

Farmaci orfani e principi attivi autorizzati a livello centralizzato dall'EMA secondo l'indicazione per la designazione, la data di autorizzazione dell'EMA e la Gazzetta Ufficiale per l'immissione in commercio in Italia (aggiornati a Febbraio 2009)

Farmaco Orfano	Principio attivo	Indicazione per la designazione di farmaco orfano	Data di autorizzazione EMA	Gazzetta Ufficiale
Aldurazyme	Laronidasi	Mucopolisaccaridosi di tipo I	10/06/03	G. U. n. 277 25/11/2004
Atriance	Nelarabina	Leucemia linfoblastica acuta	22/08/07	G. U. n. 129 4/6/2008
Busilvex	Busulfan	Trattamento di condizionamento precedente al convenzionale trapianto di cellule emopoietiche progenitrici - HPCT	09/07/03	G.U. n. 145 24/6/2005
Carbaglu	Acido carglumico	Iperammonemia dovuta alla deficienza di N-acetilglutammati sintasi	24/01/03	G.U. n. 278 26/11/2004
Ceplene	istamina dicloridrato	Leucemia mieloide acuta	07/10/08	
Cystadane	Betaina anidra	Omocistinuria	15/02/07	G.U. n. 106 7/5/2008
Diacomit	Stiripentolo	Epilessia mioclonica severa dell'infanzia	04/01/07	
Elaprase	Idursulfase	Mucopolisaccaridosi di tipo II (Sindrome di Hunter)	08/01/07	
Evoltra	Clofarabina	Leucemia linfoblastica acuta	29/05/06	G.U. n. 67 21/3/2007
Exjade	Deferasirox	Trattamento del sovraccarico cronico di ferro in pazienti con beta talassemia major	28/08/06	G.U. n. 85 12/4/2007
Fabrazyme	Agalsidasi beta	Malattia di Fabry	04/05/01	G.U. n. 27 1/2/2002
Firazyr	icatibant acetato	Angioedema ereditario	11/07/08	
Glivec	Imatinib	Leucemia mieloide cronica	27/08/01	G. U. n. 3 4/1/2002
Gliolan	5-aminolevulinic acid hydrochloride	Glioma Maligno	07/09/07	
Increlex	Mecasermin	Deficit di IGF-1	03/08/07	G.U. n. 106 7/5/2008
Inovelon	Rufinamide	Sindrome di Lennox-Gastaut	16/01/07	G.U. n 234 6/10/2008 Suppl. Ordinario n. 228
Kuvan	sapropterina dicloridrato	Iperfenilalaninemia	02/12/08	
Litak	Cladribina	Leucemia a cellule capellute	14/04/04	
Lysodren	Mitotano	Carcinoma corticosurrenalico (corticosurrenale)	28/04/04	G. U. n. 46 25/2/2005
Myozyme	Alglucosidasi alfa	Malattia di Pompe (deficit di α -glucosidasi acida)	29/03/06	G.U n. 273 23/11/2006
Naglazyme	Galsulfase	Mucopolisaccaridosi di tipo VI	24/01/06	G.U. n. 46 24/2/ 2007
Nexavar	Sorafenib tisolato	Carcinoma a cellule renali	19/07/06	G.U. n. 272 2/11/2006
Onsenal	Celecoxib	Poliposi adenomatosa familiare	17/10/03	
Orfadin	Nitisinone	Tirosinemia ereditaria di tipo 1	21/02/05	
Pedea	Ibuprofene	Dotto arterioso pervio	29/07/04	G.U. n. 277 25/11/ 2004
Photobarr	Porfimer sodico	Ablazione della displasia grave nei pazienti affetti da esofago di Barrett	25/03/04	

Farmaco Orfano	Principio attivo	Indicazione per la designazione di farmaco orfano	Data di autorizzazione EMEA	Gazzetta Ufficiale
Prialt	Ziconotide	Dolore cronico in pazienti che richiedono analgesia intratecale	21/02/05	G.U. n. 114 18/5/ 2007
Replagal	Algasidase alfa	Malattia di Fabry	04/05/01	G.U. n. 28 2/2/2004
Revatio	Sildenafil	Ipertensione arteriosa polmonare	28/10/05	G. U. n. 176 31/7/2006
Revlimid	Lenalidomide	Mieloma multiplo	14/06/07	G. U. n. 50 28/2/2008
Savene	Dexraroxano	Extravasazione dell'antraciclina	28/07/06	G. U. n. 40 16/2/2008
Siklos	Idroxicarbamide	Anemia a cellule falciformi	29/06/07	
Soliris	Eculizumab	Emoglobinuria parossitica notturna	20/06/07	G. U. n 184 7/08/2008 Suppl. Ordinario n. 187
Somavert	Pegvisomant	Acromegalia	13/11/02	G. U. n 276 24/11/ 2004
Sprycel	Dasatinib	Leucemia mieloide cronica	20/11/06	G.U. n. 120 25/5/2007
Sutent	Sunitinib malato	Tumori stromali del tratto gastrointestinale	19/07/06	G.U. n. 272 22/11/2006
Tasigna	Nilotinib	Leucemia Mieloide Cronica	19/11/07	G. U. n 184 7/08/2008 Suppl. Ordinario n. 187
Thalidomide Pharmion	talidomid	Mieloma multiplo	16/04/08	
Thelin	Sitaxentan sodico	Ipertensione arteriosa polmonare	10/08/06	G.U. n. 271 21/11/2007
Torisel	Temsilormus	Carcinoma delle cellule renali	19/11/07	G.U. n 234 6/10/2008 Suppl. Ordinario n. 228
Tracleer	Bosentan	Ipertensione arteriosa polmonare	15/05/02	G. U. n. 279 3/7/2003
Trisenox	Triossido di arsenico	Leucemia promielocitica acuta	05/03/02	G. U. n. 236 10/10/ 2003
Ventavis	Iloprost	Ipertensione polmonare primaria	16/09/03	G.U. n. 277 25/11/2004
Wilzin	Zinco acetato diidrato	Morbo di Wilson	13/10/04	G. U. n. 196 24/8/2005
Xagrid	Anagrelide	Trombocitemia essenziale	16/11/04	G.U. n. 130 7/6/2006
Xyrem	Sodio oxibato	Narcolessia	13/10/05	G.U. n. 53 5/3/2007
Yondelis	Trabectedina	Sarcoma dei Tessuti Molli	17/09/07	G. U. n 21 27/01/ 2009
Volibris	ambrisentan	Ipertensione polmonare arteriosa	21/04/08	G. U. n 35 12/2/2009 Suppl. Ordinario n. 23
Zavesca	Miglustat	Malattia di Gaucher	20/11/02	G.U. n. 277 25/11/2004

Fonte: Elaborazione dati del Centro Nazionale Malattie Rare su dati EMEA (<http://www.emea.europa.eu/>)