

Handelsnavn	Virkestoff	ATC-kode	Hovedindikasjon
Alle	Kenodeoksykolsyre	A05AA01	Medfødte feil i den primære gallesyresyntesen
Alle	Obetikolsyre	A05AA04	Primær biliær cirrhose
Alle	Cysteaminbitartrat	A16AA04	Nefropatisk cystinose
Alle	Kargluminsyre	A16AA05	Hyperammonemi
Alle	Betain, vannfritt	A16AA06	Homocystinuri
Alle	Imiglukerase	A16AB02	Gaucher type 1 og 3
Alle	Agalsidase alfa	A16AB03	Fabrys sykdom
Alle	Agalsidase beta	A16AB04	Fabrys sykdom
Alle	Laronidase	A16AB05	Mukopolysakkaridose MPS I
Alle	Alglukosidase alfa	A16AB07	Pompes sykdom
Alle	Galsulfase	A16AB08	Mukopolysakkaridose MPS VI
Alle	Idursulfase	A16AB09	Mukopolysakkaridose MPS II
Alle	Velaglukerase alfa	A16AB10	Gaucher type 1
Alle	Elosulfase alfa	A16AB12	Mukopolysakkaridose MPS IV
Alle	Asfotase alfa	A16AB13	Enzymerstatning hypofosfatasi
Alle	Natrium-fenylbutyrat	A16AX03	Forstyrrelser i ureasyklus
Alle	Nitisonon	A16AX04	Hereditær tyrosinemi type 1
Alle	Sinkacetatdihydrat	A16AX05	Wilson's sykdom
Alle	Miglustat	A16AX06	Gaucher type 1
Alle	Sapropterin dihydroklorid	A16AX07	Hyperfenylalaninemi (HPA)
Alle	Teduglutid	A16AX08	Short bowel syndrome, SBS
Alle	Eliglustat	A16AX10	Gaucher type 1
Alle	Trientine	A16AX12	Wilson's sykdom
Alle	Migalastat	A16AX14	Fabrys sykdom
Alle	Defibrotid	B01AX01	Alvorlig veno-okklusiv leversykdom VOD
Alle	Romiplostim	B02BX04	Immun (idiopatisk) trombocytopenisk purpura (ITP)
Alle	Eltrombopagolamin	B02BX05	Immun (idiopatisk) trombocytopenisk purpura (ITP)
Alle	C1-inhibitor	B06AC01	Hereditært angioødem
Alle	Icatibantacetat	B06AC02	Hereditært angioødem

Alle	Conestat alfa	B06AC04	Hereditært angioødem
Alle	Meksiletin	C01BB02	Arvelige, myotone forstyrrelser
Jinarc	Tolvaptan	C03XA01	Autosomal dominant polycystisk nyresykdom (ADPKD).
Alle	Lomitapid	C10AX12	Homozygot familiær hyperkolesterolemi (HoFH).
Alle	Pegvisomant	H01AX01	Etter somatostatinanaloger hos voksne med akromegali
Alle	Oktreotid	H01CB02	Akromegali og kreftsykdommer
Alle	Lanreotid	H01CB03	Akromegali og kreftsykdommer
Alle	Pasireotidpamoat	H01CB05	Cushing og acromegali
Neofordex	Deksametason	H02AB02	Symptomatisk myelomatose
Plenadren	Hydrokortison	H02AB09	Binyrebarkinsuffisiens
Alle	Paratyroidea-hormon	H05AA03	Hypoparatyroidisme
Alle	Ketokonazol	J02AB02	Endogent Cushings syndrom
Alle	Isavukonazol	J02AC05	Invasiv aspergillose og mukormykose
Panzyga	Immunglobulin, normalt (humant)	J06BA02	Primær immun trombocytopeni (ITP),
Ofev	Nintedanib	L01XE31	Idiopatisk lungefibrose
Alle	Histamin-dihydroklorid	L03AX14	AML
Alle	Mifamurtid	L03AX15	Ikke-metastatisk osteosarkom
Alle	Eculizumab	L04AA25	Atypisk HUS, PNH, myastenia gravis
Alle	Canakinumab	L04AC08	Stills sykdom, etc
Alle	Siltuksimab	L04AC11	Multisentrisk Castleman sykdom
Alle	Pirfenidon	L04AX05	Idiopatisk lungefibrose
Alle	Pegloticase	M04AX02	Alvorlig kronisk refraktær urinsyregikt
Alle	Ataluren	M09AX03	Duchenne
Alle	Ziconotid	N02BG08	Intratekal ved kroniske smerter
Alle	Rufinamid	N03AF03	Epileptiske anfall forbundet med Lennox-Gastaut syndrom
Alle	Stiripentol	N03AX17	Tilleggsbehandling ved alvorlig myoklonisk epilepsi i tidlig barndom
Alle	Idebenon	N06BX13	Lebers hereditære optikusnevropati (LHON).
Alle	Amifampridinofosfat	N07XX05	Eaton-Lamberts syndrom
Alle	Pitolisant	N07XX11	Voksne med narkolepsi
Alle	Ivakaftor	R07AX02	Cystisk fibrose

Alle	Lumakaftor, Ivakaftor	R07AX30	Cystisk fibrose
Alle	Merkaptamin	S01XA21	Avleiringer av cystin i hornhinnen, cystinose
Alle	Cenegermin	S01XA24	Moderat eller alvorlig neurotrofisk keratitt
Alle	Deferasiroks	V03AC03	beta-talassemi major
Alle	Deksrazoksan- hydroklorid	V03AF02	Infusjon ekstravasasjon av antracyclin