

Přehled léčivých přípravků určených pro vzácná onemocnění v Evropě

Leden 2014

Zdroj: Lists of medicinal products for rare diseases in Europe, Orphanet Report Series, *Orphan Drugs collection*, January 2014, online:
http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/list_of_orphan_drugs_in_europe.pdf

Z angličtiny přeložila Mgr. Lenka Pavlacká

Obsah

Terminologie	3
1. část: Přehled Orphan Drugs	5
Metodologie.....	5
Klasifikace podle názvu.....	6
Příloha 1: Orphan Drugs, které byly odebrány z registru OMP	14
Příloha 2: Orphan Drugs, kterým byla odebrána registrace	15
Klasifikace podle data registrace	16
Klasifikace podle ATC skupiny	17
Klasifikace podle držitele registrace.....	18
2. část: Léčivé přípravky registrované pro léčbu vzácných onemocnění bez označení OMP.....	19
Metodologie.....	19
Klasifikace podle názvu.....	20
Klasifikace podle data registrace	36
Klasifikace podle ATC skupiny	37
Klasifikace podle držitele registrace.....	39

**V případě dotazů, návrhů nebo připomínek mě neváhejte kontaktovat:
lenka@pavlacka.eu**

TERMINOLOGIE

Léčivý přípravek (LP)

- jakákoli látka nebo kombinace látek, které lze podat lidem nebo zvířatům za účelem léčby nebo předcházení nemocí, stanovení lékařské diagnózy, k obnově, úpravě či ovlivnění fyziologických funkcí prostřednictvím svého účinku

Vzácná onemocnění

- klinicky heterogenní převážně dědičná (či vrozená) onemocnění, která postihují méně než 5 osob z každých 10 000, (tj. méně než 1 pacient na 2000 jedinců)

Léčivé přípravky určené pro vzácná onemocnění

- léčivé přípravky, které jsou v Evropě centralizovanou procedurou registrovány pro léčbu vzácných onemocnění. Můžeme je rozdělit na LP označované jako Orphan Drugs a LP bez tohoto označení.

Léčivý přípravek pro vzácná onemocnění = Orphan Medicinal Product (OMP) = Orphan Drug (OD)

- LP je určen pro diagnostiku, prevenci nebo léčbu život ohrožujícího nebo chronicky invalidizujícího onemocnění postihujícího v okamžiku podání žádosti ne více než pět z 10 000 osob a nebo léčivé přípravky, které by se z ekonomických důvodů bez výhod nevyvíjely a zároveň neexistuje uspokojivý způsob diagnostiky, prevence nebo léčby daného onemocnění nebo, pokud takový způsob existuje, že léčivý přípravek přinese významný užitek těm, kteří jsou postiženi daným onemocněním
- toto označení umožňuje výrobcům léčiv využívat výhody při dalším vývoji léčiva pro danou indikaci: dlouhodobé výhradní postavení na trhu, možnost požádat o kvalifikovanou bezplatnou radu a snížené poplatky za registrační proces
- toto označení nezaručuje účinnost ani bezpečnost a neopravňuje k jeho výrobě, distribuci a používání

Registr Orphan Medicinal Products (OMP) = Registr Společenství pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění

- obsahuje seznam všech LP s označením Orphan Medicinal Product v Evropě

Léčivé přípravky registrované pro léčbu vzácných onemocnění bez označení OMP

- zahrnují LP, které jsou registrované v Evropě i pro léčbu jednoho nebo více vzácných onemocnění, nejsou však označeny jako OMP
- spadají tam také léčivé přípravky, kterým bylo označení odebráno nebo jim skončilo desetileté výhradní právo na trhu

Centralizovaná procedura registrace léčivého přípravku

- povolení vyrábět, distribuovat a používat určitý LP vydává Evropská léková agentura a registrace platí ve všech členských státech EU, Norsku a Islandu
- je pro Orphan Drugs povinná

Výhradní právo na trhu = market exclusivity

- pro dobu 10 let nebude přijata žádost o registraci podobného LP pro stejnou léčebnou indikaci
- Výjimkou jsou situace, kdy držitel rozhodnutí o registraci původního LP dá souhlas druhému žadateli, není schopen dodávat dostatečné množství LP nebo druhý žadatel může prokázat, že druhý LP je bezpečnější, účinnější nebo jinak klinicky nadřazený.

Podobný léčivý přípravek

- LP obsahující účinnou látku nebo látky podobné těm, které obsahuje v současnosti registrovaný léčivý přípravek pro vzácná onemocnění, a stanovený pro stejnou léčebnou indikaci

Klinicky nadřazený léčivý přípravek

- je prokázáno, že LP vykazuje významný léčebný nebo diagnostický prospěch převyšující prospěch, který poskytuje registrovaný léčivý přípravek pro vzácná onemocnění v jednom nebo více následujících směrech: vyšší účinnost, vyšší bezpečnost nebo jinak významný příspěvek při diagnostice nebo péči o pacienta

Off-label use

- použití registrovaného LP způsobem, který není v souladu se schváleným souhrnem údajů o přípravku

1. ČÁST: PŘEHLED ORPHAN DRUGS

Metodologie

Tato část dokumentu obsahuje seznam všech léčivých přípravků, které jsou v Evropě registrovány centralizovanou procedurou a splňují kritéria pro získání označení Orphan Medicinal Product. Tyto léčivé přípravky mohou být dostupné pouze v některých evropských zemích. Reálná dostupnost OD v určité zemi závisí na obchodní strategii firmy a rozhodnutí přijatých národními zdravotnickými úřady o jeho úhradě z veřejného zdravotního pojištění.

Tento přehled vzniká na základě seznamů léčiv, kterým bylo uděleno označení OMP (<http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/alforphreg.htm>) a které mají platnou registraci v Evropě (<http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/alfregister.htm>).

První tabulka představuje klasifikaci podle obchodního názvu a dále obsahuje název léčivé látky, schválenou indikaci, datum a držitele registrace. Je následována dvěma přílohami, které přehledně shrnují LP, kterým byla odebráno označení OMP nebo registrace. Další přehledy uvádějí klasifikaci podle data registrace, ATC kategorie a držitele registrace.

Další informace o OD jsou k dispozici na stránkách Orphanet (www.orpha.net), Státního ústavu pro kontrolu léčiv (<http://www.sukl.cz/modules/medication/search.php>), Evropské lékové agentury (<http://www.ema.europa.eu>) nebo registru Společenství pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění (<http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/alforphreg.htm>).

Klasifikace podle názvu

Název	Účinná látka	Schválená indikace	Datum registrace	Držitel registrace
ADCETRIS	Brentuximabum vedotinum	<p>► Léčba dospělých pacientů s relabujícím nebo refrakterním CD30+ Hodgkinovým lymfomem (HL):</p> <p>1. po autologní transplantaci kmenových buněk (ASCT) nebo</p> <p>2. po nejméně dvou předchozích terapiích v případech, kdy ASCT nebo kombinovaná chemoterapie nepředstavuje léčebnou možnost.</p> <p>► Léčba dospělých pacientů s relabujícím nebo refrakterním systémovým anaplastickým velkobuněčným lymfomem (sALCL).</p>	25/10/2012	Takeda Global Research and Development Centre (Europe) Ltd
ARZERRA	Ofatumumabum	Léčba chronické lymfocytární leukémie (CLL) u pacientů, u kterých selhává léčba fludarabinem a alemtuzumabem.	19/04/2010	Glaxo Group Ltd
ATRIANCE	Nelarabinum	Léčba pacientů s akutní lymfoblastickou leukémií z T-buněk (T-ALL) a lymfoblastickým lymfomem z T-buněk (T-LBL) , jejichž onemocnění neodpovídalo na léčbu nebo u kterých došlo k relapsu po léčbě nejméně dvěma chemoterapeutickými režimy.	22/08/2007	Glaxo Group Ltd
BOSULIF	Bosutinibum monohydricum	Léčba dospělých pacientů s Philadelphia chromozom pozitivní chronickou myeloidní leukémií (Ph+ CML) v chronické fázi (CP), akcelerované fázi (AP) a blastické fázi (BP), dříve léčených jedním nebo více inhibitory tyrozinkinázy a těch, u kterých léčba imatinibem, nilotinibem a dasatinibem není považována za vhodnou volbu.	27/03/2013	Pfizer Ltd
BRONCHITOL	Mannitolum	Léčba cystické fibrózy (CF) u dospělých od věku 18 let výše jako přídatná léčba k nejlepšímu standardu péče.	13/04/2012	Pharmaxis Pharmaceuticals Limited
CARBAGLU	Acidum carginicum	Léčba hyperamonémie způsobené primárním deficitem syntázy N-acetylglutamátu (pro tuto indikaci bylo označení OMP odebráno po 10 letech), izovalerovou acidémií, metylmalonovou acidémií nebo propionovou acidémií	24/01/2003	Orphan Europe S.a.r.l.
CAYSTON	Aztreonamum lysinicum	Supresivní léčba plicní infekce způsobené <i>Pseudomonas aeruginosa</i> u pacientů s cystickou fibrózou ve věku 6 let a starších.	21/09/2009	Gilead Sciences International Limited
CEPLENE	Histamini dihydrochloridum	Udržovací terapie je indikována u dospělých pacientů s akutní myeloidní leukémií (AML) v první remisi, kteří jsou současně léčeni interleukinem-2 (IL-2).	07/10/2008	Meda AB
CYSTADANE	Betainum anhydricum	Adjuvantní léčba homocystinurie , která zahrnuje deficity nebo poruchy cystathionin beta-syntázy (CBS), 5,10-methylentetrahydrofolátreduktázy (MTHFR), metabolismu kofaktoru kobalaminu (kbl). Podává se jako doplněk další léčby, jako je například léčba vitamínem B6 (pyridoxin), vitamínem B12 (kobalamin), folátem a specifickou dietou.	15/02/2007	Orphan Europe S.a.r.l.

DACOGEN	Decitabinum	Léčba dospělých pacientů od 65 let věku s nově diagnostikovanou de novo nebo sekundární akutní myeloidní leukemií (AML) podle klasifikace WHO, kteří nemohou podstoupit standardní indukční chemoterapii.	20/09/2012	Janssen-Cilag International N V
DEFITELIO	Defibrotidum	Léčba závažného venookluzivního onemocnění jater (VOD) , rovněž známého jako syndrom obstrukce sinusoid (SOS), při transplantační terapii hematopoetickými kmenovými buňkami (HSCT). Je indikován u dospělých a u dospívajících, dětí a kojenců starších 1 měsíce.	18/10/2013	Gentium S.p.a.
DIACOMIT	Stiripentolum	V kombinaci s klobazamem a valproátem jako přídatná léčba refrakterních generalizovaných tonicko-klonických záchvatů u pacientů se závažnou myoklonickou epilepsií v časném dětském věku (SMEI, syndrom Dravetové), u nichž záchvaty nejsou dostatečně kontrolovány při léčbě klobazamem a valproátem.	04/01/2007	Biocodex
ELAPRASE	Idursulfasum	Dlouhodobá léčba pacientů s Hunterovým syndromem (Mukopolysacharidóza II, MPS II).	08/01/2007	Shire Human Genetic Therapies AB
ESBRIET	Pirfenidonum	Léčba mírné až středně závažné idiopatické plicní fibrózy (IPF) u dospělých.	28/02/2011	InterMune UK Ltd.
EVOLTRA	Clofarabinum	Léčba akutní lymfoblastické leukémie (ALL) u pediatrických pacientů, relabující či refrakterní po minimálně dvou předchozích léčebných režimech, kde se nepředpokládá přetrvávající odpověď na žádnou jinou léčbu. Bezpečnost a účinnost byly posuzovány ve studiích u pacientů ≤ 21 let při počáteční diagnóze.	29/05/2006	Genzyme Europe B.V.
EXJADE	Deferasiroxum	<p>► Léčba chronického přetížení (nadměrné zátěže) organismu železem způsobeného transfuzemi krve (≥ 7 ml/kg/měsíc erytrocytární masy) u pacientů s beta-talasemií major ve věku 6 let a více.</p> <p>► Léčba chronického přetížení organismu železem způsobeného transfuzemi krve, kde je léčba deferoxaminem kontraindikována nebo nevhodná u následujících skupin pacientů:</p> <ul style="list-style-type: none"> - u pacientů s beta-talasemií major s chronickým přetížením železem způsobeným častými transfuzemi krve (≥ 7 ml/kg/měsíc erytrocytární masy) ve věku od 2 do 5 let, - u pacientů s beta-talasemií major s chronickým přetížením železem způsobeným málo častými transfuzemi krve (< 7 ml/kg/měsíc erytrocytární masy) ve věku od 2 let, - u pacientů s jinými typy anemií ve věku od 2 let. 	28/08/2006	Novartis Europharm Ltd
FIRAZYR	Icatibanti acetat	Symptomatická léčba akutních atak dědičného angioedému (HAE) u dospělých pacientů (s deficitem inhibitoru C1-esterázy).	11/07/2008	Shire Orphan Therapies GmbH
FIRDAPSE	Amifampridinum	Symptomatická léčba Lambert-Eatonova myastenického syndromu (LEMS) u dospělých.	23/12/2009	Biomarin Europe Ltd
GLIOLAN	Acidum amino-levulinicum	Vizualizace maligní tkáně během operace maligního gliomu (stupně III a IV podle klasifikace WHO) u dospělých pacientů.	07/09/2007	Medac GmbH

GLYBERA	Alipogenum tiparvecum	Pro dospělé pacienty s diagnózou familiárního deficitu lipoproteinové lipázy (LPLD) a s výskytem závažné pankreatitidy nebo mnohočetných epizod pankreatitidy navzdory omezení příjmu tuků v potravě. Diagnóza LPLD musí být potvrzena genetickým vyšetřením. Tato indikace je omezena na pacienty s měřitelnými hladinami proteinu LPL	29/10/2012	uniQure biopharma B.V.
ICLUSIG	Ponatinibum	Iclusig je indikován u dospělých pacientů s následujícími stavy: ► chronická fáze, akcelerovaná fáze nebo blastická fáze chronické myeloidní leukemie (CML) při rezistenci k dasatinibu nebo nilotinibu; intoleranci dasatinibu nebo nilotinibu a u pacientů, u nichž není z klinického hlediska vhodná následná léčba imatinibem; nebo kteří jsou nositeli mutace T315I ► akutní lymfoblastická leukemie s pozitivním Philadelphia chromozomem (Ph+ ALL) při rezistenci k dasatinibu; intoleranci dasatinibu a u pacientů, u nichž není z klinického hlediska vhodná následná léčba imatinibem; nebo kteří jsou nositeli mutace T315I.	01/07/2013	ARIAD Pharma Ltd
IMNOVID (ex POMALIDO- MIDE CELGENE)	Pomalidomidum	V kombinaci s dexamethasonem indikován k léčbě dospělých pacientů s relabovaným a refrakterním mnohočetným myelomem , kteří absolvovali alespoň dvě předchozí léčebná schémata, zahrnující jak lenalidomid, tak i bortezomib, a při poslední terapii vykazovali progresi onemocnění.	05/08/2013	Celgene Europe Limited
INCRELEX	Mecaserminum	K dlouhodobé léčbě růstových poruch dětí a dospívajících od 2 do 18 let se závažnou primární deficiencí inzulínu podobného růstového faktoru 1 (primární IGFD).	03/08/2007	Ipsen Pharma
INOVELON	Rufinamidum	Přidatná léčba při léčení záchvatů spojených s Lennox-Gastautovým syndromem u pacientů ve věku 4 let a starších.	16/01/2007	Eisai Ltd
JAKAVI	Ruxolitibum	Léčba dospělých pacientů se splenomegalií nebo s příznaky přidruženými k primární myelofibróze (chronické idiopatické myelofibróze), postpolycytemické myelofibróze nebo myelofibróze po esenciální trombocytemii .	23/08/2012	Novartis Europharm Ltd
KALYDECO	Ivacaftorum	Léčba cystické fibrózy (CF) u pacientů od 6 let věku, kteří mají v genu <i>CFTR</i> mutaci <i>G551D</i> .	23/07/2012	Vertex Pharmaceuticals (U.K.) Limited
KUVAN	Sapropterini dihydrochloridum	► Léčba hyperfenylalaninémie (HPA) u dospělých a dětí od 4 let věku s fenylketonurií (PKU) , u kterých byla prokázána odpověď na tuto léčbu. ► Léčba hyperfenylalaninémie (HPA) u dospělých a dětí s deficitem tetrahydrobiopterinu (BH4) , u kterých byla prokázána odpověď na tuto léčbu.	02/12/2008	Merck Serono Europe Ltd
LITAK	Cladribinum	Léčba trichocelulární leukémie .	14/04/2004	Lipomed GmbH
LYSODREN	Mitotatumum	Symptomatická léčba pokročilého (operativně neodstranitelného, metastazujícího nebo recidivujícího) karcinomu kůry nadledvin .	28/04/2004	Laboratoire HRA Pharma
MEPACT	Mifamurtidum	U dětí, mladistvých a mladých dospělých pro léčbu resekovatelného osteosarkomu vysokého stupně bez metastáz po makroskopicky kompletní chirurgické resekci. Používá se v kombinaci s pooperační chemoterapií sestávající z více léčiv.	06/03/2009	IDM Pharma SAS

MOZOBIL	Plerixaforum	V kombinaci s G-CSF je určen ke zlepšení mobilizace hematopoetických kmenových buněk do periferní krve pro odběr a následnou autologní transplantaci u pacientů s lymfomem a mnohočetným myelomem , jejichž buňky mobilizují nedostatečně.	31/07/2009	Genzyme Europe B.V.
MYOZYME	Alglucosidasum alfa	Dlouhodobá enzymatická substituční léčba u pacientů s potvrzenou diagnózou Pompeho nemoci (nedostatek kyselého α -glukosidázy).	29/03/2006	Genzyme Europe B.V.
NAGLAZYME	Galsulfasum	Dlouhodobá substituční terapie enzymu u pacientů s potvrzenou diagnózou Mukopolysacharidózy VI (MPS VI; deficit N-acetylgalaktosamin-4 sulfatázy; Maroteaux-Lamyho syndrom)	24/01/2006	BioMarin Europe Ltd
NEXAVAR	Sorafenibi tosylas	► Léčba hepatocelulárního karcinomu . ► Léčba pacientů s pokročilým zhoubným nádorem ledvin , u nichž předchozí léčba založená na interferonu-alfa nebo interleukinu-2 nebyla úspěšná nebo je pro ně nevhodná.	19/07/2006	Bayer Pharma AG
NEXOBRID	Koncentrát proteolytických enzymů obohacených bromelainem	Odstranění eschary (popáleninového příškvaru) u dospělých s termickými popáleninami stupně IIb (deep partial-thickness burn) a III (full-thickness burn).	18/12/2012	Mediowound Germany GmbH
NPLATE	Romiplostimum	Pro dospělé pacienty s chronickou formou imunitní (idiopatické) trombocytopenické purpury (ITP) po prodělané splenektomii, kteří jsou refrakterní k jiným způsobům léčby (jako např. kortikosteroidy, imunoglobuliny).	04/02/2009	Amgen Europe B.V.
ORFADIN	Nitisinonum	Léčba pacientů s potvrzenou diagnózou dědičné tyrosinemie typu 1 (HT-1) kombinované s dietním omezením tyrosinu a fenylalaninu.	21/02/2005	Swedish Orphan Biovitrum International AB
ORPHACOL	Acidum cholicum	K léčbě vrozené poruchy syntézy primárních žlučových kyselin způsobené nedostatkem 3β-hydroxy-Δ^5-C₂₇-steroid oxidoreduktázy nebo nedostatkem Δ^4-3-oxosteroid-5β-reduktázy u kojenců, dětí a dospívajících ve věku od 1 měsíce do 18 let a dospělých.	12/09/2013	Laboratoires CTRS
PEDEA	Ibuprofenum	Léčba hemodynamicky významného otevřeného ductus arteriosus u předčasně narozených dětí mladších než 34 týdnů gestačního věku.	29/07/2004	Orphan Europe S.a.r.l.
PEYONA	Coffeini citras	Léčení primární apnoe nedonošených novorozenců.	02/07/2009	Chiesi Farmaceutici SpA
PLENADREN	Hydrocortizonum	Léčba adrenální insuficience u dospělých.	03/11/2011	ViroPharma SPRL
PRIALT	Ziconotidum	K léčbě silné, chronické bolesti u dospělých, kteří vyžadují intratekální (IT) analgezie .	21/02/2005	Eisai Ltd
PROCYSBI	Mercaptamini bitartras	K léčbě prokázané nefropatické cystinózy . Merkaptamin snižuje akumulaci cystinu v některých buňkách (např. v leukocytech, svalových a jaterních buňkách) u pacientů s nefropatickou cystinózou. Pokud je léčba zahájena včas, merkaptamin oddálí rozvoj selhání ledvin.	06/09/2013	Raptor Pharmaceuticals Europe B.V.

REVATIO	Sildenafilum citras	<p>► Léčba dospělých pacientů trpících plicní arteriální hypertenzí třídy II a III podle klasifikace WHO, s cílem zlepšit fyzickou zdatnost. Byla prokázána účinnost v léčbě primární plicní hypertenze a plicní hypertenze při onemocnění pojivových tkání.</p> <p>► Léčba pediatrických pacientů ve věku 1-17 let s plicní arteriální hypertenzí. Účinnost ve smyslu zlepšení fyzické zdatnosti nebo plicní hemodynamiky byla prokázána u primární plicní hypertenze a plicní hypertenze při vrozené srdeční vadě.</p>	28/10/2005	Pfizer Ltd
REVESTIVE	Teduglutidum	Léčba dospělých pacientů se syndromem krátkého střeva . Stav pacientů by měl být po uplynutí období pooperační adaptace střeva stabilní.	30/08/2012	Nycomed Danmark ApS
REVLIMID	Lenalidomidum	<p>► Léčba dospělých pacientů s mnohočetným myelomem, kteří absolvovali alespoň jednu předchozí terapii.</p> <p>► Léčba pacientů s anémií závislou na transfuzi, která vznikla v důsledku myelodysplastických syndromů s nízkým rizikem nebo středním rizikem I. stupně, spojených s cytogenetickou abnormalitou izolované delece 5q v případech, kdy jsou ostatní léčebné možnosti nedostatečné nebo neadekvátní.</p>	14/06/2007	Celgene Europe Ltd
SAVENE	Dexrazoxanum	Léčba antracyklinové extravazace u dospělých pacientů.	28/07/2006	SpePharm Holding B.V.
SIGNIFOR	Pasireotidum	Léčba dospělých pacientů s Cushingovou chorobou , u nichž není vhodná operace nebo u nichž operace nebyla úspěšná.	24/04/2012	Novartis Europharm Ltd
SIKLOS	Hydroxycarbamidum	Prevence rekurentních bolestivých vazookluzivních krizí včetně akutního hrudního syndromu u dospělých pacientů, dospívajících a dětí starších 2 let, kteří trpí symptomatickým syndromem srpkovitých buněk .	29/06/2007	Addmedica
SOLIRIS	Eculizumabum	<p>Léčba dospělých a dětských pacientů s</p> <p>► paroxysmální noční hemoglobinurií (PNH). Důkazy o klinické prospěšnosti přípravku Soliris při léčbě pacientů s PNH se týkají pouze těch pacientů, kteří mají v anamnéze příjem transfuzí.</p> <p>► atypickým hemolyticko-uremickým syndromem (aHUS).</p>	20/06/2007	Alexion Europe SAS
SPRYCEL	Dasatinibum	<p>Léčba dospělých pacientů s:</p> <p>► nově diagnostikovanou Philadelphia chromozom pozitivní (Ph+) chronickou myelogenní leukémií (CML) v chronické fázi.</p> <p>► chronickou, akcelеровanou nebo blastickou fází CML s rezistencí či intolerancí k předchozí léčbě včetně imatinibu- mesylátu.</p> <p>► Ph+ akutní lymfoblastickou leukémií (ALL) a s lymfoidní blastickou CML s rezistencí či intolerancí k předchozí léčbě.</p>	20/11/2006	Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG
TASIGNA	Nilotinibum	Léčba dospělých pacientů s nově diagnostikovanou chronickou myeloidní leukémií s přítomností philadelphského chromozomu (Ph chromozom), v chronické fázi.	19/11/2007	Novartis Europharm Ltd

TEPADINA	Thiotepum	V kombinaci s dalšími chemoterapeutickými léčivými přípravky: 1) spolu s celotělovým ozařováním (TBI) nebo bez něho jako příprava před alogenní nebo autologní transplantací hematopoetických progenitorových buněk (HPCT) u hematologických onemocnění u dospělých a dětských pacientů; 2) v případě, kdy je vysoká dávka chemoterapie podporovaná HPCT (transplantací hematopoetických progenitorových buněk) vhodná k léčbě solidních nádorů u dospělých a dětských pacientů.	15/03/2010	Adienne S.r.l.
THALIDOMIDE CELGENE	Thalidomidum	V kombinaci s melfalanem a prednisonem jako léčba první volby pacientů ve věku ≥ 65 let s neléčeným mnohočetným myelomem nebo pacientů neschopných podstoupit vysokodávkovou chemoterapii.	16/04/2008	Celgene Europe Ltd
TOBI PODHALER	Tobramycinum	Léčba chronických plicních infekcí vyvolaných <i>Pseudomonas aeruginosa</i> při cystické fibróze u dospělých a dětí ve věku 6 let a starších.	20/07/2011	Novartis Europharm Limited
TORISEL	Temsirolimusum	► Léčba první volby k léčení dospělých pacientů s pokročilým renálním karcinomem (RCC), kteří mají alespoň 3 ze šesti prognosticky závažných rizikových faktorů. ► Léčba dospělých pacientů s lymfomem z plášťových buněk (MCL), u kterých došlo k relapsu onemocnění a/nebo kteří jsou refrakterní na léčbu.	19/11/2007	Pfizer Limited
TRACLEER	Bosentanum	► Léčba plicní arteriální hypertenze (PAH) pro zlepšení zátěžové kapacity a symptomů u pacientů funkční klasifikace III WHO. Účinnost byla prokázána u: • primární (idiopatická a dědičná) PAH • PAH sekundární při sklerodermii bez signifikantního intersticiálního plicního onemocnění • PAH sdružené s vrozeným levo-pravým zkratem a Eisenmengerovým syndromem Bylo prokázáno jisté zlepšení u nemocných s PAH funkční klasifikace II WHO. (pro tuto indikaci bylo označení OMP odebráno po 10 letech) ► Snížení počtu nových vředů na prstech u pacientů se systémovou sklerózou a pokračující vředovou chorobou prstů.	15/05/2002	Actelion Registration Ltd
VIDAZA	Azacitidinum	Léčba dospělých pacientů, kteří nejsou způsobilí pro transplantaci hematopoetických kmenových buněk, s: • myelodysplastickými syndromy (MDS) intermediárního rizika 2. stupně a vysokého rizika podle Mezinárodního prognostického skórovacího systému (<i>International Prognostic Scoring System</i> , IPSS), • chronickou myelomonocytoovou leukémií (CMML) s 10-29 % blastů v kostní dřeni bez myeloproliferativního onemocnění), • akutní myeloidní leukémií (AML) s 20-30 % blastů a dysplazií ve více buněčných liniích, podle klasifikace WHO.	17/12/2008	Celgene Europe Ltd

VOLIBRIS	Ambrisentanum	Léčba dospělých pacientů s plicní arteriální hypertenzí (PAH) II. a III. Funkční třídy dle klasifikace WHO ke zlepšení zátěžové kapacity. Účinnost byla prokázána u idiopatické PAH (IPAH) a PAH spojené s onemocněním pojivové tkáně.	21/04/2008	Glaxo Group Ltd
VOTUBIA	Everolimus	► Léčba dospělých pacientů s renálním angiomyolipomem spojeným s komplexem tuberózní sklerózy (TSC), u nichž hrozí riziko komplikací (na základě faktorů, jako je velikost tumoru nebo výskyt aneurysmat nebo výskyt vícečetných nebo bilaterálních tumorů), ale kteří nevyžadují bezprostřední chirurgický zákrok. Důkaz účinnosti je založen na vyhodnocení změny celkového objemu angiomyolipomu. ► Léčba pacientů ve věku 3 let a starších se subependymálním obrovskobuněčným astrocytomem (SEGA) spojeným s komplexem tuberózní sklerózy (TSC), kteří vyžadují terapeutický zásah, ale nejsou vhodní k chirurgickému zákroku. Důkaz účinnosti je založený na analýze změny objemu SEGA. Další klinický benefit, jako je zlepšení příznaků spojených s onemocněním, nebyl prokázán.	02/09/2011	Novartis Europharm Ltd
VPRIV	Velaglucerasum alfa	Dlouhodobá enzymová substituční terapie u pacientů s Gaucherovou chorobou typu 1 .	26/08/2010	Shire Pharmaceuticals Ireland Ltd
VYNDAQEL	Tafamidisum	Léčba amyloidózy z depozice transthyretinu u dospělých pacientů se symptomatickou polyneuropatií 1. stupně za účelem oddálení neurologického postižení.	16/11/2011	Pfizer Ltd
WILZIN	Zinci acetat dihydricus	Léčba Wilsonovy choroby .	13/10/2004	Orphan Europe S.a.r.l
XAGRID	Anagrelidum	Snížení zvýšeného počtu trombocytů u rizikových pacientů s esenciální trombocytémií (ET), u nichž došlo k intoleranci stávající léčby nebo tato léčba nesnížila zvýšený počet trombocytů na přijatelnou úroveň. Rizikový pacient s esenciální trombocytémií je definován jako pacient, který splňuje jedno nebo několik z následujících kritérií: • věk nad 60 let nebo • počet trombocytů > 1000 x 10 ⁹ /l nebo • anamnéza trombohemoragických příhod.	16/11/2004	Shire Pharmaceutical Contracts Ltd
XALUPRINE	Mercaptopurinum	Léčba akutní lymfoblastické leukemie (ALL) u dospělých, dospívajících a dětí.	09/03/2012	Nova Laboratories Ltd
YONDELIS	Trabectedinum	► Léčba dospělých pacientů s pokročilým sarkomem měkkých tkání poté, co léčba antracykliny a ifosfamidem selhala, nebo pacientů, u nichž léčba těmito přípravky není vhodná. Údaje o účinnosti jsou založeny převážně na léčbě pacientů s liposarkomem a leiomyosarkomem . ► V kombinaci s pegylovaným liposomálním doxorubicinem (PLD) je indikován k léčbě pacientek s relabujícím ovariálním karcinomem citlivým na platinu.	17/09/2007	Pharma Mar S.A.

ZAVESCA	Miglustatum	<p>► Perorální léčba dospělých pacientů s mírnou až střední formou Gaucherovy choroby typu 1. Přípravek Zavesca může být použit pouze k terapii pacientů, pro které není vhodná enzymatická substituční terapie. (pro tuto indikaci bylo označení OMP odebráno po 10 letech)</p> <p>► Léčba progredujících neurologických projevů u dospělých a dětských pacientů s Niemannovou-Pickovou chorobou typu C.</p>	20/11/2002	Actelion Registration Ltd
---------	-------------	---	------------	---------------------------------

Příloha 1: Orphan Drugs, které byly odebrány z registru OMP

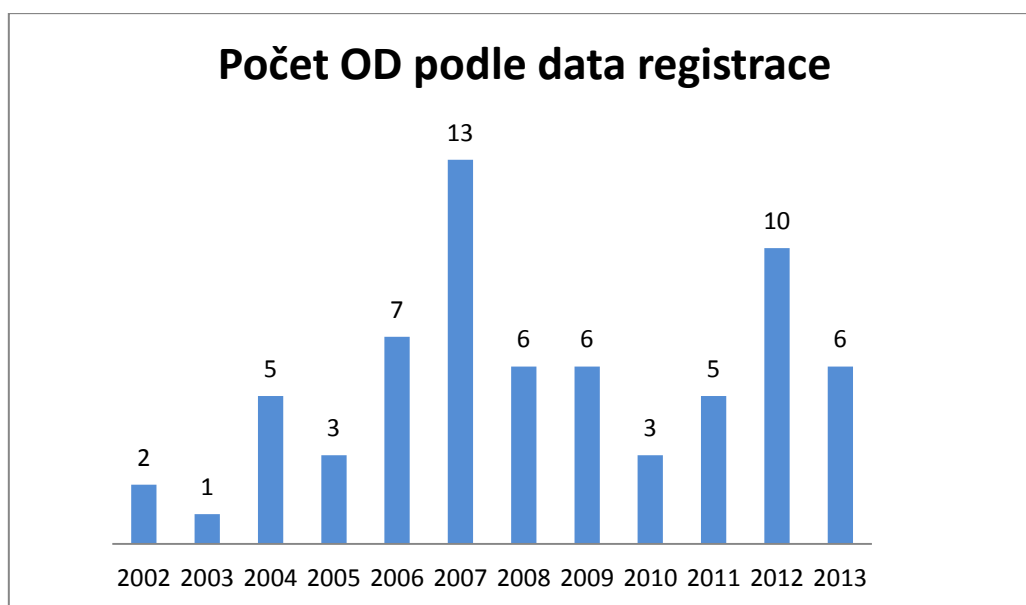
Název	Účinná látka	Schválená indikace
AFINITOR	Everolimus	LP byl označen jako OMP 5. června 2007. Na žádost držitele rozhodnutí o registraci byl LP odebrán z registru OMP.
ALDURAZYME	Laronidasum	LP byl označen jako OMP 14. února 2001. LP byl odebrán z registru OMP v červnu 2013 na konci období výhradního práva na trhu.
BUSILVEX	Busulfanum	LP byl označen jako OMP 21. prosince 2001. LP byl odebrán z registru OMP v říjnu 2013 na konci období výhradního práva na trhu.
FABRAZYME	Agalsidasum beta	LP byl označen jako OMP 8. srpna 2000. LP byl odebrán z registru OMP v srpnu 2011 na konci období výhradního práva na trhu.
GLIVEC	Imatinibi mesilas	LP byl označen jako OMP v následujících případech: - léčba chronické myeloidní leukémie (14/02/2001) - léčba maligních stromálních nádorů zažívacího traktu (20/11/2001) - léčba dermatofibrosarkomu protuberans (26/08/2005) - léčba akutní lymfatické leukemie (26/08/2005) - léčba syndromu pokročilé hypereozinofilie a/nebo chronické eozinofilní leukemie (28/10/2005) - léčba myelodysplastických /myeloproliferativních onemocnění (23/12/2005) Na žádost držitele rozhodnutí o registraci byl LP odebrán z registru OMP.
ILARIS	Canakinumabum	LP byl označen jako OMP 20. března 2007. Na žádost držitele rozhodnutí o registraci byl LP odebrán z registru OMP.
NOVO-THIRTEEN	Catridecacogum	LP byl označen jako OMP 12. prosince 2003. Na žádost držitele rozhodnutí o registraci byl LP odebrán z registru OMP.
REPLAGAL	Agalsidáza alfa	LP byl označen jako OMP 8. srpna 2000. LP byl odebrán z registru OMP v srpnu 2011 na konci období výhradního práva na trhu.
REVOLADE	Eltrombopagum olaminum	LP byl označen jako OMP 3. srpna 2007. Na žádost držitele rozhodnutí o registraci byl LP odebrán z registru OMP.
SOMAVERT	Pegvisomantum	LP byl označen jako OMP 14. února 2001. LP byl odebrán z registru OMP v listopadu 2012 na konci období výhradního práva na trhu.
SUTENT	Sunitinibum	LP byl označen jako OMP 10. března 2005. Na žádost držitele rozhodnutí o registraci byl LP odebrán z registru OMP.
TRISENOX	Arseni trioxidum	LP byl označen jako OMP 18. října 2000. LP byl odebrán z registru OMP v březnu 2012 na konci období výhradního práva na trhu.
VENTAVIS	Iloprostum	LP byl označen jako OMP 29. prosinec 2000. LP byl odebrán z registru OMP v září 2013 na konci období výhradního práva na trhu.
XYREM	Natrii oxybutyras	LP byl označen jako OMP 3. února 2003. Na žádost držitele rozhodnutí o registraci byl LP odebrán z registru OMP.

Příloha 2: Orphan Drugs, kterým byla odebrána registrace

Název	Účinná látka	Schválená indikace	Datum registrace/ Držitel registrace	Datum odebrání registrace
ONSENAL	Celecoxibum	Snížení počtu adenomatózních střevních polypů u familiární adenomatózní polypózy (FAP) , přídatná léčba k operaci a dalšímu endoskopickému sledování.	17/10/2003 Pfizer Ltd	24/03/2011
PHOTOBARR	Porfimerum natricum	S fotodynamickou terapií (PDT) k ablaci dysplazie těžkého stupně u pacientů s Barrettovým jícnem (BJ) .	25/03/2004 Pinnacle Biologics B.V.	20/04/2012
RILONACEPT REGENERON (ex-ARCALYST)	Rilonaceptum	Léčba periodických syndromů asociovaných s kryopyrinem (CAPS) se závažnými symptomy, včetně familiárního chladem indukovaného autozánětlivého syndromu (FCAS) a Muckle-Wellsova syndromu (MWS), u dospělých osob a dětí ve věku 12 let a starších.	23/10/2009 Regeneron UK Limited	24/10/2012
THELIN	Sitaxentan sodný	Léčba pacientů s plicní arteriální hypertenzí (PAH) , klasifikovanou jako funkční třída III dle WHO, za účelem zlepšení námahové kapacity. Účinnost byla prokázána u primární plicní hypertenze a u plicní hypertenze spojené s onemocněním pojivové tkáně.	10/08/2006 Pfizer Ltd	06/01/2011

Klasifikace podle data registrace

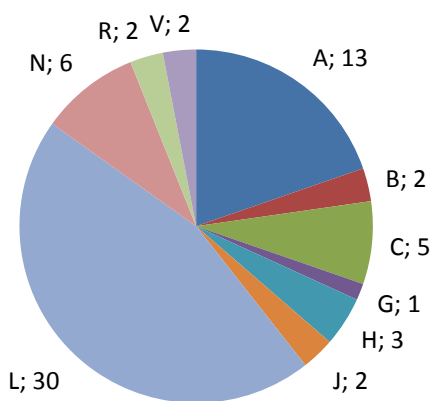
2013	PLENADREN	VIDAZA	NAGLAZYME
BOSULIF	TOBI PODHALER	VOLIBRIS	NEXAVAR
DEFITELIO	VOTUBIA	2007	SAVENE
ICLUSIG	VYNDAQEL	ATRIANCE	SPRYCEL
IMNOVID	2010	CYSTADANE	2005
ORPHACOL	ARZERRA	DIACOMIT	ORFADIN
PROCYSBI	TEPADINA	ELAPRASE	PRIALT
2012	VPRIV	GLIOLAN	REVATIO
ADCETRIS	2009	INCRELEX	2004
BRONCHITOL	CAYSTON	INOVELON	LITAK
DACOGEN	FIRDAPSE	REVLIMID	LYSODREN
GLYBERA	MEPACT	SIKLOS	PEDEA
JAKAVI	MOZOBIL	SOLIRIS	WILZIN
KALYDECO	NPLATE	TASIGNA	XAGRID
NEXOBRID	PEYONA	TORISEL	2003
REVESTIVE	2008	YONDELIS	CARBAGLU
SIGNIFOR	CEPLENE	2006	2002
XALUPRINE	FIRAZYR	EVOLTRA	TRACLEER
2011	KUVAN	EXJADE	ZAVESCA
ESBRIET	THALIDOMIDE CEL.	MYOZYME	



Klasifikace podle ATC skupiny

A- TRÁVICÍ TRAKT A METABOLISMUS	TRACLEER	EVOLTRA	XALUPRINE
	VOLIBRIS	GLIOLAN	YONDELIS
CARBAGLU	G- UROGENITÁLNÍ SYSTÉM, POHLAVNÍ HORMONY	ICLUSIG	N- NERVOVÝ SYSTÉM
CYSTADANE		IMNOVID	
ELAPRASE	REVATIO	JAKAVI	DIACOMIT
KUVAN	H- HORMONY	LITAK	FIRDAPSE (ex-ZENAS)
MYOZYME	INCRELEX	LYSODREN	
NAGLAZYME	PLENADREN	MEPACT	INOVELON
ORFADIN	SIGNIFOR	MOZOBIL	PEYONA (ex-NYMUSA)
ORPHACOL	J- ANTIINFEKČNÍ LÁTKY	NEXAVAR	
PROCYSBI		REVLIMID	PRIALT
REVESTIVE	CAYSTON	SIKLOS	VYNDAQEL
VPRIV	TOBI PODHALER	SOLIRIS	R- RESPIRAČNÍ SYSTÉM
WILZIN	L- ANTINEOPLASTIKA, IMUNOMODULAČNÍ LÁTKY	SPRYCEL	
ZAVESCA		TASIGNA	BRONCHITOL
B- KREV A KRVETVORBA		TEPADINA	KALYDECO
		ADCETRIS	THALIDOMIDE
NPLATE	ARZERRA	CELGENE	EXJADE
DEFITELIO	ATRIANCE	TORISEL	SAVENE
C- KVS SYSTÉM	BOSULIF	VIDAZA	BEZ ATC SKUPINY
FIRAZYR	CEPLENE	VOTUBIA	NEXOBRID
GLYBERA	DACOGEN	XAGRID	
PEDEA	ESBRIET		

Počet OD podle ATC kategorie



Klasifikace podle držitele registrace

ACTELION REGISTRATION LTD	ESAI LTD	MEDA AB	PHARMA MAR S.A.	
	INOVELON	CEPLENE	YONDELIS	
TRACLEER	PRIALT	MEDAC GMBH	PHARMAXIS PHARMACEUTICALS LTD	
ZAVESCA	GENTIUM SPA	GLIOLAN		
ADDMEDICA	DEFITELIO	MEDIWOUND GERMANY GMBH	BRONCHITOL	
SIKLOS	GENZYME EUROPE B.V.		NEXOBRID	RAPTOR PHARMACEUTICALS EUROPE B.V.
ADIENNE SRL				
TEPADINA	EVOLTRA	MERCK SERONO EUROPE LTD	PROCYSBI	
ALEXION EUROPE SAS	MOZOBIL		ELAPRASE	
		MYOZYME	KUVAN	SHIRE ORPHAN THERAPIES GMBH
SOLIRIS	GILEAD SCIENCES INTERNATIONAL LTD	NOVA LABORATORIES LTD		
AMGEN EUROPE B.V.			FIRAZYR	
NPLATE	CAYSTON	XALUPRINE	XAGRID	
ARIAD PHARMA LTD	GLAXO GROUP LTD	NOVARTIS EUROPHARM LTD	SHIRE PHARMACEUTICALS IRELAND LTD	
ICLUSIG	ARZERRA			
BAYER PHARMA AG	ATRIANCE	EXJADE	VPRIV	
NEXAVAR	VOLIBRIS	JAKAVI	SPEPHARM HOLDING BV	
BIOCODEX	IDM PHARMA SAS	SIGNIFOR		
DIACOMIT	MEPACT	TASIGNA	SAVENE	
BIOMARIN EUROPE LTD	INTERMUNE UK LTD	TOBI PODHALER	SWEDISH ORPHAN BIOVI TRUM INTERNATIONAL AB	
FIRDAPSE	ESBRIET	VOTUBIA		
NAGLAZYME	IPSEN PHARMA	NYCOMED DANMARK APS	ORFADIN	
BRISTOL MYERS SQUIBB EEIG			INCRELEX	TAKEDA GLOBAL RESEARCH AND DEVELOPMENT CENTRE (EUROPE) LTD
SPRYCEL	JANSSEN-CILAG INTERNATIONAL NV	ORPHAN EUROPE S.A.R.L		
CELGENE EUROPE LTD	DACOGEN	CARBAGLU	ADCETRIS	
IMNOVID	LABORATOIRES CTRS	CYSTADANE	UNIQUE BIOPHARMA B.V.	
REVLIMID		PEDEA		GLYBERA
THALIDOMIDE CELGENE	ORPHACOL	WILZIN	VERTEX PHARMACEUTICALS (U.K.) LTD	
	LABORATOIRE HRA PHARMA	PFIZER LTD		
VIDAZA		BOSULIF		
CHIESI FARMACEUTICI SPA	LYSODREN	REVATIO	KALYDECO	
	LIPOMED GMBH	TORISEL	VIROPHARMA SPRL	
PEYONA	LITAK	VYNDAQEL	PLENADREN	

2. ČÁST: LÉČIVÉ PŘÍPRAVKY REGISTROVANÉ PRO LÉČBU VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ BEZ OZNAČENÍ OMP

Metodologie

Tato část dokumentu obsahuje seznam všech LP, které jsou v Evropě registrovány centralizovanou procedurou i pro léčbu jedno nebo více vzácných onemocnění a které nemají označení OMP nebo jim bylo odebráno. Tyto LP mohou mít toto označení v jiných částech světa.

První tabulka představuje klasifikaci podle obchodního názvu a dále obsahuje název léčivé látky, schválenou indikaci, datum a držitele registrace. Další přehledy uvádějí klasifikaci podle data registrace, ATC kategorie a držitele registrace.

Další informace jsou k dispozici na stránkách Orphanet (www.orpha.net), Státního ústavu pro kontrolu léčiv (<http://www.sukl.cz/modules/medication/search.php>) a Evropské lékové agentury (<http://www.ema.europa.eu>).

Klasifikace podle názvu

Název	Účinná látka	Schválená indikace	Datum registrace	Držitel registrace
ADCIRCA	Tadalafilum	U dospělých k léčbě plicní arteriální hypertenze (PAH) třídy II a III dle funkční klasifikace WHO, pro zlepšení zátěžové kapacity. Účinnost byla prokázána u idiopatické PAH (IPAH) i PAH spojené se systémovou vaskulární kolagenózou.	01/10/2008	Eli Lilly Nederland B.V.
ADVATE	Octocogum alfa	Léčba a profylaxe krvácení u pacientů s hemofilií A (vrožený nedostatek faktoru VIII). Neobsahuje von Willebrandův faktor ve farmakologicky účinném množství, a proto není indikován při von Willebrandově chorobě.	02/03/2004	Baxter AG
AFINITOR	Everolimusum	► Léčba neresekovatelných nebo metastazujících, dobře nebo středně diferencovaných pankreatických neuroendokrinních tumorů u dospělých pacientů s progresí onemocnění. ► Léčba pacientů s pokročilým renálním karcinomem , u kterých došlo k progresí onemocnění během VEGF-cílené terapie nebo po ní.	03/08/2009	Novartis Europharm Ltd
ALDURAZYME	Laronidasum	K dlouhodobé substituční enzymové terapii pacientů s potvrzenou diagnózou mukopolysacharidosy I (MPS I; deficiencie α -L-iduronidázy) k léčbě non-neurologických manifestací choroby.	10/06/2003	Genzyme Europe B.V.
ALIMTA	Pemetrexedum	V kombinaci s cisplatinou indikován k léčbě pacientů bez předchozí chemoterapie s neresekovatelným maligním mezoteliomem pleury .	20/09/2004	Eli Lilly Nederland B.V.
AMMONAPS	Natrii phenylbutyras	Pomocná léčba v průběhu chronické terapie poruch metabolismu močoviny , zahrnujících deficit karbamoylfosfátsyntetázy, ornitin-karbamoyltransferázy nebo argininosukcinát-syntetázy. Je indikován u všech pacientů s <i>časnou/neonatální formou</i> tohoto onemocnění (kompletní deficit enzymu, objevující se v průběhu prvních 28 dnů života). Je také indikován u pacientů s <i>pozdní formou</i> tohoto onemocnění (částečný deficit enzymu, který se objevuje po prvním měsíci života), kteří mají v anamnéze hyperamonemickou encefalopatii.	08/12/1999	Swedish Orphan Biovitrum International AB
ATRYN	Antitrombin alfa	K profylaxi žilního tromboembolismu při operaci dospělých pacientů s vrozeným deficitem antitrombinu . Normálně se podává ve spojení s heparinem nebo heparinem o nízké molekulové hmotnosti.	28/07/2006	GTC Biotherapeutics UK Limited
AVASTIN	Bevacizumabum	► V kombinaci s interferonem alfa-2a je indikován k první linii léčby dospělých pacientů s pokročilým a/nebo metastazujícím karcinomem ledviny . ► Bevacizumab v kombinaci s karboplatinou a paklitaxelem je indikován k úvodní léčbě dospělých pacientů s pokročilým (stádia III B, III C a IV dle klasifikace Mezinárodní federace gynekologie a porodnictví [International Federation of Gynecology and Obstetrics – FIGO]) epitelovým nádorem vaječníků, vejcovodů nebo primárním nádorem	12/01/2005	Roche Registration Limited

		pobříšnice. ▶ v kombinaci s karboplatinou a gemcitabinem je indikován k léčbě dospělých pacientů s první rekurencí epitelového nádoru vaječníků, vejcovodů nebo primárního nádoru pobříšnice citlivého na platinu, kteří nebyli dosud léčeni bevacizumabem nebo jiným inhibítozem růstového faktoru cévního endotelu (VEGF) nebo receptoru VEGF.		
BENEFIX	Nonacogum alfa (rekombinantní koagulační faktor IX)	Léčba a profylaxe krvácení u pacientů s hemofilii typu B (vrozená deficeience faktoru IX).	27/08/1997	Pfizer Ltd
BIOGRASTIM	Filgrastimum	Dlouhodobé podávání je indikováno ke zvýšení počtu neutrofilů a snížení četnosti výskytu a délky trvání infekčních komplikací u dospělých pacientů nebo dětí s těžkou vrozenou (kongenitální), cyklickou nebo idiopatickou neutropenií , kteří mají ANC (absolutní počet neutrofilů) $\leq 0,5 \times 10^9/l$ a těžké nebo opakované infekce v anamnéze.	15/09/2008	CT Arzneimittel GmbH
BUCCOLAM	Midazolamum	Léčba dlouhotrvajících, akutních, konvulzivních záchvatů u kojenců, batolat, dětí a dospívajících (od 3 měsíců do < 18 let). Přípravek smí rodiče/pečovatelé používat pouze, pokud byla u pacienta diagnostikována epilepsie U kojenců mezi 3-6 měsíci věku by měla léčba probíhat v nemocničním prostředí, kde je možný monitoring a je dostupné resuscitační vybavení.	05/09/2011	ViroPharma SPRL
BUSILVEX	Busulfanum (i.v.)	Doprovázený cyklofosfamidem (BuCy2) je indikován jako podpůrná léčba před konvenční transplantací hematopoetických progenitorových buněk (HPCT) u dospělých pacientů, kde je tato kombinace považována za nejlepší možnou volbu. Doprovázený cyklofosfamidem (BuCy2) nebo Melfalanem (BuMel) je indikován jako podpůrná léčba před konvenční transplantací hematopoetických progenitorových buněk u dětské populace.	09/07/2003	Pierre Fabre Médicament
CAELYX	Doxorubicini hydrochloridum (v pegylované lipozomální lékové formě)	▶ K léčbě pokročilého ovariálního karcinomu u žen, u kterých chemoterapie přípravky na bázi platiny selhala jako léčba první volby. ▶ V kombinaci s bortezomibem k léčbě progredujícího mnohočetného myelomu u pacientů, kteří byli dříve už alespoň jednou léčeni a kteří již podstoupili transplantaci kostní dřeně nebo pro ni nejsou vhodní. ▶ Pro léčbu Kaposiho sarkomu (KS) sdruženého s AIDS u pacientů s nízkým počtem CD4 (< 200 CD4 lymfocytů/mm ³) a s rozsáhlým mukokutánním nebo viscerálním postižením.	21/06/1996	Janssen-Cilag International NV

CANCIDAS	Casposfunginum	Léčba invazivní aspergilózy u dospělých nebo pediatrických pacientů, kteří jsou refrakterní vůči amfotericinu B, lipidovým lékovým formám amfotericinu B a/nebo itakonazolu nebo nesnášejí uvedené látky. Refrakternita je definována jako progresse infekce nebo absence zlepšení po minimálně 7 dnech předcházejících terapeutických dávek účinné antimykotické terapie. Empirická terapie předpokládané mykotické infekce (jako jsou <i>Candida</i> nebo <i>Aspergillus</i>) u febrilních neutropenických dospělých nebo pediatrických pacientů.	24/10/2001	Merc Sharp & Dohme Ltd
CAPRELSA	Vandetanibum	K léčbě agresivního a symptomatického medulárního karcinomu štítné žlázy (MTC) u pacientů s neresekovatelným lokálně pokročilým nebo metastatickým onemocněním. U pacientů, u kterých není znám stav mutace RET (rearranged during transfection) nebo mutace není přítomna, je třeba počítat s možností menšího prospěchu z léčby předtím, než se učiní individuální léčebné rozhodnutí	17/02/2012	AstraZeneca AB
CEPROTIN	Proteinum C humanum	► Při purpura fulminans a při kumarinem indukované nekróze kůže u pacientů s těžkým vrozeným nedostatkem proteinu C . ► Ke krátkodobé profylaxi u pacientů se těžkým vrozeným nedostatkem proteinu C : pokud hrozí chirurgická či invazivní léčba, během zahájení léčby kumarinovými deriváty, samotná léčba kumarinovými deriváty není dostatečná nebo léčba kumarinovými deriváty není proveditelná.	16/07/2001	Baxter AG
CEREZYME	Imiglucerasum	K dlouhodobé substituční enzymové terapii pacientů s potvrzenou diagnózou non-neuronopatického typu (Typ 1) nebo chronického neuronopatického typu (Typ 3) Gaucherovy choroby , kteří trpí klinicky signifikantními neneurologickými projevy této nemoci: anémie po vyloučení dalších možných příčin, jako je nedostatek železa, trombocytopenie, kostní onemocnění po vyloučení dalších možných příčin, jako je nedostatek vitamínu D, hepatomegalie nebo splenomegalie.	17/11/1997	Genzyme Europe B.V.
CINRYZE	Antiesterasum-C1 (humanum)	► Léčba a prevence záchvatů angioedému před záchvatem u dospělých a dospívajících s hereditárním angioedémem (HAE) . ► Rutinní prevence záchvatů angioedému u dospělých a dospívajících se závažnými a rekurentními záchvaty hereditárního angioedému (HAE) , kteří netolerují perorální preventivní léčbu nebo je tato léčba dostatečně nechrání, anebo u pacientů, jejichž záchvaty jsou neadekvátně zvládnuty opakovanou akutní léčbou.	15/06/2011	ViroPharma SPRL
COLOBREATHE	Colistimethatum natricum	K léčbě chronických plicních infekcí způsobených <i>Pseudomonas aeruginosa</i> u pacientů s cystickou fibrózou (CF) ve věku 6 let a starších.	13/02/2012	Forest Laboratories UK Ltd
CYSTAGON	Mercaptamini bitartras	K léčbě prokázané nefropatické cystinózy . Merkaptamin snižuje akumulaci cystinu v některých buňkách (např. v leukocytech, svalových a jaterních buňkách) u pacientů s nefropatickou cystinózou. Pokud je léčba zahájena včas, merkaptamin oddálí rozvoj selhání ledvin.	23/06/1997	Orphan Europe S.A.R.L.

DEPOCYTE	Cytarabinum	Intratekální léčba lymfomatózní meningitidy . U většiny pacientů bývá léčba součástí symptomatické paliace choroby.	11/07/2001	Pacira Limited
DUKORAL	Vibrio cholerae a recombinantní cholera toxin B-podjednotka	K aktivní imunizaci dospělých a dětí od dvou let věku proti chorobě, jejímž původcem je Vibrio cholerae seroskupiny O1, kteří budou cestovat do endemických oblastí či do oblastí s probíhající epidemií.	28/04/2004	Crucell Sweden AB
ENBREL	Etanerceptum	► Léčba polyartritidy (pozitivní či negativní revmatoidní faktor) a rozvinuté oligoartritidy u dětí a dospívajících ve věku od 2 let, u nichž nebylo dosaženo adekvátní odpovědi na léčbu methotrexátem, nebo u nichž methotrexát nebyl tolerován. ► Léčba psoriatické artritidy u dospívajících ve věku od 12 let, u nichž nebylo dosaženo adekvátní odpovědi na léčbu methotrexátem, nebo u nichž methotrexát nebyl tolerován. ► Léčba artritidy spojené s entesitidou u dospívajících ve věku od 12 let, u nichž nebylo dosaženo adekvátní odpovědi na konvenční léčbu nebo u nichž konvenční léčba nebyla tolerována.	03/02/2000	Pfizer Ltd
ERBITUX	Cetuximabum	Léčba pacientů se spinocelulárním karcinomem hlavy a krku v kombinaci s radiační terapií k léčbě lokálně pokročilého onemocnění nebo v kombinaci s chemoterapií na bázi platiny k léčbě relabujícího a/nebo metastazujícího onemocnění.	29/06/2004	Merc KGaA
EURARTESIM	Piperaquini fosfas/ artemimolum	Léčba nekomplikované malárie způsobené parazitem Plasmodium falciparum u dospělých a dětí starších 6 měsíců a o tělesné hmotnosti 5 kg nebo více.	27/10/2011	Sigma-Tau Industrie Farmaceutiche Riunite S.p.A.
FABRAZYME	Agalsidasum beta	Dlouhodobou enzymatickou substituční léčbu u pacientů s potvrzenou diagnózou Fabryho choroby (nedostatek α -galaktosidázy A).	03/08/2001	Genzyme Europe B.V.
FERRIPROX	Deferipronum	Léčbě zvýšené zátěže železem u pacientů s thalassemia maior , u kterých je léčba deferoxaminem kontraindikovaná nebo nedostatečná.	25/08/1999	Apotex Europe B.V.
FILGRASTIM HEXAL	Filgrastimum	Léčba dětí a dospělých s těžkou kongenitální, cyklickou nebo idiopatickou neutropenií s absolutním počtem neutrofilů (ANC, absolute neutrophil count) $\leq 0,5 \times 10^9/l$, a s těžkými anebo opakovanými infekcemi v anamnéze.	06/02/2009	Hexal AG

<p>FLEBOGAMMA DIF</p>	<p>Immunoglobulinum humanum normale</p>	<p>► Substituční léčba dospělých, dětí a dospívajících (2-18 let):</p> <ul style="list-style-type: none"> • Syndrom primárního imunodeficitu se sníženou tvorbou protilátek. • Hypogamaglobulinémie a rekurentní bakteriální infekce u pacientů s chronickou lymfatickou leukémií, u kterých selhala profylaktická léčba antibiotiky. • Hypogamaglobulinémie a rekurentní bakteriální infekce u pacientů ve fázi mnohočetného myelomu, u kterých selhala odpověď na pneumokokovou imunizaci. • Hypogamaglobulinémie u pacientů po transplantaci krvetvorných allogeních kmenových buněk (HSCT). <p>► Imunomodulace u dospělých, dětí a dospívajících (2-18 let):</p> <ul style="list-style-type: none"> • Primární imunitní trombocytopenie (ITP) u pacientů s vysokým rizikem krvácení nebo před chirurgickým zákrokem k úpravě počtu trombocytů. • Guillain-Barrého syndrom. • Kawasakio nemoc. 	<p>23/07/2007</p>	<p>Instituto Grifols S.A.</p>
<p>GLIVEC</p>	<p>Imatinibi mesilas</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Léčba dospělých a dětských pacientů s nově diagnostikovanou Philadelphia chromozom (bcr-abl) pozitivní (Ph+) chronickou myeloidní leukémií (CML), u kterých není transplantace kostní dřeně považována za léčbu první volby. • Léčba dospělých a dětských pacientů s Ph+ CML s chronickou fází onemocnění, u kterých selhala léčba interferonem-alfa, nebo kteří jsou v akcelerované fázi onemocnění nebo v blastické krizi. • Léčba dospělých a dětských pacientů s nově diagnostikovanou Philadelphia chromozom pozitivní akutní lymfatickou leukémií (Ph+ ALL) doplněnou chemoterapií. • Léčba dospělých pacientů s recidivující nebo refrakterní Ph+ ALL jako monoterapie. • Léčba dospělých pacientů s myelodysplastickým /myeloproliferativním onemocněním (MDS/MPD) spojeným se změnou genu receptoru pro růstový faktor krevních destiček (PDGFR). • Léčba dospělých pacientů se syndromem pokročilé hypereozinofilie (HES) a/nebo chronickou eozinofilní leukémií (CEL) s přeskupením FIP1L1-PDGFRα. • Léčba dospělých pacientů s Kit (CD 117) pozitivními inoperabilními a/nebo metastatickými maligními stromálními nádory zažívacího traktu (GIST). • Adjuvantní léčba dospělých pacientů s významným rizikem recidivy po resekci Kit (CD117)- pozitivního GIST nádoru. Pacienti s nízkým nebo velmi nízkým rizikem recidivy by neměli adjuvantní léčbu podstoupit. • Léčba dospělých pacientů s inoperabilním dermatofibrosarkomem protuberans (DFSP) a dospělých pacientů s rekurentním a/nebo metastatickým DFSP, kteří nejsou způsobilí operace. 	<p>07/11/2001</p>	<p>Novartis Europharm Ltd</p>

GONAL-F	Follitropinum alfa	Spolu s lidským choriiovým gonadotropinem (hCG) stimulační spermatogeneze u mužů s kongenitálním či získaným hypogonadotropním hypogonadismem.	20/10/1995	Merc Serono Europe Ltd
GRASTOFIL	Filgrastimum	Léčba dospělých s těžkou kongenitální, cyklickou nebo idiopatickou neutropenií s absolutním počtem neutrofilů (ANC, absolute neutrophil count) $\leq 0,5 \times 10^9/l$, a s těžkými anebo opakovanými infekcemi v anamnéze. Dlouhodobé podávání je indikováno, aby se zvýšily počty neutrofilů a aby se snížila incidence a zkrátilo trvání příhod souvisejících s infekcí.	18/10/2013	Apotex Europe B.V.
HEXATE NEXGEN	Octocogum alfa	Léčba a profylaxe krvácení u nemocných s hemofilii A (vrozený nedostatek faktoru VIII).	04/08/2000	Bayer Pharma AG
HERCEPTIN	Trastuzumabum	<p>► V kombinaci s kapecitabinem nebo 5-fluorouracilem a cisplatinou je indikován k léčbě pacientů s HER2-positivním metastazujícím adenokarcinomem žaludku nebo gastroesofageálního spojení, kteří dosud nebyli léčeni pro metastazující onemocnění.</p> <p>► Přípravek Herceptin by měl být podáván pouze pacientům s metastazujícím zhoubným onemocněním žaludku, jejichž nádory mají zvýšenou expresi HER2 definovanou jako IHC 2+ a potvrzenou pozitivním výsledkem SISH nebo FISH nebo IHC 3+ výsledkem. Je třeba použít přesné a ověřené analyzační metody.</p>	28/08/2000	Roche Registration Limited
HIZENTRA	Immunoglobulinum humanum normale (SCIg)	<p>► Substituční léčba u dospělých a dětí při syndromech primární imunodeficience jako např.:</p> <ul style="list-style-type: none"> • vrozená agamaglobulinémie a hypogamaglobulinémie • běžná variabilní imunodeficience • závažná kombinovaná imunodeficience • IgG deficience podtřídy s opakujícími se infekcemi <p>► Substituční léčba u myelomní nebo chronické lymfatické leukémie s těžkou sekundární hypogamaglobulinémií a opakujícími se infekcemi.</p>	14/04/2011	CSL Behring GmbH
HUMIRA	Adalimumabum	<p>► V kombinaci s methotrexátem, k léčbě aktivní polyartikulární juvenilní idiopatické artritidy u dětí a dospívajících od 2 let, u kterých odpověď na léčbu jedním nebo více chorobu modifikujícími antirevmatiky (DMARDs) nebyla dostatečná.</p> <p>► Při nesnášenlivosti methotrexátu nebo v případě, kdy pokračování v léčbě methotrexátem není vhodné, může být přípravek Humira podáván samostatně. Přípravek Humira nebyl studován u dětí mladších 2 let).</p>	08/09/2003	Abbott Laboratories Ltd
HYCANTIN	Topotecanum	<p>HYCANTIN 1 mg prášek pro přípravu koncentráту pro přípravu infuzního roztoku:</p> <p>► V monoterapii je indikován k léčbě:</p> <ul style="list-style-type: none"> • nemocných s metastazujícím karcinomem ovarií v případě selhání léků první volby nebo následné terapie. • nemocných s relapsem malobuněčného plicního karcinomu (SCLC), u kterých není opakovaná léčba režimem první volby považována za vhodnou. 	12/11/1996	SmithKline Beecham Ltd

		<p>► V kombinaci s cisplatinou je indikován u pacientek s karcinomem děložního hrdla rekurentním po radioterapii a u pacientek s onemocněním ve stádiu IVB. U pacientek, které již byly léčeny cisplatinou, se vyžaduje dostatečně dlouhý interval bez léčby k tomu, aby bylo možno považovat podání této kombinace za odůvodněné.</p> <p>HYCAMTIN tobolky V monoterapii k léčbě dospělých pacientů s relapsem malobuněčného plicního karcinomu (SCLC), u kterých není opakovaná léčba režimem první volby považována za vhodnou</p>		
HYQVIA	Immunoglobulinum humanum normale	<p>► Substituční terapie dospělých (≥ 18 let) u syndromů primární imunodeficience, jako je:</p> <ul style="list-style-type: none"> • vrozená agamaglobulinemie a hypogamaglobulinemie, • běžná variabilní imunodeficience, • těžký kombinovaný imunodeficit, • deficit podtřídy IgG s rekurentními infekcemi. <p>► Substituční terapie u dospělých (≥ 18 let) u myelomu nebo chronické lymfatické leukemie s těžkou sekundární hypogamaglobulinemií a rekurentními infekcemi.</p>	16/05/2013	Baxter Innovations GmbH
ILARIS	Canakinumabum	<p>► Léčba kryopirin asociovaného periodického syndromu (CAPS) u dospělých, dospívajících a dětí ve věku 2 roky a více, s tělesnou hmotností 7,5 kg nebo více, včetně:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Muckle-Wellsova syndromu (MWS); • multisystémového zánětlivého onemocnění se začátkem v novorozeneckém věku (NOMID) / chronického infantilního neurologického kožního a kloubního syndromu (CINCA); • těžkých forem familiárního chladového autozánětlivého syndromu (FCAS) / familiární chladové kopřivky (FCU) projevující se dalšími známkami a příznaky mimo chladem indukovanou kopřivku. <p>► K léčbě aktivní systémové juvenilní idiopatické artritidy (SJIA) u pacientů ve věku 2 let a starších, kteří adekvátně neodpověděli na předchozí léčbu nesteroidními protizánětlivými léky (NSA) a systémovými kortikosteroidy. Přípravek Ilaris může být podáván v monoterapii nebo v kombinaci s methotrexátem.</p>	23/10/2009	Novartis Europharm Ltd
INLYTA	Axitinibum	K léčbě dospělých pacientů s pokročilým renálním karcinomem (RCC) po selhání předchozí léčby sunitinibem nebo cytokiny.	03/09/2012	Pfizer Ltd.
INOMAX	Nitrogenii oxidum	Společně s ventilační podporou a ostatními příslušnými léčivými látkami indikován: <ul style="list-style-type: none"> • k léčbě novorozenců narozených ve nebo po 34. týdnu těhotenství s hypoxickou respirační poruchou spojenou s klinicky nebo echokardiograficky prokázanou pulmonální hypertenzí, aby se zlepšilo okysličování krve a snížila nutnost mimotělní membránové oxygenace. • jako součást léčby perioperační a postoperační plicní hypertenze u dospělých a dětí ve věku 0-17 let ve spojení s operací srdce, aby se selektivně snížil plicní arteriální tlak a aby se zlepšila funkce pravé komory a oxygenace. 	01/08/2001	INO Therapeutics AB

INTRONA	Interferonum alfa-2b	<p>► Léčba pacientů s trichocelulární leukémií.</p> <p>► Léčba dospělých pacientů s chromosomem Philadelphia nebo s chronickou myeloidní leukémií pozitivní na bcr/abl translokaci. Kombinace interferonu alfa-2b a cytarabinu (Ara-C) podávaná během prvních 12 měsíců léčby prokázala signifikantní zvýšení výskytu významné cytogenetické odpovědi a signifikantní prodloužení přežití 3 let ve srovnání s monoterapií interferonem alfa-2b.</p> <p>► Jako udržovací léčba u nemocných s mnohočetným myelomem, u nichž bylo dosaženo objektivní remise (pokles myelomových proteinů o více než 50 %), a to následně po iniciální indukční chemoterapii.</p> <p>► Léčba folikulárního lymfomu s vysokým stupněm malignity jako adjuvans vhodné kombinované indukční chemoterapie, jako je schéma CHOP.</p> <p>► Léčba karcinoidních tumorů s postižením lymfatických uzlin nebo s jaterními metastázami a s „karcinoidním syndromem”.</p>	09/03/2000	Merc Sharp & Dohme Ltd
IXIARO	Virus japonské encefalidity (inaktivovaný)	K aktivní imunizaci proti japonské encefalitidě u dospělých, dospívajících, dětí a kojenců ve věku od 2 měsíců.	31/03/2009	Intercell AG
KEPPRA	Levetiracetamum	<p>► Monoterapie při léčbě parciálních záchvatů s nebo bez sekundární generalizace u dospělých a dospívajících od 16 let s nově diagnostikovanou epilepsií.</p> <p>► Jako přídatná terapie</p> <ul style="list-style-type: none"> • při léčbě parciálních záchvatů s nebo bez sekundární generalizace u dospělých, dospívajících, dětí a kojenců od 1 měsíce s epilepsií. • při léčbě myoklonických záchvatů u juvenilní myoklonické epilepsie u dospělých a dospívajících od 12 let. • při léčbě primárně generalizovaných tonicko-klonických záchvatů u dospělých a dospívajících od 12 let s idiopatickou generalizovanou epilepsií. 	29/09/2000	UCB Pharma SA
KINERET	Anakinrum	<p>Léčba dospělých, dospívajících, dětí a kojenců ve věku 8 měsíců a starších s hmotností 10 kg nebo větší s kryopyrin-asociovanými periodickými syndromy (CAPS), včetně:</p> <ul style="list-style-type: none"> • multisystémového zánětlivého onemocnění se začátkem v novorozeneckém věku (NOMID) / chronického infantilního neurologického kožního a kloubního syndromu (CINCA) • Muckle–Wellsova syndromu (MWS) • familiárního chladového autozánětlivého syndromu (FCAS) 	08/03/2002	Swedish Orphan Biovitrum AB

KIOVIG	Immunoglobulinum humanum normale	<p>► Substituční léčba u dospělých, dětí a dospívajících (od 0 do 18 let) u:</p> <ul style="list-style-type: none"> • syndromů primárního imunodeficitu s poruchou tvorby protilátek, • hypogamaglobulinémie a rekurentní bakteriální infekce u pacientů s chronickou lymfatickou leukémií, u nichž profylaktická antibiotika selhala, • hypogamaglobulinémie a rekurentní bakteriální infekce u pacientů v plató fázi mnohočetného myelomu, u nichž selhala odpověď na pneumokokovou imunizaci, • hypogamaglobulinémie u pacientů po alogenní transplantaci hematopoetických kmenových buněk (HSCT). <p>► Imunomodulace u dospělých, dětí a dospívajících (od 0 do 18 let) u:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Primární imunitní trombocytopenie (ITP) u pacientů s vysokým rizikem krvácení nebo před operací za účelem korekce počtu krevních destiček. • Guillain-Barrého syndromu. • Kawasakiho choroby. • Multifokální motorické neuropatie (MMN). 	19/01/2006	Baxter AG
KOGENATE BAYER	Octocogum alfa	Léčba a profylaxe krvácení u nemocných s hemofilií A (vrozený nedostatek faktoru VIII).	04/08/2000	Bayer Pharma AG
MABTHERA	Rituximabum	<p>► Nehodgkinské lymfomy (NHL)</p> <ul style="list-style-type: none"> • léčba dosud neléčených nemocných s folikulárním lymfomem III. a IV. klinického stádia v kombinaci s chemoterapií. • léčba pacientů s folikulárním lymfomem, kteří odpovídají na indukční léčbu • léčba pacientů s folikulárním lymfomem III.- IV. klinického stádia, kteří se nacházejí ve druhém či dalším relapsu po chemoterapii nebo jejichž nádor je chemorezistentní. • v kombinaci s chemoterapií CHOP (cyklofosamid, doxorubicin, vinkristin, prednizolon) indikován k léčbě nemocných s CD20 pozitivním difúzním velkobuněčným nehodgkinským maligním lymfomem z B buněk. <p>► V kombinaci s chemoterapií k léčbě pacientů s dříve neléčenou a relabující/refrakterní chronickou lymfatickou leukémií.</p> <p>► Granulomatóza s polyangiitidou a mikroskopická polyangiitida V kombinaci s glukokortikoidy indikován k indukci remise u dospělých pacientů se závažnou aktivní granulomatózou s polyangiitidou (Wegenerova granulomatóza) (GPA) a mikroskopickou polyangiitidou (MPA).</p>	02/06/1998	Roche Registration Limited
NIVESTIM	Filgrastimum	Léčba pacientů (dětí i dospělých) s těžkou vrozenou, cyklickou nebo idiopatickou neutropenií s absolutním počtem neutrofilů (ANC) $\leq 0,5 \times 10^9/l$ a závažnými nebo opakovanými infekcemi v anamnéze.	08/06/2010	Hospira UK Ltd
NONAFACT	Lidský koagulační faktor IX	Léčba a profylaxe krvácení u pacientů s hemofilií B (vrozený nedostatek faktoru IX).	03/07/2001	Sanquin

NOVOEIGHT	Turoctocogum alfa	Léčba a prevence krvácení u pacientů s hemofilií A (vrozený nedostatek faktoru VIII) . Lze používat ve všech věkových skupinách.	13/11/2013	Novo Nordisk A/S
NOVOSEVEN	Eptacogum alfa (activatum)	Léčba krvácivých příhod a prevence krvácení při operacích nebo invazivních procedurách u následujících skupin pacientů: <ul style="list-style-type: none"> • pacienti s vrozenou hemofilií s inhibitory koagulačních faktorů VIII nebo IX > 5 Bethesda jednotek (BU) • pacienti s vrozenou hemofilií, u kterých se očekává vysoká anamnestická odpověď na faktor VIII nebo IX • pacienti se získanou hemofilií • pacienti s vrozeným nedostatkem faktoru VII • pacienti s Glanzmannovou trombastenií s protilátkami proti GP IIb-IIIa a/nebo HLA a s předchozí nebo přítomnou refrakteritou k transfuzi krevních destiček. 	23/02/1996	Novo Nordisk A/S
NOVO-THIRTEEN	Catridecacogum	Dlouhodobá profylaktická léčba krvácení u pacientů ve věku 6 let a více s vrozeným nedostatkem podjednotky A faktoru XIII .	03/09/2012	Novo Nordisk A/S
NOXAFIL	Posaconazolum	► Léčba následujících mykotických infekcí u dospělých: <ul style="list-style-type: none"> • Invazivní aspergilóza u pacientů s onemocněním, které je refrakterní k amfotericinu B nebo itraconazolu, nebo u pacientů, kteří tyto léčivé přípravky netolerují; • Fusarióza u pacientů s onemocněním, které je refrakterní k amfotericinu B nebo u pacientů, kteří amfotericin B netolerují; • Chromoblastomykóza a mycetom u pacientů s onemocněním, které je refrakterní k itraconazolu nebo u pacientů, kteří itraconazol netolerují; • Kokcidioidomykóza u pacientů s onemocněním, které je refrakterní k amfotericinu B, itraconazolu nebo flukonazolu, nebo u pacientů, kteří tyto léčivé přípravky netolerují; ► Prevence invazivních mykotických infekcí u následujících pacientů: <ul style="list-style-type: none"> • Pacienti dostávající remisi indukující chemoterapii pro akutní myelogenní leukémii (AML) nebo myelodysplastický syndrom (MDS), u kterých by se mohla rozvinout protrahovaná neutropenie a u kterých je vysoké riziko vzniku invazivních mykotických infekcí; • Příjemci po transplantaci hematopoetických kmenových buněk (HSCT) užívající vysokodávkovou imunosupresivní terapii jako prevenci reakce štěpu proti hostiteli, u kterých je vysoké riziko vzniku invazivních mykotických infekcí. 	25/10/2005	Merc Sharp & Dohme Ltd.
NUEDEXTA	Dextromethorphanum hydrobromidum monohydricum/quinidini sylfas dihydricus	Symptomatická léčba pseudobulbárního afektu (PBA) u dospělých. Účinnost byla studována pouze u pacientů se základním onemocněním amyotrofickou laterální sklerózou nebo roztroušenou sklerózou.	24/06/2013	Jenson Pharmaceutical Services Limited

OMNITROPE	Somatropinum	<p>► Kojenci, děti a dospívající:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Porucha růstu způsobená nedostatečnou sekrecí růstového hormonu (GH). • Porucha růstu spojená s Turnerovým syndromem. • Porucha růstu (aktuální hodnota směrodatné odchylky (SDS) tělesné výšky < -2,5 a upravená hodnota SDS podle rodičů < -1) u dětí/dospívajících malého vzrůstu, které se narodily malé vzhledem ke gestačnímu věku (SGA) s porodní hmotností a/nebo délkou pod -2 směrodatné odchylky (SD), které nevykázaly vyrovnání růstu (catch-up) (hodnota SDS rychlosti růstu (HV) < 0 během posledního roku) do věku 4 let ani později. • Prader-Williho syndrom (PWS), ke zlepšení tělesného růstu a stavby těla. Diagnóza PWS by měla být potvrzena příslušným genetickým testem. <p>► Dospělí:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Substituční léčba dospělých s výrazným nedostatkem růstového hormonu. Pacienti se závažným nedostatkem růstového hormonu v dospělosti jsou definováni jako pacienti s prokázaným hypothalamo-hypofyzárním onemocněním, u nichž byl současně prokázán nedostatek nejméně jednoho hormonu hypofýzy, s výjimkou prolaktinu. Tito pacienti by měli podstoupit dynamický test k diagnóze nebo vyloučení nedostatku růstového hormonu. U pacientů, u nichž byl zjištěn izolovaný nedostatek růstového hormonu v dětství (bez zjištěného hypothalamo-hypofyzárního onemocnění nebo kraniálního ozařování), jsou doporučeny dva dynamické testy, s výjimkou pacientů, kteří mají nízkou koncentraci IGF-I (SDS < - 2); u těchto pacientů lze provést jeden test. Mezní bod dynamického testu musí být přesně definován. 	12/04/2006	Sandoz GmbH
ORENCIA	Abataceptum	V kombinaci s methotrexátem léčba středně těžké až těžké aktivní polyartikulární juvenilní idiopatické artritidy (JIA) u pediatrických pacientů ve věku 6 let a starších, kteří neměli dostatečnou odpověď na jiné DMARD včetně alespoň jednoho inhibitoru TNF.	21/05/2007	Bristol- Myers Squibb Pharma EEIG
OZURDEX	Dexamethasonum	Léčba dospělých pacientů se zánětem zadního segmentu oka, který se projevuje jako neinfekční uveitida .	27/07/2010	Allegran Pharmaceuticals Ireland
PANRETIN	Alitretinoinum	Místní léčba kožních lézí u pacientů s Kaposiho sarkomem (KS) souvisejícím s onemocněním AIDS, pokud léze nejsou komplikovány ulceracemi ani lymfedémem, není vyžadována léčba viscerálního KS, léze nereagují na celkovou antiretrovirální terapii a není vhodná radioterapie ani chemoterapie.	11/10/2000	Eisai Ltd
PIXUVRI	Pixantron-dimaleinát	Jako monoterapie léčba dospělých pacientů s opakovaně relabujícími nebo refrakterními agresivními non-hodgkinskými lymfomy z B-buněk (NHL) . Přínos léčby pixantronem jakožto léčby páté linie nebo vyšší chemoterapie u pacientů, kteří nereagovali na poslední léčbu, nebyl dosud stanoven.	10/05/2012	CTI Life Sciences Ltd

PRIVIGEN	Immunoglobulinum humanum normale	<p>► Substituční léčba dospělých a dětí a dospívajících (0-18 let):</p> <ul style="list-style-type: none"> • Syndromy primárního imunodeficitu (PID) s poruchou tvorby protilátek. • Hypogamaglobulinemie a recidivující bakteriální infekce u pacientů s chronickou lymfocytární leukemií, u nichž selhala profylaktická antibiotická léčba. • Hypogamaglobulinemie a recidivující bakteriální infekce u pacientů s mnohočetným myelomem ve stabilní fázi onemocnění, u nichž selhala odpověď na pneumokokovou imunizaci. • Hypogamaglobulinemie u pacientů po alogenní transplantaci hematopoetických kmenových buněk (HSCT). <p>► Imunomodulace u dospělých a dětí a dospívajících (0-18 let):</p> <ul style="list-style-type: none"> • Primární imunitní trombocytopenie (ITP) u pacientů s vysokým rizikem krvácení nebo před chirurgickým výkonem k úpravě počtu trombocytů. • Guillainův-Barrého syndrom. • Kawasakiho choroba. • Chronická zánětlivá demyelinizační polyneuropatie (CIDP). Zkušenosti s použitím intravenózních imunoglobulinů u dětí s CIDP jsou omezené. 	25/04/2008	CSL Behring GmbH
PUREGON	Follitropin beta	Poruchy spermatogeneze u hypogonadotropního hypogonadismu.	03/05/1996	NV Organon
RATIO-GRASTIM	Filgrastimum	Léčba dospělých pacientů nebo dětí s těžkou vrozenou (kongenitální), cyklickou nebo idiopatickou neutropenií , kteří mají ANC (absolutní počet neutrofilů) $\leq 0,5 \times 10^9/l$ a těžké nebo opakované infekce v anamnéze.	15/09/2008	Ratiopharm GmbH
REFACTO AF	Morococogum alfa	Léčení a prevence krvácení u pacientů s hemofilií A (vrozený nedostatek faktoru VIII) pro použití u dospělých pacientů a u dětí všech věkových skupin, včetně novorozenců	13/04/1999	Pfizer Ltd
REPLAGAL	Agalsidáza alfa	Dlouhodobá enzymatická substituční terapie u pacientů s potvrzenou diagnózou Fabryho nemoci (deficience alfa-galaktosidázy A).	03/08/2001	Shire Human Genetic Therapies AB
REVOLADE	Eltrombopagum olaminum	Léčba dospělých pacientů s chronickou imunitní (idiopatickou) trombocytopenickou purpurou (ITP) po splenektomii, kteří jsou refrakterní k jiným způsobům léčby (jako např. kortikosteroidy, imunoglobuliny). Podání přípravku Revolade lze zvážit jako druhou linii léčby u dospělých pacientů bez splenektomie, u kterých je chirurgický zákrok kontraindikován.	11/03/2010	Glaxo-SmithKline Trading Services Limited
RILUTEK	Riluzolum	Prodloužení života nebo období bez nutnosti mechanické ventilace nemocných s amyotrofickou laterální sklerozou (ALS).	10/06/1996	Aventis Pharma S.A.
ROACTEMRA	Tocilizumabum	Léčba aktivní systémové juvenilní idiopatické artritidy (sJIA) u pacientů ve věku 2 let a starších, kteří nedostatečně odpovídali na předchozí léčbu NSAID a systémovými kortikoidy. Přípravek lze podávat v monoterapii (v případě intolerance MTX nebo pokud léčba MTX není vhodná) nebo v kombinaci s MTX.	16/01/2009	Roche Registration Limited

RUCONEST	Conestatum alfa	Léčba akutních záchvatů angioedému u dospělých s hereditárním angioedémem (HAE) způsobeným nedostatečností inhibitoru C1 esterázy.	28/10/2010	Pharming Group N.V.
SAMSCA	Tolvaptanum	Léčba dospělých pacientů s hyponatrémií jako vedlejší příznak syndromu nedostatečné sekrece antidiuretického hormonu (SIADH).	03/08/2009	Otsuka Pharmaceutical Europe Ltd
SOMAVERT	Pegvisomantum	Léčba pacientů s akromegalií , kteří měli nedostatečnou odpověď na chirurgickou a/nebo radiační léčbu a u kterých odpovídající konzervativní léčba analogy somatostatinu nevedla k normalizaci koncentrace IGF-I nebo nebyla snášena.	13/11/2002	Pfizer Ltd
STAYVEER	Bosentanum monohydricum	► Léčba plicní arteriální hypertenze (PAH) pro zlepšení zátěžové kapacity a symptomů u pacientů funkční klasifikace III WHO. Účinnost byla prokázána u: <ul style="list-style-type: none"> • primární (idiopatická a dědičná) PAH • PAH sekundární při sklerodermii bez signifikantního intersticiálního plicního onemocnění • PAH sdružená s vrozeným levo-pravým zkratem a Eisenmengerovým syndromem. Bylo prokázáno jisté zlepšení u nemocných s PAH funkční klasifikace II WHO. ► Snížení počtu nových vředů na prstech u pacientů se systémovou sklerózou a pokračující vředovou chorobou prstů.	24/06/2013	Marklas Nederland BV
SUTENT	Sunitinibum	► Léčba neresekovatelného a/nebo metastatického maligního gastrointestinálního stromálního tumoru (gastrointestinal stromal tumor = GIST) po selhání léčby imatinibem v důsledku rezistence nebo intolerance. ► Léčba pokročilého a/nebo metastatického renálního karcinomu (MRCC). ► Léčba neresekovatelných nebo metastatických dobře diferencovaných pankreatických neuroendokrinních nádorů (pNET) s progresí onemocnění. Zkušenosti s užitím jako léčiva první linie jsou limitované.	19/07/2006	Pfizer Limited
TARCEVA	Erlotinibi hydrochloridum	V kombinaci s gemcitabinem k léčbě pacientů s metastazujícím nádorem pankreatu. Při předepisování je nutno vzít v úvahu faktory související s delším přežitím. Výhoda delšího přežití nebyla prokázána u nemocných s lokálně pokročilým onemocněním.	19/09/2005	Roche Registration Limited
TARGRETIN	Bexarotenum	Léčba kožních projevů u dospělých pacientů s pokročilým stadiem kožního T-buněčného lymfomu (CTCL) , rezistentního vůči nejméně jedné celkové léčbě.	29/03/2001	Eisai Ltd
TAXOTERE	Docetaxel	► V kombinaci s cisplatinou a 5-fluorouracilem léčba nemocných s metastatickým adenokarcinomem žaludku včetně adenokarcinomu gastroesofageálního spojení, kteří dosud pro metastatické onemocnění nebyli léčeni chemoterapií. ► Indukční léčba pacientů s lokálně pokročilým dlaždicobuněčným karcinomem hlavy a krku.	27/11/1995	Aventis Pharma S.A.

TEMODAL	Temozolomidum	<p>► Léčba dospělých pacientů s nově diagnostikovaným multiforním glioblastomem souběžně s radioterapií (RT) a následně jako monoterapeutická léčba.</p> <p>► Léčba dětí ve věku od tří let, dospívajících a dospělých pacientů s maligním gliomem, jako je multiforní glioblastom nebo anaplastický astrocytom, u nichž se po standardní léčbě projevují recidivy nebo progresse.</p>	26/01/1999	Merc Sharp & Dohne Ltd.
TEVAGRASTIM	Filgrastimum	Léčba dospělých pacientů nebo dětí s těžkou vrozenou (kongenitální), cyklickou nebo idiopatickou neutropenií , kteří mají ANC (absolutní počet neutrofilů) $\leq 0,5 \times 10^9/l$ a těžké nebo opakované infekce v anamnéze.	15/09/2008	Teva Generics GmbH
TEYSUNO	Tegafurum, gimeracilum, oteracilum	Léčba pokročilé rakoviny žaludku , podává se v kombinaci s cisplatinou.	14/03/2011	Nordic Group BV
THYROGEN	Thyrotropin alfa	<p>Testování thyreoglobulinem v séru (Tg) se zobrazením pomocí radiojodu nebo bez něho k detekci zbytků štítné žlázy a dobře diferencovaného karcinomu štítné žlázy u pacientů po thyreoidektomii, kteří jsou léčeni hormonální supresivní terapií (THST).</p> <p>Pacienti s dobře diferencovaným karcinomem štítné žlázy a s nízkým rizikem, kteří mají nedetekovatelné hladiny Tg v séru při THST a nedochází u nich ke zvýšení hladin Tg po stimulaci rh (rekombinantním humánním) TSH, mohou být kontrolováni vyšetřením hladin Tg stimulovaných rh TSH.</p> <p>Thyrogen je indikován k předterapeutické stimulaci v kombinaci s radiojodem v rozmezí 30mCi (1,1 GBq) až 100 mCi (3,7 GBq) pro ablaci zbytků štítné žlázy radiojodem u pacientů s dobře diferencovaným karcinomem štítné žlázy, kteří absolvovali subtotální nebo totální tyroidektomii a u nichž nebyl prokázán distantní metastatický karcinom štítné žlázy (viz bod 4.4).</p>	09/03/2000	Genzyme Europe B.V.
TRISENOX	Arseni trioxidum	Indukci remise a konsolidace u dospělých pacientů trpících relabující/refrakterní akutní promyelocytární leukémií (APL) , která je charakterizována přítomností translokace t(15;17) a/nebo přítomností genu promyelocytární leukémie/alfa-receptoru tretinoinu (gen PLM/RAR-alfa). Předchozí terapie by měla zahrnovat retinoidy a chemoterapii.	05/03/2002	Cephalon Europe
VEDROP	Tocofersolanum	Při deficitu vitamínu E způsobenému malabsorpcí v zažívacím traktu u dětí s vrozenou nebo dědičnou chronickou cholestázou , ve věku od narození (novorozenců) až do 18 let.	24/07/2009	Orphan Europe S.A.R.L.
VELCADE	Bortezomibum	► V monoterapii indikován k léčbě dospělých pacientů s progresivním mnohočetným myelomem , kteří již prodělali nejméně jednu předchozí léčbu a kteří již podstoupili transplantaci hematopoetických kmenových buněk nebo jsou pro tuto transplantaci nevhodní.	26/04/2004	Janssen-Cilag International NV

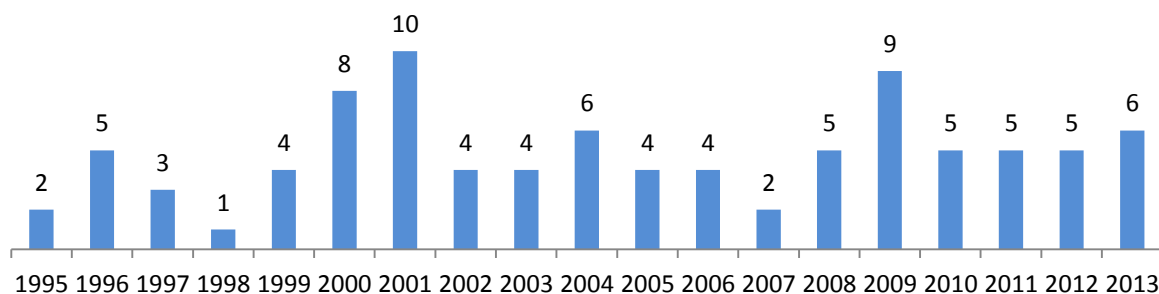
		<p>► V kombinaci s melfalanem a prednisonem indikován k léčbě dospělých pacientů s dříve neléčeným mnohočetným myelomem, u kterých není vhodná vysokodávková chemoterapie s transplantací hematopoetických kmenových buněk.</p> <p>► V kombinaci s dexamethasonem nebo s dexamethasonem a thalidomidem indikován k indukční léčbě dospělých pacientů s dosud neléčeným mnohočetným myelomem, u kterých je vhodná vysokodávková chemoterapie s transplantací hematopoetických kmenových buněk.</p>		
VENTAVIS	Iloprostum	Léčba pacientů s primární plicní hypertenzí klasifikovanou jako funkční stupeň III podle NYHA, ke zlepšení kapacity a symptomů během tělesné námahy.	16/09/2003	Bayer Pharma AG
VFEND	Voriconazolum	U dospělých a dětí ve věku 2 let a více v následujících případech: <ul style="list-style-type: none"> • Léčba invazivní aspergilózy. • Léčba závažných mykotických infekcí vyvolaných druhy <i>Scedosporium</i> a <i>Fusarium</i>. Měl by být podáván primárně pacientům s progredujícími, potenciálně život ohrožujícími infekcemi.	19/03/2002	Pfizer Limited
VONCENTO	Lidský koagulační faktor VIII/ von Willebrandův faktor	<p>► Léčba hemoragie nebo prevence a léčba krvácení během chirurgických zákroků u pacientů trpících von Willebrandovou chorobou (VWD) v případech, kdy je léčba samotným desmopresinem (DDAVP) neúčinná nebo kontraindikovaná.</p> <p>► Profylaxe a léčba krvácení u pacientů trpících hemofilii A (vrozený deficit FVIII).</p>	12/08/2013	CSL Behring GmbH
VOTRIENT	Pazopanibum	<p>► U dospělých k podávání v první linii léčby pokročilého karcinomu ledviny (renal cell carcinoma, RCC) a k léčbě pacientů, kterým byly dříve podávány cytokyiny pro pokročilé onemocnění.</p> <p>► Léčba dospělých pacientů s vybranými subtypy pokročilého sarkomu měkkých tkání (soft tissue sarcoma, STS), kteří podstoupili chemoterapii pro metastazující onemocnění nebo u nich došlo k progresi onemocnění během 12 měsíců po (neo)adjuvantní terapii.</p> <p>Účinnost a bezpečnost přípravku byla stanovena pouze pro určité histologické subtypy STS.</p>	14/06/2010	Glaxo Group Ltd
XELODA	Capecitabinum	Léčba první linie pokročilého karcinomu žaludku v kombinaci s režimem obsahujícím platinu.	02/02/2001	Roche Registration Limited
XYREM	Natrii oxybutyras	Léčba narkolepsie s kataplexií u dospělých pacientů.	13/10/2005	UCB Pharma Ltd
ZARZIO	Filgrastimum	U dětí a dospělých s těžkou kongenitální, cyklickou nebo idiopatickou neutropenií s absolutním počtem neutrofilů (ANC, absolute neutrophil count) $\leq 0,5 \times 10^9/l$, a s těžkými anebo opakovanými infekcemi v anamnéze, je indikováno dlouhodobé podávání filgrastimu, aby se zvýšily počty neutrofilů a aby se snížila incidence a zkrátilo trvání příhod souvisejících s infekcí.	06/02/2009	Sandoz GmbH

ZEVALIN	Ibritumomabum tiuxetanum	<ul style="list-style-type: none"> ▶ Konsolidační léčba u dříve neléčených pacientů s folikulárním lymfomem v remisi po indukční terapii. ▶ Léčba CD20 pozitivního folikulárního B non-Hodgkinského lymfomu (NHL) v relapsu po terapii rituximabem nebo v refrakterní fázi u dospělých pacientů. 	16/01/2004	Spectrum Pharmaceuticals B.V.
ZUTECTRA	Immunoglobulinum humanum hepatitidis B	Prevence reinfekce virem hepatitidy B (HBV) u pacientů HBV–DNA negativních ≥ 6 měsíců po transplantaci jater kvůli jaternímu selhání indukovanému hepatitidou B. Přípravek Zutectra je indikován pouze pro dospělé. Pokud je to na místě, doporučuje se zvážit souběžné používání adekvátních virostatik jakožto standardní profylaxe reinfekce hepatitidou B.	30/11/2009	Biotest Pharma GmbH

Klasifikace podle data registrace

2013	REVLADE	2006	2002	KOGENATE B.
GRASTOFIL	RUCONEST	ATRYN	KINERET	PANRETIN
HYQVIA	VOTRIENT	KIOVIG	SOMAVERT	THYROGEN
NOVOEIGHT	2009	OMNITROPE	TRISENOX	1999
NUEDEXTA	AFINITOR	SUTENT	VFEND	AMMONAPS
STAYVEER	FILGRASTIM H.	2005	2001	FERRIPROX
VONCENTO	ILARIS	AVASTIN	CANCIDAS	REFACTO AF
2012	IXIARO	NOXAFIL	CEPROTIN	TEMODAL
CAPRELSA	ROACTEMRA	TARCEVA	DEPOCYTE	1998
COLOBREATHE	SAMSCA	XYREM	FABRAZYME	MABTHERA
INLYTA	VEDROP	2004	GLIVEC	1997
NOVOTHIRTEEN	ZARZIO	ADVATE	INOMAX	BENEFIX
PIXUVRI	ZUTECTRA	ALIMTA	NONAFAC	CEREZYME
2011	2008	DUKORAL	REPLAGAL	CYSTAGON
BUCCOLAM	ADCIRCA	ERBITUX	TARGRETIN	1996
CINRYZE	BIOGRASTIM	VELCADE	XELODA	CAELYX
EURARTESIM	PRIVIGEN	ZEVALIN	2000	HYCANTIN
HIZENTRA	RATIOGRASTIM	2003	ENBREL	NOVOSEVEN
TEYSUNO	TEVAGRASTIM	ALDURAZYME	HELIXATE	PUREGON
2010	2007	BUSILVEX	NEXGEN	RILUTEK
NIVESTIM	FLEBOGAMMA D	HUMIRA	HERCEPTIN	1995
OZURDEX	ORENCIA	VENTAVIS	INTRONA	GONAL-F
			KEPPRA	TAXOTERE

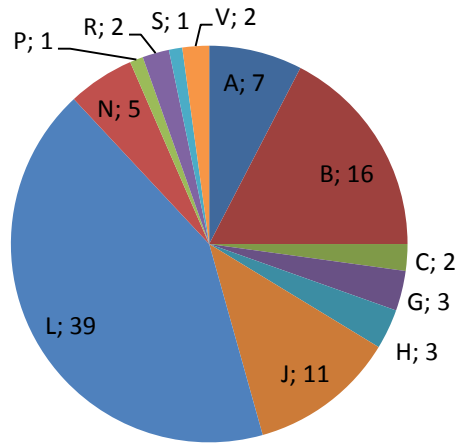
Počet LP registrovaných pro léčbu vzácných onemocnění bez označení OMP podle data registrace



Klasifikace podle ATC skupiny

A- TRÁVICÍ TRAKT A METABOLISMUS	G- UROGENITÁLNÍ SYSTÉM, POHLAVNÍ HORMONY	BUSILVEX	TRISENOX
		CAELYX	VELCADE
ALDURAZYME		CAPRELSA	VOTRIENT
AMMONAPS	ADCIRCA	DEPOCYTE	XELODA
CEREZYME	GONAL-F	ENBREL	ZARZIO
CYSTAGON	PUREGON	ERBITUX	
FABRAZYME	H- HORMONY	FILGRASTIM HEXAL	N- NERVOVÝ SYSTÉM
REPLAGAL	OMNITROPE	GLIVEC	
VEDROP	SOMAVERT	GRASTOFIL	BUCCOLAM
B- KREV A KRVETVORBA	THYROGEN	HERCEPTIN	KEPPRA
	J- ANTIINFEKČNÍ LÁTKY	HUMIRA	NUEDEXTA
ADVATE		HYCANTIN	RILUTEK
ATRYN	CANCIDAS	ILARIS	XYREM
BENEFIX	DUKORAL	INLYTA	P- ANTIPARAZITIKA, INSEKTICIDY A REPELENTY
CEPROTIN	FLEBOGAMMA DIF	INTRONA	
CINRYZE	HIZENTRA	KINERET	
HELIXATE NEXGEN	HYQVIA	MABTHERA	EURARTESIM
KOGENATE BAYER	IXIARO	NIVESTIM	R- RESPIRAČNÍ SYSTÉM
NONAFACT	KIOVIG	ORENCIA	
NOVOEIGHT	NOXAFIL	PANRETIN	COLOBREATHE
NOVOSEVEN	PRIVIGEN	PIXUVRI	INOMAX
NOVOTHIRTEEN	VFEND	RATIOGRASTIM	S- SMYSLOVÉ ORGÁNY
REFACTO AF	ZUTECTRA	ROACTEMRA	
REVOLADE	L- ANTINEOPLASTIKA, IMUNOMODULANČNÍ LÁTKY	SUTENT	OZURDEX
RUCONEST		TARCEVA	V- RŮZNÉ
VENTAVIS		TARGRETIN	FERRIPROX
VONCENTO	AFINITOR	TAXOTERE	ZEVALIN
C- KVS SYSTÉM	ALIMTA	TEMODAL	
SAMSCA	AVASTIN	TEVAGRASTIM	
STAYVEER	BIOGRASTIM	TEYSUNO	

**Počet LP registrovaných pro léčbu
vzácných onemocnění bez označení OMP
podle ATC skupiny**



Klasifikace podle držitele registrace

ABBOTT LABORATORIES LTD	CSL BEHRING GMBH	INO THERAPEUTICS AB	NV ORGANON
	HIZENTRA		PUREGON
HUMIRA	PRIVIGEN	INOMAX	ORPHAN EUROPE S.A.R.L.
ALLERGAN PHARMACEUTICALS IRELAND	VONCENTO	INSTITUTO GRIFOLS S.A.	
	CT ARZNEIMITTEL GMBH	FLEBOGAMMA DIF	VEDROP
	OZURDEX	BIOGRASTIM	INTERCELL AG
APOTEX EUROPE B.V.	CTI LIFE SCIENCES LTD	IXIARO	
		JANSSEN-CILAG INTERNATIONAL NV	SAMSCA
FERRIPROX	PIXUVRI	CAELYX	PACIRA LIMITED
GRASTOFIL	EISAI LTD	VELCADE	
ASTRAZENECA AB	PANRETIN	JENSON PHARMACEUTICALS SERVICES LIMITED	DEPOCYTE
CAPRELSA	TARGRETIN	PFIZER LTD	BENEFIX
AVENTIS PHARMA S.A.	ELI LILLY NEDERLAND B.V.		ENBREL
RILUTEK	ADCIRCA	MARKLAS NEDERLAND BV	INLYTA
TAXOTERE	ALIMTA	FOREST LABORATORIES UK LTD	REFACTO AF
BAXTER AG	ADVATE		STAYVEER
CEPROTIN		COLOBREATHE	MERCK KGAA
KIOVIG	GENZYME EUROPE B.V.	ERBITUX	VFEND
BAXTER INNOVATIONS GMBH		ALDURAZYME	MERCK SERONO EUROPE LTD
HYQVIA	CEREZYME	GONAL-F	RUCONEST
BAYER PHARMA AG	FABRAZYME	MERCK SHARP & DOHME LTD	PIERRE FABRE MÉDICAMENTS
HELIXATE NEXGEN	THYROGEN	CANCIDAS	BUSILVEX
KOGENATE BAYER	GLAXO GROUP LTD	INTRONA	RATIOPHARM GMBH
VENTAVIS	VOTRIENT	NOXAFIL	
BIOTEST PHARMA GMBH	GLAXOSMITHKLINE TRADING SERVICES LIMITED	TEMODAL	RATIOGRASTIM
		NORDIC GROUP BV	ROCHE REGISTRATION LTD
ZUTECTRA		TEYSUNO	
BRISTOL-MYERS SQUIBB PHARMA EEIG	REVOLADE	NOVARTIS EUROPHARM LTD	AVASTIN
	GTC BIOTHERAPEUTICS UK LIMITED		HERCEPTIN
		ORENCIA	AFINITOR
CEPHALON EUROPE	ATRYN	GLIVEC	ROACTEMRA
TRISENOX	HEXAL AG	ILARIS	TARCEVA
CRUCCELL SWEDEN AB	FILGRASTIM HEXAL	NOVO NORDISK A/S	XELODA
	HOSPIRA UK LTD	NOVOEIGHT	SANDOZ GMBH
DUKORAL	NIVESTIM	NOVOSEVEN	
		NOVOTHIRTEEN	ZARZIO

SANQUIN
NONAFACT
SHIRE HUMAN GENETIC THERAPIES AB
REPLAGAL
SIGMA-TAU INDUSTRIE FARMACEUTICHE RIUNITE S.P.A
EURARTESIM
SMITHKLINE BEECHAM LTD
HYCAMTIN
SPECTRUM PHARMACEUTICALS B.V.
ZEVALIN
SWEDISH ORPHAN BIOVITRUM INTERNATIONAL AB
AMMONAPS
KINERET
TEVA GENERICS GMBH
TEVAGRASTIM
UCB PHARMA LTD
XYREM
UCB PHARMA SA
KEPPRA
VIROPHARMA SPRL
BUCCOLAM
CINRYZE