозяина»
Миристоилат-пептидил-рекомбинантный SCR1-3 комплементарный человеческому рецептор типа I	Профилактика посттрансплантационной дисфункции
Моноклональные антитела к человеческому интерлейкину-6	Лечение посттрансплантационных лимфопролиферативных осложнений
Рекомбинантный гликопротеин gp350 вируса Эпштейна-Барра	Профилактика посттрансплантационных лимфопролиферативных осложнений

Рекомбинантный Р-селективный гликопротеиновый иммуноглобулин	Профилактика посттрансплантационной дисфункции трансплантата
Рекомбинантный синтезированный протеин, содержащий внеклеточную часть CD95 плавленную до Fc части человеческой молекулы IgG1	Лечение реакции «трансплантата против хозяина»
Рекомбинантный человеческий C1-ингибитор	Профилактика задержки функционирования трансплантата после пересадки органа
Репертаксин L-лизин соль	Профилактика задержки функционирования трансплантата при пересадки органа
Смесь анти-CD3 mAb (SPV-T3a)-рицин А цепь синтезированного белка и анти-CD7 mAb (WT1)-рицин А цепь синтезированного белка	Лечение реакции «трансплантата против хозяина»
Сосудистый эндотелиальный фактор роста-D (ген) аденовирусной направленности с коллагеновым кольцом	Профилактика стеноза синтетического трансплантата, используемого в гемодиализе
Тиотепа	Терапия, предшествующая трансплантации гематopoэтических клеток предшественника
Треосульфат	Лечение, предшествующее трансплантации гематopoэтических клеток прародителя
Циклоспорин (имплантат)	Профилактика отторжения корнеального (роговичного) трансплантата
Циклоспорин (ингаляционная форма)	<ul style="list-style-type: none"> • Профилактика реакции отторжения после трансплантации легкого • Лечение реакции отторжения после трансплантации легкого
Человеческие моноклональные иммуноглобулины гепатита В	Профилактика ре-инфекции гепатита В после пересадки печени
Экс-vivo окультуренные мезенхимальные стволовые клетки взрослого человека	Лечение реакции «трансплантата против хозяина»
1, 1'-[1,4-фениленебис (метилен)]-бис-1,4,8,11- тетраазациклотетрадекан	Лечение, направленное на мобилизацию клеток предшественников перед пересадкой гематopoэтических клеток

СРЕДСТВА, ПРИМЕНЯЕМЫЕ ПРИ НАСЛЕДСТВЕННЫХ, ГЕНЕТИЧЕСКИХ ЗАБОЛЕВАНИЯХ

Адено-ассоциированный вирусный переносчик, содержащий модифицированный U7-snRNA ген	Лечение мышечной дистрофии Дюшенна
Адено ассоциированный вирусный переносчик, содержащий человеческий калпаин 3 ген	Лечение калпаинопатии
Адено-ассоциированная вирусной направленности липопротеинлипаза	Лечение дефицита липопротеинлипазы
Адено-ассоциированный вирусный переносчик, содержащий человеческий гамма-саркогликановый ген	Лечение гамма-саркогликанопатии

Аденовирусный переносчик, содержащий человеческий р53 ген	Лечение синдрома Ли Фраумена
Альгинат олигосахарид (G-блок) фрагмент	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
Альфа-1 антитрипсин (ингаляционное применение)	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза) • Лечение вторичной эмфиземы, связанной с врожденным дефицитом альфа-1 антитрипсина
Альфа-1 протеиназы ингибитор	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза) • Лечение вторичной эмфиземы, связанной с дефицитом альфа-1 антитрипсина
Альфа-галактозидаза А	Лечение болезни Фабри
Амилорид гидрохлорид дигидрат	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
Аутологичные CD34+ клетки трансфектные с лентивирусным переносчиком, содержащим человеческую арилсульфатазу А сДНК	Лечение метахроматической лейкодистрофии
Ацетилсалициловая кислота	Лечение истинной полицитемии (болезнь Ослера)
Бензойная кислота, натриевая соль	Лечение некетоновой гиперглицинемии
Бетаин ангидроус (безводный)	Лечение гемоцистинурии
Гепарин натрия	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза) • Лечение идеопатического легочного фиброза
Глутатион	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
Двухслойно сконструированная кожная структура кератиноцитов от пациентов (аутологичная) и фибробласты донора (аллогенные), встроенные в плазматический матрикс	Лечение буллезного эпидермолиза
Дексаметазон натрия фосфат инкапсулированный в человеческие эритроциты	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
Денуфосол тетранатрия	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
Дурамицин	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
Идебенон	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение атаксии Фридриха • Лечение наследственной зрительной нейропатии Лебера • Лечение мышечной дистрофии Дюшенна
Идуронат-2-сульфатаза	Лечение мукополисахаридоза 2-го типа (Синдром Хантера)
Ларонидаза	Лечение мукополисахаридоза 1-го типа
Лиарозол	Лечение врожденного ихтиоза
Маннитол	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)

Миглустат	Лечение болезни Ниманна-Пика, тип С
Натрия вальпроат	Лечение 5q мышечной атрофии
Нитизинон	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение тирозинемии 1-го типа • Лечение алкаптонурии
Оксалобактерианный formigenes штамм HC-1	Лечение первичной гипероксалурии
Переносчик лентивирусов, содержащий человеческий белковый ген синдрома Wiskott Aldrich	Лечение синдрома Вискотта-Олдрича
Рекомбинантная желудочная липаза	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
Рекомбинантная человеческая альфа-маннозидаза	Лечение альфа-маннозидоза
Рекомбинантный человеческий альфа-1-антитрипсин (респираторное применение)	Лечение вторичной эмфиземы с врожденным дефицитом альфа 1-антитрипсина
Рекомбинантная человеческая арилсульфатаза А	Лечение метахроматической лейкодиетрофии
Рекомбинантная человеческая желчь солестимулированная липаза	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
Рекомбинантная человеческая кислота альфаглюкозидаза	Лечение болезни накопления гликогена 2-го типа (Болезнь Помпа)
Рекомбинантная человеческая кислота сфингомиелиназа	Лечение болезни Ниманна-Пика, типа В
Рекомбинантный адено-ассоциированный вирусный переносчик, содержащий человеческий ген альфа-1 антитрипсина	Лечение наследственной недостаточности альфа-1 антитрипсина
Рекомбинантный адено-ассоциированный вирусный переносчик, содержащий человеческую кислоту гена альфа-глюкозидазы	Лечение болезни накопления гликогена 2-го типа (Болезнь Помпа)
Рекомбинантные человеческие моноклональные антитела к человеческому IL-1 бета IgG1/K класса	Лечение периодических синдромов связанных с влиянием низких температур (синдром наследственной холодной крапивницы), Muckle-Wells синдром и неонатальное внезапное мультисистемное воспалительное заболевание, известное также как хроническое детское неврологическое кожное заболевание
Рилонасепт	Лечение периодических синдромов связанных с влиянием низких температур (синдром наследственной холодной крапивницы), Muckle-Wells синдром и неонатальное внезапное мультисистемное воспалительное заболевание, известное также как хроническое детское неврологическое кожное заболевание
Сконструированный ингибитор белка человеческой эластазы нейтрофила	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
Тазаротин	Лечение врожденного ихтиоза
Триентин дигидрохлорид	Лечение болезни Вильсона
Холевая кислота	Лечение врожденной ошибки в синтезе первичной желчной кислоты

Холест-4-ен-3-один, оксим	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение 5q спинальной мышечной атрофии • Лечение бокового амиотрофического склероза
Целекоксиб	Лечение семейного (наследственного) аденоматозного полипоза
Цинк ацетат дигидрат	Лечение болезни Вильсона
Ципрофлоксацин (ингаляционное применение)	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
Человеческий альфа 1 ингибитор протеиназы (респираторное применение)	Лечение вторичной эмфиземы с врожденным дефицитом альфа 1-антитрипсином
Человеческий иммуноглобулин G1 постоянная область – человеческий эктодисплазин –A1 рецептор-связанная область синтезированного белка	Лечение X-связанной гипогидротической эктодермальной дисплазии (Christ-Siemens-Touraine синдром)
Этанол (96%) (гель для инъекций) (1)	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение врожденного порока развития лимфатической системы • Лечение врожденного порока развития вен
Этил эйкозопентаноат	Лечение болезни Хантингтона
1,5-бутилимино-1,5-дидеокси, D-глицитол	Лечение болезни Гоше
1-деоксигалактоноиримицина гидрохлорид	Лечение болезни Фабри
2-(4-(диэтиламино) фенил)-6-метил-2Н-бензо[d][1,2,3] триазол-5-амин	Лечение мышечной дистрофии Дюшенна
2'-О-метил-фосфоротиоат олигонуклеотид	Лечение мышечной дистрофии Дюшенна
3-[5-(2-флуоро-фенил)-[1,2,4]оксадиазол-3-ил]-бензойная кислота	<ul style="list-style-type: none"> • Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза) • Лечение мышечной дистрофии Дюшенна
4-[3-(метилсульфонил)фенил]-1-пропилпиперидин х HCl	Лечение болезни Хантингтона
8-циклопентил-1,3-дипропилксантин	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
L-лизин-N-ацетил-L-цистеин	Лечение кистозного фиброза (муковисцидоза)
N-ацетилгалактозамин-4-сульфатаза	Лечение мукополисахаридоза 6-го типа (синдром Марото-Лами)
N-карбамил-L-глутаминовая кислота	Лечение дефицита N-ацетилглутамат синтетазы (NAGS)
N- метил D-(2,3,4,5,6-пентагидрокси-гексил)-аммоний; 2-(3,5-дихлоро-фенил)-бензоксазол-6-карбоксилат	Лечение наследственной амилоидной полинейропатии

ПРОЧИЕ ЛЕКАРСТВЕННЫЕ СРЕДСТВА

Дифенилциклопропенон	Лечение тотальной алопеции
Натрия дихлорацетат	Лечение системного отравления монохлорацетатом
Паратиреоидного гормона (1-34) трансглутаминаза синтезированный белково-фибриновый матриксный комплекс	Лечение единичных костных кист

Пурифид бромелаин	Лечение остеосклероза
-------------------	-----------------------

* лекарственное средство может быть включено в иную фармакотерапевтическую группу