

Danh mục 1.1
Danh mục thuốc điều trị bệnh hiếm - bổ sung

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
I. Danh mục thuốc điều trị bệnh hiếm quy định tại Thông tư số 26/2019/TT-BYT				
1	Bleomycin sulfat	Tiêm: Các dạng	Điều trị tràn dịch màng phổi ác tính.	
2	Cabozantinib	Uống: Các dạng	Điều trị ung thư gan Carcinoma	
3	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.	
4	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);	
5	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	
6	Methotrexat	Tiêm: Các dạng; Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh alkaptonuria. - Điều trị bệnh bạch cầu dòng Lympho bào.	
7	Vincristin	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu tạo lympho cấp.	
8	Recombinant human glucagon-like peptide	Tiêm: Các dạng	Điều trị hội chứng ruột ngắn (Short Bowel Syndrome)	
9	Acetylcystein	Tiêm: Dung dịch tiêm	Điều trị quá liều Acetaminophen từ trung bình đến nặng	
10	Agalsidase alfa	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh Fabry	
11	Agalsidase beta	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh Fabry	
12	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.	
13	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.	
14	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	
15	Amiodaron	Tiêm: Các dạng	Điều trị cấp tính và điều trị dự phòng nhịp nhanh thất hoặc rung thất đe dọa tính mạng.	
16	Anagrelid	Uống: Viên 0,5mg	Điều trị tăng tiểu cầu tiên phát	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
17	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 lập 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.	
18	Arsenic trioxid	Tiêm: Dung dịch tiêm, lọ 10mg/10ml	Điều trị bệnh bạch cầu tiền tủy bào cấp tính	
19	Artem ether	Tiêm: Các dạng	Để điều trị nhiễm trùng do P.falciparum hoặc nhiễm trùng hỗn hợp bao gồm P. falciparum	
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	Betamethason	Uống: Dung dịch uống nhỏ giọt; Tiêm: Các dạng	Điều trị chứng thất điều-giãn mạch	
26	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	
27	Blinatumomab	Tiêm: Các dạng	Điều trị Lơ xê mi cấp dòng lympho.	
28	Bosutinib	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh Lơ xê mi kinh dòng tủy	
29	Busulfan	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	Liệu pháp chuẩn bị trong điều trị khối u ác tính kèm theo cấy ghép tủy xương.	
30	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).	
31	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.	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
32	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.	
33	Cafein citrat	Tiêm: Các dạng	Điều trị ngắn hạn chứng ngừng thở ở trẻ sinh non tuần từ 28 đến 33	
34	Canakinumab	Tiêm: Các dạng	Điều trị hội chứng thường kỳ liên quan đến yếu tố receptor khối u hoại tử	
35	Caplacizumab	Tiêm: Các dạng	Điều trị ban xuất huyết giảm tiểu cầu.	
36	Carfilzomib	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh đa u tủy	
37	Carglumic acid	Uống: 200 mg	Điều trị thiếu hụt N-acetylglutamate synthetase	
38	Celiprolol	Uống: các dạng	Điều trị hội chứng Ehlers-Danlos	
39	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.	
40	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	
41	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	
42	Cladribin	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh bạch cầu tế bào lông	
43	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.	
44	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	
45	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 xa tri	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
46	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 Fc 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 tiêu cầu (Glanzmann) có kháng thể kháng tiêu cầu.	
47	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.	
48	Copanlisib	Bột đông khô pha dung dịch truyền tĩnh mạch	Điều trị u lympho dạng nang	
49	Corticoreslin	Tiêm: Các dạng	Chẩn đoán Hormon dưới đồi	
50	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.	
51	Cytarabin	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh bạch cầu tủy sống cấp tính	
52	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.	
53	Dantrolen	Tiêm: Các dạng	Hội chứng sốt cao ác tính (malignant hyperthermia syndrome)	
54	Deferipron	Uống: Các dạng	Điều trị quá tải sắt cho người bệnh rối loạn chuyển hóa hemoglobin cần truyền máu nhiều lần	
55	Desmopressin	Dung dịch phun mũi; Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh ưa chảy máu A (Hemophilia A) nhẹ và bệnh Von Willebrand.	
56	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.	
57	Dexrazoxan	Tiêm: Các dạng	Phòng ngừa bệnh cơ tim có liên quan đến việc dùng doxorubicin. Điều trị thải trừ anthracycline trong hóa trị.	
58	Diazoxid	Uống: Các dạng	Điều trị hội chứng Prader Willi	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
59	Difluprednat	Nhỏ mắt: Các dạng	Điều trị viêm màng mạch nhỏ toàn bộ hoặc một phần bên trong và phía trước do chấn thương	
60	Duvelisib	Uống: Các dạng	Điều trị lơ xê mi kinh dòng lympho và u lympho tế bào nhỏ. Điều trị u lympho thể nang.	
61	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.	
62	Edaravon	Truyền tĩnh mạch	Điều trị bệnh xơ cứng teo cơ một bên (ALS)	
63	Efavirenz	Uống: Viên nang 50mg, 200mg; Viên nén 600mg	Điều trị nhiễm HIV-1 ở trẻ em và thanh thiếu niên trên 3 tuổi.	
64	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.	
65	Elotuzumab	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh đa u tủy.	
66	Elotuzumab	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh đa u tủy.	
67	Eltrombopag	Uống: Các dạng	Điều trị thiếu máu bất sản. Điều trị xuất huyết giảm tiểu cầu tự phát.	
68	Emicizumab	Tiêm dưới da	Điều trị bệnh Hemophilia A có hoặc không có chất ức chế.	
69	Erwinia L-asparaginase	Tiêm: Các dạng	Điều trị u lympho ác tính	
70	Estradiol	Hệ điều trị qua da: miếng dán chứa thuốc	Phác đồ thay thế estrogen trên phụ nữ có hội chứng Turner	
71	Everolimus	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh xơ cứng củ (TSC) bao gồm u sao bào tế bào khổng lồ dưới màng ống 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.	
72	Fitusiran	Tiêm: Các dạng	Điều trị trên bệnh nhân hemophilia A hoặc B trung bình đến nặng, có hoặc không có chất ức chế	
73	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	
74	Fosfomycin trometamol	Uống: Cốm pha dung dịch uống	Điều trị nhiễm trùng phổi liên quan đến xơ nang	
75	Fostamatinib	Uống: Các dạng	Điều trị ban xuất huyết giảm tiểu cầu miễn dịch.	
76	Gilteritinib	Uống: Các dạng	Điều trị Lơ xê mi cấp dòng tủy	
77	Glasdegib	Uống: Các dạng	Điều trị Lơ xê mi cấp dòng tủy Chum	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
78	Glatiramer	Tiêm: Bột pha dung dịch tiêm	Điều trị bệnh đa xơ cứng	
79	Glucarpidas	Tiêm: Các dạng	Trị nhiễm độc Methotrexate	
80	Glycerol phenylbutyrat	Uống: Các dạng	Điều trị duy trì bệnh nhân thiếu hụt enzym trong chu kỳ urê	
81	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	
82	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).	
83	Hydroxycarbamid	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh tế bào hình liềm trên bệnh nhân dưới 18 tuổi.	
84	Hydroxycloquin	Uống: Các dạng	Điều trị hội chứng kháng phospholipid.	
85	Ibuprofen lysin	Tiêm: Các dạng	Phòng ngừa và điều trị bệnh cơn óng động mạch	
86	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.	
87	Idarubicin	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh bạch cầu cấp dòng tủy, tham khảo bệnh bạch cầu không tăng lympho bào cấp tính.	
88	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.	
89	Idelalisib	Tiêm: Các dạng	Điều trị u lympho thể nang; Điều trị Lơ xê mi kinh dòng lympho và u lympho tế bào nhỏ.	
90	Idursulfase	Tiêm: Các dạng	Phác đồ thay thế enzym lâu dài cho bệnh mucopolysaccharid (Hội chứng Hunter)	
91	Imiglucerase	Tiêm: Các dạng	Liệu pháp thay thế ở những bệnh nhân mắc bệnh Gaucher type I và III.	
92	Immune globulin infusion	Tiêm: dung dịch tiêm	Điều trị bệnh dây thần kinh vận động đa ổ (Multifocal Motor Neuropathy - MMN)	
93	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	
94	Indinavir sulfat	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	Điều trị nhiễm HIV-1 ở trẻ em và thanh thiếu niên trên 3 tuổi.	
95	Interferon beta-1a	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh đa xơ cứng	
96	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.	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
97	Isavuconazonium sulfat	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	Điều trị nhiễm nấm Mucormycosis. Điều trị nhiễm nấm Aspergillosis xâm lấn.	
98	Ivosidenib	Uống: Các dạng	Điều trị Lo xê mi cấp dòng tủy.	
99	Ixazomib	Uống: Các dạng	Điều trị đa u tủy xương.	
100	Ketamin	Tiêm: Các dạng	Điều trị đau dây thần kinh sau zona.	
101	Lanadelumab	Tiêm, truyền dưới da Dạng dùng: dung dịch tiêm truyền	Để 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.	
102	Lanreotid	Tiêm: Các dạng	Bệnh to cục 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.	
103	Laronidase	Tiêm: Các dạng	Được chỉ định cho bệnh nhân có bệnh tích tụ mucopolysaccharide tít 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.	
104	Larotrectinib	Uống: Các dạng	Điều trị khối u rắn bằng protein tổng hợp NTRK	
105	Lauro macrogol 400 (Polidocanol, Aetoxisclerol)	Tiêm: Dung dịch tiêm	Điều trị dị dạng tĩnh mạch bẩm sinh	
106	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)	
107	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.	
108	Medroxyprogesteron	Uống: Các dạng	- Điều trị ban xuất huyết giảm tiểu cầu miễn dịch.	
109	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.	
110	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 da tế bào trong điều trị ghép da với ký chủ.	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
111	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 võng mạc. - Để sử dụng trong tưới máu chi 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 nlasma	
112	Mercaptopurin	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu nguyên bào lympho cấp tính ở bệnh nhân nhi	
113	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.	
114	Mexiletin	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	- Điều trị chứng loạn dưỡng cơ vô niệu	
115	Midazolam	Dung dịch uống	- Điều trị cơn co giật cấp kéo dài ở trẻ nhũ nhi, trẻ lớn và vị thành niên (từ 3 tháng đến < 18 tuổi).	
116	Midostaurin	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu tủy sống cấp tính. - Điều trị bệnh tế bào Mast.	
117	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).	
118	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).	
119	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.	
120	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).	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
121	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.	
122	Nilotinib	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu tủy xương mãn tính	
123	Nimodipin	Uống: Các dạng; Tiêm: Các dạng	- Điều trị xuất huyết dưới màng nhện	
124	Nintedanib	Uống: Các dạng	- Điều trị xơ hóa phổi tự phát (xơ phổi vô căn)	
125	Nitric oxide	Khí thở	- Điều trị tăng huyết áp phổi dai dẳng ở trẻ sơ sinh	
126	Obinutuzumab	Tiêm: Các dạng	- Điều trị u lympho thể nang. - Điều trị Lơ xê mi kinh dòng lympho.	
127	Ofatumumab	Tiêm: Các dạng	- Điều trị Lơ xê mi kinh dòng lympho.	
128	Omacetaxin mepesuccinat	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh Lơ xê mi kinh dòng tủy	
129	Panobinostat	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh đa u tủy.	
130	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.	
131	Pasireotide	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh to cực. - Điều trị bệnh Cushing.	
132	Pazopanib	Uống: Các dạng	- Điều trị ung thư buồng trứng. - Điều trị ung thư mô mềm.	
133	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.	
134	Pegaspargase	Tiêm: Các dạng	- Điều trị ung thư dòng bạch cầu lympho cấp tính	
135	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.	
136	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.	
137	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).	
138	Praziquantel	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh sán máng.	
139	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.	
140	Procarbazin	Uống: Các dạng	- Điều trị u thần kinh đệm ác tính.	
141	Propranolol	Tiêm: Dung dịch tiêm	- Điều trị tăng huyết khối ở trẻ sơ sinh cần điều trị toàn thân.	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
142	Prostaglandin E1	Tiêm: Các dạng	- Điều trị hội chứng tắc mạch chi nặng mãn tính giai đoạn IV Fontaine.	
143	Protein C concentrate	Tiêm: Các dạng	- Chỉ định cho bệnh nhân bị bệnh thiếu Protein C bẩm sinh nặng để phòng và điều trị con tối cấp xuất huyết dưới da và huyết khối tĩnh mạch. Chỉ định như liệu pháp thay thế cho bệnh nhân nhi và người lớn.	
144	Prothrombin complex concentrate (human)	Tiêm: Các dạng	- Thuốc đối kháng Vitamin K để điều trị chảy máu lớn và dự phòng phẫu thuật.	
145	Quinin	Tiêm: Dung dịch tiêm; Uống: đơn thành phần hoặc phối hợp với Thiamin	- Điều trị sốt rét.	
146	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).	
147	Ravulizumab-cwvz	Tiêm: Các dạng	- Điều trị đái huyết sắc tố kịch phát ban đêm.	
148	Recombinant von Willebrand factor (rhVWF)	Tiêm: Các dạng	- Điều trị theo nhu cầu và kiểm soát các cơn cấp chảy máu ở bệnh nhân người lớn mắc bệnh von Willebrand.	
149	Retinol	Thuốc mắt: Thuốc mỡ tra mắt	- Phòng ngừa loạn sản phế quản phổi. - Phòng ngừa bệnh võng mạc do sinh non.	
150	Rifaximin	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh não do gan.	
151	Romidepsin	Tiêm: Các dạng	- Điều trị u lympho không Hodgkin tế bào T.	
152	Romiplostim	Tiêm: Các dạng	- Điều trị ban xuất huyết giảm tiểu cầu miễn dịch.	
153	Rovalpituzumab Tesirine	Tiêm: Các dạng	- Điều trị ung thư phổi tế bào nhỏ.	
154	Rucaparib	Uống: Các dạng	- Điều trị ung thư buồng trứng.	
155	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.	
156	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).	
157	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.	
158	Siltuximab	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh Castleman.	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
159	Sodium benzoat	Tiêm: Các dạng	- Điều trị chứng tiểu 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.	
160	Sodium phenylacetat	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh não do gan độ III và IV.	
161	Somatropin	Tiêm: Bột đông khô pha dung dịch tiêm	- Điều trị chứng thấp lùn do hội chứng Turner. - Điều trị thiếu hụt học-môn tăng trưởng ở người lớn. - Điều trị thiếu hụt học-môn 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 học-môn 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-will.	
162	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.	
163	Succimer	Tiêm: Các dạng	- Điều trị ngộ độc chì ở trẻ em.	
164	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.	
165	Talc	Bột vô trùng	- Điều trị tràn khí màng phổi. - Điều trị sự chảy dịch màng phổi ác tính.	
166	Temsirolimis	Tiêm: Các dạng	- Điều trị u lympho tế bào lớp phủ.	
167	Thalidomid	Uống: Viên nang cứng	- Điều trị bệnh đa u tủy. - Điều trị hồng ban nút phong (erythema nodosum leprosum).	
168	Thiotepa	Tiêm: Các dạng	- Điều trị có điều kiện trước khi ghép tế bào gốc tạo máu.	
169	Tiaprid	Tiêm: Dung dịch tiêm	- Điều trị hội chứng Tourette.	
170	Tisagenlecleucel-T	Tiêm: Các dạng	- Điều trị u lympho tế bào B lớn lan tỏa.	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
171	Tobramycin	Bột hít	- Điều trị bệnh nhân giãn phế quản nhiễm Pseudomonas aeruginosa.	
172	Tocilizumab	Tiêm: Các dạng	- Viêm động mạch tế bào khổng lồ (GCA).	
173	Trametinib	Uống: Các dạng	- Điều trị ung thư hắc tố giai đoạn I Ib tới giai đoạn IV.	
174	Trametinib + Dabrafenib	Uống: Các dạng	- Điều trị ung thư hắc tố giai đoạn I Ib tới giai đoạn IV.	
175	Tretinoin (All-Trans Retinoic Acid)	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu promyelocytic.	
176	Triclabendazol	Uống: Các dạng	- Điều trị sán lá gan.	
177	Trientin	Tiêm: Các dạng; Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh nhân mắc bệnh Wilson.	
178	Velaglucerase alfa	Tiêm: Các dạng	- Điều trị bệnh Gaucher tuýp 1 và 3.	
179	Venetoclax	Uống: Các dạng	- Điều trị bệnh bạch cầu mạn dòng lympho (CLL). - Điều trị bệnh bạch cầu cấp dòng tủy.	
180	Vigabatrin	Uống: các dạng	- Điều trị co thắt ở trẻ sơ sinh.	
181	Vorinostat	Bột đông khô pha tiêm	- Điều trị ung thư hạch không Hodgkin của tế bào T. - U lympho tế bào T ở da.	
182	Xanh methylen (Methylen Blue)	Tiêm: Dung dịch tiêm ống	- Điều trị thiếu máu methemoglobin mắc phải và do di truyền.	
183	Zidovudin	Uống: Các dạng; Tiêm: Dung dịch tiêm	- Điều trị AIDS.	

II. Danh mục thuốc điều trị bệnh hiếm quy định tại Thông tư số 26/2019/TT-BYT đề xuất loại bỏ

1	Acalabrutinib	Uống: Các dạng	Điều trị bệnh u lympho tế bào vỏ	Loại bỏ
2	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.	Loại bỏ
3	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.	Loại bỏ
4	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.	Loại bỏ
5	Antihemophilic factor (recombinant), porcine sequence	Tiêm: Các dạng	Chỉ định cho con cấp chảy máu của bệnh nhân người lớn bị bệnh hemophilia A mắc phải.	Loại bỏ

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
6	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.	Loại bỏ
7	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	Loại bỏ
8	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)	Loại bỏ
9	Brentuximab Vedotin	Tiêm: Các dạng	Chỉ định điều trị cho bệnh nhân trưởng thành bị u lym phô 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 lym phô 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 lym phô bào tế bào T da (CTCL) sau ít nhất 1 lần điều trị toàn thân	Loại bỏ
10	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).	Loại bỏ
11	Ceritinib	Tiêm: Các dạng	Điều trị ung thư phổi không tế bào nhỏ (NSCLC) mà anaplastic lymphoma kinase (ALK) dương tính	Loại bỏ
12	Coagulation factor X (human)	Tiêm: Các dạng	Điều trị thiếu yếu tố X bẩm sinh.	Loại bỏ
13	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	Loại bỏ

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
14	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.	Loại bỏ
15	Damoctocog alfa pegol	Tiêm: Các dạng	Điều trị bệnh ưa chảy máu A	Loại bỏ
16	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.	Loại bỏ
17	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.	Loại bỏ
18	Fibrinogen (Đơn thành phần hoặc phối hợp)	Tiêm: Bột pha dung dịch tiêm	Điều trị trên bệnh nhân thiếu fibrinogen	Loại bỏ
19	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 nội dạ dày thực.	Loại bỏ
20	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	Loại Bỏ
21	Lenalidomid	Uống: Các dạng	Điều trị hội chứng rối loạn sinh tủy. Điều trị u lympho tế bào vò.	Loại bỏ
22	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.	Loại bỏ

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
23	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.	Loại bỏ
24	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.	Loại Bỏ
25	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 liên trước đó	Loại bỏ
26	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.	Loại bỏ
27	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).	Loại bỏ
28	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.	Loại bỏ
29	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.	loại bỏ
30	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.	loại bỏ
31	Vincristin sulfat Liposome	Tiêm: Các dạng	- Điều trị Lơ xê mi cấp lympho bào.	Loại bỏ
III. Danh mục thuốc điều trị bệnh hiếm đề xuất bổ sung				

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
1	Acalabrutinib	Uống: Viên nén bao phim	Treatment of chronic lymphocytic leukemia (CLL): điều trị bệnh bạch cầu mạn dòng lympho	Đã có trong Danh mục thuốc hiếm tại Thông tư 26/2019/TT-BYT (STT 2), đồng ý bổ sung chỉ định như đề xuất (điều trị bệnh bạch cầu mạn dòng lympho).
2	Aflibercept	Tiêm: Dung dịch tiêm	Điều trị bệnh võng mạc trẻ đẻ non (ROP)	
3	Asciminib	Uống: Viên nén bao phim	Điều trị bệnh bạch cầu mạn dòng tủy.	
4	Asfotase alfa	Tiêm: Dung dịch tiêm	- Treatment of hypophosphatasia: Điều trị bệnh giảm phosphatase máu	
5	Atrasentan	Uống: Viên nén	Chỉ định giảm protein niệu ở người lớn mắc bệnh thận Immunoglobulin A (IgA) nguyên phát có nguy cơ tiến triển bệnh nhanh, thường có tỷ lệ protein/creatinine nước tiểu (UPCR) $\geq 1,5$ g/g	
6	Avalglucosidase alfa	Tiêm: Thuốc bột pha tiêm	Điều trị thay thế enzyme dài hạn cho bệnh nhân mắc bệnh Pompe (thiếu hụt enzyme acid α -glucosidase)	
7	Benralizumab	Tiêm: Dung dịch tiêm	- Treatment of eosinophilic granulomatosis with polyangiitis: Điều trị u hạt bạch cầu ái toan kèm theo viêm đa mạch	
8	Botulism antitoxin heptavalent (A, B, C, D, E, F, G)		Ngộ độc botulinum; truyền IV 1 lọ duy nhất trong 30 phút đến 2 giờ tùy dung nạp	Sửa đổi tên thuốc theo FDA: Botulism antitoxin heptavalent (A, B, C, D, E, F, G)
9	Corticotropin ovine triflutate	Tiêm: Bột pha dung dịch tiêm	Chẩn đoán phân biệt u tuyến yên tiết ACTH với u tiết ACTH lạc chỗ	
10	Danicopan	Uống: Viên nén bao phim	- Treatment of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: Điều trị tiểu huyết sắc tố kịch phát về đêm	
11	Deferasirox	Uống: Viên nén	· Điều trị quá tải sắt cho bệnh nhân truyền nhiều chế phẩm máu như thalassemia	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
12	Delandistrogene moxeparvovec-rokl	Tiêm: Dung dịch đậm đặc để pha loãng và truyền tĩnh mạch	Chỉ định điều trị trong bệnh loạn dưỡng cơ Duchenne, còn khả năng đi lại.	Sửa đổi chỉ định theo FDA: điều trị bệnh loạn dưỡng cơ Duchenne (DMD)
13	Durvalumab	Tiêm: Dung dịch để pha tiêm truyền tĩnh mạch	- Treatment of biliary tract cancer: Điều trị ung thư đường mật - Treatment of small cell lung cancer: Điều trị ung thư phổi tế bào nhỏ - Treatment of hepatocellular carcinoma: Điều trị ung thư biểu mô tế bào gan	Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị ung thư đường mật tiên tiến tại chỗ hoặc di căn. Điều trị ung thư phổi tế bào nhỏ. Điều trị ung thư biểu mô tế bào gan không thể phẫu thuật cắt bỏ.
14	Eculizumab	Tiêm: Dung dịch đậm đặc để pha tiêm truyền	Hội chứng huyết tan tăng ure huyết không điển hình (aHUS)	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị chứng tiểu huyết sắc tố kịch phát về đêm; Điều trị viêm tủy thị thần kinh; Điều trị bệnh nhược cơ; chỉ định theo EMA: Điều trị hội chứng tan máu tăng urê không điển hình (aHUS); Điều trị các rối loạn phổ viêm tủy thị thần kinh.
15	Elosulfase alfa	Tiêm: Dung dịch tiêm truyền	Chỉ định: Dùng cho bệnh nhân bị MPS IVA.	Sửa đổi chỉ định theo FDA: điều trị cho bệnh nhân mắc Mucopolysaccharidos is typ IVA (hội chứng Morquio A)

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
16	Encorafenib	Uống: Viên nang cứng	<ul style="list-style-type: none"> - Điều trị ung thư hắc tố da có đột biến BRAF giai đoạn IIB-IV - Điều trị ung thư phổi không tế bào nhỏ có đột biến BRAF. - Phối hợp với binimetinib điều trị bệnh ung thư hắc tố da có đột biến BRAF giai đoạn IIB-IV 	Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị ung thư phổi không phải tế bào nhỏ đột biến BRAF; phối hợp với binimetinib để điều trị ung thư hắc tố da di căn hoặc không thể phẫu thuật, có đột biến gen BRAF V600E hoặc V600K. (FDA chỉ định thuốc hiếm Điều trị ung thư hắc tố giai đoạn IIB-IV dương tính với đột biến BRAF vào ngày 19/11/2013, tuy nhiên đã rút ra khỏi danh mục thuốc hiếm vào ngày 06/07/2022)
17	Eplontersen	Tiêm: Dung dịch tiêm	- Treatment of transthyretin-mediated amyloidosis: Điều trị bệnh thoái hóa dạng bột qua trung gian transthyretin	
18	Galsulfase	Tiêm: Dung dịch tiêm truyền tĩnh mạch	Dùng cho bệnh nhân mắc Mucopolysaccharidosis type VI,	
19	Glofitamab	Tiêm: Dung dịch đậm đặc để pha dung dịch tiêm truyền	Điều trị u lympho tế bào Mantle	
20	Glycerol phenylbutyrate	Uống: Dung dịch uống	Điều trị cho bệnh nhân rối loạn chuyển hóa chu trình ure (thiếu các enzyme OTC, CPS1, ASS1, ASL, ARG1, NAGS, ORNT1, CITRIN), nhằm ngăn ngừa tăng ammoniac máu	Sửa đổi chỉ định theo FDA: điều trị duy trì rối loạn chu trình ure

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
21	Ivosidenib	Uống: Viên nén bao phim	<ul style="list-style-type: none"> Tibsovo kết hợp với azacitidine được chỉ định để điều trị cho bệnh nhân trưởng thành mới được chẩn đoán mắc bệnh bạch cầu cấp dòng tủy (AML) với đột biến isocitrate dehydrogenase-1 (IDH1) R132, những người không đủ điều kiện để nhận hóa trị liệu chuẩn. Tibsovo đơn trị liệu được chỉ định để điều trị cho bệnh nhân trưởng thành mắc ung thư đường mật tiến triển tại chỗ hoặc di căn với đột biến IDH1 R132, những người đã được điều trị bằng ít nhất một liệu pháp hệ thống trước đó." 	Sửa đổi chỉ định theo FDA, EMA: Điều trị bệnh bạch cầu tủy cấp (Acute Myeloid Leukaemia – AML)
22	Maribavir	Uống: viên nén bao phim	<p>Phòng ngừa bệnh do cytomegalovirus (CMV) trên những bệnh nhân suy giảm miễn dịch qua trung gian tế bào được xem là có nguy cơ</p> <p>Điều trị bệnh do Cytomegalovirus trên những bệnh nhân suy giảm miễn dịch qua trung gian tế bào</p> <p>Điều trị triệu chứng lâm sàng trên những bệnh nhân nhiễm cytomegalovirus và những bệnh nhân có nguy cơ cao</p> <p>Dự phòng lây nhiễm cytomegalovirus trên nhóm dân số có nguy cơ cao</p>	Sửa đổi chỉ định theo FDA: điều trị bệnh do cytomegalovirus (CMV)
23	Mirdametinib	Uống: Viên nén, viên nang	Điều trị cho bệnh nhân người lớn và trẻ em bị u sợi thần kinh loại 1 (NF1) hay còn gọi là u sợi thần kinh ngoại biên hiếm gặp	Sửa đổi chỉ định theo FDA: điều trị u sợi thần kinh type 1 (NF1)
24	Mosunetuzumab	Tiêm: Dung dịch đậm đặc để pha dung dịch tiêm truyền, Dung dịch tiêm	Điều trị u lympho thể nang	
25	Nirogacestat	Uống: Viên nén	Điều trị cho bệnh nhân người lớn có khối u desmoid tiến triển cần điều trị toàn thân (u desmoid còn gọi là u tăng sinh xơ tiến triển)	
26	Nitisinone	Uống: Viên nang, dung dịch uống	Chỉ định cho trẻ sơ sinh, trẻ em và người lớn mắc bệnh Tyrosinemia típ 1	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
27	Nusinersen	Tiêm: Dung dịch tiêm	Chỉ định điều trị cho người bệnh teo cơ tủy (type 1, 2, 3, 4) và mọi độ tuổi (trẻ sơ sinh, trẻ em, người lớn).	
28	Olaparib	Uống: Viên nén bao phim	- Treatment of pancreatic cancer: Điều trị ung thư tuyến tụy	
29	Olipudase alfa	Tiêm: Bột pha tiêm	Xenozyme được chỉ định sử dụng như một liệu pháp thay thế enzyme để điều trị các biểu hiện ngoài hệ thần kinh trung ương (CNS) của bệnh thiếu hụt enzyme acid sphingomyelinase (ASMD) ở trẻ em và người lớn mắc ASMD type A/B hoặc type B.	Sửa đổi chỉ định theo FDA, MHRA: Điều trị bệnh thiếu hụt sphingomyelinase axit (bệnh Niemann-Pick); điều trị các biểu hiện không liên quan đến hệ thần kinh trung ương (CNS) của tình trạng thiếu hụt acid sphingomyelinase ở bệnh nhân nhi và người lớn mắc bệnh tiểu đường loại A/B hoặc loại B
30	Onasemnogene abeparvovec	Tiêm: Dung dịch tiêm truyền tĩnh mạch	Onasemnogene abeparvovec là liệu pháp gen dựa vào vector vi rút liên quan adeno vi-rút chỉ định cho bệnh nhi dưới 2 tuổi mắc bệnh Teo cơ tủy sống (SMA) có đột biến cặp alen trên gen noron vận động sống còn 1 (SMN1).	Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị teo cơ tủy sống.
31	Pegvisomant	Tiêm: Thuốc bột pha tiêm	Điều trị bệnh to đầu chi	
32	Polatuzumab Vedotin	Tiêm: Thuốc bột pha tiêm	Điều trị u lympho tế bào B lớn lan tỏa (DLBCL)	
33	Quizartinib	Uống: Viên nén bao phim	Điều trị bệnh bạch cầu cấp dòng tủy (AML)	
34	Ravulizumab	Tiêm: Dung dịch đậm đặc để pha tiêm truyền	- Treatment of myasthenia gravis: Điều trị bệnh nhược cơ toàn thân - Treatment of atypical hemolytic uremic syndrome (aHUS): Điều trị hội chứng tán huyết tăng urê huyết không điển hình - Treatment of neuromyelitis optica: Điều trị rối loạn phổ viêm tủy thị thần kinh	Sửa đổi chỉ định theo FDA, EMA: - Điều trị nhược cơ toàn thân; Điều trị phổ viêm tủy thị thần kinh; Điều trị hội chứng tăng ure huyết tán huyết không điển hình,

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
35	Recombinant human ADAMTS-13	Tiêm: Thuốc bột pha tiêm	Điều trị bệnh hồng cầu hình liềm Điều trị ban xuất huyết giảm huyết khối tiểu cầu	Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị bệnh xuất huyết giảm tiểu cầu huyết khối bao gồm các dạng bẩm sinh, mắc phải tự phát và thứ phát
36	Regorafenib	Uống: Viên nén bao phim	1. Stivarga được chỉ định để điều trị cho các bệnh nhân có khối u mô đệm đường tiêu hóa (gastrointestinal stromal tumors - GIST) không còn khả năng phẫu thuật hoặc di căn có tiến triển hoặc không dung nạp với phác đồ điều trị trước đó với imatinib và sunitinib. 2. Stivarga được chỉ định để điều trị cho bệnh nhân bị ung thư biểu mô tế bào gan (hepatocellular carcinoma - HCC) đã được điều trị trước đó bằng sorafenib	Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị ung thư biểu mô tế bào gan; Điều trị khối u mô đệm đường tiêu hóa,
37	Revumenib	Uống: Viên nén	- Điều trị bệnh bạch cầu cấp dòng tủy - Điều trị bệnh bạch cầu cấp dòng không rõ nguồn gốc.	Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị bệnh bạch cầu tủy cấp tính; điều trị bệnh bạch cầu cấp tính có dòng đôi không rõ ràng; điều trị bệnh bạch cầu lymphocytic cấp tính
38	Sapropterin dihydrochloride	Uống: Viên nén, thuốc bột	Điều trị cho cả người lớn và trẻ ≥ 1 tháng tuổi mắc bệnh PKU nhạy cảm với BH4	Sửa đổi chỉ định theo FDA: điều trị tăng phenylalanin máu (do phenylketon niệu có đáp ứng với tetrahydrobiopterin)
39	Satralizumab	Tiêm: Dung dịch tiêm	Điều trị bệnh viêm tủy thị thần kinh và rối loạn phổ viêm tủy thị thần kinh.	
40	Sebelipase alfa	Tiêm: Dung dịch đậm đặc để pha tiêm truyền	- Treatment of lysosomal acid lipase deficiency: Điều trị thiếu hụt enzyme lysosomal acid lipase	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
41	Selumetinib	Uống: Viên nang cứng	- Treatment of Neurofibromatosis Type 1: Điều trị bệnh u xơ thần kinh loại 1 (NF1)	
42	Sodium phenylacetate + sodium benzoate	Tiêm: Dung dịch tiêm	Điều trị cấp cứu tăng ammoniac ở UCD	Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị tình trạng tăng amoniac máu cấp tính và bệnh não liên quan ở những bệnh nhân thiếu hụt enzym chu trình urê.
43	Sodium phenylbutyrate	Uống: Viên nén	Điều trị duy trì dài hạn cho bệnh nhân rối loạn chuyển hóa chu trình ure (thiếu các enzyme OTC, CPS1, ASS1, ASL, ARG1, NAGS, ORNT1, CITRIN), nhằm ngăn ngừa tăng ammoniac máu	
44	Sorafenib	Uống: Viên nén bao phim	1. Điều trị bệnh nhân ung thư tế bào biểu mô gan. 2. Điều trị bệnh nhân ung thư tế bào biểu mô thận tiến triển thất bại với phác đồ có interferon-alpha hoặc interleukin-2 hoặc được coi là không phù hợp với các phác đồ này 3. Điều trị bệnh nhân ung thư biểu mô tuyến giáp biệt hóa tiến triển tại chỗ hoặc di căn đã thất bại điều trị với iod phóng xạ.	Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị ung thư biểu mô tế bào thận, ung thư biểu mô tế bào gan; Điều trị ung thư tuyến giáp thể tủy, ung thư tuyến giáp thể tủy dạng anaplastic, và ung thư tuyến giáp thể nang hoặc thể nhú tái phát hoặc di căn; Điều trị ung thư tuyến giáp (DCT) tái phát tại chỗ hoặc di căn, tiến triển, biệt hóa, không đáp ứng với điều trị bằng iốt phóng xạ
45	Sotatercept	Tiêm: Bột pha dung dịch tiêm	Điều trị Tăng áp động mạch phổi ở bệnh nhân trưởng thành phân độ chức năng WHO (FC) II đến III	
46	Tabelecleucel	Tiêm: Hỗn dịch tiêm	Điều trị rối loạn tăng sinh lympho sau ghép tạng.	

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Ghi chú
47	Tepotinib	Uống: viên nén bao phim	Điều trị cho bệnh nhân trưởng thành bị ung thư phổi không tế bào nhỏ (UTPKTBN) di căn có đột biến bỏ đoạn của thụ thể tyrosine kinase MET exon 14 (METex14).	Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị ung thư phổi không phải tế bào nhỏ bằng đột biến gen MET
48	Teprotumumab	Tiêm: Thuốc bột pha tiêm	Điều trị biến chứng mắt mức độ nặng do bệnh cường giáp Basedow	
49	Trastuzumab deruxtecan	Tiêm: Thuốc đông khô pha tiêm	- Treatment of gastric cancer, including gastroesophageal junction cancer: Điều trị ung thư dạ dày, bao gồm miệng nối dạ dày-thực quản	
50	Tremelimumab	Tiêm: Dung dịch đậm đặc để pha tiêm truyền	- Treatment of hepatocellular carcinoma: Điều trị ung thư biểu mô tế bào gan	
51	Vosoritide	Tiêm: Thuốc đông khô pha tiêm	Chỉ định cho bệnh nhân Achondroplasia được xác định bằng xét nghiệm di truyền.	Sửa đổi chỉ định theo FDA: điều trị chứng loạn sản sụn (achondroplasia)
52	Zolbetuximab	Tiêm: Thuốc đông khô pha tiêm	VYLOY được phê duyệt phối hợp với hóa trị liệu có chứa fluoropyrimidine và platinum, được chỉ định để điều trị bước một cho bệnh nhân trưởng thành bị ung thư biểu mô tuyến dạ dày hoặc đoạn nối dạ dày-thực quản (GEJ) tiến triển tại chỗ không thể cắt bỏ hoặc di căn, có HER2 âm tính, và có khối u dương tính với Claudin (CLDN) 18.2	Sửa đổi chỉ định theo FDA: điều trị ung thư dạ dày