

## Doenças raras com remédios autorizados pela Anvisa

A lista não é exaustiva. Levantamento fornecido em 7 de maio de 2019

Doença	Nome do Medicamento	Princípio Ativo
Leucemia Mieloide Crônica	Tasigna	Nilotinibe
Hipertensão Pulmonar Tromboembólica Crônica (HPTEC)	Adempas	Riociguat
Mielofibrose	Jakavi	Fosfato de Ruxolitinibe
Doença de Cushing	Upelior	Diaspartato de Pasireotida
Leucemia linfocítica crônica/Linfoma linfocítico de pequenas células (LLC/LLPC)	Imbruvica	Ibrutinibe
Câncer de tireóide (Carcinoma diferenciado de tireóide localmente avançado ou metastático)	Lenvima	Mesilato de Lenvatinibe
Carcinoma de Células Renais (CCR) avançado de células claras	Inlyta	Axitinibe
Síndrome de Lennox-Gastaut	Inovelon	Rufinamida
Doença de Gaucher	Cerdelga	Hemitartarato de Eliglustate
Fibrose Pulmonar Idiopática (FPI)	Esbriet	Pirfenidona
Mieloma Múltiplo (recidivado ou refratário)	Kyprolis	Carfilzomibe
Amiloidose	Vyndaqel	Tafamidis Meglumina
Acromegalia	Signifor LP	Pamoato de Pasireotida
Câncer de Ovário (seroso de alto grau, recidivado, platino-sensível, com mutação no gene de susceptibilidade ao câncer de mama (BRCA))	Lynparza	Olaparibe
Mieloma Múltiplo (refratário/recidivado)	Revlimid	Lenalidomida
Síndrome Mielodisplásica	Revlimid	Lenalidomida
Adenocarcinoma de Pâncreas	Abraxane	Paclitaxel [Albumina]
Leucemia linfocítica crônica (LLC)	Venclexta	Venetoclax
Mieloma Múltiplo (em combinação com lenalidomida e dexametasona)	Ninlaro	Citrato de Ixazomibe
Câncer de Mama (avançado ou metastático receptor hormonal (HR)-positivo, receptor 2 do fator de crescimento epidérmico humano (HER2)-negativo)	Ibrance	Palbociclibe
Atrofia Muscular Espinhal	Spinraza	Nusinersena
Fibrose Cística (em pacientes homocigotos para a mutação F508del no gene regulador de condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR))	Orkambi	Lumacaftor / ivacaftor
Fibrose Cística (associada a uma das seguintes mutações de gating (classe III) no gene regulador da condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R e mutação R117H (que possui defeitos de gating e condutância))	Kalydeco	Ivacaftor
Câncer de Próstata (com falha na terapia de privação de androgênios)	Erleada	Apalutamida
Carcinoma de Células Renais	Cabometyx	Levomolato de Cabozantinibe
Linfoma de células do manto	Calquence	Acalabrutinibe
Distrofia Muscular de Duchenne	Translarna	Ataluren
Hemoglobinúria paroxística noturna (HPN)	Soliris	Eculizumabe
Síndrome hemolítica urêmica atípica (SHUa)	Soliris	Eculizumabe