

Rà soát Danh mục thuốc để phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp

TT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng của thuốc	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp
1	Recombinant human glucagon-like peptide	Tiêm: Các dạng	Điều trị hội chứng ruột ngắn (Short Bowel Syndrome)
2	Acalabrutinib	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh u lympho tế bào vỏ
3	Acetylcystein	Tiêm: Dung dịch tiêm	Điều trị quá liều Acetaminophen từ trung bình đến nặng
4	Afatinib	Uống: Các dạng	Điều trị ung thư phổi không tế bào nhỏ di căn có đột biến thụ thể yếu tố tăng trưởng biểu bì (EGFR) không kháng thuốc. Điều trị cho bệnh nhân ung thư phổi không tế bào nhỏ (NSCLC), thuộc loại ung thư phổi tế bào vảy, tiến triển tại chỗ hoặc di căn, đang hoặc đã được hóa trị liệu bằng các dẫn chất của platin.
5	Agalsidase alfa	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh Fabry
6	Agalsidase beta	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh Fabry
7	Alectinib	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh nhân ung thư phổi không điển hình (ALK), ung thư phổi tế bào nhỏ không di căn (NSCLC), không bao gồm bệnh nhân tiến triển hoặc không dung nạp với crizotinib.
8	Alemtuzumab	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh bạch cầu dòng lympho tế bào B mãn tính mà trước đó bệnh nhân đã được điều trị với tác nhân alkyl hóa và những bệnh nhân điều trị thất bại với fludarabine. Chỉ định cho bệnh nhân người lớn mắc bệnh xơ cứng rải rác thể tái phát - thuyên giảm (RRMS), có bệnh đang hoạt động dựa trên lâm sàng hoặc chẩn đoán hình ảnh.
9	Alglucosidase alpha	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh dự trữ glycogen type II (Bệnh Pompe). Chỉ định trên bệnh nhân người lớn và trẻ em mọi độ tuổi.
10	Alpha-1 proteinase inhibitor (human)	Tiêm: Các dạng	Yếu tố ức chế alphas ₁ -proteinase được chỉ định cho liệu pháp điều trị duy trì và bổ sung lâu dài cho bệnh nhân người lớn có triệu chứng khí phế thũng do bệnh thiếu alphas ₁ -proteinase bẩm sinh
11	Amiodaron	Tiêm: Các dạng	Điều trị cấp tính và điều trị dự phòng nhịp nhanh thất hoặc rung thất đe dọa tính mạng.
12	Anagrelid	Uống: Viên 0,5mg	Điều trị tăng tiểu cầu tiên phát
13	Antihemophilic factor (recombinant), Fc fusion protein	Tiêm: Các dạng	Chỉ định trên người lớn và trẻ em mắc bệnh Hemophilia A (thiếu yếu tố VIII bẩm sinh) để: Điều trị, kiểm soát theo nhu cầu các đợt chảy máu; Xử trí chảy máu khi phẫu thuật; Điều trị dự phòng thường quy để giảm tần suất các đợt chảy máu.
14	Antihemophilic factor (recombinant), porcine sequence	Tiêm: Các dạng	Chỉ định cho cơn cấp chảy máu của bệnh nhân người lớn bị bệnh hemophilia A mắc phải.
15	Aprotinin	Tiêm: Dung dịch tiêm	Sử dụng dự phòng để giảm mất máu trong phẫu thuật và yêu cầu truyền máu tương đồng trên bệnh nhân trải qua phẫu thuật bắc cầu mạch vành trong quá trình phẫu thuật ghép động mạch vành lặp lại, và trong một số trường hợp được lựa chọn phẫu thuật ghép động mạch vành sơ cấp, nguy cơ chảy máu đặc biệt cao (cầm máu bị suy yếu) hoặc nơi truyền máu không có sẵn hoặc không được chấp nhận.
16	Arsenic trioxid	Tiêm: Dung dịch tiêm, lọ 10mg/10ml	Điều trị bệnh bạch cầu tiền tủy bào cấp tính
17	Artem ether	Tiêm: Các dạng	Để điều trị nhiễm trùng do P.falciparum hoặc nhiễm trùng hỗn hợp bao gồm P. falciparum

18	Atezolizumab	Tiêm: Các dạng	Điều trị ung thư phổi tế bào nhỏ (SCLC). Điều trị bệnh nhân giai đoạn IIb, IIc, III và IV u ác tính. Điều trị giai đoạn IIb, IIc, III và u ác tính IV.
19	Avelumab (Recombinant human monoclonal IgG1 antibody against programmed death ligand-1)	Tiêm: Các dạng	Điều trị ung thư biểu mô tế bào Merkel di căn
20	Azathioprin	Uống: Các dạng	Điều trị các biểu hiện bệnh về miệng của người bệnh có mô ghép
21	Bacteries BCG	Tiêm: Dung dịch tiêm	Điều trị bệnh u nhú đường hô hấp tái phát
22	Basiliximab	Tiêm: Các dạng	Phòng ngừa thải loại cơ quan rắn
23	Bedaquilin	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh lao thể hoạt động
24	Belinostat	Tiêm: Các dạng	Điều trị Lymphoma tế bào T máu ngoại vi.
25	Bendamustin	Tiêm: Các dạng	Điều trị Lơ xê mi kinh dòng lympho. Điều trị u lympho dạng nang. Điều trị u lympho tế bào nhỏ. Điều trị u lympho tương bào lympho. Điều trị u lympho vùng rìa của lách. Điều trị u lympho tế bào B vùng rìa kiểu MALT (Mucosa-Associated Lymphoma Tissue). Điều trị u lympho vùng rìa hạch (Collectively Indolent B-cell Non-Hodgkin's Lymphoma)
26	Betamethason	Uống: Dung dịch uống nhỏ giọt; Tiêm: Các dạng	Điều trị chứng thất điều-giãn mạch
27	Bivalirudin	Tiêm: Các Dạng	Sử dụng như chất chống đông máu ở những bệnh nhân mắc hoặc có nguy cơ mắc bệnh giảm tiểu cầu do Heparin/hội chứng huyết khối giảm tiểu cầu do Heparin
28	Bleomycin sulfat	Tiêm: Các dạng	Điều trị tràn dịch màng phổi ác tính.
29	Blinatumomab	Tiêm: Các dạng	Điều trị Lơ xê mi cấp dòng lympho.
30	Bosutinib	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh Lơ xê mi kinh dòng tủy
31	Brentuximab Vedotin	Tiêm: Các dạng	Chỉ định điều trị cho bệnh nhân trưởng thành bị u lympho bào Hodgkin (HL) +CD30 tái phát hoặc kháng trị: Sau cấy ghép tế bào gốc tự thân (ASCT); hoặc sau ít nhất 2 lần điều trị khi ASCT hoặc đa hóa liệu pháp không phải là một tùy chọn điều trị. Chỉ định điều trị cho bệnh nhân trưởng thành bị CD30+HL có nguy cơ cao tái phát hoặc tiến triển sau khi cấy ghép tế bào gốc tự thân (ASCT). Chỉ định điều trị cho bệnh nhân trưởng thành bị u lympho tế bào lớn thoái biến toàn thân (sALCL) có nguy cơ tái phát hoặc kháng trị. Chỉ định điều trị cho bệnh nhân trưởng thành bị CD30 + U lympho bào tế bào T da (CTCL) sau ít nhất 1 lần điều trị toàn thân.
32	Brigatinib	Uống: Các dạng	Điều trị u lympho dương tính kinase dương tính (ALK +), c-ros 1 tích hợp oncogene dương tính (ROS1 +), hoặc yếu tố tăng trưởng dương tính biểu mô dương tính (EGFR +) ung thư phổi không tế bào nhỏ (NSCLC).
33	Busulfan	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	Liệu pháp chuẩn bị trong điều trị khối u ác tính kèm theo cấy ghép tủy xương.
34	C1-esterase inhibitor (human)	Tiêm: Các dạng	Điều trị thường qui phòng ngừa các cơn cấp phù quinke cho bệnh nhân người lớn và vị thành niên mắc bệnh phù quinke di truyền (Hereditary Angioedema).
35	Cabozantinib	Uống: Các dạng	Điều trị ung thư gan Carcinoma
36	Các yếu tố đông máu I, II, V, VII, VIII, IX, X, XIII (đơn thành phần hoặc phối hợp các yếu tố từ máu người hoặc động vật) cô đặc	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh Rối loạn đông máu A hoặc B, có hoặc không có yếu tố kháng lại phức hợp ức chế đông máu, có hoặc không có bệnh von Willebrand.

37	Các yếu tố kháng yếu tố chảy máu (Antihemophilic factor). Các yếu tố kháng lại phức hợp ức chế đông máu (Resistance factors for inhibiting coagulation complexes anti-inhibitors)	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh Rối loạn đông máu A hoặc B có hoặc không có yếu tố kháng lại phức hợp ức chế đông máu, có hoặc không có bệnh von Willebrand.
38	Cafein citrat	Tiêm: Các dạng	Điều trị ngắn hạn chứng ngừng thở ở trẻ sinh non tuần từ 28 đến 33
39	Canakinumab	Tiêm: Các dạng	Điều trị hội chứng thường kỳ liên quan đến yếu tố receptor khối u hoại tử
40	Caplacizumab	Tiêm: Các dạng	Điều trị ban xuất huyết giảm tiểu cầu.
41	Carfilzomib	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh đa u tủy
42	Carglumic acid	Uống: 200 mg	Điều trị thiếu hụt N-acetylglutamate synthetase
43	Celiprolol	Uống: các dạng	Điều trị hội chứng Ehlers-Danlos
44	Ceritinib	Tiêm: Các dạng	Điều trị ung thư phổi không tế bào nhỏ (NSCLC) mà anaplastic lymphoma kinase (ALK) dương tính
45	Cholic acid	Uống: Các dạng	Điều trị các lỗi bẩm sinh trong tổng hợp acid mật chủ đáp ứng với điều trị bằng axit cholic.
46	Ciclosporin (Cyclosporin)	Tiêm, dung dịch tiêm (ống 50mg/1ml); Uống: dung dịch	Điều trị tổn thương não do chấn thương từ trung bình đến nặng
47	Cinacalcet	Uống: Các dạng	Điều trị tăng calci huyết ở những bệnh nhân tăng năng tuyến cận giáp mà được chỉ định cắt bỏ tuyến cận giáp dựa trên nồng độ calci huyết thanh tuy nhiên không có khả năng phẫu thuật. Điều trị tăng calci huyết ở những bệnh nhân ung thư biểu mô tuyến cận giáp
48	Cladribin	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh bạch cầu tế bào lông
49	Cladribin	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh đa xơ cứng tái phát để giảm tần suất tái phát lâm sàng và trì hoãn sự tiến triển của khuyết tật thể chất.
50	Clofazimin	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh u phong, bao gồm u phong kháng dapsone và u phong bị biến chứng bởi hồng ban nút phong
51	Clonidin	Uống: Các dạng Tiêm: Dung dịch tiêm	Dùng đường tiêm ngoài màng cứng liên tục như một phác đồ phối hợp với opiat cột sống trong điều trị đau trên bệnh nhân ung thư dung nạp hoặc không đáp ứng với opiat đường cột sống. Phòng ngừa viêm niêm mạc miệng ở bệnh nhân ung thư cổ và đầu đang được tiến hành xạ trị
52	Coagulation factor IX Các yếu tố đông máu I, II, V, VII, VIII, IX, X, XIII recombinant. Thời gian bán hủy tiêu chuẩn hoặc kéo dài Fe-fusion protein	Tiêm: Các dạng	Các Yếu tố đông máu IX Tái tổ hợp, Protein dung hợp-FC, là một yếu tố đông máu IX tái tổ hợp có nguồn gốc DNA, được chỉ định trên người lớn và trẻ em mắc bệnh Hemophilia B để: Điều trị, kiểm soát theo nhu cầu các đợt chảy máu. Xử trí chảy máu khi phẫu thuật Điều trị dự phòng thường quy để giảm tần suất các đợt chảy máu. Điều trị bệnh Rối loạn đông máu có hoặc không có yếu tố kháng đông, bệnh suy nhược tiểu cầu (Glanzmann) có kháng thể kháng tiểu cầu.
53	Coagulation factor X (human)	Tiêm: Các dạng	Điều trị thiếu yếu tố X bẩm sinh.
54	Coagulation factor Xa (recombinant), inactivated-zhzo	Tiêm: Các dạng	Giúp đảo ngược tác dụng chống đông máu của chất ức chế yếu tố Xa trực tiếp hoặc gián tiếp ở bệnh nhân gặp biến cố chảy máu nghiêm trọng không kiểm soát được hoặc người cần phẫu thuật khẩn cấp hoặc cấp cứu.
55	Coagulation factor XIII	Tiêm: Các dạng	Điều trị dự phòng lâu dài chảy máu ở bệnh nhân thiếu yếu tố XIII A-subunit bẩm sinh
56	Copanlisib	Bột đông khô pha dung dịch truyền tĩnh mạch	Điều trị u lympho dạng nang
57	Corticotrelin	Tiêm: Các dạng	Chẩn đoán Hormon dưới đồi

58	Crizotinib	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh nhân ung thư phổi không tế bào nhỏ (NSCLC) tiến triển dương tính với enzyme ALK (anaplastic lymphoma kinase). Điều trị bệnh nhân ung thư phổi không tế bào nhỏ (NSCLC) tiến triển dương tính với ROS1.
59	Cromolyn natri (Cromoglicate de Na)	Tiêm: Các dạng; Uống: Các dạng; Phun sương; Tra mắt	Điều trị hội chứng tế bào mast; Điều trị viêm kết mạc, giác mạc mùa xuân.
60	Cyclophosphamid	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	Điều trị xơ cứng hệ thống. Phòng ngừa bệnh mảnh ghép chống lại ký chủ do cấy ghép tế bào gốc của máu.
61	Cytarabin	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh bạch cầu tủy sống cấp tính
62	Dabrafenib	Uống: Các dạng	Điều trị u hắc tố da có đột biến gen BRAF V600 dương tính từ giai đoạn IIB đến IV. Điều trị u thần kinh ác tính có đột biến gen BRAF V600. Điều trị ung thư phổi không tế bào nhỏ có đột biến gen BRAF V600 dương tính từ giai đoạn IIB đến IV.
63	Damoctocog alfa pegol	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh ưa chảy máu A
64	Dantrolen	Tiêm: Các dạng	Hội chứng sốt cao ác tính (malignant hyperthermia syndrome)
65	Daratumumab	Tiêm: Các dạng	Điều trị u đa tủy. Điều trị u lympho nang. Điều trị thoái hóa tinh bột khởi phát do miễn dịch. Điều trị u lympho tế bào B lớn khuếch tán. Điều trị u lympho tế bào áo nang.
66	Dasatinib	Uống: Viên nén; Bột pha hỗn dịch uống	Điều trị Lơ xê mi cấp dòng lympho (ALL) với nhiễm sắc thể Philadelphia dương tính. Điều trị Lơ xê mi kinh dòng bạch cầu hạt (CML);
67	Daunorubicin	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh bạch cầu dòng tủy cấp tính. Điều trị ung thư dạng Kaposi liên quan đến HIV tiến triển
68	Decitabin	Tiêm: Các dạng	Điều trị hội chứng rối loạn sinh tủy. Điều trị bệnh bạch cầu dòng tủy cấp tính. Điều trị thiếu máu hồng cầu hình liềm. Điều trị bệnh bạch cầu tủy mạn tính.
69	Deferipron	Uống: Các dạng	Điều trị quá tải sắt cho người bệnh rối loạn chuyển hóa hemoglobin cần truyền máu nhiều lần
70	Desmopressin	Dung dịch phun mũi; Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh ưa chảy máu A (Hemophilia A) nhẹ và bệnh Von Willebrand.
71	Dexamethason intravitreal implant	0,7mg/implant, cấy vào buồng dịch kính	Điều trị viêm mắt không do nhiễm khuẩn ở giai đoạn sau của bệnh nhân viêm màng bồ đào trung gian, viêm màng bồ đào sau và viêm màng bồ đào lan tỏa.
72	Dexrazoxan	Tiêm: Các dạng	Phòng ngừa bệnh cơ tim có liên quan đến việc dùng doxorubicin. Điều trị thải trừ anthracycline trong hóa trị.
73	Diazoxid	Uống: Các dạng	Điều trị hội chứng Prader Willi
74	Difluprednat	Nhỏ mắt: Các dạng	Điều trị viêm màng mạch nhỏ toàn bộ hoặc một phần bên trong và phía trước do chấn thương
75	Duvelisib	Uống: Các dạng	Điều trị lơ xê mi kinh dòng lympho và u lympho tế bào nhỏ. Điều trị u lympho thể nang.
76	Ecallantid	Tiêm: dung dịch tiêm	Điều trị phù mạch di truyền. Yếu tố ức chế kallikrein huyết thanh được chỉ định cho điều trị cơn cấp của phù quinke di truyền (Hereditary angioedema) ở bệnh nhân 12 tuổi và lớn hơn.
77	Edaravon	Truyền tĩnh mạch	Điều trị bệnh xơ cứng teo cơ một bên (ALS)
78	Efavirenz	Uống: Viên nang 50mg, 200mg; Viên nén 600mg	Điều trị nhiễm HIV-1 ở trẻ em và thanh thiếu niên trên 3 tuổi.
79	Eliglustat	Uống: Các dạng	Được chỉ định để điều trị lâu dài cho bệnh nhân người lớn mắc bệnh Gaucher loại 1 (GD1), là người chuyển hóa cao, chuyển hóa trung bình hoặc chuyển hóa kém CYP2D6 (EMs) được phát hiện bởi xét nghiệm đã được FDA thông qua.
80	Elotuzumab	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh đa u tủy.

81	Elotuzumab	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh đa u tủy.
82	Eltrombopag	Uống: Các dạng	Điều trị thiếu máu bất sản. Điều trị xuất huyết giảm tiểu cầu tự phát.
83	Emicizumab	Tiêm dưới da	Điều trị bệnh Hemophilia A có hoặc không có chất ức chế.
84	Erwinia L-asparaginase	Tiêm: Các dạng	Điều trị u lympho ác tính
85	Estradiol	Hệ điều trị qua da: miếng dán chứa thuốc	Phác đồ thay thế estrogen trên phụ nữ có hội chứng Turner
86	Everolimus	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh xơ cứng củ (TSC) bao gồm u sao bào tế bào không lồ dưới màng ồng nội tủy liên quan đến TSC (SEGA), u mỡ-cơ-mạch máu thận liên quan đến TSC và bệnh u cơ trơn-mạch bạch huyết liên quan đến TSC (LAM). Điều trị bệnh u thần kinh nội tiết.
87	Fibrinogen (Đơn thành phần hoặc phối hợp)	Tiêm: Bột pha dung dịch tiêm	Điều trị trên bệnh nhân thiếu fibrinogen
88	Fitusiran	Tiêm: Các dạng	Điều trị trên bệnh nhân hemophilia A hoặc B trung bình đến nặng, có hoặc không có chất ức chế
89	Follitropin alfa/ Follitropin beta tái tổ hợp	Tiêm: tiêm dưới da, tiêm tĩnh mạch	Sự kích thích sinh tinh trùng ở bệnh nhân nam thiếu năng sinh dục nguyên phát và thứ phát trên những người có nguyên nhân vô sinh không phải do suy tinh hoàn nguyên phát
90	Fosfomycin trometamol	Uống: Cốm pha dung dịch uống	Điều trị nhiễm trùng phổi liên quan đến xơ nang
91	Fostatinib	Uống: Các dạng	Điều trị ban xuất huyết giảm tiểu cầu miễn dịch.
92	Gilteritinib	Uống: Các dạng	Điều trị Lơ xê mi cấp dòng tủy
93	Glasdegib	Uống: Các dạng	Điều trị Lơ xê mi cấp dòng tủy Chrun
94	Glatiramer	Tiêm: Bột pha dung dịch tiêm	Điều trị bệnh đa xơ cứng
95	Glucarpidas	Tiêm: Các dạng	Trị nhiễm độc Methotrexate
96	Glycerol phenylbutyrat	Uống: Các dạng	Điều trị duy trì bệnh nhân thiếu hụt enzym trong chu kỳ urê
97	Halofantrin hydroclorid	Uống: Các dạng viên	Điều trị sốt rét cấp nhẹ đến trung bình do các chủng nhạy cảm với P. falciparum and P. vivax
98	Hydrocortison	Uống: Các dạng	Điều trị suy thượng thận ở người lớn. Liệu pháp thay thế trong điều trị suy thượng thận ở trẻ em, người lớn và thanh thiếu niên (dưới < 18 tuổi).
99	Hydroxycarbamid	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh tế bào hình liềm trên bệnh nhân dưới 18 tuổi.
100	Hydroxycloquin	Uống: Các dạng	Điều trị hội chứng kháng phospholipid.
101	Ibrutinib	Uống: Các dạng	U lympho tế bào B lớn lan tỏa. U lympho tế bào áo nang. U lympho tế bào nhỏ (SLL). U lympho vùng rìa hạch. U lympho thể nang. U lympho vùng rìa lách. Điều trị bệnh bạch cầu lympho bào mãn tính (CLL). Điều trị ung thư tuyến tụy. Điều trị bệnh ghép chống chủ mạn tính. Điều trị chứng macroglobulin máu Waldenstrom Điều trị ung thư dạ dày, bao gồm ung thư biểu mô tuyến nối dạ dày thực.
102	Ibuprofen lysin	Tiêm: Các dạng	Phòng ngừa và điều trị bệnh cơn ống động mạch
103	Icatibant	Tiêm, truyền dưới da Dạng dùng: dung dịch tiêm truyền	Điều trị các đợt cấp của phù quinke di truyền (Hereditary Angioedema) ở bệnh nhân người lớn 18 tuổi và trên 18 tuổi.
104	Idarubicin	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh bạch cầu cấp dòng tủy, tham khảo bệnh bạch cầu không tăng lympho bào cấp tính.
105	Idarucizumab	Tiêm: Các dạng	Chỉ định cho bệnh nhân đã điều trị bằng Pradaxa (dabigatran) khi cần hóa giải nhanh chóng tác dụng chống đông của dabigatran: Trong trường hợp phẫu thuật cấp cứu/thủ thuật khẩn cấp. Trong trường hợp chảy máu đe dọa tính mạng hoặc không kiểm soát được.

106	Idelalisib	Tiêm: Các dạng	Điều trị u lympho thể nang; Điều trị Lơ xê mi kinh dong lympho và u lympho tế bào nhỏ.
107	Idursulfase	Tiêm: Các dạng	Phác đồ thay thế enzym lâu dài cho bệnh mucopolysaccharid (Hội chứng Hunter)
108	Imatinib	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh bạch cầu nguyên bào tủy cấp tính dương tính Philadelphia. Điều trị bệnh bạch cầu mạn dòng tủy. Điều trị bệnh tế bào mast hệ thống không đột biến D816V c-kit. Điều trị u mô đệm đường tiêu hóa. Điều trị hội chứng bạch cầu ưa eosin tự phát bao gồm bệnh bạch cầu ưa eosin cấp và mạn. Điều trị rối loạn tủy xương/hội chứng rối loạn sinh tủy liên quan đến việc sắp xếp lại các gen yếu tố tăng trưởng có nguồn gốc từ tiểu cầu. Điều trị sarcom bì xơ lồi. Điều trị ung thư biểu mô đường tiêu hóa.
109	Imiglucerase	Tiêm: Các dạng	Liệu pháp thay thế ở những bệnh nhân mắc bệnh Gaucher type I và III.
110	Immune globulin infusion	Tiêm: dung dịch tiêm	Điều trị bệnh dây thần kinh vận động đa ổ (Multifocal Motor Neuropathy - MMN)
111	Immune globulin infusion 10% (human) with recombinant human hyaluronidase	Tiêm, truyền dưới da Dạng dùng: dung dịch tiêm truyền	Bệnh suy giảm miễn dịch tiên phát ở người lớn
112	Indinavir sulfat	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	Điều trị nhiễm HIV-1 ở trẻ em và thanh thiếu niên trên 3 tuổi.
113	Interferon beta-1a	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh đa xơ cứng
114	Irinotecan liposome injection	Dung dịch đậm đặc để pha truyền tĩnh mạch	Điều trị ung thư tuyến tụy di căn, kết hợp với 5-fluorouracil (5-FU) và leucovorin (LV), ở người lớn với bệnh đang tiến triển sau điều trị nền là gemcitabin.
115	Isavuconazonium sulfat	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	Điều trị nhiễm nấm Mucormycosis. Điều trị nhiễm nấm Aspergillosis xâm lấn.
116	Ivosidenib	Uống: Các dạng	Điều trị Lơ xê mi cấp dòng tủy.
117	Ixazomib	Uống: Các dạng	Điều trị đa u tủy xương.
118	Ketamin	Tiêm: Các dạng	Điều trị đau dây thần kinh sau zona.
119	Lanadelumab	Tiêm, truyền dưới da Dạng dùng: dung dịch tiêm truyền	Đề dự phòng thông thường cơn phù mạch và kiểm soát các triệu chứng phù mạch di truyền (HAE) ở người vị thành niên và người trưởng thành.
120	Lanreotid	Tiêm: Các dạng	Bệnh to cực hay to đầu chi. Khối u nội tiết dạ dày - ruột - tụy khu trú, tiến triển hay di căn Hội chứng carcinoid liên quan tới u thần kinh nội tiết.
121	Laronidase	Tiêm: Các dạng	Được chỉ định cho bệnh nhân có bệnh tích tụ mucopolysaccharide típ I (MPS I) thể Hurler và Hurler-Scheie và cho bệnh nhân có thể bệnh Scheie với các triệu chứng từ trung bình đến nặng.
122	Larotrectinib	Uống: Các dạng	Điều trị khối u rắn bằng protein tổng hợp NTRK
123	Lauromacrogol 400 (Polidocanol, Aetoxisclerol)	Tiêm: Dung dịch tiêm	Điều trị dị dạng tĩnh mạch bẩm sinh
124	Lenalidomid	Uống: Các dạng	Điều trị hội chứng rối loạn sinh tủy. Điều trị u lympho tế bào vỏ.
125	Lenvatinib	Uống: Các dạng	Điều trị cho bệnh nhân ung thư tuyến giáp biệt hóa tái phát tại chỗ hoặc di căn, tiến triển, kháng trị với iod phóng xạ. Điều trị bước một cho bệnh nhân ung thư biểu mô tế bào gan không thể phẫu thuật cắt bỏ.
126	Letermovir	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	Phòng ngừa nhiễm cytomegalovirus (CMV) ở những người nhận huyết thanh CMV trưởng thành [R +] khi ghép tế bào gốc tạo máu allogeneic (HSCT)
127	Leucovorin (Acid folinic)	Tiêm: tiêm tĩnh mạch; Uống: Các dạng	Sử dụng kết hợp với 5-fluorouracil trong điều trị ung thư đại trực tràng di căn. Sử dụng giải cứu sau khi liệu pháp methotrexate liều cao trong điều trị ung thư xương.

128	Liothyronin	Uống: Các dạng	Điều trị di căn não trong trường hợp ung thư phổi nguyên phát. Điều trị hôn mê phù niêm/tiền hôn mê. Điều trị u nguyên bào thần kinh đệm đa dạng.
129	Medroxyprogesteron	Uống: Các dạng	- Điều trị ban xuất huyết giảm tiêu cầu miễn dịch.
130	Mefloquin	Uống: Các dạng	- Dùng trong điều trị sốt rét cấp tính do Plasmodium falciparum và Plasmodium vivax, và dự phòng sốt rét Plasmodium falciparum kháng thuốc khác.
131	Meladinin (Methoxsalen)	Dùng ngoài	- Phòng ngừa đảo thái cấp các chất kích ứng tim. - Sử dụng kết hợp với kỹ thuật điều trị u lympho đa tế bào trong điều trị ghép da với kỹ chủ.
132	Melphalan	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh nhân da u tủy mà không phù hợp để điều trị đường uống. - Điều trị u nguyên bào vồng mạc. - Để sử dụng trong tủy máu chỉ ở nơi thân nhiệt thấp trong điều trị ung thư da di căn. - Điều trị ung thư da giai đoạn IIB đến IV. - Điều trị liều cao trước khi cấy ghép tế bào gốc tế bào tạo máu. - Điều trị ung thư đường mật. - Điều trị u tủy tế bào plasma.
133	Mercaptopurin	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu nguyên bào lympho cấp tính ở bệnh nhân nhi
134	Methotrexat	Tiêm: Các dạng; Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh alkaptonuria. - Điều trị bệnh bạch cầu dòng lympho bào.
135	Methoxsalen	Uống: Các dạng	- Để điều trị u lympho tế bào da (CTCL). - Để điều trị chống thải ghép (GVHD) sau khi cấy ghép HSC allogeneic.
136	Mexiletin	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	- Điều trị chứng loạn dưỡng cơ vô niệu
137	Midazolam	Dung dịch uống	- Điều trị cơn co giật cấp kéo dài ở trẻ nữ nhi, trẻ lớn và vị thành niên (từ 3 tháng đến < 18 tuổi).
138	Midostaurin	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu tủy sống cấp tính. - Điều trị bệnh tế bào Mast.
139	Milrinon	Tiêm: dung dịch tiêm tĩnh mạch	- Điều trị suy tim phải (RHF) ở bệnh nhân dùng thiết bị hỗ trợ tâm thất trái (LVAD).
140	Mitomycin	Tiêm: Các dạng	- Phòng ngừa tái phát mộng thịt sau phẫu thuật. - Điều trị ung thư tế bào biểu mô đường niệu (ung thư biểu mô tế bào chuyển tiếp bề thận và niệu quản).
141	Mitoxantron	Tiêm: Dung dịch tiêm	- Điều trị ung thư tuyến tiền liệt khó điều trị. - Điều trị bệnh đa xơ cứng tái phát tiến triển. - Điều trị bệnh đa xơ cứng tiến triển thứ cấp. - Điều trị bệnh bạch cầu tủy xương cấp tính, còn được gọi là bệnh bạch cầu cấp tính Không phải tế bào bạch huyết. - Điều trị u lympho tế bào T ngoại vi.
142	Moxetumomab pasudotox tdfk	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh nhân người lớn mắc bệnh bạch cầu tế bào tóc (HCL) tái phát hoặc kháng trị đã điều trị ít nhất hai liệu pháp toàn thân trước đó, kể cả điều trị bằng chất tương tự nucleoside purine (PNA).
143	Natri thiosulfat	Tiêm; dung dịch tiêm 25%	- Điều trị bệnh can-xi phòng vệ. - Phòng nhiễm độc tai giữa do platinum ở trẻ nhỏ. - Điều trị ngộ độc mù tạc lưu huỳnh. - Điều trị thoát mạch do meclorethamine hydrochloride vào các mô dưới da. - Điều trị bệnh can-xi phòng vệ do ure huyết và không do ure huyết. - Điều trị viêm da-cơ.
144	Nilotinib	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu tủy xương mãn tính
145	Nimodipin	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	- Điều trị xuất huyết dưới màng nhện
146	Nintedanib	Uống: Các dạng	- Điều trị xơ hóa phổi tự phát (xơ phổi vô căn)
147	Nitric oxide	Khí thở	- Điều trị tăng huyết áp phổi dai dẳng ở trẻ sơ sinh
148	Nivolumab	Tiêm: Các dạng	- Điều trị ung thư biểu mô tế bào gan. - Điều trị u lympho Hodgkin. - Điều trị ung thư hắc tố giai đoạn IIb đến IV. - Điều trị ung thư phổi tế bào nhỏ.

149	Obinutuzumab	Tiêm: Các dạng	- Điều trị u lympho thể nang. - Điều trị Lơ xê mi kinh dòng lympho.
150	Ofatumumab	Tiêm: Các dạng	- Điều trị Lơ xê mi kinh dòng lympho.
151	Olaparib	Uống: Dạng viên 100mg, 150mg	- Điều trị duy trì cho bệnh nhân người lớn bị tái phát ung thư tế bào biểu mô buồng trứng, ống dẫn trứng hoặc ung thư phúc mạc nguyên phát, cho những bệnh nhân đáp ứng hoàn toàn hoặc một phần với hóa trị liệu có chứa platinum; và điều trị cho bệnh nhân người lớn được chẩn đoán ung thư buồng trứng tiến triển đột biến gen BRCA hoặc nghi ngờ ung thư buồng trứng đột biến gen BRCA đã được điều trị bằng ba hoặc nhiều dòng hóa trị liệu trước đó.
152	Omacetaxin mepesuccinat	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh Lơ xê mi kinh dòng tủy
153	Panobinostat	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh đa u tủy.
154	Parathyroid Hormone (1-84) human	Tiêm: Các dạng	- Hóc môn tuyến cận giáp được chỉ định để điều chỉnh sự phối hợp canxi và vitamin D nhằm kiểm soát hạ canxi trong các bệnh nhân suy cận giáp.
155	Pasireotide	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh to cực. - Điều trị bệnh Cushing.
156	Pazopanib	Uống: Các dạng	- Điều trị ung thư buồng trứng. - Điều trị ung thư mô mềm.
157	Pegademase bovine	Tiêm: Các dạng	- Là liệu pháp thay thế enzyme cho sự thiếu hụt ADA ở những bệnh nhân suy giảm miễn dịch nặng kết hợp.
158	Pegaspargase	Tiêm: Các dạng	- Điều trị ung thư dòng bạch cầu lympho cấp tính
159	Pegfilgrastim	Tiêm: Các dạng	- Để tăng khả năng sinh tồn của các bệnh nhân có nguy cơ bị suy tủy cấp sau khi một vụ nổ phóng xạ hoặc hạt nhân.
160	Pembrolizumab	Tiêm: Các dạng	- Điều trị ung thư da ác tính giai đoạn IIB đến giai đoạn IV. - Điều trị u lympho tế bào B trung thất nguyên phát. - Điều trị ung thư biểu mô tế bào Merkel. - Điều trị ung thư hạch Hodgkin. - Điều trị ung thư dạ dày, bao gồm ung thư biểu mô đường tiêu hóa. - Điều trị ung thư biểu mô tế bào gan(HCC).
161	Pilocarpin	Thuốc mắt: Dung dịch nhỏ mắt 1%; 2%	- Điều trị chứng khô miệng và viêm giác-kết mạc ở những bệnh nhân mắc hội chứng Sjogren.
162	Ponatinib	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh Lơ xê mi cấp dòng lympho dương tính nhiễm sắc thể Philadenphia. - Điều trị Lơ xê mi kinh dòng bạch cầu hạt.
163	Porfimer sodium	Tiêm: Các dạng	- Đối với liệu pháp quang động học của bệnh nhân bị ung thư biểu mô nguyên phát hoặc tái phát (hoặc một phần hoặc toàn bộ).
164	Praziquantel	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh sán máng.
165	Procainamid	Tiêm: Dung dịch tiêm	- Phòng rối loạn nhịp thất đe dọa tính mạng ở những bệnh nhân đã được ghi nhận có lupus khởi phát bởi procainamid.
166	Procarbazin	Uống: Các dạng	- Điều trị u thần kinh đệm ác tính.
167	Propranolol	Tiêm: Dung dịch tiêm	- Điều trị tăng huyết khối ở trẻ sơ sinh cần điều trị toàn thân.
168	Prostaglandin E1	Tiêm: Các dạng	- Điều trị hội chứng tắc mạch chi nặng mãn tính giai đoạn IV Fontaine.
169	Protein C concentrate	Tiêm: Các dạng	- Chỉ định cho bệnh nhân bị bệnh thiếu Protein C bẩm sinh nặng để phòng và điều trị cơn tái cấp xuất huyết dưới da và huyết khối tĩnh mạch. Chỉ định như liệu pháp thay thế cho bệnh nhân nhi và người lớn.
170	Prothrombin complex concentrate (human)	Tiêm: Các dạng	- Thuốc đối kháng Vitamin K để điều trị chảy máu lớn và dự phòng phẫu thuật.
171	Quinin	Tiêm: Dung dịch tiêm; Uống: đơn thành phần hoặc phối hợp với Thiamin	- Điều trị sốt rét.

172	Raltegravir	Viên bao tan trong ruột	- Điều trị phối hợp với các thuốc kháng retrovirus khác trong điều trị nhiễm virus suy giảm miễn dịch ở người (HIV-1).
173	Ravulizumab-cwvz	Tiêm: Các dạng	- Điều trị đái huyết sắc tố kịch phát ban đêm.
174	Recombinant von Willebrand factor (rhVWF)	Tiêm: Các dạng	- Điều trị theo nhu cầu và kiểm soát các cơn chảy máu ở bệnh nhân người lớn mắc bệnh von Willebrand.
175	Regorafenib	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh nhân có khối u mô đệm đường tiêu hóa. - Điều trị ung thư biểu mô tế bào gan.
176	Retinol	Thuốc mắt: Thuốc mỡ tra mắt	- Phòng ngừa loạn sản phế quản phổi. - Phòng ngừa bệnh vồng mạc do sinh non.
177	Rifaximin	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh não do gan.
178	Romidepsin	Tiêm: Các dạng	- Điều trị u lympho không Hodgkin tế bào T.
179	Romiplostim	Tiêm: Các dạng	- Điều trị ban xuất huyết giảm tiểu cầu miễn dịch.
180	Rovalpituzumab Tesirine	Tiêm: Các dạng	- Điều trị ung thư phổi tế bào nhỏ.
181	Rucaparib	Uống: Các dạng	- Điều trị ung thư buồng trứng.
182	Ruxolitinib	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu tạo lympho bào cấp. - Điều trị bệnh mảnh ghép chống lại vật chủ. - Điều trị ung thư tụy. - Điều trị bệnh ung thư trong đó tủy xương sản sinh quá nhiều hồng cầu. - Điều trị bệnh xơ hóa tủy xương. - Điều trị bệnh tăng tiểu cầu.
183	Sargramostim	Tiêm: Các dạng	- Điều trị cho bệnh nhân tiếp xúc xạ trị ức chế tủy (Hội chứng tạo máu liên quan hội chứng nhiễm xạ cấp).
184	Selegilin	Uống: Các dạng	- Hỗ trợ liệu pháp dùng levodopa và carbidopa trong điều trị bệnh Parkinson. - Điều trị chứng thấp lùn do hội chứng Turner.
185	Siltuximab	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh Castleman.
186	Sodium benzoat	Tiêm: Các dạng	- Điều trị chứng thiếu acid arginosuccinic. - Điều trị thiếu hụt carbamoyl phosphat synthase-1. - Điều trị chứng citrulline máu type 1. - Điều trị chứng tăng arginine máu. - Điều trị chứng Không dung nạp protein lysinuric. - Điều trị sự thiếu hụt men ornithine transcarbamylase. - Điều trị sự thiếu hụt N-acetylglutamate synthase deficiency.
187	Sodium phenylacetat	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh não do gan độ III và IV.
188	Somatropin	Tiêm: Bột đông khô pha dung dịch tiêm	- Điều trị chứng thấp lùn do hội chứng Turner. - Điều trị thiếu hụt hormone tăng trưởng ở người lớn. - Điều trị thiếu hụt hormone tăng trưởng ở người lớn. - Điều trị chứng thấp lùn do hội chứng Noonan. - Dùng trong điều trị lâu dài ở trẻ chậm lớn do thiếu hụt hormone tăng trưởng. - Điều trị chứng thấp lùn ở trẻ nhỏ do thiếu hụt gen (SHOX). - Đơn trị hoặc kết hợp với glutamine trong điều trị hội chứng ruột ngắn. - Điều trị giảm cân/dị hóa liên quan đến AIDS. - Điều trị chậm phát triển liên quan đến suy thận mạn. - Là liệu pháp thay thế cho sự thiếu hụt hormone tăng trưởng ở người lớn sau khi xương ngừng phát triển. - Điều trị chậm phát triển ở trẻ sinh non. - Điều trị chứng thấp lùn do hội chứng Prader-Willi.
189	Sorafenib	Uống: Các dạng	- Điều trị ung thư tế bào thận. - Điều trị ung thư tế bào gan. - Điều trị ung thư tuyến giáp thể tủy, ung thư tuyến giáp anaplastic, và ung thư tuyến giáp dạng nang hoặc di căn tái phát hoặc di căn.
190	Sotalol	Tiêm: Dung dịch tiêm tĩnh mạch; Uống: Các dạng	- Đối với nhịp nhanh thất, rung thất, hoặc duy trì nhịp xoang ở bệnh nhân chuyển đổi từ rung tâm nhĩ hoặc rung tâm nhĩ khi dùng được thuốc uống.
191	Succimer	Tiêm: Các dạng	- Điều trị ngộ độc chì ở trẻ em.
192	Tacrolimus	Hỗn dịch nhỏ mắt 0,1%	- Điều trị viêm kết giác mạc mùa xuân khi sử dụng thuốc kháng dị ứng không hiệu quả.
193	Talc	Bột vô trùng	- Điều trị tràn khí màng phổi. - Điều trị sự chảy dịch màng phổi ác tính.

194	Temolozomid	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh nhân bị u tế bào hình sao bất thường và u nguyên bào thần kinh đệm đa dạng, như, bệnh nhân tái phát lần đầu đã trải qua tiến triển bệnh trên một chế độ điều trị chuẩn.
195	Temsirolimis	Tiêm: Các dạng	- Điều trị u lympho tế bào lớp phủ.
196	Thalidomid	Uống: Viên nang cứng	- Điều trị bệnh đa u tủy. - Điều trị hồng ban nút phong (erythema nodosum leprosum).
197	Thiotepa	Tiêm: Các dạng	- Điều trị có điều kiện trước khi ghép tế bào gốc tạo máu.
198	Tiaprid	Tiêm: Dung dịch tiêm	- Điều trị hội chứng Tourette.
199	Tisagenlecleucel-T	Tiêm: Các dạng	- Điều trị u lympho tế bào B lớn lan tỏa.
200	Tobramycin	Bột hít	- Điều trị bệnh nhân giãn phế quản nhiễm Pseudomonas aeruginosa.
201	Tocilizumab	Tiêm: Các dạng	- Viêm động mạch tế bào khổng lồ (GCA).
202	Trametinib	Uống: Các dạng	- Điều trị ung thư hắc tố giai đoạn I Ib tới giai đoạn IV.
203	Trametinib + Dabrafenib	Uống: Các dạng	- Điều trị ung thư hắc tố giai đoạn I Ib tới giai đoạn IV.
204	Tretinoin (All-Trans Retinoic Acid)	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu promyelocytic.
205	Triclabendazol	Uống: Các dạng	- Điều trị sán lá gan.
206	Trientin	Tiêm: Các dạng; Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh nhân mắc bệnh Wilson.
207	Velaglucerase alfa	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh Gaucher tuýp 1 và 3.
208	Venetoclax	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu mạn dòng lympho (CLL). - Điều trị bệnh bạch cầu cấp dòng tủy.
209	Vigabatrin	Uống: các dạng	- Điều trị co thắt ở trẻ sơ sinh.
210	Vincristin	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu tạo lympho cấp.
211	Vincristin sulfat Liposome	Tiêm: Các dạng	- Điều trị Lơ xê mi cấp lympho bào.
212	Vorinostat	Bột đông khô pha tiêm	- Điều trị ung thư hạch không Hodgkin của tế bào T. - U lympho tế bào T ở da.
213	Xanh methylen (Methylen Blue)	Tiêm: Dung dịch tiêm ống	- Điều trị thiếu máu methemoglobin mắc phải và do di truyền.
214	Zidovudin	Uống: Các dạng; Tiêm: Dung dịch tiêm	- Điều trị AIDS.