

Medicamentos huérfanos para enfermedades neurológicas

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
(6aS)-1,10-dimethoxy-6-methyl-5,6,6a,7-tetrahydro-4H-dibenzo[de,g]quinoline-	Distrofia Miotónica	Desconocido			Valentia Biopharma SL
(R)- troloxamida quinona	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Antioxidante			Edison Orphan Pharma
(S)-6-hidroxi-2,5,7,8-tetrametil-N-((R)-piperidin-3-il)croman-2-carboxamida hidrocloreuro	Leigh, Enfermedad de	Neuroprotector			Khondrion BV
	MELAS, Síndrome	Neuroprotector			Khondrion BV
1-(2-isopropoxietil)-2-tioxo-1,2,3,5-tetrahidropirrol[3,2-d]pirimidin-4-ona	Shy Drager, Síndrome de	Inhibidor enzimático			Astra Zeneca
17 α ,21-dihidroxi-16 α -metil-pregna-1,4,9(11)-trieno-3,20-diona	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Bloqueador de las citoquinas			ReveraGen Biopharma
18Fluor-N-3-Fluoropropil-2beta-carbometoxi-3beta-(4-yodofenil) Nortropano	Atrofia Multisistémica	Agente diagnóstico			Advanced Imaging Projects

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
1E,6E)-1,7-bis(3,4-dimetoxifenil)-4-ciclobutilmetil-1,6-heptadieno-3,5-diona	Kennedy, Enfermedad de	Desconocido			Coté Orphan Consulting UK Limited
2-(2-clorobenciliden)hidrazinac arboximidamida acetato	Charcot Marie Tooth, Enfermedad de	Restaurador de la proteostasis			InFlectis Bioscience
2-[N-(2-hidroxietyl)]-N-(4-metoxibenzenosulfonil]a mino-N-(4-clorocinamil)-N-metilbenzilamina	Charcot Marie Tooth, Enfermedad de	Antidesmielinizante			Repositioning SAS
2-isopropil-3H-nafto[1,2-d]imidazol-4,5-diona	MELAS, Síndrome	Activador de la energía mitocondrial			NeuroVive Pharmaceutical AB
3,4-diaminopiridina	Miasténico Congénito, Síndrome	Desconocido			Jacobus Pharmaceutical Co., Inc.
3,5-diyodotiropropiónico, ácido	Allan Herndon, Síndrome de	Análogo de la hormona T3			Zarion Pharmaceuticals
4-[(7-Metoxi-2,3-dihidro-1,4-benzotiazepin-4(5H)-il)metil]benzoico, hemifumarato del	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Establizador del canal de la rianodina			ARMGO Pharma, Inc
5,7-dicloro-2-metilaminometil-8-hidroxiquinolona, hidrocioruro de	Huntington, Enfermedad de	Neuroprotector			Prana Biotechnology

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
5-[1-(2,6-diclorobencil)piperidina-4-ilmetoxi]quinazolina-2,4-diamina, dihidrocloruro	Atrofia Muscular Espinal 5q	Neurojprotector			Repligen
5-bromo-N-(prop-2-in-1-il)-2-1H-1,2,4-triazol-1-il)pirimidina-4,6-diamina	Huntington, Enfermedad de	Inhibidor enzimático			Palobiofarma S.L.
6-Cloro-2,3,4,9-tetrahydro-1H-carbazol-1-carboxamida	Huntington, Enfermedad de	Prevención del daño celular			Siena Biotech
9-cis, 12-cis-11,11-d2-linoleico, etil éster del ácido	Ataxia de Friedreich	Desconocido			Retroitope, Inc.
AASSGVSTPGSAGHDIIT EQPRS Ltd r	Huntington, Enfermedad de	Neuroprotector			Centre National de la Recherche Scientifique
AAV1-FS344	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia génica			Milo Biotechnology
Ácido ascórbico	Charcot Marie Tooth, Enfermedad de	Mielinizante			Université de Montpellier
	Charcot Marie Tooth, Enfermedad de	Mielinizante			Murigenetics SAS

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Ácido ascórbico	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine	Mielinizante			Université de Montpellier
	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine	Mielinizante			Murigenetics SAS
Adnectina IgG1 bivalente antimiosatina humana	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Bloqueador de la miostatina			Bristol Myers Squibb
Alfa fetoproteína recombinante humana	Miastenia Gravis	Inmunomodulador			Merrimack Pharmaceuticals
Alfa-tocotrienol quinona	Ataxia de Friedreich	Incremento de los niveles de glutatión intracelular			Edison Orphan Pharma
	Leigh, Enfermedad de	Incremento de los niveles de glutatión intracelular			Edison Orphan Pharma
Amifampridina	Lambert Eaton, Síndrome de	Bloqueo de los canales del potasio	Comercializado en España	Firdapse	BioMarin Pharmaceutical
	Lambert Eaton, Síndrome de	Bloqueo de los canales del potasio			Catalyst Pharmaceuticals

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Amifampridina	Lambert Eaton, Síndrome de	Bloqueo de los canales del potasio			EUSA Pharma SAS
	Miastenia Gravis	Bloqueo de los canales del potasio	Comercializado en España	Firdapse	BioMarin Pharmaceutical
	Miastenia Gravis	Bloqueo de los canales del potasio			Catalyst Pharmaceuticals
	Miastenia Gravis	Bloqueo de los canales del potasio			EUSA Pharma SAS
Angiotensina (1,7)	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Desconocido			Tarix Orphan
	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Desconocido			US biotest Inc
	Distrofia Muscular de Cinturas	Desconocido			Tarix Orphan
	Distrofia Muscular de Cinturas	Desconocido			US biotest Inc

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Anticuerpo anti GDF 8 recombinante humano	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Bloqueo de la miostatina			Wyeth (EEUU)
Anticuerpo humanizado recombinante dirigido contra la superóxido dismutasa 1 humana mal	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Inmunomodulador			The Medical & Regulatory Partnership Limited
Anticuerpo IgG4 humanizado recombinante anti –tau humano	Parálisis Supranuclear Progresiva	Inmunomodulador			AbbVie, Inc.
Anticuerpo monoclonal humanizado antimioestatina	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Inmunomodulador			Pfizer
	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Inmunomodulador			Pfizer
Anticuerpo monoclonal humanizado igG4 que se une al antígeno SEMA4D	Huntington, Enfermedad de	Inmunomodulador			Vaccinex, Inc
Anticuerpo monoclonal humanizado IgG4 que se une al complemento humano C1q	Guillain Barre, Síndrome de	Inmunomodulador			Annexon Biosciences
Anticuerpo monoclonal recombinante humano contra el receptor de activina tipo IIB	Miositis por Cuerpos de Inclusión	Inmunomodulador			Novartis Farmacéutica

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Anticuerpos murinos monoclonales anti-Tcr	Esclerosis Múltiple	Inmunomodulador			Tolera Therapeutics
Antígeno parcial de la miostatina dispuesto en la superficie de Lactobacillus Casei	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Inmunomodulador			BioLeaders Corporation
Arimoclomol	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Neuroprotector			CytRx Corporation
	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Neuroprotector			Orphazyme
	Miositis por Cuerpos de Inclusión	Neuroprotector			Orphazyme
	Miositis por Cuerpos de Inclusión	Neuroprotector			CytRx Corporation
Atalureno	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Desconocido	Pendiente de comercialización en España para la Distrofia Muscular de Duchenne	Translarna	PTC Therapeutics
Avi-5038	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Inductor de la expresión de distrofina			Sarepta Therapeutics

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Baclofeno	Esclerosis Múltiple	Estimulador de los receptores GABA-B	Comercializado en España	Lioresal	Novartis Farmacéutica
Biglicano humano recombinante	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Desconocido			Tivorsan Pharmaceuticals
BioE-589	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Desconocido			BioElectron Technology Corporation
Brivaracetam	Epilepsias Mioclónicas Progresivas	Antiepiléptico			UCB Pharma
Cannabidiol	Lennox Gastaut, Síndrome de	Desconocido			GW Pharmaceuticals
	West, Síndrome de	Desconocido			GW Pharmaceuticals
	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia	Desconocido			GW Pharmaceuticals
Carbenoxolona	Huntington, Enfermedad de	Neuroprotector			Oxalys Pharmaceuticals

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Carbono, Dióxido de	Neuralgia del Trigémino	Desconocido			Capnia, Inc
Carisbamato	Lennox Gastaut, Síndrome de	Antiepiléptico			SK Life Sciences, Inc
Células alogénicas derivadas de la cardioesfera	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia celular			Capricor Therapeutics
Células alogénicas progenitoras adultas humanas, aisladas de músculo estriado y	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia celular			Karl Rouger
Células alogénicas progenitoras de neuronas motoras procedentes de células madre	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia celular			California Stem Cell (UK)
Células derivadas del tejido umbilical humano	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia celular			Advanced Technologies & Regenerative Medicine
Células madre autólogas derivadas de tejido adiposo	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia celular			Mayo Clinic
Células madre autólogas mesenquimales derivadas de la médula ósea expandidas ex-vivo	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia celular			TCA Cellular Therapy

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Células mesenquimales de estroma derivadas de médula ósea autóloga secretoras de factores	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia celular			Brainstorm Cell Therapeutics UK
Células progenitoras alogénicas de las motoneuronas derivadas de células madre	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia celular			California Stem Cell (UK)
Células progenitoras de neuronas motoras alogénicas procedentes de células madre	Atrofia Muscular Espinal 5q	Terapia celular			California Stem Cell (UK)
Células progenitoras neurales olfatorias	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia celular			RhinoCyte
Células progenitoras restringidas a las gliales y su progenie	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia celular			Q Therapeutics Inc
Cladribina (vía intravenosa)	Esclerosis Múltiple	Inmunomodulador	Comercializado en España para otras indicaciones	Leustatin	Janssen-cilag
Clemizol	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia	Anticonvulsivante			Epygenix Therapeutics
Clobazam	Lennox Gastaut, Síndrome de	Anticonvulsivante			Ovation Pharmaceuticals

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Clorhidrato de ácido (1S,3S)-3-amino-4-(difluorometileno) ciclopentanocarboxílico	West, Síndrome de	Antiepiléptico			Catalent Pharma Solutions Limited
Clorito de sodio	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Anitinflamatorio			Shore Limited
CNV1014802	Neuralgia del Trigémino	Bloqueador de los canales del sodio			Convergence Pharmaceuticals
Combinacion fija de (R-S) baclofeno, cloridrato de naltrexona y D-sorbitol	Charcot Marie Tooth, Enfermedad de	Desconocido			Pharnext SAS
Corticotropina (liberación prolongada)	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia de sustitución	Comercializado en Estados Unidos y Reino Unido para otra indicación	Acthar	Questcor Pharmaceuticals
d6-tetrabenazina, deutetrabenazina	Huntington, Enfermedad de	Regulador de la dopamina			Auspez Pharmaceuticals
Dantroleno	Neuroléptico Maligno, Síndrome	Relajante muscular			Washington University in St. Louis
	Neuroléptico Maligno, Síndrome	Relajante muscular	Comercializado en Japón	Dantrium	Yamamouchi Pharmaceutical

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Dantroleno	Wolfram, Síndrome de	Relajante muscular	Comercializado en Japón	Dantrium	Yamamouchi Pharmaceutical
	Wolfram, Síndrome de	Relajante muscular			Washington University in St. Louis
Deferiprona	Ataxia de Friedreich	Quelante			ApoPharma
Deflazacort	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Antiinflamatorio	Comercializado en España por otros laboratorios, pero no autorizado para esta indicación		Marathon Pharmaceuticals
Derivado de la fenilalanina ópticamente puro	Narcolepsia	Desconocido			Aerial BioPharma
Dexametasona, fosfato sódico, encapsulada en eritrocitos autólogos humanos	Ataxia Telangiectasia	Antiinflamatorio			Erydel spa
Dextrometorfano/Quinidi na	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Regulador del glutamato	Comercializado en Estados Unidos para otra indicació	Nuedexta	Avanir Pharmaceuticals
Dimebon	Huntington, Enfermedad de	Inhibidor de la muerte celular			Medivation Inc

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Dimetilfumarato	Ataxia de Friedreich	Inmunomodulador	Comercializado en España por otros laboratorios para otra indicación		Prof. Gino Cortopassi
	Ataxia de Friedreich	Inmunomodulador	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación		Immunogenetics AG
Eculizumab	Devic, Enfermedad de	Inmunomodulador	Comercializado en España,pero autorizado sólo para la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna y la Miastenia Gravis	Soliris	Alexion Pharmaceuticals
	Miastenia Gravis	Inmunomodulador	Comercializado en España,pero autorizado sólo para la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna y la Miastenia Gravis	Soliris	Alexion Pharmaceuticals
Edaravona	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Neuroprotector			Treeway B.V.
	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Neuroprotector	Comercializado en Japón, pero no autorizado para esta indicación huérfana	Radicut	MitsubishiTanabe PharmaCo
Efgartigimod	Miastenia Gravis	Inmunomodulador			argenx BVBA
Eicosapentanoato de etilo	Huntington, Enfermedad de	Inhibidor de la fosfolipasa A2			SLA Pharma (UK) Ltd.

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Eicosapentanoato de etilo	Huntington, Enfermedad de	Inhibidor de la fosfolipasa A2			Laxdale Ltd.
	Huntington, Enfermedad de	Inhibidor de la fosfolipasa A2	Comercializado en Japón, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas	Epadel	Mochida Pharmaceutical
Emtricitabina	Aicardi-Goutières, Síndrome de	Bloqueador enzimático	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación		Dr Yanick Crow
Enoxacino	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Protector neuronal			Impasara Ltd
Estiripentol	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia	Antiepiléptico	Comercializado en España	Diacomit	Laboratoires Biocodex
Estructura de cadena simple compuesta por 26 oligonucleotidos 2'-O-metil-RNA fosforotioato	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia	Terapia antisentido			Opko Pharmaceuticals
Eteplirsen	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Inductor de la expresión de distrofina	Comercializado en Estados Unidos	Exondys 51	Sarepta Therapeutics
Exenatida	Hipertensión Intracraneal Idiopática	Hipotensor	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación		Alan Boyd Consultants Ltd

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Factor de crecimiento endotelial vascular recombinante humano	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia de sustitución protéica			Neuronova AB
Factor neurotrófico de la dopamina-cerebral humano recombinante	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Neuroprotector			Herantis Pharma Plc
Fampridina	Esclerosis Múltiple	Bloqueo de los canales del potasio			Dr Ulrich Granzer
	Esclerosis Múltiple	Bloqueo de los canales del potasio	Comercializado en España para la Esclerosis múltiple	Ampyra	Acorda Therapeutics
Felbamato	Lennox Gastaut, Síndrome de	Antiepiléptico	Comercializado en EEUU	Felbatol	Medpointe
Fenfluramina	Lennox Gastaut, Síndrome de	Serotoninérgico			Brabant Pharma Limited
	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia	Serotoninérgico			Brabant Pharma Limited
Fenilbutirato y ácido tauroursodesoxicólico dihidrato, combinación de	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Desconocido			Amylyx Pharmaceuticals Inc

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Fenilbutirato sódico	Atrofia Muscular Espinal	Reductor de la hiperamonemia	Comercializado en España, pero sólo autorizado para desórdenes del Ciclo de la Urea	Ammonaps	Orphan Europe SL (España)
	Atrofia Muscular Espinal	Reductor de la hiperamonemia			Lucane Pharma
	Atrofia Muscular Espinal	Reductor de la hiperamonemia			Fondazione Telethon
Fenol, 4-[2-(aminometil)-4-tiazolil]-2,6-bis (1,1-dimetiletil) monohidrocloruro	Huntington, Enfermedad de	Neuroprotector			Ipsen Pharma
Filgastrim	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Regenerador celular			Sygnis Bioscience GmbH & Co. KG
Fingolimod	Esclerosis Múltiple	Inmunosupresor	Comercializado en España para la Esclerosis Múltiple	Gilenya	Novartis Europharm Limited
Fracción Fc de la inmunoglobulina-1 humana multimerizada recombinante	Polineuropatía Desmielinizante Inflamatoria Crónica	Inmunomodulador			Pfizer
Fracción mononuclear enriquecida de sangre del cordón umbilical humano	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia celular			Saneron ccel

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Ganaxolona	Epilepsia restringida a niñas, con o sin retraso mental	Antiepiléptico			Marinus Pharmaceuticals
	Epilepsia restringida a niñas, con o sin retraso mental	Antiepiléptico			Marinus Pharmaceuticals
Givinostat	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Antiinflamatorio/Regenerador muscular			Italfarmaco
	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Antiinflamatorio/Regenerador muscular			Italfarmaco
Glatiramero, acetato	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Inmunomodulador	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Esclerosis Múltiple	Copaxone	Sanofi Synthelabo
	Esclerosis Múltiple	Inmunomodulador	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Esclerosis Múltiple	Copaxone	Sanofi Synthelabo
Gliceraldehido-3-fosfato deshidrogenasa	Esclerosis Múltiple	Desconocido			BPT Pharmaceuticals
Glicopirronio (tópico)	Frey, Síndrome de	Anticolinérgico			Wellesley Therapeutics

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Halofuginona, bromhidrato	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Antagonista de la síntesis de colágeno		Tempostatín	PPD Global Ltd.
	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Antagonista de la síntesis de colágeno			Halo Therapeutics
Heat Shock Protein 70	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Desconocido			ALS Biopharma
H-Fe-Ser-Arg-Tyr-Ala-Arg-OH, Acetato de	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Neuroprotector			QRC Consultants Ltd
Hidrocínamate-[Orn-Pro-dCha-Trp-Arg]acetato	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Bloqueador del C5aR			Alsonex Pty
Histidil-tRNA-sintetasa humana recombinante	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine	Inmunomodulador			aTyr Pharma
Huperzina A	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia	Anticonvulsivante			Biscayne Neurotherapeutics
Ibudilast	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Inhibidor de la fosfodiesterasa	Comercializado en Japón, pero no autorizado para esta indicación huérfana	Ketas	Kyorin

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Ibudilast	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Inhibidor de la fosfodiesterasa			MediciNova
Idebenona	Ataxia de Friedreich	Captación de radicales libres	Pendiente de comercialización en España para la Neuropatía de Leber	Raxone	Santhera
	MELAS, Síndrome	Captación de radicales libres	Pendiente de comercialización en España para la Neuropatía de Leber	Raxone	Santhera
	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Captación de radicales libres	Pendiente de comercialización en España para la Neuropatía de Leber	Raxone	Santhera
Inebilizumab	Devic, Enfermedad de	Inmunomodulador			Astra Zeneca
Inhibidor de la colesterol 24S-hidroxilasa	Lennox Gastaut, Síndrome de	Inhibidor enzimático			Takeda Europe
	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia	Inhibidor enzimático			Takeda Europe
Inmunoglobulina humana normal tratada con polietilenglicol y liofilizada	Polineuropatía Desmilenizante Inflamatoria Crónica	Inmunomodulador	Comercializado en Japón para la Polineuropatía Desmilenizante Inflamatoria Crónica	Kenketu Glovenin-I-Nichiyaku	Nihon Pharmaceutical

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Inmunoglobulina humana sulfonatada y liofilizada	Guillain Barre, Síndrome de	Inmunomodulador	Comercializado en Japón, pero no autorizado para esta indicación huérfana	Kenketu Venilon-I	Teijin Limited
Interferon beta-1A	Esclerosis Múltiple	Inmunomodulador	Comercializado en España	Avonex	Schering Plough
	Esclerosis Múltiple	Inmunomodulador	Comercializado en España	Rebif	Serono
Interferon beta-1b	Esclerosis Múltiple	Inmunomodulador	Comercializado en España	Betaseron	Schering
Interferon gamma	Ataxia de Friedreich	Inmunomodulador			Prof. Roberto Testi
Interferon gamma-1B	Ataxia de Friedreich	Inmunomodulador			Foundation for Fatal Rare Diseases
	Ataxia de Friedreich	Inmunomodulador			Horizon Pharma
Ingelheim	Ataxia de Friedreich	Inmunomodulador	Comercializado en España, pero sólo autorizado para la Enfermedad Granulomatosa Crónica como indicación huérfana	Imukin	Boehringer

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
ISIS 333611	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Inhibidor de la superóxido dismutasa			Isis Pharmaceuticals
KNS-760704	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Protector celular			Knopp neurosciences
L-3,4-Dihidroxi-6-[18F]fluorofenilalanina	L-aminoácido aromático decarboxilasa, Deficiencia de	Agente diagnóstico			Advanced Imaging Projects
Laminina-111	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Protector muscular			Prothelia Inc
Lamotrigina	Lennox Gastaut, Síndrome de	Inhibidor de la liberación del ácido glutámico	Comercializado en España	Lamictal	Wellcome
Laquinimod	Huntington, Enfermedad de	Inmunomodulador			TEVA
Levosimendan	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Potenciado de la función cardiaca y muscular			Orion Corporation
Litio tetrahidrato, citrato (en una formulación de micelas inversas)	Huntington, Enfermedad de	Neuroprotector			Medesis Pharma

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
I-selenometionina	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine	Antioxidante			Université de Montpellier
LSP-GR1	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Desconocido			LifeSplice Pharma LLC
Masitinib	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Inhibidor de la protein-kinasa	Comercializado en España para otra indicación como medicamento veterinario		AB Science
Mazindol	Narcolepsia	Desconocido			HAC Pharma
	Narcolepsia	Desconocido			NeuroLifeSciences
Mecasermina	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Anabolizante	Comercializado en Japón para el Leprechaunismo y Enanismo de Laron	Somazon	Fujisawa
	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Anabolizante	Comercializado en España para el tratamiento de la deficiencia primaria del facto de crecitmienot insulínico tipo I	Increlex	Ipsen Pharma
	Distrofia Miotónica	Anabolizante	Comercializado en España para el tratamiento de la deficiencia primaria del facto de crecitmienot insulínico tipo I	Increlex	Ipsen Pharma

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Mecasermina	Distrofia Miotónica	Anabolizante	Comercializado en Japón para el Leprechaunismo y Enanismo de Laron	Somazon	Fujisawa
Mercaptamina de liberación retardada	Huntington, Enfermedad de	Reductor de los niveles de cistina intracelular			Bennu Pharmaceuticals
Metotrexato sódico	Miastenia Gravis	Desconocido	Comercializado en España	Metotrexato	Lederle Laboratories
	Miastenia Gravis	Desconocido	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones		Associazione Italiana Malati di Alcaptonuria
Micofenolato de mofetilo	Miastenia Gravis	Inmunosupresor	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación		Laboratoire HRA Pharma
Mitoxantrona	Esclerosis Múltiple	Inhibidor del crecimiento celular	Comercializado en España	Novantrone	Wyeth Farma
MK-8719	Parálisis Supranuclear Progresiva	Inhibidor enzimático			Merck (EEUU)
Modafinilo	Narcolepsia	Estimulante nervioso	Comercializado en España	Modiodal	Noventure

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Modafinilo/Flecainida	Narcolepsia	Estimulante nervioso			Theranexus S.A
Molécula pequeña inhibidora de la fosfodiesterasa 10	Huntington, Enfermedad de	Desconocido			Omeros Corporation
Monarsen	Miastenia Gravis	Colinérgico			Ester Neurosciences
N-(2-((4Z,7Z,10Z,13Z,16Z,19Z)-docosa-4,7,10,13,16,19-	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Bloqueador del NF-kB			Catabasis Pharmaceuticals
N-(3-(4-(3-(diisobutilamino)propil)pirerazin-1-il)propil)-1Hbenzo[d]imidazol-2-	Parálisis Supranuclear Progresiva	Estimulador de la macroautofagia			AlzProtect sas
N-(6-(2-aminofenilamino)-6-oxohexil)-4-metilbenzamida	Ataxia de Friedreich	Inhibidor de la histona deacetilasa			Repligen
N-acetil-D-manosamina monohidratada	Miopatía con cuerpos de inclusión tipo 2 (Miopatía distal de Nonaka)	Incrementa los niveles de ácido siálico			Escala Therapeutics
Nandrolona, decanoato	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Aumenta la función muscular			Sarcomed AB

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Natalizumab	Esclerosis Múltiple	Inmunomodulador	Comercializado en Francia y Alemania	Tysabri	Amgen Europe BV
Ndx-Peptidos	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Desconocido			NeoDiagnostic Research
Neostignina, metilsulfato	Miastenia Gravis	inhibidor de la colinesterasa			Luitpold Pharmaceuticals, Inc.
Nusinersen	Atrofia Muscular Espinal 5q	Terapia génica	Pendiente de comercialización en España	Spinraza	Biogen
Oligómero sintético de 16 nucleótidos	Distrofia Miotónica	Fármaco antisentido			Isis Pharmaceuticals
Oligonucleótido ácido ribonucleico sintético dirigido contra la superóxido 1 ácido	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Reductor de la producción de SOD-1			Biogen
Oligonucleótido antisentido dirigido al isoformo U de SNP rs362307	Huntington, Enfermedad de	Terapia génica			Wave Life Sciences
Oligonucleótido antisentido inhibidor de la expresión del gen del superóxidodismutasa 1	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia génica			Biogen

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Oligonucleótido antisentido morfolino específico del Exón 53	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Omisión de exón			NS Pharma
Oligonucleótido de ARN 2'-O-metilfosforotioato, 5'-m5CUGm5CUGm5CUG	Huntington, Enfermedad de	Bloqueador de la huntingtina			Prosensa Therapeutics
Oligonucleótido fosforotioato específico de exón 52	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia génica			Prosensa Therapeutics
Oligonucleótido fosforotioato específico de exón 55	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia génica			Prosensa Therapeutics
Oligonucleótido fosforotioato específico del exón 45	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia génica			Prosensa Therapeutics
Oligonucleótido fosforotioato específico del exón 53	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia génica			Prosensa Therapeutics
Oligonucleótido fosforotioato específico frente al exón 44	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia génica			Prosensa Therapeutics
Oligonucleótido quimérico 2'-O-(2-metoxietil) modificado dirigido al ARN de la	Huntington, Enfermedad de	Terapia génica			Isis Pharmaceuticals

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Oligopéptido que contiene 6 aminoácidos (H-Phe-Ser-Arg-Tyr-Ala-Arg-OH)	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Desconocido			Genervon Biopharmaceuticals
omaveloxolone i	Ataxia de Friedreich	Antioxidante			Reata Pharmaceuticals
Omigapilo	Distrofia muscular congénita con deficiencia de colágeno VI	Antiapoptótico			Santhera
	Distrofia muscular congénita con deficiencia de merosina (laminina alfa 2)	Antiapoptótico			Santhera
Oxibato sódico	Narcolepsia	Desconocido			Idis Ltd
	Narcolepsia	Desconocido	Comercializado en España	Xyrem	UCB Pharma
Ozanezumab	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Inmunomodulador			Glaxo Smithkline
Pentetrazol	Narcolepsia	Estimulante nervioso	Comercializado en otros países para otra indicación por otros laboratorios		Balance Therapeutics, Inc

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Peptidomiméticos de receptores de antígenos de células B autoinmunitarias y Perampanel	Miastenia Gravis	Inmunomodulador			CuraVac Europe
Perampanel	Lennox Gastaut, Síndrome de	Antiepiléptico	Comercializado en España	Fycompa	Eisai Limited
Pitolisant	Narcolepsia	Antagonista del receptor H3	Pendiente de comercialización en España	Wakix	Bioprojet
Plasmido de ADN que codifica el receptor de la acetilcolina	Miastenia Gravis	Terapia génica			Bayhill Therapeutics
Polifenil(3-O-sulfo-beta-D-glucopirano) (1→3)-beta-D-Poloxamer-188 Nf	Neuropatía Periférica anti-GAM	Inmunomodulador			SFL Regulatory Affairs Consulting Ltd
	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Neuroprotector			Phrixus Pharmaceuticals
	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Neuroprotector			Theradex (Europe) Ltd
Pridopidina	Huntington, Enfermedad de	Estabilizador dopaminérgico			NeuroSearch

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Proteína de 505 aminoácidos, que corresponden a los aminoácidos 2-506 de la	Distrofia Muscular de Cinturas	Desconocido			aTyr Pharma
Proteína de fusión que liga la frataxina a un péptido que penetra en las células	Ataxia de Friedreich	Terapia de sustitución			Chondrial Therapeutics, Inc.
Proteína de fusión recombinada compuesta por la región extracelular del receptor humano de	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Regulador del crecimiento celular			INC Research UK Ltd
Proteína recombinante derivada de la saliva de la garrapata Ornithodoros moubata	Guillain Barre, Síndrome de	Inmunosupresor			Akari Therapeutics Plc
Proteínas de fusión compuestas por un fragmento subunidad A1 de la toxina colérica	Miastenia Gravis	Inmunomodulador			Toleranzia AB
R, S-O-(3-piperidino-2-hidroxi-1-propil) - dihidrocloruro de ácido nicotínico amidoxima	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Protector muscular			N-Gene Research Laboratories
Raav-Dxiap	Huntington, Enfermedad de	Terapia génica			Neurologix
	Huntington, Enfermedad de	Terapia génica			Neurologix

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
RASRx1902	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Incrementa la fuerza muscular			RASRx, LLC
RE-024	Hallervorden Spatz, Enfermedad de	Terapia de sustitución			Retrophin
Receptor recombinante de la células T	Esclerosis Múltiple	Inmunomodulador			Virogenomics Inc
Riluzol	Huntington, Enfermedad de	Neuroprotector	Comercializado en España, pero no autorizado para esta indicación huérfana	Rilutek	Aventis Pharma SA
Riluzol (Suspensión oral)	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Neuroprotector	Comercializado en España	Teglutik	Italfarmaco
Rimeporida	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Protector muscular			Eudrac Limited
Rufinamida	Lennox Gastaut, Síndrome de	Antiepiléptico	Comercializado en España	Inovelon	Eisai Limited
S[+] apomorfin	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Neuroprotector			University of Sheffield

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
SA237	Devic, Enfermedad de	Inmunomodulador			Chugai (Japón)
S-acetil-(S)-4'-fosfopanteteína, sal de calcio	Hallervorden Spatz, Enfermedad de	Favorece la formación de Coenzima A			Acies Bio d.o.o.
Sapropterina	Machado Joseph, Enfermedad de	Cofactor enzimático	Comercializado en España	Kuvan	Merck KGaA
	Machado Joseph, Enfermedad de	Cofactor enzimático	Comercializado en Japón para la forma atípica de la fenilcetonuria	Biopten	Daiichi Pharmaceutical
Siálico, ácido	Miopatía Hereditaria por Cuerpos de Inclusión	Terapia de sustitución			Ultragenyx Pharmaceutical
Smilagenina	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Estimulador neurotrófico			Phytopharm plc
SMT C1 100	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Regulador de la utropina			Summit
SRT501	MELAS, Síndrome	Desconocido			Sirtris

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Succínico de 2-[4-(1-metil-4-piridin-4-il-1H-pirazol-3-il)-fenoximetil]-quinolina, Ácido	Huntington, Enfermedad de	Bloqueador enzimático			Pfizer
Suero caprino hiperinmune	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Inmunomodulador			Daval International
Sultiamo	Epilepsia Benigna de la Infancia con Puntas Rolándicas (centrotemporales)	Desconocido	Comercializado en Alemania	Ospolot	Desitin Arzneimittel
	Epilepsia Benigna de la Infancia con Puntas Rolándicas (centrotemporales)	Desconocido			Marathon Pharmaceuticals
Tacrolimo	Miastenia Gravis	Inmunosupresor	Comercializado en España, pero no autorizado para estas indicaciones huérfanas	Prograf	Fujisawa
	Miastenia Gravis	Inmunosupresor			Selten Pharma
	Miastenia Gravis	Inmunosupresor			VIVUS B.V.
Tadalafilo	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Antihipertensivo	Comercializado en España, pero autorizado sólo para la Hipertensión Pulmonar Arterial	Adcirca	Eli Lilly (EEUU)

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
TAK-831	Ataxia de Friedreich	Inhibidor de la D-aminoácido oxidasa			Takeda Europe
TAK-925	Narcolepsia	Agonista del receptor de la orexina 2			Takeda Europe
Tamoxifeno, citrato	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Activador del canal del cloro	Comercializado en España por otros laboratorios para otra indicación		GB Pharma Srl
	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Activador del canal del cloro	Comercializado en España por otros laboratorios para otra indicación		Duchenne UK
Tauroursodesoxicólico, Ácido	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Neuroprotector	Comercializado en Italia pero no autorizado para esta indicación huérfana	Tudcabil	Bruschettini s.r.l.
	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Neuroprotector	Comercializado en Italia pero no autorizado para esta indicación huérfana	Tudcabil	Bruschettini s.r.l.
Tenofovir	Aicardi-Goutières, Síndrome de	Bloqueador enzimático	Comercializado en España por otro laboratorio para otra indicación		Dr Yanick Crow
Tetrabenazina	Huntington, Enfermedad de	Antagonista dopaminérgico	Comercializado en España, pero autorizado solo para la Enfermedad de Huntington	Nitoman	UCB Pharma

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Tetrabenazina	Disquinesia Tardía	Antagonista dopaminérgico	Comercializado en España, pero autorizado solo para la Enfermedad de Huntington	Nitoman	UCB Pharma
Tetratiomolibdato de colina	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Quelante			Wilson Therapeutics
Tideglusib	Distrofia Miotónica	Bloqueador enzimático			QRC Consultants Ltd
Timidina fosforilasa recombinante encapsulada en eritrocitos autólogos	Encefalopatía Mitocondrial Gastrointestinal	Terapia celular			St George's University of London
Tirasemtiv	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Potenciador de la fuerza muscular			Cytokinetics Inc
	Atrofia Muscular Espinal	Potenciador de la fuerza muscular			Cytokinetics Inc
Tiratricol	Allan Herndon, Síndrome de	Análogo hormonal	Comercializado en Francia por otro laboratorio para otra indicación		Medical Need Europe AB
Tir-Gli-Arg-Lis-Lis-Arg-Arg-Gln-Arg-Arg-Gli-Gli-Asp-Leu-Leu-Pro-Arg-GliSer	Huntington, Enfermedad de	Reductor de la fisión de mitocondrias			Dr Ulrich Granzer

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Tocoferol alfa	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine	Antioxidante	Comercializado por otros laboratoiros para otras indicaciones		Université de Montpellier
Topiramato	Lennox Gastaut, Síndrome de	Antiepiléptico	Comercializado en España	Topamax	Janssen-cilag
Topiramato (inyectable)	Epilepsia	Desconocido			Ligand Pharmaceuticals UK Ltd.
Trans-resveratrol	Ataxia de Friedreich	Antioxidante	Comercializado en España por otras empresas como como complemento alimenticio		Jupiter Orphan Therapeutics
Trazodona	Epilepsia Mioclónica Severa de la Infancia	Inhibidor de la recaptación de serotonina			Epygenix Therapeutics
Trehalosa	Machado Joseph, Enfermedad de	Estabilizador de proteínas			BioBlast Pharma
	Machado Joseph, Enfermedad de	Estabilizador de proteínas			Dr Ulrich Granzer
	Distrofia Muscular Oculofaríngea	Estabilizador de proteínas			BioBlast Pharma

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Trehalosa	Distrofia Muscular Oculofaríngea	Estabilizador de proteínas			Dr Ulrich Granzler
Triheptanoína	Encefalopatía por deficiencia de GLUT1	Vigorizante			Ultragenyx Pharmaceutical
	Encefalopatía por deficiencia de GLUT1	Vigorizante			Vall d'Hebron Institute of Research
	Proteína Trifuncional Mitocondrial, Deficiencia de	Vigorizante			Vall d'Hebron Institute of Research
	Proteína Trifuncional Mitocondrial, Deficiencia de	Vigorizante			Ultragenyx Pharmaceutical
Ublituximab	Devic, Enfermedad de	Inmunomodulador			TG Therapeutics
Valpróico, ácido	Wolfram, Síndrome de	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones		Alan Boyd Consultants Ltd
	Wolfram, Síndrome de	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones		Neuropharm Limited

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Valpróico, ácido	Wolfram, Síndrome de	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones		G2M Cancer Drugs AG
	Wolfram, Síndrome de	Agente apoptótico/agonista gabaérgico	Comercializado en España por otros laboratorios para otras indicaciones		Vall d'Hebron Institute of Research
	Wolfram, Síndrome de	Agente apoptótico/agonista gabaérgico			Universidad de Birmingham
Vasomera	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Vasodilatador			PhaseBio Pharmaceuticals
	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Vasodilatador			PhaseBio Pharmaceuticals
Vector basado en la estructura de un virus adeno-asociado serotipo 2, pseudo-serotipado con	Encefalopatía Mitocondrial Gastrointestinal	Terapia génica			Vall d'Hebron Institute of Research
Vector del plásmido de ADN (pCK-HGFX7) que expresa el factor de crecimiento de los	Esclerosis Lateral Amiotrófica	Terapia génica			ViroMed Co Ltd
Vector viral adenoasociado del serotipo 5 que codifica un microARN dirigido al	Huntington, Enfermedad de	Terapia génica			uniQure biopharma B.V.

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Vector viral adenoasociado del serotipo 8 que contiene el gen humano MD1	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia génica			Généthon
Vector viral adenoasociado del serotipo 8 que contiene el gen humano MTM1	Miopatía miotubular ligada al X	Terapia génica			Audentes Therapeutics
Vector viral adenoasociado del serotipo 9 que contiene el gen humano de la	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia génica			Advanced Biotherapeutics Consulting SARL
Vector viral adenoasociado del serotipo 9 que contiene el gen humano SMN	Atrofia Muscular Espinal	Terapia génica			AveXis EU
Vector viral adenoasociado que contiene el gen del gamma sacoglicano	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia génica			Généthon
Vector viral adenoasociado que contiene el gen humano del alfa-sarcoglicano	Distrofia Muscular de Cinturas	Terapia génica			Généthon
Vector víral adenoasociado que lleva el transgen de la folistatina	Miositis por Cuerpos de Inclusión	Terapia génica			Milo Biotechnology
Vector viral adenoasociado recombinante de serotipo 2 que continene el gen	L-aminoácido aromático decarboxilasa, Deficiencia de	Terapia génica			Agilis Biotherapeutics, LLC

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Vector viral adenoasociado recombinante de serotipo 5 que contiene el gen	Ataxia de Friedreich	Terapia génica			Agilis Biotherapeutics, LLC
Vector víral adenoasociado recombinante que codifica un gen de	Distrofia Muscular de Duchenne y de Becker	Terapia génica			Pharma Gateway AB
Vector viral autocomplementario adenoasociado, serotipo 9, que empaqueta el gen	Neuropatía de Células Gigantes	Terapia génica			Hannah's Hope Fund
Vector víral que contiene ADN que codifica la proteína humana SMN	Atrofia Muscular Espinal 5q	Terapia génica			University of Sheffield
Viloxazina	Narcolepsia	Estimulante nervioso	Comercializado en Francia y Portugal, pero no autorizado para esta indicación huérfana	Vivalan	AstraZeneca (Francia y Portugal)
	Narcolepsia	Estimulante nervioso			Stuart Pharmaceuticals
Virus recombinante adenoasociado del serotipo Rhesus 74 que expresa el gen de la	Distrofia Muscular de Cinturas	Terapia génica			Nationwide Children's Hospital
WVE-120101	Huntington, Enfermedad de	Terapia con ácidos nucleicos			Wave Life Sciences

Medicamento	Indicación	Mecanismo de acción	Estado de comercialización	Nombre	Laboratorio
Zinc, Gluconato de	Distrofia Muscular de Landouzy Dejerine	Antioxidante	Comercializado en España por otros laboratorios, pero no como medicamento		Université de Montpellier
α -Cobratoxina modificada	Esclerosis Múltiple Pediátrica	Anticolinérgico			Nutra Pharma Corporation