

# Medicamentos huérfanos

Nombre del principio activo	Mecanismo de acción	Indicación	Nombre comercial	Nombre del laboratorio o sponsor	Estado de comercialización
(+)-(2S)-2-(4-cloro-2-metoxifenil)-2-[[3-metoxi-5-(metilsulfonil)fenil]amino]-1-[5-(trifluorometoxi)-1H-indol-3-yl]etanona	Desconocido	Dengue		Janssen-cilag	
(2,2-difenil-tetrahydro-furan-3-il-metil)-dimetilamina, clorhidrato	Antiespasmódico			Anavex Life Sciences	
(2S,4R)-1-(2-(3-acetil-5-(2-metilpirimidina-5-il)-1H-indazol-1-il)acetil)-N-(6-bromopiridina2-yl)-4-fluoropirrolidina-2-carboxamida	Inhibidor de la activación del complemento	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna		Achillion Pharmaceuticals	
(3S)-1-azabicyclo[2.2.2]oct-3-il{2-[2-(4-fluorofenil)-1,3-tiazol-4-il]propan-2-il}carbamato	Inhibidor enzimático	Gaucher, Enfermedad de		Genzyme Europe BV (Holanda)	
(3S)-1-azabicyclo[2.2.2]oct-3-il{2-[2-(4-fluorofenil)-1,3-tiazol-4-il]propan-2-il}carbamato	Inhibidor enzimático	Fabry, Enfermedad de		Genzyme Europe BV (Holanda)	
(3S,4R)-3-etil-4-(3H-imidazo[1,2-a]pirrolo[2,3-e]pirazin-8-il)-N-(2,2,2-trifluoroetil)pirrolidin-1-carboxamida (2R,3R)-2,3-dihidroxi-butanedioato	Desconocido	Artritis Reumatoide Juvenil		AbbVie, Inc.	

Nombre del principio activo	Mecanismo de acción	Indicación	Nombre comercial	Nombre del laboratorio o sponsor	Estado de comercialización
(6aR,10aR)-3-(1',1'-dimetilheptil)-delta-8-tetrahidrocannabinol-9- carboxílico, ácido	Desconocido	Esclerodermia		TMC Pharma Services Ltd	
(6aS)-1,10-dimethoxi-6-methyl-5,6,6a,7-tetrahidro-4H-dibenzo[de,g]quinoline-2,9-diol	Desconocido	Distrofia Miotónica		Valentia Biopharma SL	
(E)-1-(4'-clorofenil)-3-(4-hidroxi-3-metoxifenil)prop-2-en-1-ona	Bloqueo del receptor CXCR4	WHIM, Síndrome		Centre National de la Recherche Scientifique	
(R)- troloxamida quinona	Antioxidante	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Edison Orphan Pharma	
(S)-3-((3-(1-((6-((3,4-dimetoxifenil)priazin-2-il)amino)etil)fenil)carbamoil)-5-metilpidin-1-ium	Inhibidor del receptor PDGF	Hipertensión Pulmonar Arterial		Pulmokine	
(S)-3-((S)-2-(2-((2,6-difluorofenil)amino)2-oxoacetamido)propanamido)-4-oxo-5-(2,3,5,6-tetrafluorofenoxi)pentanoico, Ácido	Agente apoptótico	Colangitis Primaria Esclerosante		Pharma Gateway AB	
(S)-6-hidroxi-2,5,7,8-tetrametil-N-((R)-piperidin-3-il)croman-2-carboxamida hidrocloreuro	Neuroprotector	Leigh, Enfermedad de		Khondrion BV	

Nombre del principio activo	Mecanismo de acción	Indicación	Nombre comercial	Nombre del laboratorio o sponsor	Estado de comercialización
(S)-6-hidroxi-2,5,7,8-tetrametil-N-((R)-piperidin-3-il)croman-2-carboxamida hidrocloreto	Neuroprotector	MELAS, Síndrome		Khondrion BV	
[5,10,15,20-tetrakis(4-carboxifenil)-21H,23H-porfina] cloruro de manganeso (III)	Desconocido	Cockayne, Síndrome de		Institut Pasteur	
1-(2,2-difluoro-2H-1,3-benzodioxol-5-il)-N-{1-[(2R)-2,3-dihidroxipropil]-6-fluoro-2-(1-hidroxi-2-metilpropano-2-il)-1H-indol-5-il}ciclopropano-1-carboxamida e ivacaftor	Reparador de una proteína	Fibrosis Quística		Vertex pharmaceuticals	
1-(2-isopropoxietil)-2-tioxo-1,2,3,5-tetrahidropirrol[3,2-d]pirimidin-4-ona	Inhibidor enzimático	Shy Drager, Síndrome de		Astra Zeneca	
1-(4-(N-glycylamido)fenil)-3-trifluorometil-5-(fenantren-2-il)pirazol, clorhidrato	Inmunomodulador	Tularemia		Arno Therapeutics UK	
1-(4-Dimetilamino-3-hidroxi-6-metil-tetrahidropiran-2-iloxi)-2-etil-3,4,10-trihidroxi-3,5,6,8,10,12,14-heptametil-1-oxa-6-aza-ciclopentadecano-13,15-diona	Antiinflamatorio	Fibrosis Quística		Synovo GmbH	
1-(6-benzotiazolilsulfonil)-5-cloro-1Hindol-2-butanoico, Ácido 2-butanoico	Activador de PPAR	Esclerodermia		Inventiva	

Nombre del principio activo	Mecanismo de acción	Indicación	Nombre comercial	Nombre del laboratorio o sponsor	Estado de comercialización
1-(6-benzotiazolilsulfonil)-5-cloro-1H-indol-2-butanoico, Ácido 2-butanoico	Activador de PPAR	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Inventiva	
17 $\alpha$ ,21-dihidroxi-16 $\alpha$ -metil-pregna-1,4,9(11)-trieno-3,20-diona	Bloqueador de las citoquinas	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		ReveraGen Biopharma	
18Fluor-N-3-Fluoropropil-2beta-carbometoxi-3beta-(4-yodofenil) Nortropano	Agente diagnóstico	Atrofia Multisistémica		Advanced Imaging Projects	
1E,6E)-1,7-bis(3,4-dimetoxifenil)-4-ciclobutilmetil-1,6-heptadieno-3,5-diona	Desconocido	Kennedy, Enfermedad de		Coté Orphan Consulting UK Limited	
2-((2-etil-6-(4-(2-(3-hidroxiacetidin-1-il)-2-oxoetil)-piperazin-1-il)-8-metilimidazo[1,2-alfa]piridin-3-il)-(metil)amino)-4-(4-fluorofenil)-tiazol-5-carbonitrilo	Bloqueador enzimático	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Galapagos NV	
2-(1,5-dimetil-3-fenil-1H-pirrol-2-il)-N-{4-[4-(5-fluoro-pirimidin-2-il)piperazin-1-il]-fenil}-2-oxoacetamida	Antifúngico	Escudoporiasis		F2G Ltd	
2-(2-clorobenciliden)hidrazinacarboximidamida acetato	Restaurador de la proteostasis	Charcot Marie Tooth, Enfermedad de		InFlectis Bioscience	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
2-(2-clorofenil)-4-[3-(dimetilamino)fenil]-5-metil-1H-pirazol [4,3-c]piridina-3,6(2H, 5H)-diona	Inhibidor enzimático	Fibrosis Pulmonar Idiopática		GenKyoTex Innovation S.A.S	
2-(2-clorofenil)-4-[3-(dimetilamino)fenil]-5-metil-1H-pirazol [4,3-c]piridina-3,6(2H, 5H)-diona	Inhibidor enzimático	Esclerodermia		GenKyoTex Innovation S.A.S	
2-(7-etoxi-4-(3-fluorofenil)-1-oxofalazin-2(1H)-il)-N-metil-N-(2-metilbenzo[d]oxazol-6-il)acetamida	Estabilizador de la proteína CFTR	Fibrosis Quística		Clinical Network Services (UK) Ltd	
2,2-dimetilbutírico, ácido	Inductor del gen de la globina fetal	Anemia Drepanocítica		HemaQuest Pharmaceuticals	
2,2-dimetilbutírico, ácido	Inductor del gen de la globina fetal	Talasemia Mayor		HemaQuest Pharmaceuticals	
2,2-dimetilbutírico, ácido	Inductor del gen de la globina fetal	Talasemia intermedia		HemaQuest Pharmaceuticals	
2-[4-metoxi-3-(2-m-tolil-etoxi)- benzoilamino]-indan-2-carboxílico, ácido	Reductor del tejido conectivo fibroso	Esclerodermia		Sanofi-Synthelabo (Francia)	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
2-[N-(2-hidroxietil)]-N-(4-metoxibenzenosulfonil)amino-N-(4-clorocinamil)-N-metilbenzilamina	Antidesmielinizante	Charcot Marie Tooth, Enfermedad de		Repositioning SAS	
2-hidroxi-6-((2-(1-isopropil-1H-pirazol-5-il)piridin-3-il) metoxi)benzaldehido	Reducor de los hematíes falciformes	Anemia Drepanocítica		Global Blood Therapeutics Inc	
2-hidroxiopropil-B-ciclodextrina	Liporeductor	Niemann Pick, Enfermedad de		N Inst of Health Ther for Rare & Neglected diseases.	
2-isopropil-3H-nafto[1,2-d]imidazol-4,5-diona	Activador de la energía mitocondrial	MELAS, Síndrome		NeuroVive Pharmaceutical AB	
3-(4-(1,5-Nafhtiridina)-Imidazol[1,2-a]piridin-7-(1-fenil-4-(1-(4-metil piperazina)	Inhibidor de la quinasa	Fibrodiasplasia Osificante Progresiva		La Jolla Pharmaceutical	
3-(4-(8-fluoroquinolin)-Imidazol[1,2-a]piridina-7-(1-fenil-4-(1-(4-metil piperazina)	Inhibidor de la quinasa	Fibrodiasplasia Osificante Progresiva		La Jolla Pharmaceutical	
3,4-diaminopiridina	Desconocido	Miasténico Congénito, Síndrome		Jacobus Pharmaceutical Co., Inc.	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
3,4-dibencil-2-oxo-(1S,4R,5R,7S)-6,8-dioxa-3-azabicyclo[3.2.1]octano-7-ácido-carboxílico-L-lisina	Neuroprotector	Queratitis Neurotrófica		MIMETECH S.r.l.	
3,5-diiodotiropropiónico, ácido	Análogo de la hormona T3	Allan Herndon, Síndrome de		Zarion Pharmaceuticals	
3-([2,3,5,6-tetrafluoro-3'-(trifluorometoxi)bifenil-4-yl]carbamoyl)tiófeno-2-carboxílico, Ácido	Bloqueador enzimático	Uveitis Crónica no infecciosa		Panoptes Pharma Ges.m.b.H	
3-{3-[4-(1-aminociclobutil)fenil]-5-fenil-3H-imidazo[4,5-b]piridin-2-yl}ciperidin-2-amino bis-mesilato	Desconocido	Proteus, Síndrome de		ArQule, Inc	
3-aminopropil-butil fosfinico, Ácido	Bloqueador del receptor GHB	Semialdehído succínico deshidrogenasa, Deficiencia de		Speragen Inc	
3-pentilfenilacético, sal sódica del ácido	Antifibrótico	Alstrom, Síndrome de		ProMetic Biotherapeutics	
3-pentilfenilacético, sal sódica del ácido	Antifibrótico	Fibrosis Pulmonar Idiopática		ProMetic Biotherapeutics	

Nombre del principio activo	Mecanismo de acción	Indicación	Nombre comercial	Nombre del laboratorio o sponsor	Estado de comercialización
4,5-dibromorhodamina 123	Agente fotosensibilizante	Leucemia Mieloide Crónica		CelMed Biosciences	
4,6,4'-trimetilangelicina	Mucolítico	Fibrosis Quística		Rare Partners srl Impresa Sociale	
4-[(7-Metoxi-2,3-dihidro-1,4-benzotiazepin-4(5H)-il)metil]benzoico, hemifumarato del	Estabilizador del canal de la rianodina	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		ARMGO Pharma, Inc	
4-[[[(1S,4S)-5-[[4-[4-(oxazol-2-il)fenoxi]fenil]metil]-2,5-diazabicyclo[2.2.1]hept-2-il]metil]benzoico, Ácido	Reductor de la inflamación del tejido pulmonar	Fibrosis Quística		Coté Orphan Consulting UK Limited	
4-[131 I]yodo-L-fenilalanina	Agente Apoptótico	Glioma		Dr Andreas Kluge	
4-Imino-1,3-Diazobicyclo-[3.1.0.]-Hexano-2-uno	Agente Apoptótico	Páncreas, Cáncer de		Icon Clinical Research UK Ltd	
5-(4-Ciclopropil-1H-imidazol-1-il)-2-fluoro-N-(6-(4-isopropil-4H-1,2,4-triazol-3-yl)piridin-2-il)-4-metilbenzamida	Desconocido	Hipertensión Pulmonar Arterial		Gilead Sciences	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
5,7-dicloro-2-metilaminometil-8-hidroxiquinolona, hidrocloreto de	Neuroprotector	Huntington, Enfermedad de		Prana Biotechnology	
5-[1-(2,6-diclorobencil)piperidina-4-ilmetoxi]quinazolina-2,4-diamina, dihidrocloruro	Neurojprotector	Atrofia Muscular Espinal 5q		Repligen	
5-[4-[2-(5-(1-hidroxietil)-2-piridinil)etoxi]benzil]-2,4-tiazolidinodiona, Clorhidrato de	Antiinflamatorio	Adrenoleucodistrofia		Minoryx Therapeutics SL	
5-aminolevulínico, ácido (Clorhidrato)	Agente diagnóstico	Glioma	Gliolan	Medac Gesellschaft für klinis	Comercializado en España
5-bromo-N-(prop-2-in-1-il)-2-1H-1,2,4-triazol-1-il)pirimidina-4,6-diamina	Inhibidor enzimático	Huntington, Enfermedad de		Palobiofarma S.L.	
5-colesten-3β, 25-diol 3-sulfato, sal sódica de	Reductor de lafibrosis en el hígado	Colangitis Primaria Esclerosante		DURECT Corporation	
6-(4-(4-(2,3-diclorofenil)-piperazin-1-il)-butoxi)-2H-benzo[b][1,4]oxazin-3(4H)-ona, Clorhidato de	Antagonista serotoninérgico	Hipertensión Pulmonar Arterial		Reviva Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
6'-@-metil-5-O-(5-amino-5,6-dideoxi- $\alpha$ -L-talofuranosil)-paromamine, Sulfato de	Desconocido	Rett, Síndrome de		Eloxx Pharmaceuticals	
6'-@-metil-5-O-(5-amino-5,6-dideoxi- $\alpha$ -L-talofuranosil)-paromamine, Sulfato de	Desconocido	Hurler, Síndrome de		Eloxx Pharmaceuticals	
6-Cloro-2,3,4,9-tetrahidro-1H-carbazol-1-carboxamida	Prevención del daño celular	Huntington, Enfermedad de		Siena Biotech	
6-etoxi-7-metoxi-2-(2-metilsulfanilfenil)-3,1-benzoxazina-4-ona	Bloqueador de las kalikreinas	Netherton, Síndrome de		Sixera Pharma AB	
6-fluoro-(18F)-L-3,4-dihidroxifenilalanina	Agente diagnóstico	Lesch Nyhan, Síndrome de		Advanced Imaging Projects	
9-cis, 12-cis-11,11-d2-linoleico, etil éster del ácido	Desconocido	Ataxia de Friedreich		Retroitope, Inc.	
9-cis-Retinil acetato	Terapia de substiución	Amaurosis Retiniana Congénita de Leber		ORS Oxford Ltd	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
9-cis-Retinil acetato	Terapia de sustitución	Retinosis Pigmentaria		ORS Oxford Ltd	
A4250	Reductor de la reabsorción de ácidos biliares	Colestasis Intrahepática Familiar Progresiva		Albireo AB	
A4250	Reductor de la reabsorción de ácidos biliares	Alagille, Síndrome de		Albireo AB	
A4250	Reductor de la reabsorción de ácidos biliares	Cirrosis Biliar Primaria		Albireo AB	
AASSGVSTPGSAGHDIITEQPRS Ltd r	Neuroprotector	Huntington, Enfermedad de		Centre National de la Recherche Scientifique	
AAV1-FS344	Terapia génica	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Milo Biotechnology	
ABT-751	Inhibidor del crecimiento celular	Neuroblastoma		Abbot Laboratories	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Acadesina	Agente apoptótico	Leucemia Linfocítica Crónica de Células B		Advancell, Advanced in Vitro Cell Technologies	
Acamprosato	Antagonista del receptor del glutamato	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Confluence Pharmaceuticals	Comercializado en España por otro laboratorio para otras indicaciones
Acebutolol, clorhidrato	Reductor del nivel de melatonina diurna	Smith Magenis, Síndrome de		Therapicon Srl	Comercializado por otros laboratorios para otras indicaciones en otros países
Acetato de zinc dihidratado	Bloqueo de la absorción del cobre	Wilson, Enfermedad de	Galzin	TEVA	Comercializado en EEUU
Acetato de zinc dihidratado	Bloqueo de la absorción del cobre	Wilson, Enfermedad de	Wilzin	Orphan Europe	Comercializado en España
Acetilcarnitina	Desconocido	Cromosoma X Frágil, Síndrome del	Zibren	Sigma Tau	Comercializado en Italia, pero no autorizado para esta indicación
Acetilcarnitina	Desconocido	Rett, Síndrome de	Zibren	Sigma Tau	Comercializado en Italia, pero no autorizado para esta indicación

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Acetileucina	Desconocido	Gangliosidosis GM2		IntraBio Ltd	Comercializado en Francia por otro laboratorio para otras indicaciones
Acetileucina	Desconocido	Niemann Pick, Enfermedad de		IntraBio Ltd	Comercializado en Francia por otro laboratorio para otras indicaciones
Acetilsalicílico, ácido	Antiagregante plaquetario	Policitemia Vera		Bayer (Alemania)	
Ácido 4,7,10,13,16,19-docosahexanóico	Desconocido	Retinosis Pigmentaria		Natac Pharma	
Ácido 4-[3,5-bis(trimetilsilil)benzamido] benzoico	Agente Apoptótico	Carcinoma Hepatocelular		Quintiles Limited	
Ácido acético de pentámero formiltiofeno	Impide la acumulación de priones	Creutzfeldt Jakob, Enfermedad de		NeuroScios GmbH	
Ácido ascórbico	Mielinizante	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine		Université de Montpellier	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Ácido ascórbico	Mielinizante	Charcot Marie Tooth, Enfermedad de		Université de Montpellier	
Ácido ascórbico	Mielinizante	Charcot Marie Tooth, Enfermedad de		Murigenetics SAS	
Ácido ascórbico	Mielinizante	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine		Murigenetics SAS	
Acido esfingomielinasa recombinante humana	Sustitución enzimática	Niemann Pick, Enfermedad de		Genzyme Europe BV (Holanda)	
Acido hidroxámico suberoilánilida	Inhibidor del crecimiento celular	Linfoma Cutáneo de las Células T		Merck Sharp Dohme	
Ácido ribonucleico mensajero modificado que codifica la enzima argininosuccinato liasa humana encapsulada en nanopartículas lipídicas	Terapia de sustitución enzimática	Aciduria Arginino Succínica		PhaseRx, Inc.	
Ácido ribonucleico mensajero modificado que codifica la enzima ornitina transcarbamilasa humana encapsulada en nanopartículas lipídicas	Terapia del ARN mensajero	Ornitín Transcarbamilasa, Déficit de		PhaseRx, Inc.	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Ácido salicílico 6%	Desconocido	Ictiosis Congénitas		Orenova Group	
Ácido salicílico 6%	Desconocido	Ictiosis Congénitas		Orenova Group	
Acil transferasa de la lecitina colesterol recombinante	Terapia de sustitución	LCAT, Déficit de		Alphacore Pharma Limited	
Activador alostérico de la piruvato kinasa específica de las células rojas de la sangre	Activador enzimático	Piruvato Kinasa, Déficit de		Agios Pharmaceuticals, Inc	
AD-114	Inmunomodulador	Fibrosis Pulmonar Idiopática		AdAlta Limited	
Adalimumab	Inmunosupresor	Behcet, Enfermedad de	Humira	Abbot Laboratories	Comercializado en España,pero no autorizado para esta indicación
Adalimumab	Inmunosupresor	Colitis Ulcerosa Pediátrica	Humira	Abbot Laboratories	Comercializado en España,pero no autorizado para esta indicación

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Adalimumab	Inmunosupresor	Uveitis Crónica no infecciosa		Mucora	
Adalimumab	Inmunosupresor	Hidradenitis Supurativa	Humira	Abbot Laboratories	Comercializado en España,pero no autorizado para esta indicación
Adalimumab	Inmunosupresor	Uveitis Crónica no infecciosa	Humira	Abbot Laboratories	Comercializado en España,pero no autorizado para esta indicación
Adalimumab	Inmunosupresor	Colitis Ulcerosa Pediátrica		Mucora	
Adalimumab	Inmunosupresor	Behcet, Enfermedad de		Mucora	
Adalimumab	Inmunosupresor	Hidradenitis Supurativa		Mucora	
Adalimumab	Inmunosupresor	Uveitis Crónica no infecciosa		AbbVie, Inc.	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Adalimumab	Inmunosupresor	Behcet, Enfermedad de		AbbVie, Inc.	
Adalimumab	Inmunosupresor	Hidradenitis Supurativa		AbbVie, Inc.	
Adalimumab	Inmunosupresor	Colitis Ulcerosa Pediátrica		AbbVie, Inc.	
Adenosina desaminasa pegilada	Substitución enzimática	Inmunodeficiencia Combinada Grave (ICG) causada por déficit de adenosina desaminasa.		Sigma Tau	
ADN plasmídico codificante para el gen humano regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística en forma de complejo con un agente de transferencia	Terapia génica	Fibrosis Quística		Imperial Solutions Ltd	
Adnectina IgG1 bivalente antimiostatina humana	Bloqueador de la miostatina	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Bristol Myers Squibb	
ADX-102	Detiene la acumulación de aldehidos	Ictiosis Congénitas		Aldeyra Therapeutics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
AEGR-733	Hipolipemiente	Hipercolesterolemia Familiar Homocigota		Aegerion Pharmaceuticals	
AEOL 10150	Antifibrótico	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Aeolus Pharmaceuticals	
Afamelanotida	Incrementa los niveles de melatonina	Pénfigo Benigno Crónico Familiar	Scenesse	Clinuvel Limited	Pendiente de comercialización en España
Afamelanotida	Incrementa los niveles de melatonina	Urticaria Solar	Scenesse	Clinuvel Limited	Pendiente de comercialización en España
Afamelanotida	Incrementa los niveles de melatonina	Porfiria Eritropoyética Congénita	Scenesse	Clinuvel Limited	Pendiente de comercialización en España
Afidicolina	Antiviral	Fiebre hemorrágica de Ébola		Biospherics.net LLC	
Afidicolina	Antiviral	Fiebre hemorrágica de Ébola		Biospherics.net LLC	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
AFQ056	Bloqueo del receptor mGluR5,	X Frágil, Síndrome		Novartis Farmacéutica	
Agalsidasa alfa	Sustitución enzimática	Fabry, Enfermedad de	Replagal	Shire Pharmaceutical Development Ltd.	Comercializado en España
Agalsidasa beta	Substitución enzimática	Fabry, Enfermedad de	Fabrazyme	Genzyme	Comercializado en España
Agonista del receptor tipo I de la hormona paratiroidea no peptídico (Molécula pequeña, vía oral)	Agonista del receptor de la hormona paratiroidea	Hipoparatiroidismo		Chugai (Japón)	
Agonista parcial del receptor del tipo receptor opioide 1 con la secuencia de aminoácidos Ac-Arg-Tyr-Tyr-Arg-Trp-Lys-Lys-Lys-Lys-Lys-Lys-NH2	Desconocido	Hipertensión Pulmonar Arterial		Serodus ASA	
AGT181	Substitución enzimática	Hurler, Síndrome de		ArmaGen Technologies	
Ajoeno	Antiinfeccioso	Fibrosis Quística		Neem Biotech	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Albutreponacog alfa	Terapia de sustitución	Hemofilia B	Idelvion	CSL Behring	Comercializado en España
Aldesleukina (Inyectable)	Inmunomodulador	Melanoma Metastásico	Proleukin	Chiron Iberia	Comercializado en España, pero autorizado sólo para el tratamiento del Carcinoma de Células Renales.
Aldesleukina (Inyectable)	Inmunomodulador	Carcinoma de Células Renales	Proleukin	Chiron Iberia	Comercializado en España, pero autorizado sólo para el tratamiento del Carcinoma de Células Renales.
Alemtuzumab	Inmunomodulador	Leucemia Linfocítica Crónica	Mabcampath	Schering	Comercializado en España
Alfa fetoproteína recombinante humana	Inmunomodulador	Miastenia Gravis		Merrimack Pharmaceuticals	
Alfa glucosidasa ácida humana recombinante fundida con un fragmento direccionador lisosomal independiente de la glucosilación	Substitución enzimática	Pompe, Enfermedad de		BioMarin Europe Ltd	
Alfa manosidasa recombinante humana	Substitución enzimática	Manosidosis		Zymenex A/S	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Alfa-1-antitripsina recombinante humana vía respiratoria	Inhibidor enzimático	Fibrosis Quística		Baxter AG (Alemania)	
Alfa-1-Microglobulina humana recombinante	Reductor de los niveles de hemoglobina	Preeclampsia		AIM Pharma AB	
Alfa-glucosidasa acida humana recombinante conjugada con analagos de manosa-6-fosfato	Substitución enzimática	Pompe, Enfermedad de		NanoMedSyn	
Alfa-glucosidasa acida humana recombinante conjugada con miglustat	Substitución enzimática más chaperón	Pompe, Enfermedad de		Amicus Therapeutics	
Alfa-tocotrienol quinona	Incremento de los niveles de glutatión intracelular	Ataxia de Friedreich		Edison Orphan Pharma	
Alfa-tocotrienol quinona	Incremento de los niveles de glutatión intracelular	Leigh, Enfermedad de		Edison Orphan Pharma	
Alglucerasa	Sustitución enzimática	Gaucher, Enfermedad de	Ceredase	Genzyme (EEUU)	Comercializado en EEUU

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Alglucosidasa alfa	Sustitución enzimática	Pompe, Enfermedad de	Myozyme	Genzyme Europe BV (Holanda)	Comercializado en España
Alipogén tiparvec	Terapia génica	Lipoproteín Lipasa, Déficit de	Glybera	uniQure biopharma B.V.	Pendiente de comercialización en España
Alirocumab	Hipolipemiente	Hipercolesterolemia Familiar Homocigota	Praluent	Sanofi Synthelabo	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Alitretinoína	Inhibidor del crecimiento celular	SIDA, Sarcoma de Kaposi en	Panretin	Ferrer Farma	Comercializado en España
Alopregnanolona	Terapia de sustitución	Niemann Pick, Enfermedad de		La Jolla Pharmaceutical	
Alprostadilo	Vasodilatador/antiagregante plaquetario	Hipertensión Pulmonar Primaria	Sugiran	Pensa	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Alvocidib	Inhibe el crecimiento tumoral	Leucemia Linfocítica Crónica		Sanofi Synthelabo	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
AM-152	Inhibidor del ácido lisofosfatídico	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Bristol Myers Squibb	
Ambrisentán	Inhibidor de la endotelina	Hipertensión Pulmonar Arterial		Gilead Sciences	
Ambrisentán	Inhibidor de la endotelina	Hipertensión Pulmonar Arterial	Volibris	Glaxo Smithkline	Comercializado en España
Ambrisentán	Inhibidor de la endotelina	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica	Volibris	Glaxo Smithkline	Comercializado en España
Ambrisentán	Inhibidor de la endotelina	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica		Gilead Sciences	
Ambrisentan/Taladafilo	Antihipertensivo	Hipertensión Pulmonar Arterial		Gilead Sciences	
Amifampridina	Bloqueo de los canales del potasio	Miastenia Gravis		EUSA Pharma SAS	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Amifampridina	Bloqueo de los canales del potasio	Miastenia Gravis	Firdapse	BioMarin Pharmaceutical	Comercializado en España
Amifampridina	Bloqueo de los canales del potasio	Lambert Eaton, Síndrome de	Firdapse	BioMarin Pharmaceutical	Comercializado en España
Amifampridina	Bloqueo de los canales del potasio	Lambert Eaton, Síndrome de		EUSA Pharma SAS	
Amifampridina	Bloqueo de los canales del potasio	Miastenia Gravis		Catalyst Pharmaceuticals	
Amifampridina	Bloqueo de los canales del potasio	Lambert Eaton, Síndrome de		Catalyst Pharmaceuticals	
Amikacina	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística		PlumeStars s.r.l.	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Amikacina (Liposomas)	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística		Transave	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Amy-101	Inhibidor de la activación del complemento	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna		Amyndas Pharmaceuticals	
Anagrelida, clorhidrato	Reductor del número de plaquetas	Trombocitemia Esencial	Xagrid	Shire Pharmaceutical Development Ltd.	Comercializado en España
Anagrelida, clorhidrato	Reductor del número de plaquetas	Leucemia Mieloide Crónica	Xagrid	Shire Pharmaceutical Development Ltd.	Comercializado en España
Anagrelida, clorhidrato	Reductor del número de plaquetas	Policitemia Vera	Xagrid	Shire Pharmaceutical Development Ltd.	Comercializado en España
Anakinra	Antagonista de interleucinas	Still, Enfermedad de	Anakinra	Swedish Orphan International AB	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Análogo sintético cíclico de 8 aminoácidos de la ghrelina humana no acilada	Inhibidor hormonal	Prader Willi, Síndrome de		Millendo Therapeutics, Inc.	
Análogo sintético de glucagon modificado para contener 7 sustituciones de ácidos aminos	Terapia de sustitución	Hiperinsulinismo congénito		Zealand Pharma A/S	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Anfotericina B (cocleada)	Antiprotozoario	Leishmaniasis		Aquarius Biotechnologies	
Anfotericina B (Liposomas)	Antibiótico micótico y bactericida	Leishmaniasis	Ambisome	Nextar Farmacéutica	Comercializado en España
Angiotensina (1,7)	Desconocido	Hipertensión Pulmonar Arterial		US biotest Inc	
Angiotensina (1,7)	Desconocido	Distrofia Muscular de Cinturas		US biotest Inc	
Angiotensina (1,7)	Desconocido	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		US biotest Inc	
Angiotensina (1,7)	Desconocido	Distrofia Muscular de Cinturas		Tarix Orphan	
Angiotensina (1,7)	Desconocido	Epidermólisis Ampollosa		Tarix Orphan	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Angiotensina (1,7)	Desconocido	Hipertensión Pulmonar Arterial		Tarix Orphan	
Angiotensina (1,7)	Desconocido	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Tarix Orphan	
Angiotensina (1,7)	Desconocido	Epidermólisis Ampollosa		US biotest Inc	
Anti-alfa v beta 6 anticuerpo monoclonal humanizado	Inmunomodulador	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Biogen	
Anticuerpo Agonista Monoclonal Humanizado dirigido contra el Receptor CD28	Inmunomodulador	Leucemia Linfocítica Crónica de Células B		TeGenero AG	
Anticuerpo anti GDF 8 recombinante humano	Bloqueo de la miostatina	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Wyeth (EEUU)	
Anticuerpo biespecífico para la interleucina 4 y la interleucina 13	Inmunomodulador	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Sanofi-Synthelabo (EEUU)	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Anticuerpo humanizado recombinante dirigido contra la superóxido dismutasa 1 humana mal plegada	Inmunomodulador	Esclerosis Lateral Amiotrófica		The Medical & Regulatory Partnership Limited	
Anticuerpo IgG1 monoclonal humano contra el inhibidor de la vía del factor tisular	Inmunomodulador	Hemofilia A		Pfizer	
Anticuerpo IgG4 humanizado recombinante anti -tau humano	Inmunomodulador	Parálisis Supranuclear Progresiva		AbbVie, Inc.	
Anticuerpo monoclonal IgG1k humanizado recombinante para el receptor celular T invariante humano	Inmunomodulador	Anemia Drepanocítica		NKT Therapeutics	
Anticuerpo monoclonal 11-1f4	Inmunomodulador	Amiloidosis Sistémica		Universidad de Tennessee	
Anticuerpo monoclonal Anti Pa	Inmunomodulador	Carbunco		Emergent Biosolutions	
Anticuerpo monoclonal biotinilado antitenascina para uso con Ytrio-90	Inhibidor del crecimiento celular	Glioma		Sigma Tau Industrie Farmaceutiche Riunite	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Anticuerpo Monoclonal contra eotaxina-2	Inmunomodulador	Esclerodermia		ChemomAb Ltd	
Anticuerpo monoclonal humanizado anti interleucina-15	Inmunomodulador	Esofagitis eosinofílica		Dr Alain Vicari	
Anticuerpo monoclonal humanizado antimiosatina	Inmunomodulador	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Pfizer	
Anticuerpo monoclonal humanizado antimiosatina	Inmunomodulador	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Pfizer	
Anticuerpo monoclonal humanizado contra C5 modificado en el Fc y CDR	Inmunomodulador	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna		Alexion Pharmaceuticals	
Anticuerpo monoclonal humanizado contra P-selectina	Inmunomodulador	Anemia Drepanocítica		Selexys	
Anticuerpo monoclonal humanizado IgG4 contra el factor del complemento 1, subcomponentes (C1s)	Inmunomodulador	Pénfigoide Buloso		True North Therapeutics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Anticuerpo monoclonal humanizado IgG4 contra el factor del complemento 1, subcomponente s (C1s)	Inmunomodulador	Anemia Hemolítica Adquirida Autoimmune		True North Therapeutics	
Anticuerpo monoclonal humanizado IgG4 contra el Inhibidor de la Vía del Factor Tisular (TFP)	Inmunomodulador	Hemofilia A		Novo Nordisk A/S	
Anticuerpo monoclonal humanizado IgG4 modificado con estructura biespecifica contra los factores IX, IXa, X y Xa	Terapia de sustitución	Hemofilia A		Chugai Pharma Europe Ltd.	
Anticuerpo monoclonal humanizado igG4 que se une al antígeno SEMA4D	Inmunomodulador	Huntington, Enfermedad de		Vaccinex, Inc	
Anticuerpo monoclonal humanizado IgG4 que se une al complemento humano C1q	Inmunomodulador	Guillain Barre, Síndrome de		Annexon Biosciences	
Anticuerpo monoclonal humanizado recombinante anti- Loxl2	Inmunomodulador	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Gilead Sciences	
Anticuerpo monoclonal humanizado recombinante anti-interleukina 13	Inmunomodulador	Esofagitis eosinofílica		Receptos, Inc	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Anticuerpo monoclonal humanizado recombinante de tipo IgG2 lambda contra la esclerostina humana	Inmunomodulador	Osteogénesis Imperfecta		Mereo BioPharma	
Anticuerpo monoclonal Humano alfa anti-factor de la necrosis tumoral	Inmunomodulador	Uveítis Posterior		Centocor Inc	
Anticuerpo monoclonal humano anti interleucina 13 humana	Inmunomodulador	Esofagitis eosinofílica		Novartis Europharm Limited	
Anticuerpo monoclonal humano anti-activina A	Inmunomodulador	Fibrodiasplasia Osificante Progresiva		Regeneron Pharmaceuticals	
Anticuerpo monoclonal Humano contra CD4	Inmunomodulador	Linfoma Cutáneo de las Células T		Genmab A/S	
Anticuerpo monoclonal humano dirigido contra el ligando de Fas	Inmunomodulador	Pénfigo		PinCell s.r.l.	
Anticuerpo monoclonal humano dirigido contra la esclerostina humana	Inmunomodulador	Osteogénesis Imperfecta		Mereo BioPharma	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Anticuerpo monoclonal humano IgG1k	Inmunomodulador	Esclerodermia		Medimmune Inc	
Anticuerpo monoclonal humano que lia a la proteína vascular de adhesión 1	Inmunomodulador	Colangitis Primaria Esclerosante		Biotie Therapies Corp	
Anticuerpo monoclonal humano recombinante del receptor de insulina	Inmunomodulador	Hiperinsulinismo congénito		Xoma US	
Anticuerpo monoclonal IgG quimérico Cg250	Inmunomodulador	Carcinoma de Células Renales	Rencarex	Wilex AG	
Anticuerpo monoclonal IgG1 humanizado contra eotaxina-2 humana	Inmunomodulador	Esclerodermia		CBR Biotech Strategies GmbH	
Anticuerpo monoclonal IgG1 humano recombinante contra el factor de crecimiento de fibroblastos 23	Inmunomodulador	Hipofosfatemia Familiar		Kyowa Hakko Kirin Pharma	
Anticuerpo monoclonal quimérico contra las toxinas Shiga 1 y2	Inmunomodulador	Infecciones causadas por bacterias productoras de Shiga toxina		Albany Regulatory Consulting Limited	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Anticuerpo monoclonal recombinante del componente amiloide P de suero humano	Inmunomodulador	Amiloidosis Primaria Familiar		Glaxo Smithkline	
Anticuerpo monoclonal recombinante humano contra el receptor de activina tipo IIB	Inmunomodulador	Miositis por Cuerpos de Inclusión		Novartis Farmacéutica	
Anticuerpo monoclonal recombinante humano-cadena ligera kappa de la IgG1- anti-caliceína plasmática	Inmunomodulador	Angioedema Hereditario		Dyax SA	
Anticuerpo policlonal bovino contra el Factor de la Necrosis Tumoral	Inmunomodulador	Colitis Ulcerosa Pediátrica		Avaxia Biologics	
Anticuerpo policlonal IgY de origen aviario contra Pseudomonas aeruginosa	Inmunomodulador	Fibrosis Quística		Immunsystem I.M.S. AB	
Anticuerpos IgG1 kappa humanizado contra amiloide sérico A y AL amiloide	Inmunomodulador	Amiloidosis Sistémica		Onclave Therapeutics Limited	
Anticuerpos murinos monoclonales anti-Tcr	Inmunomodulador	Esclerosis Múltiple		Tolera Therapeutics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Anticuerpos policlonales antiferritina-Itrio90	Inmunomodulador	Linfoma de Hodgkin		Monoclonal Antibodies Therapeutics (MAT)	
Antígeno parcial de la miostatina dispuesto en la superficie de Lactobacillus Casei	Inmunomodulador	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		BioLeaders Corporation	
Antitrombina III (Humana)	Terapia de sustitución	Antitrombina III, Déficit de	Atenativ	Octapharma	Comercializado en España
Antitrombina III (Humana)	Terapia de sustitución	Antitrombina III, Déficit de	Kybernin	CSL Behring	Comercializado en España
Antitrombina III (Humana)	Terapia de sustitución	Antitrombina III, Déficit de	Anbin	Instituto Grifols	Comercializado en España
Antitrombina recombinante humana	Terapia de sustitución	Antitrombina III, Déficit de	Atryn	GTC biotherapeutics	Comercializado en España
AP1903	Inmunomodulador	Injerto Contra Huesped, Enfermedad de		Ariad	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Aplidina	Agente apoptótico	Mieloma Múltiple	Aplidin	Pharma Mar SA	
APO200	Desconocido	Christ Siemens Touraine, Síndrome de		Apoxis SA	
Apolipoproteína A-I humana recombinante en un complejo fosfolipídico	Terapia de sustitución	Apolipoproteína A-I, Déficit de en un complejo fosfolipídico		Cerenis Therapeutics	
Apolipoproteína A-I humana recombinante en un complejo fosfolipídico	Terapia de sustitución	Tangier, Enfermedad de		Cerenis Therapeutics	
Apotransferrina humana	Terapia de sustitución	Atransferrinemia Congénita		Sanquin Blood Supply Foundation	
Arginasa I recombinante humana pegilada	Substitución enzimática	Hiperargininemia		Aeglea Biotherapeutics	
Arginina deiminasa pegilada	Inhibidor del crecimiento celular	Carcinoma Hepatocelular		Phoenix Pharmacologics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Arginina, butirato	Activador del gen de la Hb fetal	Anemia Drepanocítica		Vertex pharmaceuticals	
Arimoclomol	Neuroprotector	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Orphazyme	
Arimoclomol	Neuroprotector	Miositis por Cuerpos de Inclusión		CytRx Corporation	
Arimoclomol	Neuroprotector	Niemann Pick, Enfermedad de		Orphazyme	
Arimoclomol	Neuroprotector	Esclerosis Lateral Amiotrófica		CytRx Corporation	
Arimoclomol	Neuroprotector	Niemann Pick, Enfermedad de		CytRx Corporation	
Arimoclomol	Neuroprotector	Miositis por Cuerpos de Inclusión		Orphazyme	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
ARN corto de interferencia sintético de cadena doble contra proopiomelanocortina	Inhibidor de la hormona adrenocorticotropa	Cushing, Síndrome de		UKR Regulatory Affairs	
ARNm modificado que codifica la proteína UGT1A1	Terapia génica	Crigler Najjar, Síndrome de		Alexion Pharmaceuticals	
ARNSI de E. Coli atenuada viva que expresa la Beta Catenina	Activador del ARNi	Poliposis Familiar		Marina Biotech	
Arsénico, trióxido	Desconocido	Carcinoma Hepatocelular	Trisenox	Cell Therapeutics (UK) Ltd.	Comercializado en España, pero autorizado sólo para la Leucemia Promielocítica Aguda
Arsénico, trióxido	Desconocido	Leucemia Promielocítica Aguda	Trisenox	Cell Therapeutics (UK) Ltd.	Comercializado en España, pero autorizado sólo para la Leucemia Promielocítica Aguda
Artemisona	Antiprotozoario	Malaria		Artemis Therapeutics Inc	
Artesunato	Antiprotozoario	Malaria		Dafra Pharma	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Artesunato	Antiprotozoario	Malaria		Sigma Tau	
Artesunato	Antiprotozoario	Malaria		Pharmaorigin ApS	
Artesunato	Antiprotozoario	Malaria	Plasmotrim	Mepha	Comercializado en Thailandia
Artesunato	Antiprotozoario	Malaria	Arsumax	Sanofi-Synthelabo (Francia)	Comercializado en China
Artesunato	Antiprotozoario	Malaria		Dr Ulrich Granzer	
Asfotasa alfa	Substitución enzimática	Hipofosfatasa	Strensiq	Alexion Pharmaceuticals	Pendiente de comercialización en España
Aspartilglucosaminidasa recombinante humana	Substitución enzimática	Aspartilglucosaminuria		ACE BioSciences A/S	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
AT2220	Activador enzimático	Pompe, Enfermedad de		Amicus Therapeutics	
Atalureno	Desconocido	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Translarna	PTC Therapeutics	Pendiente de comercialización en España para la Distrofia Muscular de Duchenne
Atalureno	Desconocido	Fibrosis Quística	Translarna	PTC Therapeutics	Pendiente de comercialización en España para la Distrofia Muscular de Duchenne
Atalureno	Desconocido	Aniridia	Translarna	PTC Therapeutics	Pendiente de comercialización en España para la Distrofia Muscular de Duchenne
Atomoxetina, clorhidrato	Inhibidor de la recaptación de adrenalina	Gilles de la Tourette, Síndrome de	Strattera	Eli Lilly (EEUU)	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Atovacuona	Antiprotozoario	Toxoplasmosis	Wellvone	Glaxo Smithkline	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Atovacuona	Antiprotozoario	Toxoplasmosis	Malarone	Glaxo Smithkline	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación huérfana

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
ATR-101	Desconocido	Cushing, Síndrome de		Atterocor, Inc	
ATX-F8-117	Desconocido	Hemofilia A		Apitope International NV	
AUT00206	Modula los canales del potasio	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Autifony Therapeutics	
Avacopán	Bloqueo del complemento 5a	Granulomatosis de Wegener		ChemoCentryx	
Avacopán	Bloqueo del complemento 5a	Glomerulonefritis Membranosa		ChemoCentryx	
Avacopán	Bloqueo del complemento 5a	Hemolítico Urémico atípico, Síndrome		ChemoCentryx	
Avacopán	Bloqueo del complemento 5a	Churg Strauss, Síndrome de		ChemoCentryx	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Avacopán	Bloqueo del complemento 5a	Poliarteritis Microscópica		ChemoCentryx	
Avi-5038	Inductor de la expresión de distrofina	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Sarepta Therapeutics	
AVI-7288	Modificador del ARN	Fiebre Hemorrágica de Marburgo		Sarepta Therapeutics	
AVI-7537	Modificador del ARN	Fiebre hemorrágica de Ébola		Sarepta Therapeutics	
Aviptadil	Vasodilatador/inmunomodulador	Sarcoidosis		Mondobiotech Laboratories Anstalt	
Aviptadil	Vasodilatador/inmunomodulador	Hipertensión Pulmonar Arterial		Mondobiotech Laboratories Anstalt	
Azacitidina	Inhibidor del crecimiento celular	Mielodisplástico, Síndrome	Vidaza	Pharmion	Comercializado en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Azacitidina	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Mieloide Aguda	Vidaza	Pharmion	Comercializado en España
Aztreonam (por inhalación)	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística	Cayston	Gilead Sciences	Comercializado en España
Azul de metileno	Desconocido	Metahemoglobinemia		Luitpold Pharmaceuticals	
Baclofeno	Estimulador de los receptores GABA-B	Esclerosis Múltiple	Lioresal	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España
Bacteria E. Coli Nissle viva modificada para asimilar amoniacó	Biótica sintética	Ciclo de la Urea, Transtornos del		Synlogic, Inc.	
Bacteroides thetaiotaomicron	Inmunomodulador	Crohn, Enfermedad de		GT Biologics Ltd	
Bardoxolona	Antiinflamatorio	Alport, Síndrome de		Reata Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Bardoxolona	Antiinflamatorio	Hipertensión Pulmonar Arterial		Reata Pharmaceuticals	
Baricitinib	Inmunomodulador	Lupus Eritematoso Sistémico	Olumiant	Eli Lilly (EEUU)	Comercializado en España para otra indicación
Bazedoxifeno, acetato	Incrementa los niveles de ALK1 y ENG	Telangiectasia Hemorrágica Hereditaria		Consejo Superior de Investigaciones Científicas	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación
BCX7353	Inhibidor de la kalitreína	Angioedema Hereditario		BioCryst Pharmaceuticals	
Becatecarina (Intravenoso)	Inhibidor de la Topoisomerasa II, anticancerígeno	Cáncer del Árbol Biliar		Helsinn Pharmaceuticals Ltd.	
Beclometasona 17,21 dipropionato (vía oral)	Inhibidor síntesis leucotrienos y prostaglandinas	Injerto Contra Huesped, Enfermedad de		DorBioPharma	
Beclometasona 17,21 dipropionato (vía oral)	Inhibidor síntesis leucotrienos y prostaglandinas	Crohn, Enfermedad de		DorBioPharma	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Bedaquilina	Antibiótico bactericida	Tuberculosis	Sirturo	Janssen-cilag	Pendiente de comercialización en España
Benserazida	Incrementa los niveles de Hemoglobina fetal	Talasemia intermedia		Isabelle Ramirez	
Benserazida	Incrementa los niveles de Hemoglobina fetal	Talasemia Mayor		Isabelle Ramirez	
Benznidazol	Antiprotozoario	Chagas, Enfermedad de	Benznidazole	Chemo Research	Comercializado en Estados Unidos
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Ornitintranslocasa, déficit de		Syri Limited	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	N-Acetil Glutamato Sintetasa, Déficit de		Syri Limited	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Hiperglicinemia No Cetónica		Syri Limited	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Lisinuria con intolerancia a proteínas		Syri Limited	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Aciduria Arginino Succínica		Syri Limited	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Hiperargininemia		Syri Limited	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	N-Acetil Glutamato Sintetasa, Déficit de		Lucane Pharma	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Lisinuria con intolerancia a proteínas		Lucane Pharma	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Aciduria Arginino Succínica		Ethicare GmbH	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Lisinuria con intolerancia a proteínas		Ethicare GmbH	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	N-Acetil Glutamato Sintetasa, Déficit de		Ethicare GmbH	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Ornitintranslocasa, déficit de		Ethicare GmbH	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Hiperargininemia		Ethicare GmbH	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Hiperargininemia		Lucane Pharma	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Ornitintranslocasa, déficit de		Lucane Pharma	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Hiperglicinemia No Cetónica		Lucane Pharma	
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Aciduria Arginino Succínica		Lucane Pharma	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Benzoato sódico	Reductor de los niveles de glicina	Hiperglicinemia No Cetónica		Ethicare GmbH	
Benzoato/Fenilacetato	Reductor de la hiperamonemia	Ciclo de la Urea, Transtornos del	Ammonul	Medicis	Comercializado en EEUU
Beraprost (liberación modificada)	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial		LungRx Limited	
Beraprost (liberación modificada)	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial	Careload	Toray (Japón)	Comercializado en Japón
Beta-artemeter / lumefantrina (polvo para suspensión oral)	Antiprotozoario	Malaria	Co-Artesiane	Dafra Pharma International	Comercializado en Bélgica
Beta-glucuronidasa humana recombinante	Terapia de sustitución	Sly, Síndrome de		NDA Regulatory Science Ltd	
Betahistina	Antagonista H3	Prader Willi, Síndrome de		University of Cincinnati	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Betaina anhidra	Reductor de los niveles de homocisteína	Homocistinuria	Cystadane	Orphan Europe	Comercializado en España
Bevacizumab	Antiangiogénico	Telangiectasia Hemorrágica Hereditaria	Avastin	Roche	
Bevacizumab	Antiangiogénico	Coats, Enfermedad de		MicroSert Ltd	
Bevacizumab	Antiangiogénico	Telangiectasia Hemorrágica Hereditaria		Universidad de California	
Bevacizumab	Antiangiogénico	Coats, Enfermedad de		Universidad de California	
Bevacizumab	Antiangiogénico	Telangiectasia Hemorrágica Hereditaria		MicroSert Ltd	
Bevacizumab	Antiangiogénico	Coats, Enfermedad de	Avastin	Roche	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Bezofibrato	Liporeductor	Barth, Síndrome de		Barth Syndrome Foundation	Comercializado en España para otra indicación
BHV-5000	Antagonista del glutamato	Rett, Síndrome de		Biohaven Pharmaceuticals, Inc	
Bicapa de piel ingenierizada compuesta por queratinocitos del paciente (autólogos) y fibroblastos de un donante (alogénicos) embebidos en una matriz plasmática	Terapia celular	Epidermólisis Ampollosa		Cellerix SL	
Bifidobacterium infantis 25624	Modulador de la respuesta inflamatoria	Colitis Ulcerosa Pediátrica		Alimentary Health Limited	
Biglicano humano recombinante	Desconocido	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Tivorsan Pharmaceuticals	
BIIB074	Desconocido	Eritromelalgia		Biogen	
Bindarit	Desconocido	Lupus Eritematoso Sistémico		Angelini Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
BioE-589	Desconocido	Esclerosis Lateral Amiotrófica		BioElectron Technology Corporation	
Bitopertina	Inhibidor de la reabsorción de glicina	Talasemia Mayor		Roche	
Bitopertina	Inhibidor de la reabsorción de glicina	Talasemia intermedia		Roche	
BIVV-001	Inmunomodulador	Hemofilia A		Bioverativ	
Bortezomib	Agente apoptótico	Mieloma Múltiple	Velcade	Janssen-cilag	Comercializado en España
Bosentan	Inhibidor de la endotelina-I	Hipertensión Pulmonar Arterial	Tracleer	Actelion	Comercializado en España y autorizado para la Hipertensión Pulmonar Arterial
Brentuximab vedotin	Inmunomodulador	Linfoma Anaplásico de Células Grandes	ADCETRIS	Takeda Europe	Comercializade en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Brentuximab vedotin	Inmunomodulador	Linfoma de Hodgkin	ADCETRIS	Takeda Europe	Comercializade en España
Briostatina-1	Inhibidor del crecimiento celular	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Neurotrope Bioscience	
Briostatina-1	Inhibidor del crecimiento celular	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		GPC Biotech AG	
Brivaracetam	Antiepiléptico	Epilepsias Mioclónicas Progresivas		UCB Pharma	
Bucilamina	Reductor de los cálculos biliares	Cistinuria		Revive Therapeutics	
Budesonida (oral)	Inmunosupresor	Injerto Contra Huesped, Enfermedad de	Jorveza	Dr Falk Pharma	Pendiente de comercialización en España para la Esofagitis Eosinofílica
Budesonida (oral)	Inmunosupresor	Esofagitis eosinofílica	Jorveza	Dr Falk Pharma	Pendiente de comercialización en España para la Esofagitis Eosinofílica

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Budesonida (oral)	Inmunosupresor	Colitis Ulcerosa Pediátrica	Uceris	Santarus Inc	Comercializado en EEUU pero no autorizado para estas indicaciones
Budesonida (oral)	Inmunosupresor	Colitis Ulcerosa Pediátrica	Jorveza	Dr Falk Pharma	Pendiente de comercialización en España para la Esofagitis Eosinofílica
Budesonida (oral)	Inmunosupresor	Injerto Contra Huesped, Enfermedad de	Uceris	Santarus Inc	Comercializado en EEUU pero no autorizado para estas indicaciones
Budesonida (oral)	Inmunosupresor	Esofagitis eosinofílica	Uceris	Santarus Inc	Comercializado en EEUU pero no autorizado para estas indicaciones
Busulfano	Agente alquilante. Antineoplásico	Tratamiento de acondicionamiento previo al trasplante de células progenitoras hematopoyéticas	Busilvex	Pierre Fabre Médicament (Francia)	Comercializado en España
Cafeina, citrato	Desconocido	Displasia Broncopulmonar	Cafcit	Mead Johnson	Comercializado en EEUU
Cafeina, citrato	Desconocido	Apnea del Prematuro	Peyona	Chiesi	Comercializado en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Cafeina, citrato	Desconocido	Apnea del Prematuro		Intercept Pharmaceuticals	
Cafeina, citrato	Desconocido	Displasia Broncopulmonar		Intercept Pharmaceuticals	
Cafeina, citrato	Desconocido	Apnea del Prematuro		Viridian Pharma Ltd	
Cafeina, citrato	Desconocido	Displasia Broncopulmonar		Viridian Pharma Ltd	
Cafeina, citrato	Desconocido	Displasia Broncopulmonar	Peyona	Chiesi	Comercializado en España
Cafeina, citrato	Desconocido	Apnea del Prematuro	Cafcit	Mead Johnson	Comercializado en EEUU
Canakinumab	Inmunomodulador	Periódico Asociado al Receptor del Factor de la Necrosis Tumoral	Ilaris	Novartis Europharm Limited	Comercializado en España pero no autorizado para estas indicaciones

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Canakinumab	Inmunomodulador	Fiebre Mediterránea Familiar	Ilaris	Novartis Europharm Limited	Comercializado en España pero no autorizado para estas indicaciones
Canakinumab	Inmunomodulador	CINCA, Síndrome	Ilaris	Novartis Europharm Limited	Comercializado en España pero no autorizado para estas indicaciones
Canakinumab	Inmunomodulador	Still, Enfermedad de	Ilaris	Novartis Europharm Limited	Comercializado en España pero no autorizado para estas indicaciones
Canakinumab	Inmunomodulador	Hiperinmunoglobulinemia D con fiebre periódica	Ilaris	Novartis Europharm Limited	Comercializado en España pero no autorizado para estas indicaciones
Canakinumab	Inmunomodulador	Artritis Reumatoide Juvenil	Ilaris	Novartis Europharm Limited	Comercializado en España pero no autorizado para estas indicaciones
Cannabidiol	Desconocido	Rett, Síndrome de		GW Pharmaceuticals	
Cannabidiol	Desconocido	West, Síndrome de		GW Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Cannabidiol	Desconocido	Lennox Gastaut, Síndrome de		GW Pharmaceuticals	
Cannabidiol	Desconocido	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia		GW Pharmaceuticals	
Cannabidiol (Transdérmico)	Desconocido	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Adeptio Pharmaceuticals	
Cannabidivarina	Antiepiléptico	Rett, Síndrome de		GW Pharmaceuticals	
Cantaridina	Desconocido	Colagenosis Perforante Reactiva		Orenova Group	
Cantaridina	Desconocido	Elastosis Perforans Serpiginosa		Orenova Group	
Cantaridina	Desconocido	Kyrle, Enfermedad de		Orenova Group	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Cantaridina	Desconocido	Foliculitis Perforante		Orenova Group	
Carbamazepina	Desconocido	Condrodisplasia Metafisaria de Schmid		University of Newcastle upon Tyne	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Carbenoxolona	Neuroprotector	Huntington, Enfermedad de		Oxalys Pharmaceuticals	
Carbetocina	Análogo hormonal	Prader Willi, Síndrome de	Duratobal	Ferring	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación
Carbono, Dióxido de	Desconocido	Neuralgia del Trigémino		Capnia, Inc	
Carbono, monóxido	Desconocido	Anemia Drepanocítica		Hillhurst Biopharmaceuticals	
Carboxi pirrolidina hexanoil pirrolidina, carboxilato de	Reductor de los niveles de suero amiloide	Amiloidosis Primaria Familiar		Glaxo Smithkline	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Carboxihemoglobina bovina pegilada	Antihipóxico	Anemia Drepanocítica		Prolong Pharmaceuticals	
Carboxihemoglobina pegilada	Protector de las células rojas	Anemia Drepanocítica		Voisin Consulting SARL	
Carglúmico, ácido	Activador enzimático	N-Acetil Glutamato Sintetasa, Déficit de	Carbaglu	Orphan Europe	Comercializado en España, pero autorizado sólo para la deficiencia en N-acetil-glutamato sintetasa
Carglúmico, ácido	Activador enzimático	Acidemia Propiónica	Carbaglu	Orphan Europe	Comercializado en España, pero autorizado sólo para la deficiencia en N-acetil-glutamato sintetasa
Carglúmico, ácido	Activador enzimático	Acidemia Isovalérica	Carbaglu	Orphan Europe	Comercializado en España, pero autorizado sólo para la deficiencia en N-acetil-glutamato sintetasa
Carglúmico, ácido	Activador enzimático	Acidemia Metilmalónica	Carbaglu	Orphan Europe	Comercializado en España, pero autorizado sólo para la deficiencia en N-acetil-glutamato sintetasa
Carisbamato	Antiepiléptico	Lennox Gastaut, Síndrome de		SK Life Sciences, Inc	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Carmustina con polifeprosano 20 (implante)	Inhividor del crecimiento celular	Glioblastoma	Gliadel	Esteve	Comercializado en España
Carnitina	Cofactor en el metabolismo de los ácidos grasos	Carnitina, Síndromes por Déficit de	Carnicor	Sigma Tau	Comercializado en España
Catumaxomab	Anticuerpo que activa células inmunitarias	Estómago, Cáncer de		Fresenius Biotech GmbH	
Celecoxib	Inhibidor de la ciclooxigenasa-2	Poliposis Familiar	Onsenal	Pharmacia-Pfizer EEIG	Retirado por la EMA
Celiprolol	Beta-Bloqueante	Ehlers Danlos, Síndrome de		Acer Therapeutics	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Células alogénicas derivadas de la cardioesfera	Terapia celular	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Capricor Therapeutics	
Células alogénicas progenitoras adultas humanas, aisladas de músculo estriado y expandidas ex vivo	Terapia celular	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Karl Rouger	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Células alogénicas progenitoras de neuronas motoras procedentes de células madre embrionarias humanas	Terapia celular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		California Stem Cell (UK)	
Células autólogas de la médula ósea CD34+ transducidas ex vivo con un vector lentiviral EFS-ADA basado en el HIV-1 autoactivante,	Terapia celular	Inmunodeficiencia Combinada Grave (ICG) causada por déficit de adenosina desaminasa.		Donald B Khon	
Células autólogas uroteliales y musculares lisas	Terapia celular	Espina Bífida		Choice Pharma Limited	
Células CD34 + autólogas transducidas con un vector lentiviral que contiene el gen humano del síndrome de Wiskott-Aldrich	Terapia celular	Wiskott Aldrich, Síndrome de		Généthon	
Células CD34+ autólogas transducidas con un vector lentiviral que contiene el gen de la beta-globina humana	Terapia celular	Talasemia Mayor		Fondazione Telethon	
Células CD34+ autólogas transducidas con un vector lentiviral que contiene el gen de la beta-globina humana	Terapia celular	Talasemia intermedia		Fondazione Telethon	
Células CD34+ autólogas transducidas con un vector lentiviral que contiene el gen humano SGSH	Terapia celular	SanFilippo, Síndrome de		Cochamo Systems Ltd	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Células CD34+ autólogas transfectadas con un vector lentivírico que contiene el gen humano de la ADA	Terapia celular	Inmunodeficiencia Combinada Grave (ICG) causada por déficit de adenosina desaminasa.	Strimvelis	Glaxo Smithkline	Pendiente de comercialización en España
Células CD34+ autólogas transfectadas con un vector lentivírico que contiene el gen humano de la proteína del síndrome de Wiskott-Aldrich	Terapia celular	Wiskott Aldrich, Síndrome de		Fondazione Telethon	
Células CD34+ autólogas transfectadas con un vector lentivírico que contiene el gen humano de la RAG	Terapia celular	Inmunodeficiencia Severa Combinada, Enfermedad de la		Prof. F.J.T.Staal	
Células de la fracción vascular estromal derivadas de tejido adiposo autólogo	Terapia celular	Esclerodermia		Assistance Publique Hôpitaux de Marseille	
Celulas dendriticas autologas incubadas ex vivo en zebularina y Factor VIII.	Terapia celular	Hemofilia A		Idogen AB	
Células derivadas de la médula ósea humana alogénicas	Ingeniería de tejidos	Osteonecrosis		Bone Therapeutics	
Células derivadas de la médula ósea humana alogénicas	Ingeniería de tejidos	Osteogénesis Imperfecta		Bone Therapeutics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Células derivadas del tejido umbilical humano	Terapia celular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Advanced Technologies & Regenerative Medicine	
Células embrionarias del riñón humano 293 transfectadas con el gen de la isoforma 2B1 del citocromo P450, encapsuladas en un polímero de sulfato de celulosa	Terapia celular	Páncreas, Cáncer de		Austrianova FSG-Biotechnologie GmbH	
Células endoteliales autólogas cultivadas en el disco corneal humano de un donante	Terapia celular	Queratopatía bullosa		Cellular Bioengineering	
Células endoteliales autólogas cultivadas en el disco corneal humano de un donante	Terapia celular	Distrofia Corneal Endotelial Polimorfa Posterior		Cellular Bioengineering	
Células epiteliales del pigmento retiniano derivadas de células madre de origen embrionario	Terapia celular	Stargardt, Enfermedad de		TMC Pharma Services Ltd	
Células estromales placentarias adherentes expandidas ex-vivo	Terapia celular	Buerger, Enfermedad de		Pluristem Therapeutics	
Células estromales placentarias adherentes expandidas ex-vivo	Terapia celular	Anemia Aplásica		Pluristem Therapeutics	

Nombre del principio activo	Mecanismo de acción	Indicación	Nombre comercial	Nombre del laboratorio o sponsor	Estado de comercialización
Células estromales placentarias adherentes expandidas ex-vivo	Terapia celular	Preeclampsia		Pluristem Therapeutics	
Células estromales mesenquimales alogénicas agrupadas, derivadas de la médula ósea de adultos humanos,expandidas ex-vivo	Desconocido	Buerger, Enfermedad de		Regulatory Resources Group Ltd	
Células hematopoyéticas autólogas, genéticamente modificadas con un vector lentiviral que contiene el gen humano gp91(phox)	Terapia génica	Granulomatosa Crónica, Enfermedad		Généthon	
Células hematopoyéticas CD34+autólogas transducidas con un vector lentivírico que contiene el gen de la beta A-T87Q –globina humana	Terapia celular	Talasemia Mayor		Bluebird Biofrance	
Células hematopoyéticas CD34+autólogas transducidas con un vector lentivírico que contiene el gen de la beta A-T87Q –globina humana	Terapia celular	Talasemia intermedia		Bluebird Biofrance	
Células hematopoyéticas CD34+autólogas transducidas con un vector lentivírico que contiene el gen de la beta A-T87Q –globina humana	Terapia celular	Anemia Drepanocítica		Bluebird Biofrance	
Células hematopoyéticas pluripotenciales autólogas transducidas con un vector lentivírico Lenti-D que contiene el cDNA del ABCD1 humano	Terapia celular	Adrenoleucodistrofia		Bluebird Biofrance	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Células hematopoyéticas pluripotenciales autólogas transducidas con un vector lentivírico que contiene el gen de la beta-globina humana	Terapia celular	Talasemia Mayor		Errant Gene Therapeutics	
Células hematopoyéticas pluripotenciales autólogas transducidas con un vector lentivírico que contiene el gen de la beta-globina humana	Terapia celular	Talasemia intermedia		Errant Gene Therapeutics	
Células hepáticas heterólogas humanas (para infusión)	Terapia celular	Hiperargininemia		Cytonet	
Células hepáticas heterólogas humanas (para infusión)	Terapia celular	Ornitín Transcarbamilasa, Déficit de		Cytonet	
Células hepáticas heterólogas humanas (para infusión)	Terapia celular	Citrulinemia		Cytonet	
Células hepáticas heterólogas humanas (para infusión)	Terapia celular	Aciduria Arginino Succínica		Cytonet	
Células hepáticas heterólogas humanas (para infusión)	Terapia celular	Carbamil Fosfato Sintetasa, Déficit de		Cytonet	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Células madre adultas hematopoiéticas autologas de médula ósea no expandidas CD133+ mobilizadas a partir de sangre periférica	Terapia celular	Asherman, Síndrome de		Igenomix SL	
Células madre autólogas derivadas de tejido adiposo	Terapia celular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Mayo Clinic	
Células madre autólogas mesenquimales derivadas de la médula ósea expandidas ex-vivo	Terapia celular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		TCA Cellular Therapy	
Células madre CD34+ autólogas derivadas de la médula ósea transducidas con un vector gammaretroviral autoinactivante que codifica IL2RG (yc) humano	Terapia celular	Inmunodeficiencia Severa Combinada, Enfermedad de la		Boston Children's Hospital	
Células madre hematopoyéticas CD34+ transducidas con un vector lentiviral hCD11b que codifica el gen de la sulfoglucosamine sulfhidrolasa humana (SGSH)	Terapia celular	SanFilippo, Síndrome de		Orchard Therapeutics North America	
Células madre hematopoyéticas modificadas con un vector lentiviral que contiene el gen CD18	Terapia celular	Adhesión de los Leucocitos, Déficit de		CIBERER	
Células madre heterólogas extraídas de tejido hepático humano adulto	Terapia celular	Carbamil Fosfato Sintetasa, Déficit de		Fresenius (Alemania)	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Células madre humanas extraídas de tejido hepático heterólogo adulto	Terapia celular	Crigler Najjar, Síndrome de		Promethera Biosciences	
Células madre humanas extraídas de tejido hepático heterólogo adulto	Terapia celular	Ornitintranslocasa, déficit de		Promethera Biosciences	
Células madre mesenquimales alogénicas provenientes de sangre de cordón umbilical humano expandidas ex vivo	Terapia celular	Displasia Broncopulmonar		MEDIPOST	
Células madre mesenquimales derivadas del tejido adiposo autólogo	Terapia celular	Buerger, Enfermedad de		Biostar Stem Cell Research Institute	
Células madre multipotentes derivadas de la médula ósea adherentes adultas	Terapia celular	Hurler, Síndrome de		Athersys	
Células mesenquimales de estroma derivadas de médula ósea autóloga secretoras de factores neurotróficos	Terapia celular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Brainstorm Cell Therapeutics UK	
Células progenitoras alogénicas de las motoneuronas derivadas de células madre embrionarias humanas	Terapia celular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		California Stem Cell (UK)	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Células progenitoras de la retina	Terapia Celular	Retinosis Pigmentaria		jCyte	
Células progenitoras de neuronas motoras alogénicas procedentes de células madre embrionarias humanas	Terapia celular	Atrofia Muscular Espinal 5q		California Stem Cell (UK)	
Células progenitoras heterólogas extraídas de hígado humano adulto	Terapia celular	Hiperargininemia		Promethera Biosciences	
Células progenitoras heterólogas extraídas de hígado humano adulto	Terapia celular	Citrulinemia		Promethera Biosciences	
Células progenitoras heterólogas extraídas de hígado humano adulto	Terapia celular	Carbamil Fosfato Sintetasa, Déficit de		Promethera Biosciences	
Células progenitoras heterólogas extraídas de hígado humano adulto	Terapia celular	Ornitín Transcarbamilasa, Déficit de		Promethera Biosciences	
Células progenitoras heterólogas extraídas de hígado humano adulto	Terapia celular	Aciduria Arginino Succínica		Promethera Biosciences	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Células progenitoras heterólogas extraídas de hígado humano adulto	Terapia celular	N-Acetil Glutamato Sintetasa, Déficit de		Promethera Biosciences	
Células progenitoras humanas alogénicas de retina neural expandidas extraídas de retina neural	Terapia celular	Retinosis Pigmentaria		ReNeuron Ltd	
Células progenitoras neurales olfatorias	Terapia celular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		RhinoCyte	
Células progenitoras restringidas a las gliales y su progenie	Terapia celular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Q Therapeutics Inc	
Células tumorales alogénicas (humanas) modificadas genéticamente para la expresión de IL-7,GM-CSF, CD80 Y CD154, en combinación fija con el estimulador inmunitario de doble	Terapia celular	Carcinoma de Células Renales		Mologen AG	
Cenergermina	Estimula el crecimiento celular	Retinosis Pigmentaria	Oxervate	Dompe spa	Pendiente de comercialización en España
Cenergermina	Estimula el crecimiento celular	Queratitis Neurotrófica	Oxervate	Dompe spa	Pendiente de comercialización en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Ceramidasa ácida humana recombinante	Substitución enzimática	Fibrosis Quística		Plexcera Therapeutics	
Ceramidasa ácida recombinante humana	Substitución enzimática	Farber, Enfermedad de		Plexcera Therapeutics	
Cerliponasa alfa	Terapia de sustitución	Jansky Bielschowsky, Enfermedad de	Brineura	BioMarin Europe Ltd	Pendiente de comercialización en España
Cetromicina	Antibiótico bactericida	Peste Bubónica		Advanced Life Sciences	
Cetromicina	Antibiótico bactericida	Carbunco		Advanced Life Sciences	
Cetromicina	Antibiótico bactericida	Tularemia		Advanced Life Sciences	
Cicletanina	Eleva la concentración de óxido nítrico	Hipertensión Pulmonar Arterial	Justar	Ipsen Pharma	Comercializado en Alemania, pero no autorizado para esta indicación huérfana

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Cicletanina	Eleva la concentración de óxido nítrico	Hipertensión Pulmonar Arterial		Gilead Sciences	
Ciclo(-gamma-aminobutiril-L-fenilalanil-L-triptofanil-D-triptofanil-L-lisil-L-threonil-L-fenilalanil-N-3-carboxipropil) -glicina amida, acetato de sal	Desconocido	Acromegalia		Dr Ulrich Granzer	
Ciclocreatina	Terapia de sustitución	Déficit de transportador de creatina		Lumos Pharma	
Ciclofosfamida	Inmunosupresor	Esclerodermia	Genoxal	Baxter	Comercializado en España pero no autorizado para esta indicación huérfana
Ciclofosfamida	Inmunosupresor	Esclerodermia		Accentia Biopharmaceuticals	
Ciclosporina	Inmunosupresor	Anemia Aplásica	Sandimmun	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Ciclosporina (por inhalación)	Inmunosupresor	Rechazo del injerto tras un Transplante de Pulmón		PARI Aerosol Research Institute	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Ciclosporina (por inhalación)	Inmunosupresor	Rechazo del injerto tras un Transplante de Pulmón		Chiron	
Cinacalcet	Agonista de los receptores del calcio	Hiperparatiroidismo Primario	Mimpara	Amgen Europe BV	Comercializado en España
Cintredequina besudotox	Inmunomodulador/citotóxico	Fibrosis Pulmonar Idiopática		NeoPharm	
Cipargamina	Antiprotozoario	Malaria		Paul Maher	
Ciprofloxacino (inhalado)	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística		Bayer (Alemania)	
Ciprofloxacino (liposomal)	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística		Aradigm Corporation	
Cisplatino (liposomal)	Agente citotóxico	Páncreas, Cáncer de		Regulon AE	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Citarabina	Agente apoptótico	Meningitis Neoplásica	DepoCyte	Mundipharma Pharmaceuticals S.L.	Comercializado en España
Citrato de potasio monohidratado y bicarbonato de potasio	Neutralizador de la acidosis	Acidosis Tubular Renal Distal		Advicenne Pharma SA	
Cladribina (vía intravenosa)	Inmunomodulador	Esclerosis Múltiple	Leustatin	Janssen-cilag	Comercializado en España para otras indicaciones
Cladribina (vía subcutánea)	Inmunomodulador	Leucemia de Células Pilosas	Litak	Lipomed GmbH	Comercializado en España para la Leucemia de Células Pilosas
Cladribina (vía subcutánea)	Inmunomodulador	Mastocitosis	Litak	Lipomed GmbH	Comercializado en España para la Leucemia de Células Pilosas
Clemizol	Anticonvulsivante	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia		Epygenix Therapeutics	
Clenbuterol	Agonista beta adrenérgico	Pompe, Enfermedad de		Duke University medical center	Comercializado en otros países por otros laboratorios para otras indicaciones

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Clobazam	Anticonvulsivante	Lennox Gastaut, Síndrome de		Ovation Pharmaceuticals	
clofarabina	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Mieloide Aguda	Evoltra	Bioenvision Limited	Comercializado en España
clofarabina	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Linfoblástica Aguda	Evoltra	Bioenvision Limited	Comercializado en España
Clofazimina	Bacteriostático	Tuberculosis	Lamprene	Novartis Farmacéutica	Comercializado en Francia para la Lepra
Clofazimina	Bacteriostático	Lepra	Lamprene	Novartis Farmacéutica	Comercializado en Francia para la Lepra
Clorhidrato de ácido (1S,3S)-3-amino-4-(difluorometileno) ciclopentanocarboxílico	Antiepiléptico	West, Síndrome de		Catalent Pharma Solutions Limited	
Clorhidrato de Nemorrubicina	Inhibidor del crecimiento celular	Carcinoma Hepatocelular		Nerviano Medical Sciences SRL	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Clorhidrato de nilotinib monohidratado monohidratado	Desconocido	Tumores Estromales Gastrointestinales Malignos		Novartis Europharm Limited	
Clorito de sodio	Anitinflamatorio	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Shore Limited	
Clorotoxina marcada con Yodo (131I)	Agente Neurotóxico	Glioma		The Weinberg Group L.L.C.	
CNV1014802	Bloqueador de los canales del sodio	Neuralgia del Trigémino		Convergence Pharmaceuticals	
Cobre, histidinato	Terapia de sustitución	Menkes, Enfermedad de		Stephen G. Kaler	
Colágeno cutáneo bovino natural de tipo I	Inmunomodulador	Esclerodermia		arGentis Autoimmune	
Colágeno purificado del tipo bovino	Inmunomodulador	Fibrosis Pulmonar Idiopática		ImmuneWorks Inc	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Colágeno Tipo VII recombinante humano	Terapia de sustitución	Epidermólisis Ampollosa		Universidad de California	
Colchicina	Desconocido	Fiebre Mediterránea Familiar		AR Scientific	
Colchicina	Desconocido	Behcet, Enfermedad de	Colchicine Houde	Seid	
Colchicina	Desconocido	Fiebre Mediterránea Familiar	Colchicine Houde	Seid	
Colchicina	Desconocido	Behcet, Enfermedad de		AR Scientific	
Cólico, ácido	Terapia de sustitución	Errores Congénitos de la Síntesis de Ácidos Biliares	Kolbam	ASK Pharmaceuticals GmbH	Pendiente de comercialización en España
Combinación de 4-hidroxi-androstenediona, extracto del fruto de Serenoa serrulata y ácido alfa lipóico	Reduce la formación de grasas	Madelung, Enfermedad de		Dr Regenold GmbH	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Combinación de las proteínas de fusión anticuerpo monoclonal anti-CD3 (SPV-T3a) cadena A de la ricina y anticuerpo monoclonal anti-CD7 (WT1)	Inmunomodulador	Injerto Contra Huesped, Enfermedad de	Medpact	Immuno-Designed Molecules SA	
Combinación de las proteínas de fusión anticuerpo monoclonal anti-CD3 (SPV-T3a) cadena A de la ricina y anticuerpo monoclonal anti-CD7 (WT1)	Inmunomodulador	Injerto Contra Huesped, Enfermedad de		Henogen S.A.	
Combinación fija de (R-S) baclofeno, cloridrato de naltrexona y D-sorbitol	Desconocido	Charcot Marie Tooth, Enfermedad de		Pharnext SAS	
Complejo coagulante antiinhibidor	Acorta el tiempo de la tromboplastina	Hemofilia A	FEIBA	Baxter	Comercializado en España para el tratamiento de las Hemofilias A y B
Complejo coagulante antiinhibidor	Acorta el tiempo de la tromboplastina	Hemofilia B	FEIBA	Baxter	Comercializado en España para el tratamiento de las Hemofilias A y B
Complejo de tocotrienol de palma	Desconocido	Arteriopatía Cerebral Autosómica Dominante con Infartos Subcorticales y Leucoencefalopatía		Hovid Berhad	
Compuesto de fosfomicina disódica y tobramicina	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística		CURx Pharma (UK)	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Concentrado de enzimas proteolíticas enriquecidas en bromelaína	Desbridante	Quemaduras profundas parciales o totales de la piel	NexoBrid	TEVA	Pendiente de comercialización en España
Concizumab	Inmunomodulador	Hemofilia B		Novo Nordisk A/S	
Conjugado de un Ligando químico pequeño específico del virus del dengue y un polímero anfifílico pegilado	Antiviral	Dengue		NanoViricides Incorporated	
Corifungin	Antibiótico antimicótico	Leishmaniasis		Universidad de California	
Corticotropina (liberación prolongada)	Terapia de sustitución	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Acthar	Questcor Pharmaceuticals	Comercializado en Estados Unidos y Reino Unido para otra indicación
Cotsiranib	Antifibrogénico	Colangitis Primaria Esclerosante		Sirnaomics	
Crofelemer	Desconocido	Intestino Corto, Síndrome del	Mytesi	Napo Pharmaceuticals, Inc.	Comercializado en EEUU para otra indicación

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Cry5b	Antihelmítico	Estrongiloidiasis		Universidad de California	
d6-tetrabenazina, deutetrabenazina	Regulador de la dopamina	Huntington, Enfermedad de		Auspez Pharmaceuticals	
d6-tetrabenazina, deutetrabenazina	Regulador de la dopamina	Gilles de la Tourette, Síndrome de		Auspez Pharmaceuticals	
Dantroleno	Relajante muscular	Wolfram, Síndrome de		Washington University in St. Louis	
Dantroleno	Relajante muscular	Wolfram, Síndrome de	Dantrium	Yamamouchi Pharmaceutical	Comercializado en Japón
Dantroleno	Relajante muscular	Neuróléptico Maligno, Síndrome	Dantrium	Yamamouchi Pharmaceutical	Comercializado en Japón
Dantroleno	Relajante muscular	Neuróléptico Maligno, Síndrome		Washington University in St. Louis	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Dasatinib	Inhividor del crecimiento celular	Leucemia Mieloide Crónica	Sprycel	Bristol Myers Squibb	Comercializado en Reino Unido
Dasatinib	Inhividor del crecimiento celular	Leucemia Linfoblástica Aguda	Sprycel	Bristol Myers Squibb	Comercializado en Reino Unido
Dasatinib	Inhividor del crecimiento celular	Leucemia Mieloide Crónica	Sprycel	Bristol Myers Squibb	Comercializado en Reino Unido
Deaminasa recombinante humana del porfobilinógeno	Sustitución enzimática	Porfiria Aguda Intermitente		Zymenex A/S	
Decitabina	Inhibidor crecto celular/activador gen Hb fetal	Anemia Drepanocítica	Dacogen	Janssen-cilag	Comercializado en España para la Leucemia Mieloide Aguda
Decitabina	Inhibidor crecto celular/activador gen Hb fetal	Mielodisplástico, Síndrome	Dacogen	Janssen-cilag	Comercializado en España para la Leucemia Mieloide Aguda
Decitabina	Inhibidor crecto celular/activador gen Hb fetal	Leucemia Mieloide Aguda	Dacogen	Janssen-cilag	Comercializado en España para la Leucemia Mieloide Aguda

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
decitabina/tetrahidouridina	Inhibidor del crecimiento celular	Anemia Drepanocítica		EpiDestiny Inc.	
Deferiprona	Quelante	Ataxia de Friedreich		ApoPharma	
Defibrotida	Vasoprotector	Veno Oclusiva Hepática, Enfermedad	Defitelio	Gentium Spa	Pendiente de comercialización en España
Deflazacort	Antiinflamatorio	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Marathon Pharmaceuticals	Comercializado en España por otros laboratorios, pero no autorizado para esta indicación
Delamanid	Antibiótico bactericida	Tuberculosis	Deltyba	Otsuka Pharmaceuticals	Pendiente de comercialización en España
Denileukina difitox	Citotóxico	Linfoma Cutáneo de las Células T	Ontak	Ligand Pharmaceuticals UK Ltd.	Comercializado en EEUU
Derivado de anticuerpo recombinante contra CD19 y CD3 humanas	Inmunomodulador	Leucemia Linfocítica Crónica		Micromet AG	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Derivado de anticuerpo recombinante contra CD19 y CD3 humanas	Inmunomodulador	Linfoma de las Células del Manto		Micromet AG	
Derivado de la fenilalanina ópticamente puro	Desconocido	Narcolepsia		Aerial BioPharma	
Dermagraft	Ingeniería de tejidos	Epidermólisis Ampollosa		Advanced Bio Healing	
Dermis bio- ingenierizada basada en una matriz de fibrina con células mesenquimales troncales adultas derivadas de tejido adiposo con origen alogénico	Terapia celular	Epidermólisis Ampollosa		Biodan Yelah S.L.	
Desmogleina 3, péptido sintético	Inmunomodulador	Pénfigo Vulgar		Peptimmune, Inc	
Desmopresina, acetato	Estimula secreción factor VIII/Factor Von Willebrand	Von Willebrand, Enfermedad de	Octostim	Ferring	Comercializado en España
Desmopresina, acetato	Estimula secreción factor VIII/Factor Von Willebrand	Hemofilia A	Octostim	Ferring	Comercializado en España



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Dexametasona, fosfato sódico, encapsulada en eritrocitos autólogos humanos	Antiinflamatorio	Ataxia Telangiectasia		Erydel spa	
Dexametasona, fosfato sódico, encapsulada en eritrocitos autólogos humanos	Antiinflamatorio	Fibrosis Quística		Erydel spa	
Dextran 1	Mucolítico Mucolítico	Fibrosis Quística		BCY LifeSciences	
Dextrometorfano/Quinidina	Regulador del glutamato	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Nuedexta	Avanir Pharmaceuticals	Comercializado en Estados Unidos para otra indicació
Diacerefina	Antiinflamatorio	Epidermólisis Ampollosa		Prof. Johann W. Bauer	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Diazóxido colina	Hiperglucemiante	Prader Willi, Síndrome de		Soleno Therapeutics	
Diclorhidrato de Ntert-butil-3-[(5-metil-2-[[4-(2-pirrolidin-1-iletotoxi)fenil]amino}]pirimidin-4-il)amino]bencenosulfonamida monohidrato	Inhibidor del crecimiento celular	Mielofibrosis Idiopática		Sanofi Synthelabo	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Dicloroacetato sódico	Desconocido	Hipertensión Pulmonar Arterial		Universidad de Florida	
Dietilnoespermina	Inhibidor del crecimiento celular	Carcinoma Hepatocelular		Genzyme (EEUU)	
Diferiprona	Quelante	Anemia de Células Falciformes	Ferriprox	Swedish Orphan International AB	Comercializado en España,pero no autorizado para esta indicación
Diferiprona	Quelante	Anemia de Células Falciformes		Apotex	
Difluprednato	Antiinflamatorio	Uveitis Anterior Endógena	Durezol	Alcon Pharmaceuticals	Comercializado en EEUU
Dihidrotetrabenazina	Antidopaminérgico	Gilles de la Tourette, Síndrome de		Adeptio Pharmaceuticals	
Dimebon	Inhibidor de la muerte celular	Huntington, Enfermedad de		Medivation Inc	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Dimetilfumarato	Inmunomodulador	Pénfigoide Buloso		Prof. Gino Cortopassi	Comercializado en España por otros laboratorios para otra indicación
Dimetilfumarato	Inmunomodulador	Ataxia de Friedreich		Immunogenetics AG	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Dimetilfumarato	Inmunomodulador	Pénfigoide Buloso		Immunogenetics AG	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Dimetilfumarato	Inmunomodulador	Ataxia de Friedreich		Prof. Gino Cortopassi	Comercializado en España por otros laboratorios para otra indicación
Dióxido de Titanio y Bisotrizol (crema)	Bloqueantes solares con filtro químico	Tratamiento de los trastornos por fotosensibilidad inducidos por la luz visible y por los rayos UV-A (dermatitis actínica crónica, porfirias)		Orfagen	
Dipalmitoilfosfatidilcolina, 1-palmitoil-2-oleoil-sn-glicero-3-fosfoglicerol, sal sódica, análogo de la proteína C tensioactiva sintética y análogo de la proteína B tensioactiva sintética	Surfactante	Distress Respiratorio del Prematuro, Síndrome del		Chiesi	
Disquerina humana recombinante	Terapia de sustitución	Disqueratosis Congénita		Advanced Medical projects	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
D-manitol/L-prolina	Prevención del envejecimiento celular	Cockayne, Síndrome de		Pharming Group N.V.	
Docosahexanoico, ácido	Hipolipemiente	Colangitis Primaria Esclerosante		Sancilio and Company	
Dodecafluoropentano (Emulsión)	Desconocido	Anemia Drepanocítica		NuvOx Pharma	
Doripenem	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística		Peninsula Pharmaceuticals	
Dornasa alfa	Mucolítico	Fibrosis Quística	Pulmozyme	Roche	Comercializado en España
Doxiciclina, hiclato	Desconocido	Amiloidosis Sistémica		Giampaolo Merlini	
Drotrecogina alfa (activada)	Inhibidor de la coagulación	Distress Respiratorio Agudo, Síndrome de		Drugrecure Aps	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
D-Tagatosa	Desconocido	Prader Willi, Síndrome de		Biospherics.net LLC	Comercializado en España por otras empresas como edulcorante
Dupilumab	Inmunomodulador	Esofagitis eosinofílica		Regeneron Pharmaceuticals	
Duramicina	Mucolitico	Fibrosis Quística		AOP Orphan Pharmaceuticals	
E-(1S,4S,10S,21R)-7-[Z-etiliden]-4,21-diisopropil-2-oxa-12,13-ditia-5,8,20,23-tetraazabicyclo[8,7,6]tricos-16-eno-3,6,9,19,22-pentona	Inhibidor del crecimiento celular	Linfoma Cutáneo de las Células T		Matthews Consultancy Ltd	
E5501	Agonista del receptor de la trombopoyetina	Púrpura Trombocitopénica Idiopática		Eisai Limited	
Ecalantida	Inhibidor de las quininas	Angioedema Hereditario	Kalbitor	Dyax SA	Comercializado en EEUU
Ecopipam	Antagonista dopaminérgico	Lesch Nyhan, Síndrome de		Psyadon Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Ecotiopato, yoduro de	Inhibidor de la colinesterasa	Stargardt, Enfermedad de		Makindus	Comercializado en EEUU por otro laboratorio, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Eculizumab	Inmunomodulador	Hemolítico Urémico atípico, Síndrome	Soliris	Alexion Pharmaceuticals	Comercializado en España,pero autorizado sólo para la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna y la Miastenia Gravis
Eculizumab	Inmunomodulador	Devic, Enfermedad de	Soliris	Alexion Pharmaceuticals	Comercializado en España,pero autorizado sólo para la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna y la Miastenia Gravis
Eculizumab	Inmunomodulador	Dermatomiositis	Soliris	Alexion Pharmaceuticals	Comercializado en España,pero autorizado sólo para la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna y la Miastenia Gravis
Eculizumab	Inmunomodulador	Miastenia Gravis	Soliris	Alexion Pharmaceuticals	Comercializado en España,pero autorizado sólo para la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna y la Miastenia Gravis
Eculizumab	Inmunomodulador	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna	Soliris	Alexion Pharmaceuticals	Comercializado en España,pero autorizado sólo para la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna y la Miastenia Gravis
Edaravona	Neuroprotector	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Radicut	MitsubishiTanabe PharmaCo	Comercializado en Japón, pero no autorizado para esta indicación huérfana

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Edaravona	Neuroprotector	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Treeway B.V.	
Efgartigimod	Inmunomodulador	Miastenia Gravis		argenx BVBA	
Eflornitina/Sulindac	Inhibidor del crecimiento celular	Poliposis Familiar		Cancer Prevention Pharma Limited	
Eftrenacog alfa	Terapia de sustitución	Hemofilia B	ALPROLIX	Biovitrum AB	Pendiente de comercialización en España
EHP-101	Reductor del tejido conectivo	Esclerodermia		Emerald Health Pharmaceuticals	
Eicosapentanoato de etilo	Inhibidor de la fosfolipasa A2	Poliposis Familiar	Epadel	Mochida Pharmaceutical	Comercializado en Japón, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Eicosapentanoato de etilo	Inhibidor de la fosfolipasa A2	Huntington, Enfermedad de	Epadel	Mochida Pharmaceutical	Comercializado en Japón, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Eicosapentanoato de etilo	Inhibidor de la fosfolipasa A2	Poliposis Familiar		Laxdale Ltd.	
Eicosapentanoato de etilo	Inhibidor de la fosfolipasa A2	Huntington, Enfermedad de		Laxdale Ltd.	
Eicosapentanoato de etilo	Inhibidor de la fosfolipasa A2	Huntington, Enfermedad de		SLA Pharma (UK) Ltd.	
Eicosapentanoato de etilo	Inhibidor de la fosfolipasa A2	Poliposis Familiar		SLA Pharma (UK) Ltd.	
Elafin	Antiproteolítico	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica		Proteo Biotech AG	
Elafin	Antiproteolítico	Hipertensión Pulmonar Arterial		Proteo Biotech AG	
Eleclazina	Antagonista del canal del sodio	QT Largo, Síndrome de		Gilead Sciences	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Eliglustat	Inhibidor enzimático	Gaucher, Enfermedad de	Cerdelga	Genzyme	Comercializado en España
Elosulfasa alfa	Substitución enzimática	Morquio, Enfermedad de	Vimizim	BioMarin Europe Ltd	Pendiente de comercialización en España
Eltrombopag	Antiagregante plaquetario	Anemia Aplásica	Revolade	Glaxo Smithkline	Comercializado en España
Emixustat	Reductor de la disponibilidad de Vit A en la retina	Stargardt, Enfermedad de		Acucela Inc	
Emodepsida	Antihelmíntico	Oncocercosis		Bayer	
Emtricitabina	Bloqueador enzimático	Aicardi-Goutières, Síndrome de		Dr Yanick Crow	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Endonucleasa T4 tipo V (Liposomas)	Prevención de mutaciones del ADN	Xeroderma Pigmentario	Dimericine	AGI Dermatics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Enoxacino	Protector neuronal	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Impasara Ltd	
Enzimas pancreáticos (lipasa, proteasa, amilasa)	Sustitución enzimática	Insuficiencia Pancreática Exocrina		Dr Falk Pharma	
Epirubicina	Antibiótico citotóxico	Cáncer de mama	Ellence	Pharmacia and Upjohn	Comercializado en España
Epoprostenol	Antiagregante plaquetario/vasodilatador fisiológico	Hipertensión Pulmonar Primaria	Flolan	Glaxo Smithkline	Comercializado en España
Eprodiasato	Prevención de la formación de fibrilos de amiloide	Amiloidosis Secundaria Sistémica		Quintiles Limited	
Eptifibatida/iloprost	Inhibidor de la agregación plaquetaria	Púrpura Fulminante		Thrombologic COBIS	
Eritrocitos humanos que encapsulan hexafosfato de inositol	Aumento de los niveles de oxígeno celular	Anemia Drepanocítica		Erytech Pharma S.A. (Francia)	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Esferas de albumina revestidas de fibrinogeno	Antihemorrágico	Fiebre hemorrágica de Ébola		Fibreu Limited	
Esparsentan	Reductor de la proteinuria	Glomeruloesclerosis Focal y Segmentaria		Retrophin	
Éster etílico de ácido (S)-8-{2-amino-6-[1-(5cloro-bifenil-2-il)-(R)-2,2,2-trifluoro-etoxi]-pirimidina-4-il}-2,8-diaza-espiro[4.5]-decano-3carboxílico	Bloqueo de la producción de serotonina	Hipertensión Pulmonar Arterial		KAROS Pharmaceuticals	
Estibogluconato de sodio	Antiprotozoario	Leishmaniasis		Ejercito de los Estados Unidos	
Estibogluconato de sodio	Antiprotozoario	Leishmaniasis	Glucantime	Sanofi Synthelabo	
Estiripentol	Antiepiléptico	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia	Diacomit	Laboratoires Biocodex	Comercializado en España
Estructura de cadena simple compuesta por 26 oligonucleotidos 2'-O-metil-RNA fosforotioato y DNA mixmer	Terapia antisentido	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia		Opko Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Etanercept	Inhibidor del Factor de la Necrosis Tumoral	Granulomatosis de Wegener	Enbrel	Wyeth Farma	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Eteplirsen	Inductor de la expresión de distrofina	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Exondys 51	Sarepta Therapeutics	Comercializado en Estados Unidos
Etilefrina	Agente adrenérgico	Priapismo de Bajo Flujo	Etilefrine Serb	Laboratoires serb	Comercializado en Francia, pero no autorizado para esta indicación
Etolizumab	Inmunomodulador	Colitis Ulcerosa Pediátrica		Genentech	
Everolimus	Inmunosupresor	Esclerosis Tuberosa	Votubia	Novartis Europharm Limited	Comercializado en España para el Cáncer de Riñón
Everolimus	Inmunosupresor	Esclerosis Tuberosa	Afinitus	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España, pero autorizado solo para el Carcinoma de Celulas Renales
Evinacumab	Inmunomodulador	Hipercolesterolemia Familiar Homozigota		Regeneron Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Exenatida	Hipotensor	Hipertensión Intracraneal Idiopática		Alan Boyd Consultants Ltd	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Existulind	Inhibidor enzimático	Angiomatosis Caverosa del Cerebro		Firc Institute of Molecular Oncology (IFOM)	Comercializado en otros países por otros laboratorios para otras indicaciones
Extracto de bilis bovina	Inmunomodulador	Páncreas, Cáncer de		GMG BioBusiness Limited	
Extracto de hoja de Shorgum bicolor, tallo de Pterocarpus ossun, semilla de PiperGuineense y flor de Caryophilly	Desconocido	Anemia Drepanocítica		Xechem UK Ltd	
Extracto de Sorgo bicolor	Desconocido	Anemia Drepanocítica		Invenux	
Extracto seco de corteza de abedul (DER 0.1-0.2:1), solvente de extracción n-heptano 95% (v/v)	Reparador de heridas	Epidermólisis Ampollosa		Birken GmbH	
Factor antihemofílico recombinante, formulado con sacarosa reconstituido con un diluyente de liposomas	Terapia de sustitución	Hemofilia A	Kogenate	Bayer	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Factor antihemofílico/ Factor Von Willebrand doblemente inactivado	Terapia de sustitución	Von Willebrand, Enfermedad de	Alphanate	Grífols	Comercializado en EEUU
Factor de coagulación VIIa recombinante	Substitución enzimática	Trombastenia de Glanzmann y Naegeli	Novoseven	Novo Nordisk Pharma	Comercializado en España, pero autorizado sólo para el tratamiento de las hemorragias en la Hemofilia A
Factor de coagulación VIIa recombinante	Substitución enzimática	Hemofilia A	Novoseven	Novo Nordisk Pharma	Comercializado en España, pero autorizado sólo para el tratamiento de las hemorragias en la Hemofilia A
Factor de crecimiento endotelial vascular recombinante humano	Terapia de sustitución protéica	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Neuronova AB	
Factor de crecimiento recombinante de epitelio del cristalino 1-326	Antiangiogénico	Retinosis Pigmentaria		Ocugen	
Factor estimulador de colonias de granulocitos-macrófagos	Terapia de sustitución	Fibrosis Quística		SerendeX	
Factor IX pegilado recombinante humano	Terapia de sustitución	Hemofilia B		Novo Nordisk A/S	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Factor IX recombinante	Terapia de sustitución	Hemofilia B	Rixubis	Baxter	Comercializado en EEUU
Factor neurotrófico de la dopamina-cerebral humano recombinante	Neuroprotector	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Herantis Pharma Plc	
Factor neurotrófico derivado de astrocitos mesencefálicos recombinante humano	Antiapoptótico	Retinosis Pigmentaria		Amarantus BioScience	
Factor tisular glicosilado modificado y microvesiculado	Hemostático	Von Willebrand, Enfermedad de		Thrombotargets Corp	
Factor VII activado/Factor X	Desconocido	Presencia de Inhibidores de los Factores de Coagulación VIII o IX		Kaketsuken	
Factor VIIa de coagulación recombinante modificada con tres repeticiones terminales derivadas de la cadena $\beta$ de la gonadotropina coriónica humana	Terapia de sustitución	Factor VII, Déficit de		Prolor Biotech	
Factor VIIa de coagulación recombinante modificada con tres repeticiones terminales derivadas de la cadena $\beta$ de la gonadotropina coriónica humana	Terapia de sustitución	Hemofilia A		Prolor Biotech	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Factor VIIa de coagulación recombinante modificada con tres repeticiones terminales derivadas de la cadena $\beta$ de la gonadotropina coriónica humana	Terapia de sustitución	Hemofilia B		Prozor Biotech	
Factor VIII humano de coagulación	Terapia de sustitución	Hemofilia A		Octapharma	
Factor VIII humano de coagulación	Terapia de sustitución	Von Willebrand, Enfermedad de		Octapharma	
Factor VIII pegilado humano recombinante modificado con supresión de secuencia del dominio B	Terapia de sustitución	Hemofilia A		Bayer	
Factor Von Willebrand humano concentrado	Terapia de sustitución	Von Willebrand, Enfermedad de		rEVO Biologics	
Factor Von Willebrand humano concentrado	Terapia de sustitución	Von Willebrand, Enfermedad de	Wilfactin	LFB	Comercializado en Francia
Factor von Willebrand humano recombinante	Terapia de sustitución	Von Willebrand, Enfermedad de	VONVENDI	Baxter	Comercializado en EEUU



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Factor X humano de la coagulación	Terapia de sustitución	Deficiencia hereditaria del factor X de la coagulación		Bio Products Laboratory	
Factor XI humano de coagulación	Terapia de sustitución	Hemofilia C	Hemoleven	Laboratoire francais du Fractionnement et des Biot	Comercializado en Francia
Factor XIII humano, Concentrado de	Terapia de sustitución	Factor XIII, Déficit de	Corifact	CSL Behring	Comercializado en EEUU
Factor XIII recombinante humano (compuesto de dos subunidades)	Terapia de sustitución	Factor XIII, Déficit de	Tretten	Novo Nordisk Pharma	Comercializado en EEUU
Fampridina	Bloqueo de los canales del potasio	Esclerosis Múltiple		Dr Ulrich Granzer	
Fampridina	Bloqueo de los canales del potasio	Esclerosis Múltiple	Ampyra	Acorda Therapeutics	Comercializado en España para la Esclerosis múltiple
FCX-013	Terapia celular	Esclerodermia		Fibrocell Technologies	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Felbamato	Antiepiléptico	Lennox Gastaut, Síndrome de	Felbatol	Medpointe	Comercializado en EEUU
Fenfluramina	Serotoninérgico	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia		Brabant Pharma Limited	
Fenfluramina	Serotoninérgico	Lennox Gastaut, Síndrome de		Brabant Pharma Limited	
Fenilalanina amoníaco-liasa recombinante pegilada	Sustitución enzimática	Fenilcetonuria		BioMarin Pharmaceutical	
Fenilbutirato y ácido tauroursodesoxicólico dihidrato, combinación de	Desconocido	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Amylyx Pharmaceuticals Inc	
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Atrofia Muscular Espinal		Fondazione Telethon	
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Atrofia Muscular Espinal		Lucane Pharma	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Ornitín Transcarbamilasa, Déficit de		Lucane Pharma	
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Piruvato Deshidrogenasa, Déficit de	Ammonaps	Orphan Europe SL (España)	Comercializado en España, pero sólo autorizado para desórdenes del Ciclo de la Urea
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Carbamil Fosfato Sintetasa, Déficit de		Lucane Pharma	
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Piruvato Deshidrogenasa, Déficit de		Lucane Pharma	
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Ornitín Transcarbamilasa, Déficit de		Fondazione Telethon	
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Carbamil Fosfato Sintetasa, Déficit de		Fondazione Telethon	
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Orina del Jarabe de Arce, Enfermedad de la		Fondazione Telethon	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Piruvato Deshidrogenasa, Déficit de		Fondazione Telethon	
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Orina del Jarabe de Arce, Enfermedad de la		Lucane Pharma	
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Carbamil Fosfato Sintetasa, Déficit de	Ammonaps	Orphan Europe SL (España)	Comercializado en España, pero sólo autorizado para desórdenes del Ciclo de la Urea
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Orina del Jarabe de Arce, Enfermedad de la	Ammonaps	Orphan Europe SL (España)	Comercializado en España, pero sólo autorizado para desórdenes del Ciclo de la Urea
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Ornitín Transcarbamilasa, Déficit de	Ammonaps	Orphan Europe SL (España)	Comercializado en España, pero sólo autorizado para desórdenes del Ciclo de la Urea
Fenilbutirato sódico	Reductor de la hiperamonemia	Atrofia Muscular Espinal	Ammonaps	Orphan Europe SL (España)	Comercializado en España, pero sólo autorizado para desórdenes del Ciclo de la Urea
Fenilefrina	Mecanismo de acción desconocido	Tetralogía de Fallot		Luitpold Pharmaceuticals, Inc.	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Fenol, 4-[2-(aminometil)-4-tiazolil]-2,6-bis (1,1-dimetil) monohidrocloruro	Neuroprotector	Huntington, Enfermedad de		Ipsen Pharma	
Fenretinida	Induce la muerte celular programada	Fibrosis Quística		Mc Gill University	
Fenretinida	Induce la muerte celular programada	Fibrosis Quística		Cancer Research UK	
Fexinidazol	Desconocido	Tripanosomiasis		Sanofi-Synthelabo (EEUU)	
Fexinidazol	Desconocido	Tripanosomiasis		Sanofi-Synthelabo (EEUU)	
FG-3019	Inmunomodulador	Fibrosis Pulmonar Idiopática		FibroGen	
Fibroblastos dérmicos alogénicos humanos	Reparador de la matriz extracelular	Epidermólisis Ampollosa	Vavelta	Intercytex	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Fibroblastos dérmicos autólogos alogénicos humanos modificados genéticamente	Terapia celular	Epidermólisis Ampollosa		Fibrocell Technologies	
Fibroblastos dérmicos autólogos modificados genéticamente ex vivo con un vector lentiviral que contiene el gen humano de COL7A1	Terapia celular	Epidermólisis Ampollosa		Intrexon Actobiotics N.V.	
Fidaxomicina	Antibiótico	Infección Pediátrica por Clostridium Difficile		Optimer	
Filgastrim	Regenerador celular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Sygnis Bioscience GmbH & Co. KG	
Fingolimod	Inmunosupresor	Esclerosis Múltiple	Gilenya	Novartis Europharm Limited	Comercializado en España para la Esclerosis Múltiple
Fitato hexasódico	Reductor de los cristales de calcio	Calcifilaxis		Sanifit Laboratoris	
Flubendazol	Antihelmíntico	Filariasis	Fluvermal	Johnson Pharmaceutical Research Institute	Comercializado en Francia, pero no autorizado para esta indicación

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Flubendazol	Antihelmítico	Oncocercosis	Fluvermal	Johnson Pharmaceutical Research Institute	Comercializado en Francia, pero no autorizado para esta indicación
Fludarabina	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Linfocítica Crónica	Beneflur	Schering	Comercializado en España
Fluticasona inhalada	Inmunomodulador	Esofagitis eosinofílica	Flovent	Adare Pharmaceuticals	Comercializado en Estados Unidos para otras indicaciones
Forodesina clorhidrato	Agente apoptótico	Linfoma Cutáneo de las Células T		Napp Pharmaceuticals Research Limited	
Fosfatasa alcalina recombinante humana	Substitución enzimática	Hipofosfatasia		AM-Pharma BV	
Fosfocisteamina	Catálisis de la cistina	Cistinosis		Chattem Chemicals	
Fosfomicina/tobramicina	Antibiótico	Fibrosis Quística		Gilead Sciences	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Fracción celular mononuclear derivada de médula ósea autóloga	Terapia celular	Buerger, Enfermedad de		t2cure	
Fracción celular vascular estromal autóloga de tejido adiposo	Terapia celular	Esclerodermia		Cytori Ltd	
Fracción Fc de la inmunoglobulina-1 humana multimerizada recombinante	Inmunomodulador	Polineuropatía Desmilenizante Inflamatoria Crónica		Pfizer	
Fracción mononuclear enriquecida de sangre del cordón umbilical humano Terapia celular Saneron ccel	Terapia celular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Saneron ccel	
Fragmento de oligosacárido alginado (bloque G) (bloque G)	Desconocido	Fibrosis Quística		AlgiPharma AS	
Fragmentos de pared celular purificados, pasteurizados y liofilizados de la cepa RUTI de Mycobacterium tuberculosis	Inmunomodulador	Tuberculosis		Archivel Farma SL	
Fragmentos F(ab') <sub>2</sub> de inmunoglobulina equina anti-H5N1	Inmunomodulador	Gripe Aviar		Fab'entech	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Gaboxadol	Agonista gabaérgico	Angelman, Síndrome de		Ovid Therapeutics	
Gaboxadol	Agonista gabaérgico	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Ovid Therapeutics	
Galactocerebrosidasa humana recombinante	Substitución enzimática	Leucodistrofia de Krabbe		ACE BioSciences A/S	
Ganaxolona	Antiepiléptico	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Marinus Pharmaceuticals	
Ganaxolona	Antiepiléptico	Epilepsia restringida a niñas, con o sin retraso mental		Marinus Pharmaceuticals	
Ganaxolona	Antiepiléptico	Epilepsia restringida a niñas, con o sin retraso mental		Marinus Pharmaceuticals	
Ganaxolona	Antiepiléptico	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Marinus Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Gastrina G17(9) conjugada con toxoide diftérico	Inmunomodulador	Páncreas, Cáncer de		Orion clinical services	
Gastrina G17(9) conjugada con toxoide diftérico	Inmunomodulador	Estómago, Cáncer de		Orion clinical services	
Geldanamicina	Inhividor del crecimiento celular	Leucemia Mieloide Crónica		Wainwright Associates Limited	
Gembcabeno	Reductor del colesterol	Hipercolesterolemia Familiar Homozigota		Michigan Life Therapeutics	
Gemfibrozilo	Hipolipemiente	Lipofuscinosis Neuronal Ceroidea		Polaryx Therapeutics, Inc.	
Gemtuzumab	Inmunomodulador	Leucemia Mieloide Aguda	Mylotarg	Wyeth Europa Ltd.	Comercializado en EEUU
Gen de la timidina quinasa del virus del Simplex mediado por adenovirus	Herpes Terapia génica	Glioma	Cerepro	Ark Therapeutics Limited	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Gen del factor del crecimiento endotelial vascular (VEGF2)	Terapia génica	Buerger, Enfermedad de		Corautus Genetics	
Genisteina, sal de sodio dihidratada	Reductor de los niveles de glucosaglicanos	SanFilippo, Síndrome de		Axcentua Pharmaceuticals	
Gevokizumab	Inmunomodulador	Uveítis Posterior		Servier	
Gevokizumab	Inmunomodulador	Schnitzler, Síndrome de		Servier	
Gevokizumab	Inmunomodulador	Pioderma Gangrenoso		Servier	
Gevokizumab	Inmunomodulador	Uveitis Crónica no infecciosa		Servier	
Gevokizumab	Inmunomodulador	Behcet, Enfermedad de		Servier	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Gimatecán	Inhibidor del crecimiento celular	Glioma		Sigma Tau Industrie Farmaceutiche Reunite	
Givinostat	Antiinflamatorio/Regenerador muscular	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Italfarmaco	
Givinostat	Antiinflamatorio/Regenerador muscular	Policitemia Vera		Italfarmaco	
Givinostat	Antiinflamatorio/Regenerador muscular	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Italfarmaco	
Glatiramero, acetato	Inmunomodulador	Esclerosis Múltiple	Copaxone	Sanofi Synthelabo	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Esclerosis Múltiple
Glatiramero, acetato	Inmunomodulador	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Copaxone	Sanofi Synthelabo	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Esclerosis Múltiple
Glepaglutida	Estimulante del péptido similar al glucagon	Intestino Corto, Síndrome del		Zealand Pharma A/S	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Gliceraldehido-3-fosfato deshidrogenasa	Desconocido	Esclerosis Múltiple		BPT Pharmaceuticals	
Gliceril tri-(4-fenilbutirato)	Reductor de la hiperamonemia	Ornitín Transcarbamilasa, Déficit de	Ravicti	Horizon Pharma	Pendiente de comercialización en España
Gliceril tri-(4-fenilbutirato)	Reductor de la hiperamonemia	Carbamil Fosfato Sintetasa, Déficit de	Ravicti	Horizon Pharma	Pendiente de comercialización en España
Gliceril tri-(4-fenilbutirato)	Reductor de la hiperamonemia	Citrulinemia	Ravicti	Horizon Pharma	Pendiente de comercialización en España
Gliceril tri-(4-fenilbutirato)	Reductor de la hiperamonemia	Aciduria Arginino Succínica	Ravicti	Horizon Pharma	Pendiente de comercialización en España
Gliceril tri-(4-fenilbutirato)	Reductor de la hiperamonemia	Hiperargininemia	Ravicti	Horizon Pharma	Pendiente de comercialización en España
Gliceril tri-(4-fenilbutirato)	Reductor de la hiperamonemia	Ornitíntranslocasa, déficit de	Ravicti	Horizon Pharma	Pendiente de comercialización en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Glicil-L-2-metilprolil-L-glutámico, ácido	Inhibidor de la inflamación neuronal	X Frágil, Síndrome		Neuren Pharmaceuticals	
Glicil-L-2-metilprolil-L-glutámico, ácido	Inhibidor de la inflamación neuronal	Rett, Síndrome de		Neuren Pharmaceuticals	
Glicopirronio (tópico)	Anticolinérgico	Frey, Síndrome de		Wellesley Therapeutics	
Glucagon	Elevador de los niveles de glucosa	Hiperinsulinismo congénito		S-cubed	
Glucagon	Elevador de los niveles de glucosa	Hiperinsulinismo congénito		Biodel	
Glutation (liposomal)	Desconocido	Dengue		Your Energy Systems	
Golimumab	Inmunomodulador	Artritis Reumatoide Juvenil	Simponi	Janssen-cilag	Comercializado en España,pero no autorizado paa esta indicación

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Golimumab	Inmunomodulador	Colitis Ulcerosa Pediátrica	Simponi	Janssen-cilag	Comercializado en España,pero no autorizado paa esta indicación
Golimumab	Inmunomodulador	Sarcoidosis	Simponi	Janssen-cilag	Comercializado en España,pero no autorizado paa esta indicación
GS-5734	Antiviral	Fiebre hemorrágica de Ébola		Gilead Sciences	
Guanfacina	Estimulante del SNC	X Frágil, Síndrome	Tenex	Wyeth (EEUU)	Comercializado en EEUU, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Guanfacina	Estimulante del SNC	X Frágil, Síndrome	Estulic	Novartis Europharm Limited	Comercializado en Francia, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Guanfacina/Anfetamina	Desconocido	Gilles de la Tourette, Síndrome de		Genco Sciences	
Gusperimus triclorhidrato	Inmunosupresor	Granulomatosis de Wegener	Spanidin	Euro Nippon Kayaku GmbH	Comercializado en Japón, pero no autorizado para esta indicación huérfana

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
H-(4-amino-3-yodo)-D-Phe-c[Cys-(3-iodo)-Tyr-D-Trp-Lys-Val-Cys]-Thr-NH <sub>2</sub>	Desconocido	Acromegalia		Amryt Pharmaceuticals	
Halofantrina	Antimalárico	Malaria	Halfan	Smithkline	Comercializado en España
Halofuginona, bromhidrato	Antagonista de la síntesis de colágeno	Esclerodermia	Tempostatin	PPD Global Ltd.	
Halofuginona, bromhidrato	Antagonista de la síntesis de colágeno	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Tempostatin	PPD Global Ltd.	
Halofuginona, bromhidrato	Antagonista de la síntesis de colágeno	Esclerodermia		Halo Therapeutics	
Halofuginona, bromhidrato	Antagonista de la síntesis de colágeno	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Halo Therapeutics	
Haptoglobina humana	Reductor de los niveles de hemoglobina	Anemia Drepanocítica		Bio Products Laboratory	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Heat Shock Protein 70	Desconocido	Esclerosis Lateral Amiotrófica		ALS Biopharma	
Hemina	Antianémico	Porfiria Aguda Intermitente	Normosang	Orphan Europe SL (España)	Comercializado en España
Hemina	Antianémico	Porfiria Hereditaria Coproporfirica	Normosang	Orphan Europe SL (España)	Comercializado en España
Hemina	Antianémico	Porfiria Variegata	Normosang	Orphan Europe SL (España)	Comercializado en España
Heparán N-sulfatasa humana recombinante	Sustitución enzimática	SanFilippo, Síndrome de		Shire Pharmaceutical Development Ltd.	
Heparina sódica	Anticoagulante	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Prof. Dr. Seeger	
Hepcidina sintética	Reductos de los niveles de hierro	Talasemia Mayor		La Jolla Pharmaceutical	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Hepcidina sintética	Reductos de los niveles de hierro	Talasemia intermedia		La Jolla Pharmaceutical	
Hepcidina sintética	Reductos de los niveles de hierro	Anemia Drepanocítica		La Jolla Pharmaceutical	
H-Fe-Ser-Arg-Tyr-Ala-Arg-OH, Acetato de	Neuroprotector	Esclerosis Lateral Amiotrófica		QRC Consultants Ltd	
Hidrocinnamato-[Orn-Pro-dCha-Trp-Arg]acetato	Bloqueador del C5aR	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Alsonex Pty	
Hidrocloruro de Doxorubicina (liposomal)	Desconocido	Sarcoma de Tejidos Blandos	Caelyx	Janssen-cilag	Comercializado en España para otras indicaciones
Hidrocortisona (comprimido de liberación modificada)	Terapia de sustitución	Insuficiencia Adrenal	Plenadren	ViroPharma	Pendiente de comercialización en España
Hidroxycarbamida	Desconocido	Anemia Drepanocítica	Droxia	Bristol Myers Squibb	Comercializado en EEUU

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Hidroxicarbamida	Desconocido	Anemia Drepanocítica	Siklos	Addemedia	Comercializado en España
Hidroxicarbamida	Desconocido	Anemia Drepanocítica		OTL pharma	
Hidroxicloroquina	Desconocido	Antifosfolípido, Síndrome		Centre Hospitalier Universitaire d'Angers	Comercializado en España por otro laboratorio para otras indicaciones
Hidroxipropil-beta-ciclodextrina	Reductor de las grasas liposomales	Niemann Pick, Enfermedad de		Susan French	
Histamina, diclorhidrato	Inhibidor de la producción de radicales libres	Leucemia Mieloide Aguda	Ceplene	Meda	Pendiente de comercialización en España
Histidil-tRNA-sintetasa humana recombinante	Inmunomodulador	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine		aTyr Pharma	
Histrelina (implante)	Agonista de la hormona liberadora de gonadotropina	Pubertad Precoz		Valera Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
H-Leu-Pro-Pro-Ser-Arg-OH	Desconocido	Sarcoma de Kaposi		Immuno Tech	
Homotrímero de cadenas alfa 1 del colágeno tipo VII humano recombinante	Ingeniería de tejidos	Epidermólisis Ampollosa		Shire Pharmaceutical Development Ltd.	
Hormona de crecimiento humana recombinante modificada por fusión de dos cadenas polipeptídicas hidrofílicas	Terapia de sustitución	Hormona de Crecimiento, Déficit de		Larode Ltd	
Hormona paratiroide recombinante humana	Sustitución hormonal	Hipoparatiroidismo	Natpara	NPS Pharmaceuticals	Pendiente de comercialización en España
HspE7	Inmunomodulador	Papilomatosis Respiratoria Recurrente	CoVal	Stressgen Biotechnologies	
Huperzina A	Anticonvulsivante	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia		Biscayne Neurotherapeutics	
Hypothiocyanitos / lactoferrina	Antibiótico/Antiinflamatorio	Fibrosis Quística		Alaxia	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
iBio-CFB03	Inhibidor de la fibrosis	Esclerodermia		iBio	
Ibudilast	Inhibidor de la fosfodiesterasa	Krabbe, Enfermedad de	Ketas	Kyorin	Comercializado en Japón, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Ibudilast	Inhibidor de la fosfodiesterasa	Esclerosis Lateral Amiotrófica		MediciNova	
Ibudilast	Inhibidor de la fosfodiesterasa	Krabbe, Enfermedad de		MediciNova	
Ibudilast	Inhibidor de la fosfodiesterasa	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Ketas	Kyorin	Comercializado en Japón, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Ibuprofeno intravenoso	Inhibidor de la síntesis de prostaglandinas	Ductus Arterioso Persistente	Pedea	Orphan Europe	Comercializado en España
Ibutamoren, Mesilato	Activador de la hormona de crecimiento	Hormona de Crecimiento, Déficit de		Ammonett Pharma	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Icatibant, acetato	Inhibidor de las quininas	Angioedema Hereditario	Firazyr	Jerini AG	Comercializado en España
Iclaprim	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística		Motif Bio PLC	
Idebenona	Captación de radicales libres	Ataxia de Friedreich	Raxone	Santhera	Pendiente de comercialización en España para la Neuropatía de Leber
Idebenona	Captación de radicales libres	MELAS, Síndrome	Raxone	Santhera	Pendiente de comercialización en España para la Neuropatía de Leber
Idebenona	Captación de radicales libres	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Raxone	Santhera	Pendiente de comercialización en España para la Neuropatía de Leber
Idebenona	Captación de radicales libres	Neuropatía Optica de Leber	Raxone	Santhera	Pendiente de comercialización en España para la Neuropatía de Leber
Idiotipo de Inmunoglobulina derivado de tumor autólogo combinado con hemocianina Megathura Crenulata	Desconocido	Linfoma Folicular		Analytica International GmbH	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Idiotipo recombinante del fragmento fab de la inmunoglobulina de receptores clónicos de las células B	Inmunomodulador	Linfoma de las Células del Manto		Cellgenix Technologie Transfer GmbH	
Idiotipo recombinante del fragmento fab de la inmunoglobulina de receptores clónicos de las células B	Inmunomodulador	Linfoma Folicular		Cellgenix Technologie Transfer GmbH	
IDN-7314	Antiapoptótico	Colangitis Primaria Esclerosante		Conatus Pharmaceuticals	
Iduronato-2-sulfatasa	Sustitución enzimática	Hunter, Síndrome de	Elaprase	Shire Pharmaceutical Development Ltd.	Comercializado en España
Iduronato-2-sulfatasa fusionada con el anticuerpo monoclonal del receptor de la insulina humana	Terapia de sustitución	Hunter, Síndrome de		ArmaGen Technologies	
Idursulfatasa beta	Substitución enzimática	Hunter, Síndrome de		Green Cross Corporation	
Iduvec	Desconocido	Hurler, Síndrome de		Zebraic Corporation	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
IgG2 monoclonal humana de la proproteína convertasa subtilisina/kexina tipo 9	Inmunomodulador	Hipercolesterolemia Familiar Homocigota		Amgen Europe BV	
Iloprost	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Primaria	Ventavis	Schering	Comercializado en España
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Mieloide Crónica	Glivec	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España y autorizado para la Leucemia Mieloide Crónica como indicación huérfana
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Dermatofibrosarcoma Protuberans		Numedix Limited	
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Tumores Estromales Gastrointestinales Malignos	Glivec	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España y autorizado para la Leucemia Mieloide Crónica como indicación huérfana
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Leucoencefalopatía Progresiva Multifocal	Glivec	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España y autorizado para la Leucemia Mieloide Crónica como indicación huérfana
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Distress Respiratorio Agudo, Síndrome de	Glivec	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España y autorizado para la Leucemia Mieloide Crónica como indicación huérfana



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Linfoblástica Aguda	Glivec	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España y autorizado para la Leucemia Mieloide Crónica como indicación huérfana
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Hipertensión Pulmonar Arterial	Glivec	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España y autorizado para la Leucemia Mieloide Crónica como indicación huérfana
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Hipertensión Pulmonar Arterial		Numedicus Limited	
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Distress Respiratorio Agudo, Síndrome de		Numedicus Limited	
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Dermatofibrosarcoma Protuberans	Glivec	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España y autorizado para la Leucemia Mieloide Crónica como indicación huérfana
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Leucoencefalopatía Progresiva Multifocal		Numedicus Limited	
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Linfoblástica Aguda		Numedicus Limited	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Mieloide Crónica		Numedicus Limited	
Imatinib, mesilato	Inhibidor del crecimiento celular	Tumores Estromales Gastrointestinales Malignos		Numedicus Limited	
Imexón (inyectable)	Agente Apoptótico	Ovarios, Cáncer de		Icon Clinical Research UK Ltd	
Imiglucerasa	Sustitución enzimática	Gaucher, Enfermedad de	Cerezyme	Genzyme	Comercializado en España
Implitapida	Hipolipemiante	Hiperlipoproteinemia de Fredrickson tipo I		Medical Research Laboratories International	
Inebilizumab	Inmunomodulador	Devic, Enfermedad de		Astra Zeneca	
Infliximab	Inmunomodulador	Colitis Ulcerosa Pediátrica		Janssen-cilag	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Infliximab	Inmunomodulador	Behcet, Enfermedad de		Janssen-cilag	
Infliximab	Inmunomodulador	Colitis Ulcerosa Pediátrica	Remicade	Merck Sharp Dohme	Comercializado en España para la Colitic Ulcerosa Pediátrica
Infliximab	Inmunomodulador	Behcet, Enfermedad de	Remicade	Merck Sharp Dohme	Comercializado en España para la Colitic Ulcerosa Pediátrica
Infliximab recombinante	Inmunomodulador	Kawasaki, Enfermedad de	Remicade (Japón)	MitsubishiTanabe PharmaCo	Comercializado en Japón pero no autorizado para estas indicaciones
Infliximab recombinante	Inmunomodulador	Behcet, Enfermedad de	Remicade (Japón)	MitsubishiTanabe PharmaCo	Comercializado en Japón pero no autorizado para estas indicaciones
Inhibidor antisentido de la apoB-100	Reductor de la síntesis de colesterol	Hipercolesterolemia Familiar Homozigota		Isis Pharmaceuticals	
Inhibidor de la leucotrieno A4 hidrolasa	Antiinflamatorio	Fibrosis Quística		Celtaxsys	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Inhibidor de la alfa-1-proteinasa humana (vía respiratoria)	Inhibidor enzimático	Fibrosis Quística	Prolastin	Grífols	
Inhibidor de la alfa-1-proteinasa humana (vía respiratoria)	Inhibidor enzimático	Fibrosis Quística	Zemaira	CSL Behring	
Inhibidor de la alfa-1-proteinasa humana (vía respiratoria)	Inhibidor enzimático	Alfa 1 Antitripsina, Déficit de	Prolastin	Grífols	
Inhibidor de la alfa-1-proteinasa humana (vía respiratoria)	Inhibidor enzimático	Alfa 1 Antitripsina, Déficit de	Zemaira	CSL Behring	
Inhibidor de la colesterol 24S-hidroxilasa	Inhibidor enzimático	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia		Takeda Europe	
Inhibidor de la colesterol 24S-hidroxilasa	Inhibidor enzimático	Lennox Gastaut, Síndrome de		Takeda Europe	
Inhibidor de la S-nitrosoglutathion reductasa	Regulador del canal del cloro	Fibrosis Quística		Nivalis	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Inhibidor recombinante de la calicreina	Sustitución enzimática	Netherton, Síndrome de		Voisin Consulting SARL	
Injerto de equivalente cutáneo genéticamente corregido con un vector retroviral autoinactivable portador del gen COL7A1	Terapia celular	Epidermólisis Ampollosa		Prof. Alain Hovnanian	
Inmunoglobulina de Hepatitis C	Inmunomodulador	Hepatitis C		Nabi Biopharmaceuticals	
Inmunoglobulina del conejo antilinfocitos T humanos	Inmunosupresor	Anemia Aplásica	Zetbulin	Nippon Zoki Pharmaceutical	Comercializado en Japón
Inmunoglobulina humana anti antígeno humano plaquetario de tipo 1a	Inmunomodulador	Trombocitopenia aloimmune fetal y neonatal		Prophylix Pharma AS	
Inmunoglobulina humana normal tratada con polietilenglicol y liofilizada	Inmunomodulador	Polineuropatía Desmielinizante Inflamatoria Crónica	Kenketu Glovenin-I-Nichiyaku	Nihon Pharmaceutical	Comercializado en Japón para la Polineuropatía Desmielinizante Inflamatoria Crónica
Inmunoglobulina humana normal tratada con polietilenglicol y liofilizada	Inmunomodulador	Stevens Johnson, Síndrome de	Kenketu Glovenin-I-Nichiyaku	Nihon Pharmaceutical	Comercializado en Japón para la Polineuropatía Desmielinizante Inflamatoria Crónica

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Inmunoglobulina humana sulfonatada y liofilizada	Inmunomodulador	Churg Strauss, Síndrome de	Kenketu Venilon-I	Teijin Limited	Comercializado en Japón, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Inmunoglobulina humana sulfonatada y liofilizada	Inmunomodulador	Guillain Barre, Síndrome de	Kenketu Venilon-I	Teijin Limited	Comercializado en Japón, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Inmunoglobulina IgG4 recombinante totalmente humanizada, con especificidad antigénica por la proteina vascular humana de adhesión 1 (VASP-1)	Inmunomodulador	Colangitis Primaria Esclerosante		Acorda Therapeutics	
Inolimomab	Inmunomodulador	Injerto Contra Huesped, Enfermedad de		OPI Orphan Pharma International	
Insulina Humana	Regenerador intestinal	Intestino Corto, Síndrome del		Sirius Regulatory Consulting Limited	
Interferon alfa linfoblastoide humano natural	Inmunomodulador	Policitemia Vera		Atrix Laboratories Inc	
Interferon alfa linfoblastoide humano natural	Inmunomodulador	Behcet, Enfermedad de		Atrix Laboratories Inc	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Interferon alfa linfoblastoide humano natural	Inmunomodulador	Policitemia Vera		Amarillo Biosciences	
Interferon alfa linfoblastoide humano natural	Inmunomodulador	Behcet, Enfermedad de		Amarillo Biosciences	
Interferon alfa-2a	Inmunomodulador	Leucemia Mieloide Crónica	Roferon A	Roche	Comercializado en España
Interferon alfa-2B	Inmunomodulador/antiviral	Papilomatosis Laríngea	Intron A	Schering Plough	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Leucemia Mieloide Crónica como indicación huérfana
Interferon alfa-2B	Inmunomodulador/antiviral	Leucemia Mieloide Crónica	Intron A	Schering Plough	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Leucemia Mieloide Crónica como indicación huérfana
Interferón alfa-2b pegilado sobre prolina	Inmunomodulador	Mielofibrosis Idiopática		PharmaEssentia	
Interferón alfa-2b pegilado sobre prolina	Inmunomodulador	Trombocitemia Esencial		PharmaEssentia	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Interferon alfa-N1	Inmunomodulador/antiviral	Papilomatosis Laríngea	Wellferon	Glaxo Smithkline	Comercializado en Canadá
Interferón alfa-n3	Inmunomodulador	Respiratorio del Medio Oriente, Síndrome	Alferon	Hemispherx Biopharma	Comercializado en Estados Unidos para otra Indicación
Interferon beta-1A	Inmunomodulador	Esclerosis Múltiple	Avonex	Schering Plough	Comercializado en España
Interferon beta-1A	Inmunomodulador	Esclerosis Múltiple	Rebif	Serono	Comercializado en España
Interferon beta-1b	Inmunomodulador	Esclerosis Múltiple	Betaseron	Schering	Comercializado en España
Interferon gamma	Inmunomodulador	Ataxia de Friedreich		Prof. Roberto Testi	
Interferon gamma-1B	Inmunomodulador	Granulomatosa Crónica, Enfermedad	Imukin	Boehringer Ingelheim	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Enfermedad Granulomatosa Crónica como indicación huérfana



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Interferon gamma-1B	Inmunomodulador	Ataxia de Friedreich		Horizon Pharma	
Interferon gamma-1B	Inmunomodulador	Osteopetrosis		Foundation for Fatal Rare Diseases	
Interferon gamma-1B	Inmunomodulador	Ataxia de Friedreich		Foundation for Fatal Rare Diseases	
Interferon gamma-1B	Inmunomodulador	Osteopetrosis	Imukin	Boehringer Ingelheim	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Enfermedad Granulomatosa Crónica como indicación huérfana
Interferon gamma-1B	Inmunomodulador	Granulomatosa Crónica, Enfermedad		Foundation for Fatal Rare Diseases	
Interferon gamma-1B	Inmunomodulador	Granulomatosa Crónica, Enfermedad		Horizon Pharma	
Interferon gamma-1B	Inmunomodulador	Osteopetrosis		Horizon Pharma	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Interferon gamma-1B	Inmunomodulador	Ataxia de Friedreich	Imukin	Boehringer Ingelheim	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Enfermedad Granulomatosa Crónica como indicación huérfana
Interleucina-2 Humana (tetrasacárido glucosilado, trisacárido glucosilado y no glucosilado) (via inhalatoria)	Desconocido	Carcinoma de Células Renales		Immunoservice GmbH	
Interleucina-7 humana recombinante fusionada a la región cristalizable del anticuerpo humano	Inmunomodulador	Linfocitopenia de CD4 Idiopática		NeoImmuneTech, INC.	
Interleukina 7 recombinante humana	Inmunomodulador	Leucoencefalopatía Progresiva Multifocal		Cytheris	
Isavuconazonio	Antibiótico fungicida	Mucormicosis		Astellas	
Isavuconazonio	Antibiótico fungicida	Aspergilosis		Astellas	
Isavuconazonio	Antibiótico fungicida	Mucormicosis	Cresemba	Basilea Medical Ltd	Comercializado en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Isavuconazonio	Antibiótico fungicida	Aspergilosis	Cresemba	Basilea Medical Ltd	Comercializado en España
ISIS 333611	Inhibidor de la superóxido dismutasa	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Isis Pharmaceuticals	
Isofagomina	Activador enzimático	Gaucher, Enfermedad de		Amicus Therapeutics	
Isotretinoína	Queratólítico	Ictiosis Congénitas		Patagonia Pharmaceuticals	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Itraconazol (Inhalado)	Antibiótico fungicida	Fibrosis Quística		Pulmatrix, Inc	
Ivacaftor	Reparador de una proteína	Fibrosis Quística	Kalydeco	Vertex pharmaceuticals	Comercializado en España
Ixazomib	Agente apoptótico	Amiloidosis Sistémica		Takeda Europe	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Ketoconazol	Reductor esteróidico	Cushing, Síndrome de	Ketoconazol HRA	Laboratoire HRA Pharma	Pendiente de comercialización en España
Ketoconazol	Reductor esteróidico	Cushing, Síndrome de		Cortendo AB	
KNS-760704	Protector celular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Knopp neurosciences	
L-3,4-Dihidroxi-6-[18F]fluorofenilalanina	Agente diagnóstico	L-aminoácido aromático decarboxilasa, Deficiencia de		Advanced Imaging Projects	
Lactobacillus Brevis Cd2	Probiótico	Behcet, Enfermedad de		VSL Pharmaceuticals	
Lactoferrina alfa	Inmunomodulador	Injerto Contra Huesped, Enfermedad de		Agennix Incorporated	
Laminina-111	Protector muscular	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Prothelia Inc	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Lamotrigina	Inhibidor de la liberación del ácido glutámico	Lennox Gastaut, Síndrome de	Lamictal	Wellcome	Comercializado en España
Laquinimod	Inmunomodulador	Huntington, Enfermedad de		TEVA	
Laronidasa	Sustitución enzimática	Hurler, Síndrome de	Aldurazyme	Genzyme Europe BV (Holanda)	Comercializado en España
L-asparaginasa encapsulada en eritrocitos	Agente apoptótico	Leucemia Linfoblástica Aguda	Graspa	Erytech Pharma S.A. (Francia)	
LBS-008	Impide la acumulación de lipofuscina	Stargardt, Enfermedad de		Lin BioScience	
Lebrikizumab	Inmunomodulador	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Genentech	
Lenalidomida	Inmunomodulador	Mieloma Múltiple	Revlimid	Celgene Europe Limited	Comercializado en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Lenalidomida	Inmunomodulador	Mielodisplástico, Síndrome	Revlimid	Celgene Europe Limited	Comercializado en España
Leuprorelina, acetato	Regulador de la secreción hormonal	Pubertad Precoz	Procrin	Abbot Laboratories	Comercializado en España para la Pubertad Central
Leuprorelina, acetato	Regulador de la secreción hormonal	Pubertad Precoz	Ginecrin	Abbot Laboratories	Comercializado en España para la Pubertad Central
Leuprorelina, acetato	Regulador de la secreción hormonal	Hipogonadismo Hipogonadotrófico Congénito	Ginecrin	Abbot Laboratories	Comercializado en España para la Pubertad Central
Leuprorelina, acetato	Regulador de la secreción hormonal	Pubertad Precoz		Stichting Centre for Human Drug Research (CHDR)	
Leuprorelina, acetato	Regulador de la secreción hormonal	Hipogonadismo Hipogonadotrófico Congénito	Procrin	Abbot Laboratories	Comercializado en España para la Pubertad Central
Leuprorelina, acetato	Regulador de la secreción hormonal	Hipogonadismo Hipogonadotrófico Congénito		Stichting Centre for Human Drug Research (CHDR)	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Levofloxacin inhalado	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística		Mpex pharmaceuticals	
Levoglutamida	Incrementador del flujo sanguíneo	Anemia Drepanocítica		Emmaus Medical Europe Limited	
Levosimendan	Potenciado de la función cardíaca y muscular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Orion Corporation	
Linea celular humana del epitelio pigmentario retinal encapsulada transfectada con un vector plasmidico que codifica para factor neurotropico ciliar humano	Terapia celular	Retinosis Pigmentaria		Enpharma Limited	
Linea celular humana del epitelio pigmentario retinal encapsulada transfectada con un vector plasmidico que codifica para factor neurotropico ciliar humano	Terapia celular	Telangiectasia Macular		Neurotech	
Linea celular humana del epitelio pigmentario retinal encapsulada transfectada con un vector plasmidico que codifica para factor neurotropico ciliar humano	Terapia celular	Telangiectasia Macular		Enpharma Limited	
Linea celular humana del epitelio pigmentario retinal encapsulada transfectada con un vector plasmidico que codifica para factor neurotropico ciliar humano	Terapia celular	Retinosis Pigmentaria		Neurotech	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Lipasa gástrica recombinante de origen canino	Sustitución enzimática	Fibrosis Quística		Meristem Therapeutics SA	
Lipopéptido sintético de 47 aminoácidos N-miristolado, derivado de la región preS del virus de la hepatitis B	Antiviral	Hepatitis D		MYR GmbH	
Lisurida	Antagonista serotoninérgico	Hipertensión Pulmonar Arterial		Sinova Pharma UG	
Lisurida	Antagonista serotoninérgico	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica		Sinova Pharma UG	
Litio tetrahidrato, citrato (en una formulación de micelas inversas)	Neuroprotector	Huntington, Enfermedad de		Medesis Pharma	
Lixivaptan	Antagonista del receptor de la vasopresinaV2	Poliquistosis Renal		Palladio Biosciences	
LJPC-6417	Inhibidor de quinasa	Fibrodisplasia Osificante Progresiva		La Jolla Pharmaceutical	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
L-Lisina-N-acetil-L-cisteinato	Mucolítico	Fibrosis Quística		SMB Technology SA	
LMS-611	Terapia de sustitución	Fibrosis Quística		Lamellar Biomedical Ltd	
Lomitapida	Hipolipemiente	Hipercolesterolemia Familiar Homozigota	Juxtapid	Dimensione Ricerca	Comercializado en EEUU para la Hipercolesterolemia Familiar Homozigota
Lomitapida	Hipolipemiente	Quilomicronemia familiar	Juxtapid	Dimensione Ricerca	Comercializado en EEUU para la Hipercolesterolemia Familiar Homozigota
Lonafarnib	Inhibidor de la farnesiltransferasa	Progerie de Hutchinson Gilford, Síndrome de		The Progeria Research Foundation	
Losartán	Desconocido	Marfan, Síndrome de		National Marfan Foundation	
L-Pir-L-Glu-L-Gln-L-Leu-L-Glu-L-Arg-L-Ala-L-Leu-L-Asn-L-Ser-L-Se	Protector y reparador de tejidos	Sarcoidosis		Araim Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
l-selenometionina	Antioxidante	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine		Université de Montpellier	
LSP-GR1	Desconocido	Esclerosis Lateral Amiotrófica		LifeSplice Pharma LLC	
Lucinactant	Surfactante pulmonar	Fibrosis Quística	Surfaxin	Discovery Laboratories Inc	
Lucinactant	Surfactante pulmonar	Aspiración del Meconio, Síndrome de	Surfaxin	Discovery Laboratories Inc	
LUM001	Reductor de los ácidos biliares	Alagille, Síndrome de		Lumena Pharmaceuticals	
LUM001	Reductor de los ácidos biliares	Cirrosis Biliar Primaria		Lumena Pharmaceuticals	
LUM001	Reductor de los ácidos biliares	Colestasis Intrahepática Familiar Progresiva		Lumena Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
LUM001	Reductor de los ácidos biliares	Colangitis Primaria Esclerosante		Lumena Pharmaceuticals	
Lumacaftor	Reparador de una proteína	Fibrosis Quística		Vertex pharmaceuticals	
Lumiliximab	Inmunomodulador	Leucemia Linfocítica Crónica		IDEC Pharmaceuticals	
Ma09-Hrpe Cells	Terapia celular	Stargardt, Enfermedad de		Advanced Cell Technology Incv	
Macitentan	Antagonista del receptor de la endotelina	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica	Opsumit	Actelion	Comercializado en España para la Hipertensión Pumonar Arterial
Macitentan	Antagonista del receptor de la endotelina	Fibrosis Pulmonar Idiopática	Opsumit	Actelion	Comercializado en España para la Hipertensión Pumonar Arterial
Macitentan	Antagonista del receptor de la endotelina	Hipertensión Pulmonar Arterial	Opsumit	Actelion	Comercializado en España para la Hipertensión Pumonar Arterial

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Macitentan/Taladafilo	Antihipertensivo	Hipertensión Pulmonar Arterial		Actelion	
Malato de L amonafida	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Mieloide Aguda		INC Research UK Ltd	
Malato de L amonafida	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Mieloide Aguda		ICN Ibérica	
Manitol (por inhalación)	Mucolítico	Fibrosis Quística	Bronchitol	Pharmaxis Ltd	Pendiente de comercialización en España
Masitinib	Inhibidor de la protein-kinasa	Esclerosis Lateral Amiotrófica		AB Science	Comercializado en España para otra indicación como medicamento veterinario
Mavoglurant	Bloqueador de los receptores mGluR5	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Novartis Europharm Limited	
MaxAdFVIII	Terapia génica	Hemofilia A		Corautus Genetics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Mazindol	Desconocido	Narcolepsia		NeuroLifeSciences	
Mazindol	Desconocido	Narcolepsia		HAC Pharma	
Mecamilamina	Anticolinérgico	Gilles de la Tourette, Síndrome de	Inversine	Targacept Inc	Comercializado en EEUU, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Mecasermina	Anabolizante	Distrofia Miotónica	Somazon	Fujisawa	Comercializado en Japón para el Leprechaunismo y Enanismo de Laron
Mecasermina	Anabolizante	Leprechaunismo	Somazon	Fujisawa	Comercializado en Japón para el Leprechaunismo y Enanismo de Laron
Mecasermina	Anabolizante	Rett, Síndrome de	Somazon	Fujisawa	Comercializado en Japón para el Leprechaunismo y Enanismo de Laron
Mecasermina	Anabolizante	Resistencia Extrema a la Insulina Tipo A, Síndrome de	Somazon	Fujisawa	Comercializado en Japón para el Leprechaunismo y Enanismo de Laron

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Mecasermina	Anabolizante	Resistencia Extrema a la Insulina Tipo B, Síndrome de	Somazon	Fujisawa	Comercializado en Japón para el Leprechaunismo y Enanismo de Laron
Mecasermina	Anabolizante	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Somazon	Fujisawa	Comercializado en Japón para el Leprechaunismo y Enanismo de Laron
Mecasermina	Anabolizante	Leprechaunismo	Increlex	Ipsen Pharma	Comercializado en España para el tratamiento de la deficiencia primaria del factor de crecimiento insulínico tipo I
Mecasermina	Anabolizante	Enanismo de Laron	Increlex	Ipsen Pharma	Comercializado en España para el tratamiento de la deficiencia primaria del factor de crecimiento insulínico tipo I
Mecasermina	Anabolizante	Distrofia Miotónica	Increlex	Ipsen Pharma	Comercializado en España para el tratamiento de la deficiencia primaria del factor de crecimiento insulínico tipo I
Mecasermina	Anabolizante	Enanismo de Laron	Somazon	Fujisawa	Comercializado en Japón para el Leprechaunismo y Enanismo de Laron
Mecasermina	Anabolizante	Rett, Síndrome de	Increlex	Ipsen Pharma	Comercializado en España para el tratamiento de la deficiencia primaria del factor de crecimiento insulínico tipo I

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Mecasermina	Anabolizante	Resistencia Extrema a la Insulina Tipo B, Síndrome de	Increlex	Ipsen Pharma	Comercializado en España para el tratamiento de la deficiencia primaria del factor de crecimiento insulínico tipo I
Mecasermina	Anabolizante	Rabson-Mendenhall, Síndrome de	Increlex	Ipsen Pharma	Comercializado en España para el tratamiento de la deficiencia primaria del factor de crecimiento insulínico tipo I
Mecasermina	Anabolizante	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Increlex	Ipsen Pharma	Comercializado en España para el tratamiento de la deficiencia primaria del factor de crecimiento insulínico tipo I
Mecasermina	Anabolizante	Rabson-Mendenhall, Síndrome de	Somazon	Fujisawa	Comercializado en Japón para el Leprechaunismo y Enanismo de Laron
Mecasermina	Anabolizante	Resistencia Extrema a la Insulina Tipo A, Síndrome de	Increlex	Ipsen Pharma	Comercializado en España para el tratamiento de la deficiencia primaria del factor de crecimiento insulínico tipo I
Medi-551	Inmunomodulador	Esclerodermia		Medimmune Inc	
Mefloquina	Antiprotozoario	Malaria	Lariam	Roche	Comercializado en EEUU

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Megestrol	Progestágeno	SIDA, caquexia en	Maygace	Bristol Myers Squibb	Comercializado en España
Melarsoprol (oral)	Desconocido	Tripanosomiasis		Pr. Peter Kennedy	
Melatonina	Desconocido	Ausencia de un ritmo de sueño/vigilia de 24 horas en personas totalmente ciegas		Therapicon Srl	Comercializado en España por otros laboratorios, pero no registrado como medicamento
Melatonina	Desconocido	Smith Magenis, Síndrome de		Therapicon Srl	Comercializado en España por otros laboratorios, pero no registrado como medicamento
Melatonina	Desconocido	Intestino Corto, Síndrome del		Therapicon Srl	Comercializado en España por otros laboratorios, pero no registrado como medicamento
Melatonina	Desconocido	Intestino Corto, Síndrome del		Icon Clinical Research UK Ltd	Comercializado en España por otros laboratorios, pero no registrado como medicamento
Melatonina	Desconocido	Smith Magenis, Síndrome de		Icon Clinical Research UK Ltd	Comercializado en España por otros laboratorios, pero no registrado como medicamento



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Melatonina	Desconocido	Ausencia de un ritmo de sueño/vigilia de 24 horas en personas totalmente ciegas		Icon Clinical Research UK Ltd	Comercializado en España por otros laboratorios, pero no registrado como medicamento
Menadiona/Ac ascórbico	Antiinflamatorio	Poliquistosis Hepática		IC-Medtech Corporation	
Menadiona/Ac ascórbico	Antiinflamatorio	Poliquistosis Renal		IC-Medtech Corporation	
Menaquinona	Desconocido	Calcifilaxis	Menaquinonegold	Nu Science Trading	Comercializado en Estados Unidos pero no autorizado para esta indicación
Mepolizumab	Inmunomodulador	Churg Strauss, Síndrome de		SmithKlein Beecham plc	
Mepolizumab	Inmunomodulador	Hipereosinofílico, Síndrome		SmithKlein Beecham plc	
Mercaptamina	Reductor de los niveles de cistina intracelular	Fibrosis Quística	Cystagon	Orphan Europe SL (España)	Comercializado en España y autorizado para la Cistinosis

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Mercaptamina	Reductor de los niveles de cistina intracelular	Cistinosis	Cystagon	Orphan Europe SL (España)	Comercializado en España y autorizado para la Cistinosis
Mercaptamina	Reductor de los niveles de cistina intracelular	Cistinosis		NovaBiotics Limited	
Mercaptamina	Reductor de los niveles de cistina intracelular	Fibrosis Quística		NovaBiotics Limited	
Mercaptamina (oftálmica)	Reductor de los niveles de cistina intracelular	Cistinosis	Cystadrops	Orphan Europe	Pendiente de comercialización en España
Mercaptamina de liberación retardada	Reductor de los niveles de cistina intracelular	Cistinosis		Bennu Pharmaceuticals	
Mercaptamina de liberación retardada	Reductor de los niveles de cistina intracelular	Batten, Enfermedad de		Bennu Pharmaceuticals	
Mercaptamina de liberación retardada	Reductor de los niveles de cistina intracelular	Huntington, Enfermedad de		Bennu Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Mercaptopurina (suspensión oral)	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Linfoblástica Aguda	Xaluprine	Nova Laboratories Limited	Pendiente de comercialización en España
Metadoxina	Desconocido	X Frágil, Síndrome		Alcobra Ltd	
Metformina	Desconocido	Cuerpos de Lafora, Enfermedad de los		CIBERER	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Metirosina	Inhibidor enzimático	Velocardiofacial, Síndrome	Demser	Aton Pharma	Comercializado en Estados Unidos, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Metisoprinol	Inmunomodulador	Panencefalitis Esclerosante Subaguda	Isoprinosine	Sanofi-Synthelabo (Francia)	Comercializado en Francia
Metotrexato sódico	Desconocido	Osteosarcoma	Metotrexato	Lederle Laboratories	Comercializado en España
Metotrexato sódico	Desconocido	Alcaptonuria		Associazione Italiana Malati di Alcaptonuria	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Metotrexato sódico	Desconocido	Miastenia Gravis		Associazione Italiana Malati di Alcaptonuria	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Metotrexato sódico	Desconocido	Alcaptonuria	Metotrexato	Lederle Laboratories	Comercializado en España
Metotrexato sódico	Desconocido	Miastenia Gravis	Metotrexato	Lederle Laboratories	Comercializado en España
Metotrexato sódico	Desconocido	Osteosarcoma		Associazione Italiana Malati di Alcaptonuria	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Metoxaleno	Pigmentador dermatológico	Injerto Contra Huesped, Enfermedad de	OxSORALEN	Johnson and Johnson medical research	Comercializado en España para otra indicación
Metreleptina	Liporeductor	Lawrence, Síndrome de		Aptiv Solutions	
Metreleptina	Liporeductor	Lipodistrofia Familiar Parcial		Aptiv Solutions	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Metreleptina	Liporeductor	Berardinelli Seip, Síndrome de		Aptiv Solutions	
Metreleptina	Liporeductor	Barraquer Simons, Síndrome de		Aptiv Solutions	
Metronidazol tópico	Bactericida/amebicida/tricomomicida	Acné Rosacea	Rozex	Galderma	Comercializado en España
Micofenolato de mofetilo	Inmunosupresor	Miastenia Gravis		Laboratoire HRA Pharma	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Micofenolato de mofetilo	Inmunosupresor	Pénfigo Vulgar		Laboratoire HRA Pharma	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Micofenolato de mofetilo	Inmunosupresor	Cushing, Síndrome de		Laboratoire HRA Pharma	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Micropartículas dirigidas de doxorubicina y carbono/hierro	Inhibidor del crecimiento celular	Carcinoma Hepatocelular		FeRx Incorporated	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Micropartículas poli (Lactida-co-glicolida) carboxiladas	Inmunomodulador	Malaria		Cour Pharmaceutical Development Company	
Midismase	Antioxidante	Fibrosis Pulmonar Idiopática		LTT Therapeutics	
Midostaurina	Agente anitangiogénico/inhibidor del crecimiento celular	Mastocitosis		Novartis Europharm Limited	
Midostaurina	Agente anitangiogénico/inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Mieloide Aguda		Novartis Europharm Limited	
Mifamurtida	Inmunomodulador	Osteosarcoma	Mepact	Immuno-Designed Molecules SA	Comercializado en España
Migalastat	Activador enzimático	Fabry, Enfermedad de	Galafold	Amicus Therapeutics	Comercializado en España
Miglustat	Inhibidor de la síntesis de glucolípidos	Niemann Pick, Enfermedad de	Zavesca	Actelion	Comercializado en España para la Enfermedad de Gaucher

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Miglustat	Inhibidor de la síntesis de glucolípidos	Fabry, Enfermedad de	Zavesca	Actelion	Comercializado en España para la Enfermedad de Gaucher
Miglustat	Inhibidor de la síntesis de glucolípidos	Gaucher, Enfermedad de	Zavesca	Actelion	Comercializado en España para la Enfermedad de Gaucher
Miltefosina (vía oral)	Inhibidor de la síntesis de esfingolípidos	Esquistosomiasis	Impavido	Zentaris Aktiengesellschaft	Comercializado en Alemania y India
Miltefosina (vía oral)	Inhibidor de la síntesis de esfingolípidos	Leishmaniasis	Impavido	Zentaris Aktiengesellschaft	Comercializado en Alemania y India
Miltefosina (vía oral)	Inhibidor de la síntesis de esfingolípidos	Queratitis por Acanthamoeba	Impavido	Zentaris Aktiengesellschaft	Comercializado en Alemania y India
Minianticuerpo recombinante humano contra el factor C5 del complemento	Inmunomodulador	Hemolítico Urémico atípico, Síndrome		Adienne s.r.l.	
Minianticuerpo recombinante humano contra el factor C5 del complemento	Inmunomodulador	Glomerulonefritis Membranosa		Adienne s.r.l.	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Mipomersen	Hipolipemiente	Hipercolesterolemia Familiar Homocigota	Kynamro	Genzyme	Comercializado en EEUU
Mitotano	Citotóxico	Carcinoma Adrenocortical	Lysodren	Laboratoire HRA Pharma	Comercializado en España
Mitoxantrona	Inhibidor del crecimiento celular	Esclerosis Múltiple	Novantrone	Wyeth Farma	Comercializado en España
MK-8719	Inhibidor enzimático	Parálisis Supranuclear Progresiva		Merck (EEUU)	
Modafinilo	Estimulante nervioso	Narcolepsia	Modiodal	Noventure	Comercializado en España
Modafinilo/Flecainida	Estimulante nervioso	Narcolepsia		Theranexus S.A	
Molécula antiadhesión de las células epiteliales/Anticuerpo monoclonal antiCD3	Inmunomodulador	Ovarios, Cáncer de		Fresenius Biotech GmbH	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Molécula pequeña inhibidora de la fosfodiesterasa 10	Desconocido	Huntington, Enfermedad de		Omeros Corporation	
Molgramostim (Inhalado)	Desconocido	Distress Respiratorio Agudo, Síndrome de		SerendeX	
Monarsen	Colinérgico	Miastenia Gravis		Ester Neurosciences	
Mongersen	Inmunomodulador	Crohn, Enfermedad de (Pediátrica)		Celgene Europe Limited	
Moxifloxacino	Antibiótico bactericida	Tuberculosis	Actira	Bayer	Comercializado en España para otras indicaciones
Mycobacterium vaccae termoinactivado (de célula entera)	Inmunomodulador	Tuberculosis		Immodulon Therapeutics	
N-(2-((4Z,7Z,10Z,13Z,16Z,19Z)-docosa-4,7,10,13,16,19-hexaenamido)etil)-2-hidroxi-benzamida	Bloqueador del NF-κB	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Catabasis Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
N-(3-(4-(3-(diisobutilamino)propil)piperazin-1-il)propil)-1Hbenzo[d]imidazol-2-amina sal disulfato	Estimulador de la macroautofagia	Parálisis Supranuclear Progresiva		AlzProtect sas	
N-(3,4-dihidroxifenil)-3,4-dihidroxibenzamida	Elimina los depósitos amiloides	Amiloidosis Primaria		ProteoTech	
N-(6-(2-aminofenilamino)-6-oxohexil)-4-metilbenzamida	Inhibidor de la histona deacetilasa	Ataxia de Friedreich		Repligen	
N-(7-Cloroquinolin-4-il)-N,N-dietil-propan-1,3-diamina	Desconocido	Malaria		Donald J. Krogstad	
N-(9-metoxinonil)-1-desoxinojirimicina	Antiviral	Dengue		Unither Virology	
N-(metil-diazaciclohexil-metilbenzamida)-azafenil-aminotiopirrol	Inhibidor del crecimiento celular	Tumores Estromales Gastrointestinales Malignos		AB Science	
N-(metil-diazaciclohexil-metilbenzamida)-azafenil-aminotiopirrol	Inhibidor del crecimiento celular	Tumores Estromales Gastrointestinales Malignos		GPC Biotech AG	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
N-[(1R)-1-feniletil]-6-{1H-pirazolo[3,4d]pirimidin-4-il}quinazolin-2-amina		Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Sentinel Oncology Limited	
N-[[[(5S)-3-(3-fluoro-4-tiomorfolin-4-ilfenil)-2-oxo-1,3-oxazolidin-5-il]metil]acetamida	Antibiótico bactericida	Tuberculosis		Pfizer	
Nabumetona	Inhibidor de la síntesis de prostaglandinas	Artritis Reumatoide Juvenil		Cook Pharma	Comercializado en España por otros laboratorios, pero no en pediatría
N-acetilcisteína amida	Desconocido	Retinosis Pigmentaria		Brighton Biotech	
N-acetil-D-manosamina monohidratada	Incrementa los niveles de ácido siálico	Miopatía con cuerpos de inclusión tipo 2 (Miopatía distal de Nonaka)		Escala Therapeutics	
N-acetilgalactosamina-4-sulfatasa	Sustitución enzimática	Maroteaux Lamy, Síndrome de	Naglazyme	BioMarin Europe Ltd	Comercializado en España
N-acetilglucosamina-6-sulfato sulfatasa humana recombinante marcada con hexaglutamina en el terminal N	Terapia de sustitución enzimática	Morquio, Enfermedad de		Vivendy Therapeutics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
N-acetilglucosamino tiazolina	Activador enzimático	Tay Sachs, Enfermedad de		ExSar	
Nafamostat, mesilato	Mucolítico	Fibrosis Quística		Mucokinetics Limited	
Naltrexona	Inmunomodulador	Crohn, Enfermedad de		Pennsylvania State University	
Nandrolona, decanoato	Aumenta la función muscular	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Sarcomed AB	
Nanocuerpo dirigido contra el dominio A1 del factor de von Willebrand humano	Inmunomodulador	Púrpura Trombótica Trombocitopénica		Ablynx NV	
Nanopartículas de ADN del ABCA4	Terapia génica	Stargardt, Enfermedad de		Copernicus Therapeutics	
Nanopartículas de doxorubicina-polisohexil cianoacrilato	Inhibidor del crecimiento celular	Carcinoma Hepatocelular		BioAlliance Pharma	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Naptumomab estafenatox	Reducción antígenos y de la toxicidad	Carcinoma de Células Renales		Biotech Research AB	
Natalizumab	Inmunomodulador	Esclerosis Múltiple	Tysabri	Amgen Europe BV	Comercializado en Francia y Alemania
N-butildesoxigalactonojirimicina	Terapia de reducción del sustrato	Fabry, Enfermedad de		Actelion	
Ndx-Peptidos	Desconocido	Esclerosis Lateral Amiotrófica		NeoDiagnostic Research	
Nelarabina	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Linfocítica Crónica	Atriance	Glaxo Smithkline	Comercializado en España
Nelarabina	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Linfoblástica Aguda	Atriance	Glaxo Smithkline	Comercializado en España
Neo-GAA	Substitución enzimática	Pompe, Enfermedad de		Genzyme	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Neostigmina, metilsulfato	inhibidor de la colinesterasa	Miastenia Gravis		Luitpold Pharmaceuticals, Inc.	
Neridronato	Aumenta la resorción ósea	Dolor regional Complejo, Síndrome de		Grünenthal	
Nevanimiba	Inhibidor enzimático	Hiperplasia Adrenal Congénita		Millendo Therapeutics, Inc.	
N-hidroxi-4-(3-metil-2-(S)-fenilbutirilamino) benzamida	inhibidor del crecimiento celular	Neurofibromatosis tipo II		Sirius Regulatory Consulting Limited	
Nifurtimox	Antiprotozoario	Chagas, Enfermedad de		MetronomX	
Nilotinib(como clorhidrato monohidrato)	Inhibidor enzimático	Leucemia Mieloide Crónica	Tasigna	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España
Nimotuzumab	Inmunomodulador	Glioma	Nimotuzumab	Oncoscience AG	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Nintedanib	Inhibidor de la angiogénesis	Fibrosis Pulmonar Idiopática	Ofev	Boehringer Ingelheim	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Fibrosis Pulmonar Idiopática
Nintedanib	Inhibidor de la angiogénesis	Esclerodermia	Ofev	Boehringer Ingelheim	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Fibrosis Pulmonar Idiopática
Nitisinona	Inhibidor de la degradación de la tirosina	Tirosinemia Hereditaria	Orfadin	Swedish Orphan International AB	Comercializado en España
Nitisinona	Inhibidor de la degradación de la tirosina	Alcaptonuria	Orfadin	Swedish Orphan International AB	Comercializado en España
Nitrito de sodio y ácido etilenodiaminotetracético	Bactericida	Fibrosis Quística		Arch Bio Ireland Ltd	
Nitrito sódico	Desconocido	Hipertensión Pulmonar Arterial		Aires Pharmaceuticals	
Nitrito sódico	Desconocido	Anemia Drepanocítica		Aires Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Nitrito sódico	Desconocido	Hipertensión Pulmonar Arterial	Sodium nitrite injection, USP	Hope Pharmaceuticals	Comercializado en EEUU pero no autorizado para esta indicación
Nitrito sódico	Desconocido	Anemia Drepanocítica	Sodium nitrite injection, USP	Hope Pharmaceuticals	Comercializado en EEUU pero no autorizado para esta indicación
Nitroglicerina (gel tópico)	Vasodilatador	Esclerodermia		Covis Pharma S.à.r.l.	Comercializado en EEUU para otras indicaciones
NLX-101	Agonista serotoninérgico	Retz, Síndrome de		Neurolix	
Norursodesoxicólico, ácido	Reductor de los niveles de colesterol en bilis	Colangitis Primaria Esclerosante		Dr Falk Pharma	
NPR-01	Desconocido	Crohn, Enfermedad de		Nihon Pharmaceutical	
N-t-butilhidroxilamina	Desconocido	Jansky Bielschowsky, Enfermedad de		Andrew Lim California Institute of Technology	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
NTRA- 9620	Desconocido	Intestino Corto, Síndrome del		Nutrinia	
Nusinersen	Terapia génica	Atrofia Muscular Espinal 5q	Spinraza	Biogen	Pendiente de comercialización en España
Obeticólico, ácido	Reductor de los niveles de ácido biliar	Colangitis Primaria Esclerosante	Ocaliva	Intercept Pharmaceuticals	Comercializado en Estados Unidos
Oblimerseno	Inmunomodulador	Leucemia Linfocítica Crónica		Genta Incorporated	
Octreotida	Inhibidor de la hormona del crecimiento	Acromegalia	Sandostatin	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España
Octreótida (implante subcutáneo)	Inhibidor de la hormona de crecimiento	Acromegalia		Endo Pharmaceuticals	
Octreótida (Via oral)	Inhibidor de la hormona de crecimiento	Acromegalia		Larode Ltd	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Octreotida, cloruro (Solución oleosa de liberación prolongada)	Inhibidor de la hormona de crecimiento	Acromegalia		Camurus AB	
Odiparcil	Reduce la acumulación de glucosaminoglicanos	Maroteaux Lamy, Síndrome de		Inventiva	
Ofatumumab	Inmunomodulador	Leucemia Linfocítica Crónica	Arzerra	Glaxo Smithkline	Comercializado en España
Ofloxacino	Antileproso	Lepra		Daiichi Pharmaceutical	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Oleiletanolamida	Anorexígeno	Prader Willi, Síndrome de	RiduZone	NutriForward, LLC	Comercializado en EEUU como suplemento dietético, pero no autorizado para esta indicación
Oleilfosfolina	Antiprotozoario	Leismaniasis		Dafra Pharma	
Oligómero sintético de 16 nucleótidos	Fármaco antisentido	Distrofia Miotónica		Isis Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Oligonucleótido ácido ribonucleico sintético dirigido contra la superóxido 1 ácido ribonucleico mensajero superóxido	Reductor de la producción de SOD-1	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Biogen	
Oligonucleótido antisentido	Terapia génica	Glaucoma neovascular		Gene Signal SAS	
Oligonucleótido antisentido	Terapia génica	Retinopatía del prematuro		Gene Signal SAS	
Oligonucleótido antisentido complementario a la secuencia exónica que estimula el corte y empalme del intrón 26 del pre-ARNm de la proteína centrosómica 290	Terapia génica	Amaurosis Retiniana Congénita de Leber		ProQR Therapeutics BV	
Oligonucleótido antisentido dirigido a la mutación delta F508 del CFTR	Terapia génica	Fibrosis Quística		ProQR Therapeutics BV	
Oligonucleótido antisentido dirigido al exón 13 en el gen USH2A	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		ProQR Therapeutics BV	
Oligonucleótido antisentido dirigido al exón 73 en el gen COL7A1	Terapia génica	Epidermólisis Ampollosa		ProQR Therapeutics BV	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Oligonucleótido antisentido dirigido al gen USH2A	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		ProQR Therapeutics BV	
Oligonucleótido antisentido dirigido al isoformo U de SNP rs362307	Terapia génica	Huntington, Enfermedad de		Wave Life Sciences	
Oligonucleótido antisentido inhibidor de la expresión del gen del superóxidodismutasa 1	Terapia génica	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Biogen	
Oligonucleótido antisentido morfolino específico del Exón 53	Omisión de exón	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		NS Pharma	
Oligonucleótido antisentido NF-KB p65	Terapia génica	Colitis Ulcerosa	Kappaproct	InDex Pharmaceuticals AB	
Oligonucleótido de ARN 2'-O-metilfosforotioato, 5'-m5CUGm5CUGm5CUGm5CUGm5CUGm5CUGm5CUG-3	Bloqueador de la huntingtina	Huntington, Enfermedad de		Prosensa Therapeutics	
Oligonucleótido de siARN sintético y de doble cadena dirigido contra el mRNA de la hidroxilasa oxidasa-1	Terapia del ARN de interferencia	Hiperoxaluria Primaria		Anylam Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Oligonucleótido fosforotioato antisentido 2'-O-(2-metoxietil) que actúa selectivamente sobre el receptor de la hormona del crecimiento	Terapia génica	Acromegalia		Antisense Therapeutics Limited	
Oligonucleótido fosforotioato específico de exón 52	Terapia génica	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Prosensa Therapeutics	
Oligonucleótido fosforotioato específico de exón 55	Terapia génica	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Prosensa Therapeutics	
Oligonucleótido fosforotioato específico de la transtirretina	Terapia génica	Polineuropatía amiloide familiar		Isis Pharmaceuticals	
Oligonucleótido fosforotioato específico del exón 45	Terapia génica	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Prosensa Therapeutics	
Oligonucleótido fosforotioato específico del exón 53	Terapia génica	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Prosensa Therapeutics	
Oligonucleótido fosforotioato específico frente al exón 44	Terapia génica	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Prosensa Therapeutics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Oligonucleótido quimérico 2'-O-(2-metoxietil) modificado dirigido al ARN de la huntingtina	Terapia génica	Huntington, Enfermedad de		Isis Pharmaceuticals	
Oligonucleótido sintético con ARN <sub>bip</sub> bicatenario dirigido contra el ARNm de la antitrombina, unido covalentemente a un ligando que contiene tres residuos de N-acetilgalactosamina	Silenciamiento génico	Hemofilia A		Anylam Pharmaceuticals	
Oligonucleótido sintético con ARN <sub>bip</sub> bicatenario dirigido contra el ARNm de la antitrombina, unido covalentemente a un ligando que contiene tres residuos de N-acetilgalactosamina	Silenciamiento génico	Hemofilia B		Anylam Pharmaceuticals	
Oligonucleótido sintético con ARN <sub>bip</sub> bicatenario dirigido contra el ARNm de la hidroxilasa oxidasa 1 unido covalentemente a un ligando que contiene tres residuos de N-acetilgalactosamina	Silenciamiento génico	Hiperoxaluria Primaria		Anylam Pharmaceuticals	
Oligonucleótido sintético con ARN <sub>bip</sub> bicatenario dirigido contra el ARNm de la $\delta$ - aminolevulinato sintasa 1, unido covalentemente a un ligando que contiene tres residuos de N-acetilgalactosamina	ARN de intererencia	Porfiria Hepática Aguda		Anylam Pharmaceuticals	
Oligonucleótido sintético de doble cadena de siRNA dirigido contra la mutación 6a N171K de la queratina	Silenciamiento génico	Paquioniquia Congénita		Alan Irvine	
Oligonucleótido sintético de RNA de doble cadena específico del gen de hidroxilasa oxidasa 1	Bloqueador enzimático	Hiperoxaluria Primaria		Dicerna EU Ltd	

Nombre del principio activo	Mecanismo de acción	Indicación	Nombre comercial	Nombre del laboratorio o sponsor	Estado de comercialización
Oligopéptido que contiene 6 aminoácidos (H-Phe-Ser-Arg-Tyr-Ala-Arg-OH)	Desconocido	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Genervon Biopharmaceuticals	
omaveloxolone i	Antioxidante	Ataxia de Friedreich		Reata Pharmaceuticals	
Omigapilo	Antiapoptótico	Distrofia muscular congénita con deficiencia de colágeno VI		Santhera	
Omigapilo	Antiapoptótico	Distrofia muscular congénita con deficiencia de merosina (laminina alfa 2)		Santhera	
OP-101	Reductor del stress oxidativo	Adrenoleucodistrofia		Orpheris Inc	
Opsina muticaracterística transportada por un virus adenoasociado	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		NanoScope Technologies	
Osilodrostat	Bloqueador enzimático	Cushing, Síndrome de		Novartis Farmacéutica	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Oxalato descarboxilasa de Bacillus subtilis	Agente enzimático	Hiperoxaluria Primaria		Allena Pharmaceuticals	
Oxalobacter formigenes cepa HC-1	Terapia de sustitución	Hiperoxaluria Primaria		OxThera AB	
Oxalobacter formigenes cepa HC-1	Terapia de sustitución	Intestino Corto, Síndrome del		OxThera AB	
Oxfendazol	Antihelmíntico	Cisticercosis		Oxfendazole Development Group	
Oxfendazol	Antihelmíntico	Cisticercosis		Robert H Gilman	
Oxibato sódico	Desconocido	Narcolepsia	Xyrem	UCB Pharma	Comercializado en España
Oxibato sódico	Desconocido	Narcolepsia		Idis Ltd	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Óxido nítrico	Vasodilatador	Fibrosis Quística		PD Dr.med. Joachim Riethmüller	
Óxido nítrico	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial		PD Dr.med. Joachim Riethmüller	
Óxido nítrico	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial		Novoteris	
Óxido nítrico	Vasodilatador	Fibrosis Quística		Novoteris	
Óxido nítrico	Vasodilatador	Fibrosis Quística		Biological Consulting Ltd	
Óxido nítrico	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial		Biological Consulting Ltd	
Óxido nítrico	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial	Inomax	Ino Therapeutics	Comercializado en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Óxido nítrico	Vasodilatador	Fibrosis Quística	Inomax	Ino Therapeutics	Comercializado en España
Oxitocina	Terapia de sustitución	Prader Willi, Síndrome de		Maïthé Tauber	
Ozanezumab	Inmunomodulador	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Glaxo Smithkline	
Ozanimod	Inmunomodulador	Colitis Ulcerosa Pediátrica		Receptos, Inc	
P113D	Bactericida	Fibrosis Quística		Demegen Inc	
Paclitaxel (liposomal)	Supresor de la vascularización tumoral	Páncreas, Cáncer de		MediGene AG	
Paclitaxel (micelas)	Inhibidor del crecimiento celular	Ovarios, Cáncer de		Oasmia Pharmaceutical AB	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Pafuramidina	Desconocido	Tripanosomiasis		Immtech Pharmaceuticals	
Pafuramidina	Desconocido	Malaria		Immtech Pharmaceuticals	
Palovaroteno	Bloqueo de la formación de hueso	Exostosis Múltiple		Clementia Pharmaceuticals	
Palovaroteno	Bloqueo de la formación de hueso	Fibrodisplasia Osificante Progresiva		Clementia Pharmaceuticals	
Paquinimod	Inmunomodulador	Esclerodermia		Active Biotech AB	
Paraaminosalicílico, ácido	Antibiótico bacteriostático	Tuberculosis	Granupas	Lucane Pharma	Pendiente de comercialización en España
Paromomicina	Antiprotozoario	Leishmaniasis		The Surgeon General, Dept. of the Army USAMRMC	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Paromomicina/gentamicina	Antiprotozoario	Leishmaniasis		Office of the Surgeon General, Dpt of the army	
Partículas compuestas de co-polímeros del ácido metacrílico reticulado con un reticulante bifuncional purificado que se unen a la l-fenilalanina y péptidos que contienen l-fenilalanina	Reductor de la absorción de fenilalanina	Fenilcetonuria		MipSalus ApS	
Pasireotida	Inhibidor de la secreción hormonal	Cushing, Síndrome de	Signifor	Novartis Farmacéutica	Pendiente de comercialización en España para el Síndrome de Cushing; autorizado para la Acromegalia
Pasireotida	Inhibidor de la secreción hormonal	Acromegalia	Signifor	Novartis Farmacéutica	Pendiente de comercialización en España para el Síndrome de Cushing; autorizado para la Acromegalia
Pegaspargasa	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Linfoblástica Aguda	Oncaspar	Enzon	Comercializado en EEUU
Peginterferon alfa-2a	Inmunomodulador	Leucemia Mieloide Crónica	Pegasys	Roche	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Pegsitacasa	Reductor de los niveles de ácido úrico	Lesch Nyhan, Síndrome de		EnzymeRx	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Pegunigalsidase alfa	Terapia de sustitución enzimática	Fabry, Enfermedad de		Protalix Biotherapeutics	
Pegvisomant	Antagonista del receptor de la hormona del crecimi	Acromegalia	Somavert	Pharmacia-Upjohn	Comercializado en España
Pentetrazol	Estimulante nervioso	Narcolepsia		Balance Therapeutics, Inc	Comercializado en otros países para otra indicación por otros laboratorios
Pentosán polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Anemia Drepanocítica		Plexcera Therapeutics	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosán polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Maroteaux Lamy, Síndrome de		Plexcera Therapeutics	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosán polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Hurler, Síndrome de		Plexcera Therapeutics	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosán polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Anemia Drepanocítica		Vanguard Therapeutics	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Cistitis Intersticial		Kyoto Tech Ltd	
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Hurler, Síndrome de		Kyoto Tech Ltd	
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Maroteaux Lamy, Síndrome de		Kyoto Tech Ltd	
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Maroteaux Lamy, Síndrome de		Nextresearch di Gasparetto Adolfo & C., Sas	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Maroteaux Lamy, Síndrome de		Vanguard Therapeutics	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Cistitis Intersticial		Dr Ulrich Granzer	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Anemia Drepanocítica		Kyoto Tech Ltd	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Anemia Drepanocítica		Dr Ulrich Granzer	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Cistitis Intersticial		Plexcera Therapeutics	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Hurler, Síndrome de		Dr Ulrich Granzer	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Cistitis Intersticial		Vanguard Therapeutics	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Cistitis Intersticial		Nextresearch di Gasparetto Adolfo & C., Sas	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Maroteaux Lamy, Síndrome de		Dr Ulrich Granzer	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Hurler, Síndrome de		Nextresearch di Gasparetto Adolfo & C., Sas	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Hurler, Síndrome de		Vanguard Therapeutics	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentosan polisulfato sódico (vía oral)	Desconocido/Reductor niveles glucosaminglucanos	Anemia Drepanocítica		Nextresearch di Gasparetto Adolfo & C., Sas	Comercializado por otros laboratorios en otros países para la Cistitis Intersticial
Pentostatina	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia de Células Pilosas	Nipent	Parke-Davis	Comercializado en España
Pentoxifilina	Vasodilatador	Behcet, Enfermedad de		Keck Graduate Institute of Applied Life Sciences	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Pentaxina-2 humana recombinante	Inmunomodulador	Mielofibrosis Idiopática		Promedior	
Pentaxina-2 humana recombinante	Inmunomodulador	Fibrosis Pulmonar Idiopática		FGK Representative service	
Pentaxina-2 humana recombinante	Inmunomodulador	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Promedior	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Pentraxina-2 humana recombinante	Inmunomodulador	Mielofibrosis Idiopática		FGK Representative service	
Péptido (611-626) de la Transcriptasa Inversa de la Telomerasa Humana	Terapia génica antitumoral	Páncreas, Cáncer de		Pharmexa ALS	
Péptido (611-626) de la Transcriptasa Inversa de la Telomerasa Humana	Terapia génica antitumoral	Páncreas, Cáncer de		Pharma Mar	
Péptido 144 inhibidor del TGF-β1	Antifibrótico	Esclerodermia		Digna Biotech	
Péptido derivado de HLA-B27 (aminoácidos 125-138)	Inmunomodulador	Uveitis autoinmune		Lynkeus Bio tech GmbH	
Péptido gamma Fosfoinositol 3-quinasa	Incrementa la actividad de los canales de la proteína CFTR	Fibrosis Quística		Kither Biotech s.r.l.	
Péptido macrocíclico sintético de 15 aminoácidos acilado con un ligante de polietilenglicol palmitoilado	Bloqueador del sistema del complemento	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna		Ra Europe Limited	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Péptido mimético de la Apolipoproteína E	Hipolipemiente	Hipercolesterolemia Familiar Homocigota		LipimetiX Development, LLC.	
Péptido natriurético recombinante de tipo C modificado	Estimulador del crecimiento de los huesos	Acondroplasia		BioMarin Europe Ltd	
Peptidomiméticos de receptores de antígenos de células B autoinmunitarias y células T autoinmunitarias de la miastenia gravis	Inmunomodulador	Miastenia Gravis		CuraVac Europe	
Perampanel	Antiepiléptico	Lennox Gastaut, Síndrome de	Fycompa	Eisai Limited	Comercializado en España
Pilocarpina (Vía oral)	Anticolinérgico	Sjogren Primario, Síndrome de	Salagen	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España
Pioglitazona	Protector de las células nerviosas	Adrenoleucodistrofia		Minoryx Therapeutics SL	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Pirfenidona	Inhibidor del crecimiento de las células fibroblásticas	Esclerodermia	Esbriet	Intermune	Comercializado en España para la Fibrosis Pulmonar Ideopática

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Pirfenidona	Inhibidor del crecimiento de las células fibroblásticas	Fibrosis Pulmonar Idiopática	Esbriet	Intermune	Comercializado en España para la Fibrosis Pulmonar Ideopática
Piridoxina y Ácido piroglutámico-L	Reductor de la actividad de las células cerebrales	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		FGK Representative service	Comercializado en otros países para otras indicaciones
Pirimetamina	Activador enzimático	Tay Sachs, Enfermedad de		ExSar	
Pirimetamina	Activador enzimático	Sandhoff, Enfermedad de		ExSar	
Pirimetamina	Activador enzimático	Tay Sachs, Enfermedad de	Daraprim	Glaxo Smithkline	Comercializado en España,pero no autorizado para esta indicación
Pirimetamina	Activador enzimático	Sandhoff, Enfermedad de	Daraprim	Glaxo Smithkline	Comercializado en España,pero no autorizado para esta indicación
Piruvato sódico	Desconocido	Fibrosis Quística		Cellular Sciences Inc	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Pirvinio	Desconocido	Poliposis Familiar		StemSynergy Therapeutics	Comercializado por otros laboratorios en otros países para otra indicación
Pitolisant	Antagonista del receptor $\alpha$ H3	Narcolepsia	Wakix	Bioprojet	Pendiente de comercialización en España
Pl69	Antiprotozoario	Malaria		DesignMedix	
Plasmido de ADN que codifica el receptor de la acetilcolina	Terapia génica	Miastenia Gravis		Bayhill Therapeutics	
Plásmido de ADN vector del gen transmembrana de la Fibrosis Quística	Terapia génica	Fibrosis Quística		Copernicus Therapeutics	
Plasminógeno (humano)	Terapia de sustitución	Hipoplasminogenemia		ProMetic Biotherapeutics	
Plasminógeno Humano	Desconocido	Conjuntivitis Leñosa		Kedrion s.p.a.	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Plerixafor	Bloqueo del receptor CXCR4	WHIM, Síndrome		Groupe d'étude des neutropénies	Comercializado en España para otra indicación
PNU-100480	Antibiótico bactericida	Tuberculosis		Pfizer	
POL6014	Inhibidor de la elastasa	Alfa 1 Antitripsina, Déficit de		Polyphor UK Ltd	
Poli(oxi-1,2-etanedil), alpha-(carboximetil)-omega-metoxi-, amida con arginasa 1 [cofactor cobalto] (humana sintética) (1:10), trímero	Substitución enzimática	Hiperargininemia		ERA Consulting GmbH	
Polifenil(3-O-sulfo-beta-D-glucopirananuronatodisódico)-(1→3)-beta-D-galactopiranosido	Inmunomodulador	Neuropatía Periférica anti-GAM		SFL Regulatory Affairs Consulting Ltd	
Polihexanida	Desconocido	Queratitis por Acanthamoeba		Società Industria Farmaceutica Italiana	
Poliinosínico-policitidílico, ácido	Antiviral	Encefalitis Japonesa		Ribopharm Inc	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Poliinosínico-policitidílico, ácido	Antiviral	Fiebre Amarilla		Ribopharm Inc	
Poli-N,N'-hexametilenguanidina-Poli-N1,N4-hexametilenoaminoguanidina	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística		TGV-Inhalonix, Inc.	
Poloxamer-188 Nf	Neuroprotector	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Theradex (Europe) Ltd	
Poloxamer-188 Nf	Neuroprotector	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Phrixus Pharmaceuticals	
Porfímero sódico para terapia fotodinámica	Fotosensibilizante	Esófago de Barrett	PhotoBarr	Axcan Pharma International BV	Retirado por la EMA
PPT1 recombinante humana	Terapia de sustitución	Lipofuscinosis Neuronal Ceroida		Collaborations Pharmaceuticals, Inc.	
Pralmorelina, hidrocloreuro	Agente diagnóstico	Hormona de Crecimiento, Déficit de		Sella Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Pramipexol	Agonista dopaminérgico	Gilles de la Tourette, Síndrome de	Mirapexin	Boehringer Ingelheim	Comercializado en España,pero no autorizado para esta indicación
Prasterona	Inmunomodulador	Lupus Eritematoso Sistémico		Genelabs Technologies	
Prasterona	Inmunomodulador	Insuficiencia Adrenal		Genelabs Technologies	
Prasugrel	Antiagregante plaquetario	Anemia Drepanocítica	Effient	Daiichi Pharmaceutical	Comercializado en España,pero no autorizado para esta indicación huérfana
Prasugrel	Antiagregante plaquetario	Anemia Drepanocítica	Effient	Eli Lilly (EEUU)	Comercializado en Estados Unidos, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Pravastatina/Ácido zoledrónico	Hipolipemiante/reductor de la resorción ósea	Progerie de Hutchinson Gilford, Síndrome de		Prenyl Bio	
Praziquantel	Antihelmíntico	Cisticercosis	Biltricide	Bayer (Alemania)	Comercializado en Alemania

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Preparado biológico liofilizado de Streptococcus Pyrogenes tratado con bencilpenicilina	Inmunomodulador	Linfangioma	Picibanil	Chugai (Japón)	Comercializado en Japón
Pridopidina	Estabilizador dopaminérgico	Huntington, Enfermedad de		NeuroSearch	
Prochymal®	Terapia con células madre	Injerto Contra Huesped, Enfermedad de		OSI Pharmaceuticals	
Proinsulina metionina recombinante humana	Inhibidor de la muerte celular	Retinosis Pigmentaria		ProRetina Therapeutics	
Proinsulina recombinante humana	Inhibidor de la muerte celular	Retinosis Pigmentaria		ProRetina Therapeutics	
Propagermanio/irbesartán	Desconocido	Glomeruloesclerosis Focal y Segmentaria		Dimerix Bioscience Ltd	
Propranolol	Agente apoptótico	Von Hippel Lindau, Síndrome de		Consejo Superior de Investigaciones Científicas	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Pro-Pro-Thr-Val-Pro-Thr-Arg	Inhibidor enzimático	Xeroderma Pigmentario		Prof Alain Taieb	
Proteína anticoagulante de nematodo c2 recombinante	Inhibidor del factor tisular	Fiebre hemorrágica de Ébola		ARCA Biopharma	
Proteína C (Concentrado)	Terapia de sustitución	Proteína C, Deficiencia congénita de	Ceprotrin	Baxter	Comercializado en España
Proteína D humana recombinante del surfactante	Surfactante pulmonar	Displasia Broncopulmonar		Airway Therapeutics	
Proteína de 505 aminoácidos, que corresponden a los aminoácidos 2-506 de la histidil-ARNt sintetasa humana natural	Desconocido	Distrofia Muscular de Cinturas		aTyr Pharma	
Proteína de fusión que liga la frataxina a un péptido que penetra en las células	Terapia de sustitución	Ataxia de Friedreich		Chondrial Therapeutics, Inc.	
Proteína de fusión quimérica de alfa-Nacetilglucosaminidasa humana y factor de crecimiento insulínico tipo 2 humano recombinantes	Substitución enzimática	SanFilippo, Síndrome de		BioMarin Europe Ltd	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Proteína de fusión recombinada compuesta por la región extracelular del receptor humano de activina tipo IIB unido al dominio Fc de la IgG1 humana	Regulador del crecimiento celular	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		INC Research UK Ltd	
Proteína del Factor XI de coagulación obtenida del plasma humano	Terapia de sustitución	Hemofilia C		Cambryn Biologics	
Proteína recombinante de célula exocrina bronquiolar humana de 10 Kda	Protector pulmonar	Displasia Broncopulmonar		RLM Consulting	
Proteína recombinante de fusión que une el factor VIIa de coagulación humano con la albúmina humana	Terapia de sustitución	Hemofilia B		CSL Behring	
Proteína recombinante de fusión que une el factor VIIa de coagulación humano con la albúmina humana	Terapia de sustitución	Hemofilia A		CSL Behring	
Proteína recombinante de fusión que une el factor VIIa de coagulación humano con la albúmina humana	Terapia de sustitución	Factor VII, Déficit de		CSL Behring	
Proteína recombinante del factor IX de coagulación humana modificada con tres mutaciones puntuales		Hemofilia B		Voisin Consulting SARL	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Proteína recombinante derivada de la saliva de la garrapata Ornithodoros moubata	Inmunosupresor	Guillain Barre, Síndrome de		Akari Therapeutics Plc	
Proteína recombinante derivada de la saliva de la garrapata Ornithodoros moubata	Inmunosupresor	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna		Akari Therapeutics Plc	
Proteína recombinante que consiste en la hormona liberadora de hormona de crecimiento humana modificada y los dominios de translocación y endopeptidasa de la toxina	Inhibidor de la secreción de somatropina	Acromegalia		Syntaxin Limited	
Proteína sulfamidasa recombinante de origen humano químicamente modificada	Substitución enzimática	SanFilippo, Síndrome de		Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)	
Proteínas de fusión compuestas por un fragmento subunidad A1 de la toxina colérica genéticamente modificada, péptidos de la cadena a del receptor de la acetilcolina y un dímero del	Inmunomodulador	Miastenia Gravis		Toleranzia AB	
PRX-8066	Antagonista de la serotonina	Hipertensión Pulmonar Arterial		Trovis Pharmaceuticals	
QLT091001	Terapia de sustitución	Amaurosis Retiniana Congénita de Leber		QLT inc	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Quenodesoxicólico, ácido	Reductor de los niveles del colesterol en bilis	Errores Congénitos de la Síntesis de Ácidos Biliares	Ácido quenodesoxicólico Leadiant	Leadiant GmbH	Pendiente de comercialización en España para los errores innatos de la síntesis de ácidos biliares primarios
Quenodesoxicólico, ácido	Reductor de los niveles del colesterol en bilis	Xantomatosis Cerebrotendinosa	Ácido quenodesoxicólico Leadiant	Leadiant GmbH	Pendiente de comercialización en España para los errores innatos de la síntesis de ácidos biliares primarios
Queratinocitos autólogos expandidos ex vivo transducidos con un vector retroviral que contiene el gen COL17A1	Terapia celular	Epidermólisis Ampollosa		Ser-mes Planificación SL	
Queratinocitos autólogos humanos expandidos ex vivo que contienen células madre epidérmicas transducidas con un vector retroviral codificador de COL17A1	Terapia celular	Epidermólisis Ampollosa		Chiesi	
Queratinocitos autólogos humanos expandidos ex vivo que contienen células madre epidérmicas transducidas con un vector retroviral codificador de COL7A1	Terapia celular	Epidermólisis Ampollosa		Chiesi	
Queratinocitos autólogos humanos expandidos ex vivo que contienen células madre epidérmicas transducidas con un vector retroviral codificador de LAMB3	Terapia celular	Epidermólisis Ampollosa		Chiesi	
R, S-O-(3-piperidino-2-hidroxi-1-propil) - dihidrocloruro de ácido nicotínico amidoxima	Protector muscular	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		N-Gene Research Laboratories	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
R-1-[2,3-dihidro-2-oxo-1-pivaloilmetil-5-(2-piridil)-1 H -1,4-benzodiazepín-3-yl]-3-(3-metilaminofenil)urea	Desconocido	Tumor Carcinoide Gástrico		Trio Medicines Ltd	
rAAV2-CB-hRPE65	Terapia génica	Amaurosis Retiniana Congénita de Leber		Universidad de Florida	
Raav-Dxiap	Terapia génica	Huntington, Enfermedad de		Neurologix	
Raav-Dxiap	Terapia génica	Huntington, Enfermedad de		Neurologix	
Ralinepag	Antihipertensivo	Hipertensión Pulmonar Arterial		Arena Pharmaceuticals	
Ralinepag	Antihipertensivo	Hipertensión Pulmonar Arterial		Arena Pharmaceuticals	
Ramiprilat	Neuroprotector	Stargardt, Enfermedad de		Irifarma	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Ranpirnasa	Antiviral	Fiebre hemorrágica de Ébola		Tamir Biotechnology, Inc.	
Rasburicasa	Agente detoxificante para tratamiento antineoplásico	Linfoma	Elitek	Sanofi Synthelabo	Comercializado en España (Fasturtec)
RASRx1902	Incrementa la fuerza muscular	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		RASRx, LLC	
Raxibacumab	Inmunomodulador	Carbunco	Abthraxtm	Glaxo Smithkline	Comercializado en EEUU
R-Baclofeno	Estimulador de los receptores GABA-B	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Lakeside Regulatory Consulting Services	
RE-024	Terapia de sustitución	Hallervorden Spatz, Enfermedad de		Retrophin	
Receptor 3 del factor de crecimiento de fibroblasto humano recombinante soluble	Terapia proteómica	Acondroplasia		TherAchon SAS	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Receptor Iib Fc-gamma recombinao soluble humano soluble humano	Inmunosupresor	Púrpura Trombocitopénica Idiopática		SuppreMol GmbH	
Receptor recombinante de la células T	Inmunomodulador	Esclerosis Múltiple		Virogenomics Inc	
Reslizumab	Inmunomodulador	Hipereosinofílico, Síndrome		Ception Pharmaceuticals	
Reslizumab	Inmunomodulador	Esofagitis eosinoflica		Ception Pharmaceuticals	
Resunab	Inmunomodulador	Fibrosis Quística		Corbus Pharmaceuticals	
Resunab	Inmunomodulador	Esclerodermia		Corbus Pharmaceuticals	
R-etodolaco	Agente antiapoptótico	Leucemia Linfocítica Crónica		Salmedix	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
RG-012	Terapia génica	Alport, Síndrome de		Regulus Therapeutics	
Riboflavina/UVA	Estabilizador de la córnea	Queratocono		Avedro	
Ridaforólimus	Inhividor del crecimiento celular	Sarcoma de Tejidos Blandos		Orphix Consulting Gmbh	
Rifapentina	Antibiótico bactericida	Tuberculosis	Priftin	Sanofi Synthelabo	Comercializado en EEUU
Rilonacept	Inmunomodulador	Still, Enfermedad de	Rilonacept Regeneron	Regeneron Pharmaceuticals	Pendiente de comercialización en España para los Síndromes periódicos ligados a la criopirina
Rilonacept	Inmunomodulador	Síndromes periódicos asociados a la criopirina	Rilonacept Regeneron	Regeneron Pharmaceuticals	Pendiente de comercialización en España para los Síndromes periódicos ligados a la criopirina
Rilonacept	Inmunomodulador	Fiebre Mediterránea Familiar	Rilonacept Regeneron	Regeneron Pharmaceuticals	Pendiente de comercialización en España para los Síndromes periódicos ligados a la criopirina



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Riluzol	Neuroprotector	Huntington, Enfermedad de	Rilutek	Aventis Pharma SA	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Riluzol (Suspensión oral)	Neuroprotector	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Teglutik	Italfarmaco	Comercializado en España
Rimeporida	Protector muscular	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Eudrac Limited	
Rintatolimod	Inmunomodulador	Fiebre hemorrágica de Ébola	Ampligen	Hemispherx Biopharma	
Rintatolimod	Inmunomodulador	Fatiga Crónica, Síndrome de	Ampligen	Hemispherx Biopharma	
Riociguat	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica	Adempas	Bayer	Comercializado en España
Riociguat	Vasodilatador	Esclerodermia	Adempas	Bayer	Comercializado en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Riociguat	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial	Adempas	Bayer	Comercializado en España
Rituximab	Inmunomodulador	Granulomatosis de Wegener		Keck Graduate Institute of Applied Life Sciences	Comercializado en España por Roche para otra indicación
Rituximab	Inmunomodulador	Leucemia Linfocítica Crónica	Mabthera	Roche	Comercializado en España, autorizado para la Leucemia Linfocítica Crónica
Rituximab	Inmunomodulador	Púrpura Trombocitopénica Idiopática	Mabthera	Roche	Comercializado en España, autorizado para la Leucemia Linfocítica Crónica
Rituximab	Inmunomodulador	Pénfigo Vulgar		Keck Graduate Institute of Applied Life Sciences	Comercializado en España por Roche para otra indicación
Rituximab	Inmunomodulador	Granulomatosis de Wegener	Mabthera	Roche	Comercializado en España, autorizado para la Leucemia Linfocítica Crónica
Rituximab	Inmunomodulador	Pénfigo Vulgar	Mabthera (Japón)	Zenyaku Kogyo	Comercializado en Japón para otra indicación

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Rituximab	Inmunomodulador	Poliarteritis Microscópica	Mabthera	Roche	Comercializado en España, autorizado para la Leucemia Linfoide Crónica
Rituximab	Inmunomodulador	Rasmussen, Síndrome de	Mabthera	Roche	Comercializado en España, autorizado para la Leucemia Linfoide Crónica
Rituximab	Inmunomodulador	Poliarteritis Microscópica		Keck Graduate Institute of Applied Life Sciences	Comercializado en España por roche para potra indicación
Rituximab	Inmunomodulador	Rasmussen, Síndrome de		Keck Graduate Institute of Applied Life Sciences	Comercializado en España por roche para potra indicación
Rituximab	Inmunomodulador	Rasmussen, Síndrome de		Genentech	
Rituximab	Inmunomodulador	Pénfigo Vulgar	Mabthera	Roche	Comercializado en España, autorizado para la Leucemia Linfoide Crónica
Rituximab	Inmunomodulador	Púrpura Trombocitopénica Idiopática		Genentech	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Rituximab	Inmunomodulador	Púrpura Trombocitopénica Idiopática		Keck Graduate Institute of Applied Life Sciences	Comercializado en España por Roche para otra indicación
Rituximab	Inmunomodulador	Leucemia Linfocítica Crónica		Keck Graduate Institute of Applied Life Sciences	Comercializado en España por Roche para otra indicación
Rituximab	Inmunomodulador	Poliarteritis Microscópica		Genentech	
Rituximab	Inmunomodulador	Granulomatosis de Wegener		Genentech	
Rituximab	Inmunomodulador	Poliarteritis Microscópica	Mabthera (Japón)	Zenyaku Kogyo	Comercializado en Japón para otra indicación
Rituximab	Inmunomodulador	Pénfigo Vulgar		Genentech	
Rituximab	Inmunomodulador	Leucemia Linfocítica Crónica		Genentech	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Rituximab	Inmunomodulador	Leucemia Linfocítica Crónica	Mabthera (Japón)	Zenyaku Kogyo	Comercializado en Japón para otra indicación
Rituximab	Inmunomodulador	Púrpura Trombocitopénica Idiopática	Mabthera (Japón)	Zenyaku Kogyo	Comercializado en Japón para otra indicación
Rituximab	Inmunomodulador	Granulomatosis de Wegener	Mabthera (Japón)	Zenyaku Kogyo	Comercializado en Japón para otra indicación
Rituximab	Inmunomodulador	Rasmussen, Síndrome de	Mabthera (Japón)	Zenyaku Kogyo	Comercializado en Japón para otra indicación
Rivipansel	Inhibidor de la selectina	Anemia Drepanocítica		Pfizer Limited (Reino Unido)	
RO4917523	Neuroprotector	X Frágil, Síndrome		Hoffman La Roche	
Romiplostim	Agregante plaquetario	Púrpura Trombocitopénica Idiopática	Nplate	Amgen Europe BV	Comercializado en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Rosuvastatina	Liporeductor	Hipercolesterolemia Familiar Homocigota Pediátrica	Crestor	Astra Zeneca	Comercializado en España pero no autorizado paa esta indicación
R-Salbutamol	Inhibidor de la expresión de genes	Lupus Eritematoso Sistémico		Astion Pharma	
rsATP7A cDNA	Desconocido	Menkes, Enfermedad de		Stephen G. Kaler	
Rubitecán	Inhibidor del crecimiento celular	Páncreas, Cáncer de		EuroGen Pharmaceuticals Limited	
Rufinamida	Antiepiléptico	Lennox Gastaut, Síndrome de	Inovelon	Eisai Limited	Comercializado en España
Ruxolitinib	Inmunosupresor	Mielofibrosis Idiopática	Jakavi	Novartis Europharm Limited	Comercializado en España
S[+] apomorfina	Neuroprotector	Esclerosis Lateral Amiotrófica		University of Sheffield	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
SA237	Inmunomodulador	Devic, Enfermedad de		Chugai (Japón)	
S-acetil-(S)-4'-fosfopanteteína, sal de calcio	Favorece la formación de Coenzima A	Hallervorden Spatz, Enfermedad de		Acies Bio d.o.o.	
Sacrosidasa	Sustitución enzimática	Malabsorción Congénita de Sucrosa Isomaltosa		QOL Therapeutics EU Ltd	
Sacrosidasa	Sustitución enzimática	Malabsorción Congénita de Sucrosa Isomaltosa	Sucraid	Orphan Medical	Comercializado en EEUU
Sal sódica de ácido acético trans-4-[4-[5-[[6-(trifluorometil)-3-piridinil]amino]-2-piridinil]fenil]ciclohexano	Reductor de los niveles de triglicéridos	Hiperlipoproteinemia de Fredrickson tipo I		Novartis Europharm Limited	
Sal sódica, 3-[4-(1H-imidazol-1-ilmetil)fenil]-5-(2-metilpropil)tiofeno-2-[(N-butiloxilcarbamato)-sulfonamida	Estimulador del receptor AT2R	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Vicore Pharma AB	
Sapropterina	Cofactor enzimático	Machado Joseph, Enfermedad de	Biopten	Daiichi Pharmaceutical	Comercializado en Japón para la forma atípica de la fenilcetonuria

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Sapropterina	Cofactor enzimático	Fenilcetonuria	Biopten	Daiichi Pharmaceutical	Comercializado en Japón para la forma atípica de la fenilcetonuria
Sapropterina	Cofactor enzimático	Fenilcetonuria	Kuvan	Merck KGaA	Comercializado en España
Sapropterina	Cofactor enzimático	Machado Joseph, Enfermedad de	Kuvan	Merck KGaA	Comercializado en España
Sarizotan, clorhidato	Agonista serintóninérgico	Rett, Síndrome de		Newport Pharmaceuticals	
SC403	Desconocido	Intestino Corto, Síndrome del		Sancilio & Company	
Sebelipasa alfa	Substitución enzimática	Lipasa lisosomal ácida, deficiencia de	Kanuma	Alexion Pharmaceuticals	Comercializado en España
Secretina humana sintética	Agente diagnóstico	Zollinger Ellison, Síndrome de		ChiRhoClin	Comercializado en EEUU, pero no autorizado para esta indicación



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Secretina porcina sintética	Agente diagnóstico	Zollinger Ellison, Síndrome de	SecreFlo	ChiRhoClin	Comercializado en EEUU
Seladelpar	Liporeductor	Hipercolesterolemia Familiar Homocigota		Cymabay Therapeutics	
Seladelpar	Liporeductor	Hiperlipoproteinemia de Fredrickson tipo I		Cymabay Therapeutics	
Seladelpar	Liporeductor	Colangitis Primaria Esclerosante		Cymabay Therapeutics	
Seladelpar	Liporeductor	Hiperlipoproteinemia de Fredrickson tipo V		Cymabay Therapeutics	
Seletalisib	Inmunomodulador	PI3K-delta activado, Síndrome de		UCB Pharma	
Setmelanotida	Terapia de sustitución	Prader Willi, Síndrome de		Rhythm Metabolics, Inc.	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Setmelanotida	Terapia de sustitución	Gen del Receptor de Leptina, Deficiencia del		Rhythm Metabolics, Inc.	
Setmelanotida	Terapia de sustitución	Pro-opiomelanocortina, Deficiencia de		Rhythm Metabolics, Inc.	
Setmelanotida	Terapia de sustitución	Pro-opiomelanocortina, Deficiencia de		Rhythm Metabolics, Inc.	
Sevuparina	Antiadhesivo	Anemia Drepanocítica		Diaforette AB	
SHP 654	Terapia génica	Hemofilia A		Shire Pharmaceutical Development Ltd.	
Siálico, ácido	Terapia de sustitución	Miopatía Hereditaria por Cuerpos de Inclusión		Ultragenyx Pharmaceutical	
Sildenafil, citrato	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica	Revatio	Pfizer Limited (Reino Unido)	Comercializado en España para la Hipertensión Pulmonar Arterial y la Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Sildenafil, citrato	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial	Revatio	Pfizer Limited (Reino Unido)	Comercializado en España para la Hipertensión Pulmonar Arterial y la Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica
Sildenafil, citrato	Vasodilatador	Hernia Diafragmática Congénita		Avivia Beheer BV	
Sildenafil, citrato	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial		Avivia Beheer BV	
Sildenafil, citrato	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica		Avivia Beheer BV	
Sildenafil, citrato	Vasodilatador	Hernia Diafragmática Congénita	Revatio	Pfizer Limited (Reino Unido)	Comercializado en España para la Hipertensión Pulmonar Arterial y la Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica
Siltuximab	Inmunomodulador	Castleman, Enfermedad de	Sylvant	Janssen-cilag	Comercializado en España
Simtuzumab	Inmunomodulador	Colangitis Primaria Esclerosante		Gilead Sciences	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Sinapultida	Surfactante pulmonar	Distress Respiratorio del Prematuro, Síndrome del		Discovery Laboratories Inc	
Sinapultida	Surfactante pulmonar	Lesión Pulmonar Aguda		Discovery Laboratories Inc	
Sintasa de Cistationina beta truncada y modificada con polietilenglicol	Substitución enzimática	Homocistinuria		Orphan Technologies Limites	
Siplizumab	Inmunomodulador	Injerto Contra Huesped, Enfermedad de		Medimmune Inc	
Siponimod	Inmunomodulador	Polimiositis		Novartis Farmacéutica	
Siponimod	Inmunomodulador	Dermatomiositis		Novartis Farmacéutica	
Sirólimus	Inmunosupresor	Hipertensión Pulmonar Arterial		Santen Oy	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Sirólimus	Inmunosupresor	Uveitis Crónica no infecciosa		OncoImmune	
Sirólimus	Inmunosupresor	Hipertensión Pulmonar Arterial		Rare Partners srl Impresa Sociale	
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia Mayor		Desitin Arzneimittel	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Sirólimus	Inmunosupresor	Esclerosis Tuberosa		Rare Partners srl Impresa Sociale	
Sirólimus	Inmunosupresor	Hipertensión Pulmonar Arterial	Rapamune	Wyeth Farma	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia Mayor		Rare Partners srl Impresa Sociale	
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia Mayor		OncoImmune	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Sirólimus	Inmunosupresor	Esclerosis Tuberosa		OncoImmune	
Sirólimus	Inmunosupresor	Linfangioleiomiomatosis		Rare Partners srl Impresa Sociale	
Sirólimus	Inmunosupresor	Hipertensión Pulmonar Arterial		OncoImmune	
Sirólimus	Inmunosupresor	Linfangioleiomiomatosis		OncoImmune	
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia intermedia		Rare Partners srl Impresa Sociale	
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia intermedia		OncoImmune	
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia intermedia		Desitin Arzneimittel	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Sirólimus	Inmunosupresor	Uveitis Crónica no infecciosa		Desitin Arzneimittel	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Sirólimus	Inmunosupresor	Paquioniquia Congénita		Rare Partners srl Impresa Sociale	
Sirólimus	Inmunosupresor	Uveitis Crónica no infecciosa		Vale Pharmaceuticals Limited	
Sirólimus	Inmunosupresor	Esclerosis Tuberosa		Santen Oy	
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia Mayor		Santen Oy	
Sirólimus	Inmunosupresor	Uveitis Crónica no infecciosa		Rare Partners srl Impresa Sociale	
Sirólimus	Inmunosupresor	Paquioniquia Congénita		Santen Oy	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Sirólimus	Inmunosupresor	Linfangioleiomiomatosis		Santen Oy	
Sirólimus	Inmunosupresor	Uveitis Crónica no infecciosa		Santen Oy	
Sirólimus	Inmunosupresor	Hipertensión Pulmonar Arterial		Vale Pharmaceuticals Limited	
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia Mayor		Vale Pharmaceuticals Limited	
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia intermedia	Rapamune	Wyeth Farma	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia Mayor	Rapamune	Wyeth Farma	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Sirólimus	Inmunosupresor	Linfangioleiomiomatosis		Desitin Arzneimittel	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Sirólimus	Inmunosupresor	Esclerosis Tuberosa	Rapamune	Wyeth Farma	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Sirólimus	Inmunosupresor	Linfangioleiomiomatosis	Rapamune	Wyeth Farma	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Sirólimus	Inmunosupresor	Hipertensión Pulmonar Arterial		Desitin Arzneimittel	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Sirólimus	Inmunosupresor	Paquioniquia Congénita	Rapamune	Wyeth Farma	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Sirólimus	Inmunosupresor	Esclerosis Tuberosa		Vale Pharmaceuticals Limited	
Sirólimus	Inmunosupresor	Uveitis Crónica no infecciosa	Rapamune	Wyeth Farma	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Sirólimus	Inmunosupresor	Linfangioleiomiomatosis		Vale Pharmaceuticals Limited	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Sirólimus	Inmunosupresor	Paquioniquia Congénita		Desitin Arzneimittel	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia intermedia		Santen Oy	
Sirólimus	Inmunosupresor	Paquioniquia Congénita		Vale Pharmaceuticals Limited	
Sirólimus	Inmunosupresor	Paquioniquia Congénita		OncoImmune	
Sirólimus	Inmunosupresor	Talasemia intermedia		Vale Pharmaceuticals Limited	
Sirólimus	Inmunosupresor	Esclerosis Tuberosa		Desitin Arzneimittel	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
SM04646	Antifibrótico	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Samumed	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Smilagenina	Estimulador neurotrófico	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Phytopharm plc	
SMT C1 100	Regulador de la utropina	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Summit	
S--Nitroglutati6n	Broncodilatador	Fibrosis Quística		N30 Pharmaceuticals	
Sodio 3-[(4aR,6R,7R,7aS)-7-hidroxi-2-oxido-2-sulfanilidene-4a,6,7,7a-tetrahidro-4H-furo[3,2-d][1,3,2]dioxafosfinina-6-yl]-2-bromo-6-fenil-5H-imidazo[1,2-a]purin-9-ona	Bloqueador enzimático	Retinosis Pigmentaria		Universitätsklinikum Tübingen (UKT)	
Sodio 3-[(4aR,6R,7R,7aS)-7-hidroxi-2-oxido-2-sulfanilidene-4a,6,7,7a-tetrahidro-4H-furo[3,2-d][1,3,2]dioxafosfinina-6-yl]-2-bromo-6-fenil-5H-imidazo[1,2-a]purin-9-ona	Bloqueador enzimático	Retinosis Pigmentaria		Universitätsklinikum Tübingen (UKT)	
Sodio, tiosulfato	Quelante	Dermatomiositis	sodium thiosulfate injection	Hope Pharmaceuticals	Comercializado en EEUU pero no autorizado para estas indicaciones
Sodio, tiosulfato	Quelante	Dermatomiositis		Chemie Gmbh	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Sodio, tiosulfato	Quelante	Calcifilaxis		Chemie Gmbh	
Sodio, tiosulfato	Quelante	Calcifilaxis	sodium thiosulfate injection	Hope Pharmaceuticals	Comercializado en EEUU pero no autorizado para estas indicaciones
Solnatida	Desconocido	Pseudohipoaldosteronismo Tipo I		Apeptico	
Somatoprim	Terapia de sustitución	Acromegalia		Aspireo Pharmaceuticals	
Somatropina	Anabolizante	SIDA, caquexia en	Genotonorm	Pfizer	Comercializado en España y autorizado para el Síndrome de Turner
Somatropina	Anabolizante	Prader Willi, Síndrome de	Genotonorm	Pfizer	Comercializado en España y autorizado para el Síndrome de Turner
Somatropina	Anabolizante	Turner, Síndrome de	Norditropin	Novo Nordisk A/S	Comercializado en España y autorizado para el Síndrome de Turner

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Somatropina	Anabolizante	Turner, Síndrome de	Genotonorm	Pfizer	Comercializado en España y autorizado para el Síndrome de Turner
Somatropina	Anabolizante	SIDA, caquexia en	Norditropin	Novo Nordisk A/S	Comercializado en España y autorizado para el Síndrome de Turner
Somatropina	Anabolizante	Prader Willi, Síndrome de	Saizen	Serono	Comercializado en España y autorizado para el Síndrome de Turner
Somatropina	Anabolizante	SIDA, caquexia en	Saizen	Serono	Comercializado en España y autorizado para el Síndrome de Turner
Somatropina	Anabolizante	Prader Willi, Síndrome de	Norditropin	Novo Nordisk A/S	Comercializado en España y autorizado para el Síndrome de Turner
Somatropina	Anabolizante	Turner, Síndrome de	Saizen	Serono	Comercializado en España y autorizado para el Síndrome de Turner
Sorafenib (Tosilato)	Inhividor de las kinasas relacionadas con el crecimiento tumoral	Carcinoma de Células Renales	Nexavar	Bayer (Alemania)	Comercializado en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Soraprazan	Desconocido	Stargardt, Enfermedad de		Katairo GmbrH	
Sotatercept	Inhibidor del Factor de la Necrosis Tumoral	Talasemia intermedia		Celgene Europe Limited	
Sotatercept	Inhibidor del Factor de la Necrosis Tumoral	Talasemia Menor		Celgene Europe Limited	
Sotatercept	Inhibidor del Factor de la Necrosis Tumoral	Talasemia Mayor		Celgene Europe Limited	
SPR001	Inhibidor de la secrecion adrenal	Hiperplasia Adrenal Congénita		Spruce Biosciences	
SQ109	Antituberculoso	Tuberculosis		Sequella Inc	
SRT501	Desconocido	MELAS, Síndrome		Sirtris	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
STX107	Antagonista del receptor mGluRS	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Seaside Therapeutics	
SU11248	Agente antiangiogénico	Tumores Estromales Gastrointestinales Malignos	Sutent	Pfizer	Comercializado en España
Succímero	Quelante	Cistinuria	Chemet	Sanofi-Synthelabo (EEUU)	Comercializado en EEUU
Succínico de 2-[4-(1-metil-4-piridin-4-il-1H-pirazol-3-il)-fenoximetil]-quinolina, Ácido	Bloqueador enzimático	Huntington, Enfermedad de		Pfizer	
Suero caprino hiperinmune	Inmunomodulador	Esclerodermia		Daval International	
Suero caprino hiperinmune	Inmunomodulador	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Daval International	
Sultiamo	Desconocido	Epilepsia Benigna de la Infancia con Puntas Rolándicas (centrotemporales)		Marathon Pharmaceuticals	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Sultiamo	Desconocido	Epilepsia Benigna de la Infancia con Puntas Rolándicas (centrotemporales)	Ospolot	Desitin Arzneimittel	Comercializado en Alemania
Surfactante pulmonar bovino	Surfactante pulmonar	Distress Respiratorio Infantil	Survanta	Abbot Laboratories	Comercializado en España
Surfactante pulmonar bovino (aerosolizado)	Surfactante pulmonar	Distress Respiratorio Infantil		Wayne State University School of Medicine	
SYNB1618	Terapia de sustitución	Fenilcetonuria		Synlogic, Inc.	
Tacrolimo	Inmunosupresor	Miastenia Gravis	Prograf	Fujisawa	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Tacrolimo	Inmunosupresor	Dermatomiositis	Prograf	Fujisawa	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Tacrolimo	Inmunosupresor	Miastenia Gravis		VIVUS B.V.	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Tacrolimo	Inmunosupresor	Lupus Eritematoso Sistémico		VIVUS B.V.	
Tacrolimo	Inmunosupresor	Polimiositis	Prograf	Fujisawa	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Tacrolimo	Inmunosupresor	Dermatomiositis		VIVUS B.V.	
Tacrolimo	Inmunosupresor	Hipertensión Pulmonar Arterial		VIVUS B.V.	
Tacrolimo	Inmunosupresor	Polimiositis		VIVUS B.V.	
Tacrolimo	Inmunosupresor	Hipertensión Pulmonar Arterial	Prograf	Fujisawa	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Tacrolimo	Inmunosupresor	Lupus Eritematoso Sistémico		Selten Pharma	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Tacrolimo	Inmunosupresor	Lupus Eritematoso Sistémico	Prograf	Fujisawa	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Tacrolimo	Inmunosupresor	Miastenia Gravis		Selten Pharma	
Tacrolimo	Inmunosupresor	Hipertensión Pulmonar Arterial		Selten Pharma	
Tacrolimo	Inmunosupresor	Dermatomiositis		Selten Pharma	
Tacrolimo	Inmunosupresor	Polimiositis		Selten Pharma	
Tadalafilo	Antihipertensivo	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Adcirca	Eli Lilly (EEUU)	Comercializado en España, pero autorizado sólo para la Hipertensión Pulmonar Arterial
Tadalafilo	Antihipertensivo	Hipertensión Pulmonar Arterial	Adcirca	Eli Lilly (EEUU)	Comercializado en España, pero autorizado sólo para la Hipertensión Pulmonar Arterial

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Tadekinig alfa	Inmunomodulador	Linfocitosis Hemofagocítica		AB2 Bio	
Tafamidis meglumina	Interrumpe la formación de amiloide	Miocardopatía amiloide familiar relacionada con la transtiretina	Vyndaqel	Pfizer	Comercializado en España para la Polineuropatía Amiloide Familiar
Tafamidis meglumina	Interrumpe la formación de amiloide	Amiloidosis Sistémica	Vyndaqel	Pfizer	Comercializado en España para la Polineuropatía Amiloide Familiar
Tafamidis meglumina	Interrumpe la formación de amiloide	Polineuropatía amiloide familiar	Vyndaqel	Pfizer	Comercializado en España para la Polineuropatía Amiloide Familiar
Tafenoquina	Antimalárico	Malaria		Glaxo Smithkline	
TAK-831	Inhibidor de la D-aminoácido oxidasa	Ataxia de Friedreich		Takeda Europe	
TAK-925	Agonista del receptor de la orexina 2	Narcolepsia		Takeda Europe	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Talactoferrina alfa	Inmunomodulador	Carcinoma de Células Renales		Agennix Limited	
Talidomida	Inmunosupresor	Mieloma Múltiple		Laboratoires Laphal	
Talidomida	Inmunosupresor	Mieloma Múltiple		Laboratoires Laphal	
Talidomida	Inmunosupresor	Mieloma Múltiple	Thaled	Fujimoto Pharmaceutical	Comercializado en Japón para la Lepra y el Mieloma Múltiple
Talidomida	Inmunosupresor	Mieloma Múltiple	Thalidomide Celgene	Celgene Europe Limited	Autorizado por la EMA para el Mieloma Múltiple. Comercializado en otros países
Talidomida nasal/oral	Desconocido	Telangiectasia Hemorrágica Hereditaria		PlumeStars s.r.l.	
Taliglucerasa alfa	Substitución enzimática	Gaucher, Enfermedad de	Elelyso For Injection	Pfizer	Comercializado en EEUU

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Taliglucerasa alfa	Substitución enzimática	Gaucher, Enfermedad de		Protalix Biotherapeutics	
Tamoxifeno, citrato	Activador del canal del cloro	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Duchenne UK	Comercializado en España por otros laboratorios para otra indicación
Tamoxifeno, citrato	Activador del canal del cloro	Fibrosis Quística		GB Pharma Srl	Comercializado en España por otros laboratorios para otra indicación
Tamoxifeno, citrato	Activador del canal del cloro	Fibrosis Quística		Duchenne UK	Comercializado en España por otros laboratorios para otra indicación
Tamoxifeno, citrato	Activador del canal del cloro	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		GB Pharma Srl	Comercializado en España por otros laboratorios para otra indicación
Tasmelteón	Agonista de la malatonina	Smith Magenis, Síndrome de		Vanda Pharmaceuticals	
Taurina	Terapia de sustitución	Homocistinuria		University of Colorado	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Tauroursodesoxicólico, Ácido	Neuroprotector	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Tudcabil	Bruschettini s.r.l.	Comercializado en Italia pero no autorizado para esta indicación huérfana
Tauroursodesoxicólico, Ácido	Neuroprotector	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Tudcabil	Bruschettini s.r.l.	Comercializado en Italia pero no autorizado para esta indicación huérfana
TD-K6a.513a.12	Terapia génica	Paquioniquia Congénita		Transderm Inc	
Teduglutida	Intestinotrófico	Intestino Corto, Síndrome del	Revestive	NPS Pharmaceuticals	Pendiente de comercialización en España
Teicoplanina	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística		Neupharma S.r.l.	
Tejido hepático terapéutico bioimpreso tridimensionalmente	Ingeniería de tejidos	Alfa 1 Antitripsina, Déficit de		Organovo Inc.	
Temocilina	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística	Negaban	Belpharma NV	Comercializado en Bélgica, pero no autorizado para esta indicación huérfana

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Temozolomida	Agente citotóxico	Astrocitoma Maligno		Peregrine Pharmaceuticals	
Temozolomida	Agente citotóxico	Astrocitoma Maligno	Temodar	Schering Plough (EEUU)	Comercializado en España para el Glioblastoma
Temsirolimus	Inhibidor del crecimiento celular	Carcinoma de Células Renales		Centro de Investigación Biomédica en Red (CIBER)	
Temsirolimus	Inhibidor del crecimiento celular	Carcinoma de Células Renales	Torisel	Wyeth Europa Ltd.	Comercializado en España
Temsirolimus	Inhibidor del crecimiento celular	Adrenoleucodistrofia	Torisel	Wyeth Europa Ltd.	Comercializado en España
Temsirolimus	Inhibidor del crecimiento celular	Adrenoleucodistrofia		Centro de Investigación Biomédica en Red (CIBER)	
Tenipósido	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Linfoblástica Aguda	Vumon	Bristol Myers Squibb	Comercializado en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Tenofovir	Bloqueador enzimático	Aicardi-Goutières, Síndrome de		Dr Yanick Crow	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Teprotumumab	Inmunomodulador	Graves Basedow, Enfermedad de		Genmab A/S	
Terapia génica de la fibrosis quística basada en un virus adenoasociado como vector	Terapia génica	Fibrosis Quística		Targeted Genetics Corporation	
Tergurida	Agonista parcial dopaminérgico	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica		Ergonex Licensing and Regulatory Services AG	
Tergurida	Agonista parcial dopaminérgico	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica		Serodapharm GmbH	
Tergurida	Agonista parcial dopaminérgico	Hipertensión Pulmonar Arterial		Ergonex Licensing and Regulatory Services AG	
Tergurida	Agonista parcial dopaminérgico	Hipertensión Pulmonar Arterial		Serodapharm GmbH	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Tergurida	Agonista parcial dopaminérgico	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica		High Tech Participations GmbH	
Tergurida	Agonista parcial dopaminérgico	Hipertensión Pulmonar Arterial		High Tech Participations GmbH	
Teriparatida	Sustitución hormonal	Hipoparatiroidismo		Alacrita LLP	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación
Tesevatinib	Inhibidor del crecimiento celular	Poliquistosis Renal		Kadmon Corporation	
Test del antígeno en la piel de la coccidioidina derivada de la esferulina	Agente diagnóstico	Coccidioidomicosis		Allermed	
Tetrabenazina	Antagonista dopaminérgico	Gilles de la Tourette, Síndrome de	Nitoman	UCB Pharma	Comercializado en España, pero autorizado solo para la Enfermedad de Huntington
Tetrabenazina	Antagonista dopaminérgico	Huntington, Enfermedad de	Nitoman	UCB Pharma	Comercializado en España, pero autorizado solo para la Enfermedad de Huntington

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Tetrabenazina	Antagonista dopaminérgico	Disquinesia Tardía	Nitoman	UCB Pharma	Comercializado en España, pero autorizado solo para la Enfermedad de Huntington
Tetramolibdato amónico	Quelante	Wilson, Enfermedad de		Pipex	
Tetramolibdato amónico	Quelante	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Pipex	
Tetramolibdato de colina	Quelante	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Wilson Therapeutics	
Tetramolibdato de colina	Quelante	Wilson, Enfermedad de		Wilson Therapeutics	
TG101348	Inmunomodulador	Mielofibrosis Idiopática		Sanofi-Synthelabo (EEUU)	
Tgaag 76	Terapia génica	Amaurosis Retiniana Congénita de Leber		Targeted Genetics Corporation	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Theranost 68 Ga RGD	Agente diagnóstico	Tuberculosis		Advanced Imaging Projects	
Theranost 68 Ga RGD	Agente diagnóstico	Moya Moya, Enfermedad de		Advanced Imaging Projects	
Tiazofurina	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Mieloide Crónica		ICN Pharmaceuticals	
Tideglusib	Bloqueador enzimático	Distrofia Miotónica		QRC Consultants Ltd	
Tideglusib	Bloqueador enzimático	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		QRC Consultants Ltd	
Timalfasina	Inmunosupresor	di George, Síndrome de	Zadaxin	Sciclone Pharmaceuticals Italy Srl	Comercializado en Italia, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Timalfasina	Inmunosupresor	Carcinoma Hepatocelular	Zadaxin	Sciclone Pharmaceuticals Italy Srl	Comercializado en Italia, pero no autorizado para esta indicación huérfana

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Timidina fosforilasa recombinante encapsulada en eritrocitos autólogos	Terapia celular	Encefalopatía Mitocondrial Gastrointestinal		St George's University of London	
Timosin Beta 4	Estimulador de la producción de laminina	Epidermólisis Ampollosa		RegeneRx Biopharmaceuticals	
Tintura de opio	Reductor del peristaltismo intestinal	Intestino Corto, Síndrome del		Marathon Pharmaceuticals	
Tiopronina	Reductor de la excreción de cisteína	Cistinuria	Thiola	Mission Pharmacal	Comercializado en EEUU
Tiotropio	Broncodilatador	Fibrosis Quística	Spiriva	Boehringer Ingelheim	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación
Tipelukast	Antifibrótico	Fibrosis Pulmonar Idiopática		MediciNova	
Tipifamib	Agente apoptótico	Leucemia Mieloide Aguda		Janssen-cilag	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Tiracoxib	Inhibidor de la ciclooxigenasa-2	Poliposis Familiar		Japan Tobacco Inc	
Tiraseptiv	Potenciador de la fuerza muscular	Atrofia Muscular Espinal		Cytokinetics Inc	
Tiraseptiv	Potenciador de la fuerza muscular	Esclerosis Lateral Amiotrófica		Cytokinetics Inc	
Tiratricol	Análogo hormonal	Allan Herndon, Síndrome de		Medical Need Europe AB	Comercializado en Francia por otro laboratorio para otra indicación
Tir-Gli-Arg-Lis-Lis-Arg-Arg-Gln-Arg-Arg-Gli-Gli-Asp-Leu-Leu-Pro-Arg-GliSer	Reductor de la fisión de mitocondrias	Huntington, Enfermedad de		Dr Ulrich Granzer	
Tirosina quinasa de agamaglobulinemia	Inhibidor enzimático	Pénfigo Vulgar		Clinical Network Services (UK) Ltd	
Tobramicina (por inhalación)	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística	TOBI	Chiron	Comercializado en España

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Tocilizumab	Inmunosupresor	Artritis Reumatoide Juvenil	Actemra	Chugai (Japón)	Comercializado en Japón
Tocilizumab	Inmunosupresor	Castleman, Enfermedad de	Roactemra	Roche	Comercializado en España
Tocilizumab	Inmunosupresor	Artritis Reumatoide Juvenil	Roactemra	Roche	Comercializado en España
Tocilizumab	Inmunosupresor	Esclerodermia	Roactemra	Roche	Comercializado en España
Tocilizumab	Inmunosupresor	Castleman, Enfermedad de	Actemra	Chugai (Japón)	Comercializado en Japón
Tocilizumab	Inmunosupresor	Esclerodermia	Actemra	Chugai (Japón)	Comercializado en Japón
Tocoferol alfa	Antioxidante	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine		Université de Montpellier	Comercializado por otros laboratoiros para otras indicaciones

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Tocoferol alfa y ácido ascórbico	Antioxidante	X Frágil, Síndrome		Advanced Medical projects	
Tolcapona	Inhibidor de la amiloidosis	Amiloidosis Primaria Familiar		SOM Biotech	
Topiramato	Antiepiléptico	Lennox Gastaut, Síndrome de	Topamax	Janssen-cilag	Comercializado en España
Topiramato (inyectable)	Desconocido	Epilepsia		Ligand Pharmaceuticals UK Ltd.	
Toxina del cólera modificada	Bloquea la destrucción de enzimas	Gaucher, Enfermedad de		ERAD Therapeutics Inc	
Trabectedina	Agente apoptótico	Ovarios, Cáncer de	Yondelis	Pharma Mar SA	Comercializado en España para el Sarcoma de los Tejidos Blandos
Trabectedina	Agente apoptótico	Sarcoma de Tejidos Blandos	Yondelis	Pharma Mar SA	Comercializado en España para el Sarcoma de los Tejidos Blandos

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Transglutaminasa 1 recombinante humana encapsulada en liposomas	Substitución enzimática	Ictiosis Congénita de Herencia Autosómica		Westfälische Wilhelms-Universität Münster	
Trans-resveratrol	Antioxidante	Ataxia de Friedreich		Jupiter Orphan Therapeutics	Comercializado en España por otras empresas como como complemento alimenticio
Trazodona	Inhibidor de la recaptación de serotonina	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia		Epygenix Therapeutics	
Trehalosa	Estabilizador de proteínas	Machado Joseph, Enfermedad de		BioBlast Pharma	
Trehalosa	Estabilizador de proteínas	Distrofia Muscular Oculofaríngea		Dr Ulrich Granzer	
Trehalosa	Estabilizador de proteínas	Machado Joseph, Enfermedad de		Dr Ulrich Granzer	
Trehalosa	Estabilizador de proteínas	Distrofia Muscular Oculofaríngea		BioBlast Pharma	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Treosulfán	Agente Alquilante que provoca la muerte celular	Tratamiento de acondicionamiento previo al trasplante células progenitoras hematopoyéticas		Medac Gesellschaft für klinis	
Treprostinil	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica	Remodulin	LungRx Limited	Comercializado en EEUU y Francia, sólo autorizado para la Hipertensión Pulmonar Arterial
Treprostinil	Vasodilatador	Esclerodermia	Remodulin	LungRx Limited	Comercializado en EEUU y Francia, sólo autorizado para la Hipertensión Pulmonar Arterial
Treprostinil	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial	Remodulin	LungRx Limited	Comercializado en EEUU y Francia, sólo autorizado para la Hipertensión Pulmonar Arterial
treprostinil (inhalado)	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial	Tyvaso	LungRx Limited	
Treprostinil sódico	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Tromboembólica Crónica		SciPharm S.a.r.L	
Tres anticuerpos monoclonales quiméricos humano/murino contra la glucoproteína de superficie del virus del Ébola (Zaire)	Inmunomodulador	Fiebre hemorrágica de Ébola		LeafBio	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Tres inmunoglobulinas humanas mAbs dirigidas contra diferentes epitopos en la glucoproteína del Virus de Ébola	Inmunomodulador	Fiebre hemorrágica de Ébola		Regeneron Pharmaceuticals	
Tretazicar	Desconocido	Leishmaniasis		Morvus Technologies Limited	
Tretinoína	Inhibidor del crecimiento celular	Leucemia Promielocítica Aguda	Vesanoid	Roche	Comercializado en España
Triamcinolona, acetónico	Antiinflamatorio	Uveitis Crónica no infecciosa		S-cubed	
Triclabendazol	Antihelmíntico	Fasciolosis	Egaten	Novartis Farmacéutica	Comercializado en Francia
Triclabendazol	Antihelmíntico	Fasciolosis		Tropicalis Pharmaceuticals, LLC	
Triclorhidrato de zosuquidar	Revierte la resistencia a la quimioterapia	Leucemia Mieloide Aguda		Kanisa Europe Limited	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Trientina	Quelante	Wilson, Enfermedad de	Metalite	Tsumura	Comercializado en Japón
Trientina	Quelante	Wilson, Enfermedad de		Univar Limited	
Trientina	Quelante	Wilson, Enfermedad de	Syprine	Merck (EEUU)	Comercializado en EEUU
Trientina	Quelante	Wilson, Enfermedad de		GMP-Orphan SAS	
Trifaroteno	Agonista del ácido retinoico	Ictiosis Congénitas		Galderma	
Triheptanoína	Vigorizante	McArdle, Enfermedad de		Ultragenyx Pharmaceutical	
Triheptanoína	Vigorizante	Proteína Trifuncional Mitochondrial, Deficiencia de		Ultragenyx Pharmaceutical	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Triheptanoína	Vigorizante	Carnitín Palmitoil Transferasa, Déficit de		Vall d'Hebron Institute of Research	
Triheptanoína	Vigorizante	Encefalopatía por deficiencia de GLUT1		Ultragenyx Pharmaceutical	
Triheptanoína	Vigorizante	Carnitín Palmitoil Transferasa, Déficit de		Ultragenyx Pharmaceutical	
Triheptanoína	Vigorizante	Encefalopatía por deficiencia de GLUT1		Vall d'Hebron Institute of Research	
Triheptanoína	Vigorizante	Proteína Trifuncional Mitocondrial, Deficiencia de		Vall d'Hebron Institute of Research	
Triheptanoína	Vigorizante	McArdle, Enfermedad de		Vall d'Hebron Institute of Research	
Triptorelina	Reductor de las hormonas sexuales	Pubertad Precoz		Debiopharm	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Triptorelina	Reductor de las hormonas sexuales	Pubertad Precoz	Decapeptyl	Ipsen Pharma	
Ubenimex	Inmunomodulador	Hipertensión Pulmonar Arterial	Bestatin	Eiger Biopharmaceuticals Europe Limited	Comercializado en Japón para otra indicación
Ublituximab	Inmunomodulador	Devic, Enfermedad de		TG Therapeutics	
Urea (inyección intravitreal)	Estimulador de la retina	Retinosis Pigmentaria		Vitreo Retinal Technologies	
Uridina, triacetato	Terapia de sustitución	Aciduria Orótica Hereditaria		Wellstat Therapeutics	
Ursodesoxicólico, ácido	Reductor de los niveles del colesterol en bilis	Cirrosis Biliar Primaria		Adare Pharmaceuticals	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Ursodesoxicólico, ácido (suspensión)	Reductor de los niveles de colesterol en bilis	Fibrosis Quística	Ursofalk	Asklepiion Pharmaceuticals	Comercializado en Portugal, Italia y otros países

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Ursodesoxicólico, ácido (tamponado)	Reductor de los niveles de colesterol en bilis	Alagille, Síndrome de		Digestive Care, Inc	
Ustekinumab	Inmunosupresor	Cirrosis Biliar Primaria	Stelara	Janssen-cilag	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Ustekinumab	Inmunosupresor	Sarcoidosis	Stelara	Janssen-cilag	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Ustekinumab	Inmunosupresor	Lupus Eritematoso Sistémico	Stelara	Janssen-cilag	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Ustekinumab	Inmunosupresor	Crohn, Enfermedad de (Pediátrica)	Stelara	Janssen-cilag	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas
Vacuna autóloga del tumor de las células renales	Inmunomodulador	Carcinoma de Células Renales		Liponova GmbH	
Vacuna de ADN del virus Haantan y del virus Puumala	Inmunomodulador	Fiebre Hemorrágica con Síndrome Renal		Ejercito de los Estados Unidos	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vacuna de la encefalitis japonesa	Inmunomodulador	Encefalitis Japonesa		Boran Pharmaceuticals	
Vacuna de la Fiebre Hemorrágica de Ébola	Inmunomodulador	Fiebre hemorrágica de Ébola		Janssen-cilag	
Vacuna de la peste	Inmunomodulador	Peste Bubónica		DynPort Vaccine Company	
Vacuna del parvovirus B19 (MEDI-491)	Inmunomodulador	Anemia Drepanocítica		Medimmune Inc	
Vacuna del virus de la encefalitis japonesa SA 14-4-2, inactivado y purificado	Inmunomodulador	Encefalitis Japonesa	Ixiaro	InterCell AG	Comercializado en España
Valbenazina	Inhibidor de la secreción de dopamina	Gilles de la Tourette, Síndrome de	Ingrezza	Neurocrine Biosciences	Comercializado en Estados Unidos para otra indicación
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	McArdle, Enfermedad de		Vall d'Hebron Institute of Research	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Wolfram, Síndrome de		Universidad de Birmingham	
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	McArdle, Enfermedad de		Universidad de Birmingham	
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Wolfram, Síndrome de		Vall d'Hebron Institute of Research	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Vall d'Hebron Institute of Research	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Universidad de Birmingham	
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Neuropharm Limited	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Wolfram, Síndrome de		G2M Cancer Drugs AG	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		G2M Cancer Drugs AG	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	McArdle, Enfermedad de		G2M Cancer Drugs AG	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	McArdle, Enfermedad de		Alan Boyd Consultants Ltd	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Cromosoma X Frágil, Síndrome del		Alan Boyd Consultants Ltd	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Wolfram, Síndrome de		Neuropharm Limited	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	McArdle, Enfermedad de		Neuropharm Limited	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones
Valpróico, ácido	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Wolfram, Síndrome de		Alan Boyd Consultants Ltd	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vancomicina (inhalada)	Antibiótico bactericida	Fibrosis Quística		Savara Pharmaceuticals	
Vapreotida, pamoato	Análogo de la somatostatina	Acromegalia	Sanvar	H3 Pharma Inc	
Varespladib	Inhibidor de la fosfolipasa A2	Anemia Drepanocítica		Anthera Pharmaceuticals	
Variante del factor de crecimiento de los fibroblastos 19 humano recombinante	Reductor de la síntesis de ácidos biliares	Cirrosis Biliar Primaria		NGM Biopharmaceuticals	
Variante del factor IX recombinante (subcutáneo) con tres mutaciones puntuales	Terapia de sustitución	Hemofilia B		Catalyst Biosciences	
Variante del Factor VIIa recombinante humano	Terapia de sustitución	Hemofilia A		Pfizer	
Variante del Factor VIIa recombinante humano	Terapia de sustitución	Hemofilia B		Pfizer	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vasomera	Vasodilatador	Hipertensión Pulmonar Arterial		PhaseBio Pharmaceuticals	
Vasomera	Vasodilatador	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		PhaseBio Pharmaceuticals	
Vasomera	Vasodilatador	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		PhaseBio Pharmaceuticals	
Vector adenoviral recombinante AAV2/rh8 que expresa las subunidades A y B de la hexosaminidase	Terapia génica	Tay Sachs, Enfermedad de		National Tay-Sachs & Allied Diseases Association	
Vector adenovírico portador del gen humano p53 humano p53	Terapia génica	Li Fraumeni, Síndrome de		Gendux AB	
Vector basado en la estructura de un virus adeno-asociado serotipo 2, pseudo-serotipado con una cápside tipo 8, conteniendo la secuencia codificante del gen TYMP humano bajo el	Terapia génica	Encefalopatía Mitochondrial Gastrointestinal		Vall d'Hebron Institute of Research	
Vector de AAV9 recombinante que expresa el gen de la sulfoglucosamina sulfhidrolasa humana	Terapia génica	SanFilippo, Síndrome de		Abeona Therapeutics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector de adenovirus serotipo 5 que contiene una variante del gen del factor VIII de coagulación humano en el que se ha eliminado el dominio B	Terapia génica	Hemofilia A		BioMarin Europe Ltd	
Vector de la AAV-G6Pasa	Terapia génica	Von Gierke, Enfermedad de		GlyGenix Therapeutics, Inc.	
Vector del plásmido de ADN (pCK-HGFX7) que expresa el factor de crecimiento de los hepatocitos	Terapia génica	Esclerosis Lateral Amiotrófica		ViroMed Co Ltd	
Vector lentiviral conteniendo el gen de la anemia de Fanconi A (FANCA)	Terapia génica	Anemia de Fanconi		CIBERER	
Vector lentiviral que contiene el gen piruvato quinasa humano de hígado y eritroide (PKLR)	Terapia génica	Piruvato Kinasa, Déficit de		CIBERER	
Vector lentivírico que contiene el gen humano ABCA4	Terapia génica	Stargardt, Enfermedad de		Oxford Biomedica (UK)LTD	
Vector lentivírico que contiene el gen humano MYO7A	Terapia génica	Usher, Síndrome de		Oxford Biomedica (UK)LTD	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector retroviral que contiene gamma-c cADN	Terapia génica	Inmunodeficiencia Severa Combinada, Enfermedad de la		Genopoietic SAS	
Vector retroviral, R-GC y GC gen 1750	Terapia génica	Gaucher, Enfermedad de		Genzyme (EEUU)	
Vector viral adeno asociado conteniendo ADN que codifica un iARN para rodopsina/vector viral adeno asociado conteniendo un gen de rodopsina	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		Genable Technologies	
Vector viral adeno asociado de serotipo Anc80 codificado que contiene el gen humano ATP7B truncado que esta bajo el control del promotor humano antitripsina alfa 1	Terapia génica	Wilson, Enfermedad de		Vivet Therapeutics	
Vector viral adenoasociado autocomplementario recombinante del serotipo 9 que contiene el gene humano CLN3	Terapia génica	Lipofuscinosis Neuronal Ceroidea		Ser-mes Planificación SL	
Vector viral adeno-asociado conteniendo el gen de la alfa-N-acetilglucosaminidasa humana	Terapia génica	SanFilippo, Síndrome de		Institut Pasteur	
Vector viral adenoasociado de serotipo 10, que transporta los DNAc de la N-sulfoglucosamina-sulfohidrolasa humana y del factor de modificación 1 de la sulfatasa	Terapia génica	SanFilippo, Síndrome de		Lysogene	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector viral adenoasociado de serotipo 5 que contiene el gen humano alanina glioxilato aminotransferasa	Terapia génica	Hiperoxaluria Primaria		Amsterdam Molecular Therapeutics	
Vector viral adenoasociado de serotipo 8 que codifica el ADN complementario del gen ATP7B humano colocado bajo el control del promotor de la alfa-1-antitripsina humana como promotor	Terapia génica	Wilson, Enfermedad de		Aligen Therapeutics SL	
Vector viral adeno-asociado de serotipo 8 que contiene el gen del factor humano VII	Terapia génica	Factor VII, Déficit de		Professor Edward G. Tuddenham	
Vector viral adeno-asociado de serotipo 9 que contiene el gen calsequestrina cardíaca humana	Terapia génica	Taquicardia ventricular polimórfica catecolaminérgica		Fondazione Salvatore Maugeri	
Vector viral adeno-asociado de serotipo 9 que contiene el gen glucocerebrosidasa humana	Terapia génica	Gaucher, Enfermedad de		Gauchers Association	
Vector viral adenoasociado de serotipo rh10 que expresa la beta-galactosidasa	Terapia génica	Gangliosidosis GM1		Lysogene	
Vector viral adenoasociado del serotipo 10 que contiene el ADNc de la N-sulfoglucosamina sulfhidrolasa humana	Terapia génica	SanFilippo, Síndrome de		Lysogene	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector viral adenoasociado del serotipo 2 bajo el control regulatorio de un promotor de Citomegalovirus que codifica la tripeptidil peptidasa-1 humana	Terapia génica	Lipofuscinosis Neuronal Ceroidea		Spark Therapeutics	
Vector viral adenoasociado del serotipo 2 que contiene el gen humano RPE65	Terapia génica	Amaurosis Retiniana Congénita de Leber		Spark Therapeutics	
Vector viral adenoasociado del serotipo 2 que contiene el gen humano RPE65	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		Spark Therapeutics	
Vector viral adenoasociado del serotipo 2 que contiene el gen humano CHM y que codifica a la proteína humana acompañante de Rab 1	Terapia génica	Coroideremia		Alan Boyd Consultants Ltd	
Vector viral adeno-asociado del serotipo 2 que contiene el gen humano de la REP1	Terapia génica	Coroideremia		NightstaRx Ltd	
Vector viral adenoasociado del serotipo 2.7m8 que contiene el gen humano ChrimsonR-tdTomato	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		Gensight Biologics	
Vector viral adenoasociado del serotipo 2/6 (Raav2/6) que codifica nucleasas con dedos de zinc y el del Facto IX humano (SB-FIX)	Terapia génica	Hemofilia B		Sangamo Biosciences	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector viral adenoasociado del serotipo 2/6 (Raav2/6) que codifica nucleasas con dedos de zinc y el gen de la alfa-L-iduronidasa	Terapia génica	Hurler, Síndrome de		Sangamo Biosciences	
Vector viral adenoasociado del serotipo 2/6 (Raav2/6) que codifica nucleasas con dedos de zinc y el gen de la iduronato 2-sulfatasa humana	Terapia génica	Hunter, Síndrome de		Sangamo Biosciences	
Vector viral adenoasociado del serotipo 5 que codifica un microARN dirigido al gen humano de Huntington	Terapia génica	Huntington, Enfermedad de		uniQure biopharma B.V.	
Vector viral adenoasociado del serotipo 5 que contiene el gen humano CHM	Terapia génica	Coroideremia		HORAMA SA	
Vector viral adenoasociado del serotipo 5 que contiene el gene humano RLBP1	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		HORAMA SA	
Vector viral adenoasociado del serotipo 5 que contiene el gen humano pde6 $\beta$	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		Centre Hospitalier Universitaire de Nantes	
Vector viral adenoasociado del serotipo 5 que contiene el gen humano RPGR	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		MeiraGTx UK II Limited	



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector viral adenoasociado del serotipo 8 que codifica la ornitina transcarbamilasa humana	Terapia génica	Ornitín Transcarbamilasa, Déficit de		Pharma Gateway AB	
Vector viral adenoasociado del serotipo 8 que contiene el gen humano de la glucosa-6-fosfatasa	Terapia génica	Von Gierke, Enfermedad de		Pharma Gateway AB	
Vector viral adenoasociado del serotipo 8 que contiene el gene humano GUCY2D	Terapia génica	Amaurosis Retiniana Congénita de Leber		Fondazione Telethon	
Vector víral adenoasociado del serotipo 8 que contiene el gen humano AIPL1	Terapia génica	Amaurosis Retiniana Congénita de Leber		MeiraGTx	
Vector víral adenoasociado del serotipo 8 que contiene el gen humano CNGB3	Terapia génica	Acromatopsia		MeiraGTx	
Vector viral adenoasociado del serotipo 8 que contiene el gen humano MD1	Terapia génica	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Généthon	
Vector viral adenoasociado del serotipo 8 que contiene el gen humano MTM1	Terapia génica	Miopatía miotubular ligada al X		Audentes Therapeutics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector viral adenoasociado del serotipo 8 que contiene el gen humano UGT1A1	Terapia génica	Crigler Najjar, Síndrome de		Fondazione Telethon	
Vector viral adenoasociado del serotipo 8 que contiene el gen humano UGT1A1	Terapia génica	Crigler Najjar, Síndrome de		Généthon	
Vector viral adenoasociado del serotipo 9 auto complementario que contiene el gen humano SGSH	Terapia génica	SanFilippo, Síndrome de		Ser-mes Planificación SL	
Vector viral adenoasociado del serotipo 9 que contiene el gen humano HGSNAT	Terapia génica	SanFilippo, Síndrome de		Cochamo Systems Ltd	
Vector viral adenoasociado del serotipo 9 que contiene el gen de la iduronato-2 sulfatasa humana	Terapia génica	Hunter, Síndrome de		Esteve	
Vector viral adenoasociado del serotipo 9 que contiene el gen humano de la mini-distrofina	Terapia génica	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Advanced Biotherapeutics Consulting SARL	
Vector viral adenoasociado del serotipo 9 que contiene el gen humano SMN	Terapia génica	Atrofia Muscular Espinal		AveXis EU	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector viral adenoasociado del serotipo HSC que expresa el gen de la fenilalaninhidroxilasa humana	Terapia génica	Fenilcetonuria		Homology Medicines, Inc.	
Vector viral adenoasociado del serotipo LK03 que codifica la ornitina transcarbamilasa humana	Terapia génica	Ornitín Transcarbamilasa, Déficit de		Dr Julien Baruteau	
Vector víral adenoasociado del serotipo rh10 que contiene el el gen del factor IX humano	Terapia génica	Hemofilia B		Dimension Therapeutics	
Vector viral adenoasociado que contiene el gen de la NADH deshidrogenasa 4	Terapia génica	Neuropatía Optica de Leber		Institut de la Vision	
Vector víral adenoasociado que contiene el gen de la porfobilinogeno deaminasa	Terapia génica	Porfiria Aguda Intermitente		Amsterdam Molecular Therapeutics	
Vector viral adenoasociado que contiene el gen de la sulfamidasa humana	Terapia génica	SanFilippo, Síndrome de		Esteve	
Vector viral adenoasociado que contiene el gen del Factor IX humano (Aav5-Hfixco) con codones optimizados	Terapia génica	Hemofilia B		Amsterdam Molecular Therapeutics	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector viral adenoasociado que contiene el gen del gamma sacoglicano humano	Terapia génica	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Généthon	
Vector viral adenoasociado que contiene el gen humano ARSB	Terapia génica	Maroteaux Lamy, Síndrome de		Fondazione Telethon	
Vector viral adenoasociado que contiene el gen humano del alfa-sarcoglicano	Terapia génica	Distrofia Muscular de Cinturas		Généthon	
Vector viral adenoasociado que contiene el receptor de la proteína de baja densidad	Terapia génica	Hipercolesterolemia Familiar Homozigota		ReGenX Biosciences	
Vector viral adenoasociado que expresa el gen de la retinosquisina-1 humana	Terapia génica	Retinoquisis Juvenil Ligada al Sexo		Applied Genetic Technologies Corp	
Vector víral adenoasociado que lleva el transgen de la folistatina	Terapia génica	Miositis por Cuerpos de Inclusión		Milo Biotechnology	
Vector viral adenoasociado recombinante de serotipo 2 que continene el gen humano de la L-Aminoácido aromático descarboxilasa	Terapia génica	L-aminoácido aromático descarboxilasa, Deficiencia de		Agilis Biotherapeutics, LLC	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector viral adenoasociado recombinante de serotipo 5 que contiene el gen para la proteína fractaxina	Terapia génica	Ataxia de Friedreich		Agilis Biotherapeutics, LLC	
Vector viral adenoasociado recombinante de serotipo 9 que contiene el gen de la iduronato-2-sulfatasa humana	Terapia génica	Hunter, Síndrome de		ReGenX Biosciences	
Vector viral adenoasociado recombinante del serotipo 5 que codifica la endonuclease Cas9 de Staphylococcus aureus y dos ARNs guía complementarios a dos regiones del intron 26 del	Terapia génica	Amaurosis Retiniana Congénita de Leber		Pharma Gateway AB	
Vector viral adenoasociado recombinante del serotipo 9 que expresa la N-sulfoglucosamina sulfhidrolasa humana	Terapia génica	SanFilippo, Síndrome de		Nationwide Children's Hospital	
Vector viral adenoasociado recombinante no replicante que contiene un fragmento del gen que codifica la proteína Rodopsina-canal-2	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		RetroSense Therapeutics	
Vector viral adenoasociado recombinante no replicante que expresa el gen de la ácido alfa glucosidasa humana	Terapia génica	Pompe, Enfermedad de		Duke University medical center	
Vector viral adenoasociado recombinante que contiene el gen CNGA3 humano	Terapia génica	Acromatopsia		TMC Pharma Services Ltd	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector viral adenoasociado recombinante que contiene el gen humano de la CNGB3	Terapia génica	Acromatopsia		TMC Pharma Services Ltd	
Vector viral adenoasociado recombinante que contiene el gen humano de la RPGR	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		TMC Pharma Services Ltd	
Vector viral adenoasociado recombinante que expresa la subunidad beta de la compuerta de nucleótidos cíclicos (Raav-Cngb3)	Terapia génica	Acromatopsia		Applied Genetic Technologies Corp	
Vector viral adenoasociado recombinante serotipo 6, que codifica el ADN complementario del factor VIII de coagulación humano en el que se ha eliminado el dominio B	Terapia génica	Hemofilia A		Sangamo Biosciences	
Vector viral adenoasociado recombinante serotipo 8 que contiene el gen CNGA3 humano bajo el control de un promotor de cone arrestin	Terapia génica	Acromatopsia		Universitätsklinikum Tübingen (UKT)	
Vector viral adenoasociado recombinante serotipo 8 que contiene el gen del alfa-galactosidasa A humano	Terapia génica	Fabry, Enfermedad de		Freeline Therapeutics Ltd	
Vector viral adenoasociado recombinante serotipo 9 que contiene el gene humano de la proteína ligasa de ubiquitina	Terapia génica	Angelman, Síndrome de		Agilis Biotherapeutics, LLC	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector viral adenoasociado recombinante y no replicante del serotipo 8 que contiene el gen humano UGT1A1	Terapia génica	Crigler Najjar, Síndrome de		Audentes Therapeutics	
Vector víral adenoasociado recombinante que codifica un gen de microdistrofina humana bajo el control de un promotor específico de músculo	Terapia génica	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker		Pharma Gateway AB	
Vector víral asociado al adenovirus del serotipo 4 que contiene el gen humano RPE65 serotipo 4 que contiene el gen humano RPE65	Terapia génica	Amaurosis Retiniana Congénita de Leber		Centre Hospitalier Universitaire de Nantes	
Vector viral autocomplementario adenoasociado, serotipo 9, que empaqueta el gen GAN en su longitud completa en la cápsida viral	Terapia génica	Neuropatía de Células Gigantes		Hannah's Hope Fund	
Vector viral de Herpes simplex tipo I defectivo en la replicación que expresa la proteína COL7 humana	Terapia génica	Epidermólisis Ampollosa		Krystal Biotech, LLC	
Vector víral que contiene ADN que codifica la proteína humana SMN	Terapia génica	Atrofia Muscular Espinal 5q		University of Sheffield	
Vector viral serotipo 8 que codifica casetes de expresión de rodopsina de ingeniería de unión al ADN represor adenoasociado y de rodopsina humana	Terapia génica	Retinosis Pigmentaria		Fondazione Telethon	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vector vírico adenoasociado del serotipo 5 que contiene el gen humano RPE65	Terapia génica	Amaurosis Retiniana Congénita de Leber		MeiraGTx	
Velaglucerasa alfa	Substitución enzimática	Gaucher, Enfermedad de	VPRIV	Shire Pharmaceutical Development Ltd.	Comercializado en España
Veltuzumab	Imunomodulador	Pénfigo		Immunomedics	
Veltuzumab	Imunomodulador	Pénfigo		Immunomedics	
Vemurafenib	Agente apoptótico	Erdheim Chester, Enfermedad de		Groupe d'étude des histiocytoses	
Vemurafenib	Agente apoptótico	Erdheim Chester, Enfermedad de	Zelboraf	Roche	Comercializado en España pero no autorizado para esta indicación huérfana
Verteporfin	Agente antineovasculizador	Coriorretinopatía central serosa	Visudyne	Novartis Farmacéutica	Comercializado en España pero no autorizado para esta indicación



<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Viloxazina	Estimulante nervioso	Narcolepsia		Stuart Pharmaceuticals	
Viloxazina	Estimulante nervioso	Narcolepsia	Vivalan	AstraZeneca (Francia y Portugal)	Comercializado en Francia y Portugal, pero no autorizado para esta indicación huérfana
Virus adenoasociado del tipo 8 que contiene el genoma del promotor de de la retinosquisina humana y de la retinosquisina humana cDNA (hrs)	Terapia génica	Retinosquiasis		Paul A. Sievig	
Virus Ankara de la vacuna recombinante modificada que expresa la proteína humana 5T4a recombinante modificado que expresa la proteína	Vacuna anticancerígena	Carcinoma de Células Renales	TroVax	Oxford Biomedica (UK)LTD	
Virus del Herpes Simplex que carece del gen que codifica la ICP34.5	Terapia génica	Glioma		Crusade Laboratories Limited	
Virus recombinante adenoasociado del serotipo Rhesus 74 que expresa el gen de la disferina humana (AAVrh74.MHCK7.DYSF.DV)	Terapia génica	Distrofia Muscular de Cinturas		Nationwide Children's Hospital	
Virus recombinante adenoasociado/vector de la alfa-1-antitripsina	Terapia génica	Alfa 1 Antitripsina, Déficit de		Applied Genetic Technologies Corp	

<b>Nombre del principio activo</b>	<b>Mecanismo de acción</b>	<b>Indicación</b>	<b>Nombre comercial</b>	<b>Nombre del laboratorio o sponsor</b>	<b>Estado de comercialización</b>
Vistonuridina	Desconocido	Enfermedad Mitocondrial		Wellstat Therapeutics	
VK0214	Agonista tiroideo	Adrenoleucodistrofia		Viking Therapeutics	
Voclosporina	Inmunosupresor	Uveitis Crónica no infecciosa		Granzer Regulatory Consulting & Services	
Volanesorsen	Liporeductor	Quilomicronemia familiar		Isis Pharmaceuticals	
Volanesorsen	Liporeductor	Lipodistrofia Familiar Parcial		Isis Pharmaceuticals	
WVE-120101	Terapia con ácidos nucleicos	Huntington, Enfermedad de		Wave Life Sciences	
XEN402	Reductor del dolor	Eritromelalgia		TEVA	

Nombre del principio activo	Mecanismo de acción	Indicación	Nombre comercial	Nombre del laboratorio o sponsor	Estado de comercialización
Yinfenidona	Desconocido	Fibrosis Pulmonar Idiopática		Sunshine Lake Pharma Co., Ltd	
Zanolimumab	Agente citotóxico	Linfoma de células T periféricas	HuMax-CD4	Serono Europe Ltd.	
Ziconotida (uso intraespinal)	Analgésico no opioide.Bloquea el canal de calcio.	Tratamiento del dolor grave crónico en pacientes que necesitan analgesia intratecal (IT)	Prialt	Eisai Limited	Comercializado en España
Zinc, Gluconato de	Antioxidante	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine		Université de Montpellier	Comercializado en España por otros laboratorios, pero no como medicamento
α-Cobratoxina modificada	Anticolinérgico	Esclerosis Múltiple Pediátrica		Nutra Pharma Corporation	