

Danh mục 1.2
Danh mục thuốc điều trị bệnh hiếm đề nghị xem xét

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
1	Adalimumab 40mg		Viêm khớp thiếu niên, viêm ruột, viêm màng bồ đào, viêm mạch hệ thống	Bệnh viện Nhi Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
2	Anakinra		· Viêm khớp thiếu niên hệ thống, HLH, Hội chứng tự viêm liên quan bất thường di truyền CAPS, DIRA, NOMID ...	Bệnh viện Nhi Trung ương, Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	1. Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị hội chứng chu kỳ liên quan đến cryopyrin; Điều trị thiếu hụt chất đối kháng thụ thể IL-1. (Các chỉ định còn lại không được EMA/FDA phê duyệt chỉ định hiếm). 2. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
3	Belumosudil		Bệnh ghép chống chủ mạn tính	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
4	Canakinumab		· Viêm khớp thiếu niên thể hệ thống, hội chứng tự viêm, HLH, MAS	Bệnh viện Nhi Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo thông tin FDA đã phê duyệt, cấp phép lưu hành. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
5	Crizanlizumab		Giảm tần suất các cơn đau do tắc mạch (VOC) ở bệnh hồng cầu hình liềm (Sickle Cell Disease)	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
6	Defibrotid		Điều trị hội chứng tắc tĩnh mạch gan (VOD/SOS) sau ghép	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
7	Dupilumab		· Viêm da cơ địa, hen phế quản nặng > 12 tuổi, viêm ruột tăng bạch cầu ái toan	Bệnh viện Nhi Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo EMA: Viêm da dị ứng, Bệnh hen suyễn, Viêm xoang mãn tính kèm polyp mũi (CRSwNP), Viêm thực quản ái toan (EoE), Bệnh phổi tắc nghẽn mãn tính (COPD); chỉ định theo FDA: điều trị viêm thực quản tăng bạch cầu ái toan. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
8	Elranatamab		Đa u tủy xương tái phát/kháng trị	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
9	Epcoritamab		DLBCL tái phát/kháng trị (≥ 2 dòng)	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: điều trị cho bệnh nhân trưởng thành bị u lympho tế bào B lớn lan tỏa (DLBCL) tái phát hoặc kháng trị. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
10	Etanercept		Viêm khớp thiếu niên, viêm ruột, viêm màng bồ đào, viêm mạch	Bệnh viện Nhi Trung ương, Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: điều trị bệnh viêm khớp dạng thấp thiếu niên; - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
11	Gemtuzumab ozogamicin		Bệnh bạch cầu cấp dòng tủy (AML)	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
12	Golimumab		· Viêm khớp tự phát thiếu niên. · Viêm khớp vảy nến; · Viêm cột sống khớp trục bao gồm cả viêm cột sống dính khớp (AS): Viêm loét đại tràng:	Bệnh viện Nhi Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị viêm loét đại tràng ở trẻ em; Điều trị viêm khớp tự phát ở trẻ em. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
13	Huyết thanh kháng virus viêm gan B		Ngăn ngừa nhiễm virus viêm gan B ở trẻ sơ sinh có mẹ mang virus viêm gan B	Bệnh viện Phụ sản Trung ương	- Sửa lại tên: “Huyết thanh kháng virus viêm gan B”; - Sửa đổi chỉ định theo FDA: Phòng ngừa viêm gan B tái phát sau ghép gan; - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
14	Linvoseltamab		Đa u tủy xương tái phát/kháng trị	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
15	Lumasiran		Điều trị tăng oxalate niệu tiên phát (PH1)	Bệnh viện Nhi Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo FDA, EMA: điều trị tăng oxalate niệu nguyên phát, tăng oxalate niệu nguyên phát typ 1. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
16	Luspatercept		Điều trị thiếu máu do Thalassemia	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
17	Macitentan		Tăng áp động mạch phổi	Công ty TNHH Johnson & Johnson (Việt Nam)	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
18	Macitentan + Tadalafil		Tăng áp động mạch phổi	Công ty TNHH Johnson & Johnson (Việt Nam)	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
19	Momelotinib		Điều trị xơ tủy (MF) có thiếu máu	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
20	Nelarabin		Điều trị U lympho T (T-ALL/T-LBL)	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: điều trị bệnh bạch cầu lympho cấp tính (ALL) và u lymphoblast (lymphoblastic lymphoma, LBL); điều trị bệnh bạch cầu lympho cấp tính tế bào T (T-ALL) và u lymphoblast tế bào T (T-LBL). - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
21	Nipocalimab		- Điều trị bệnh nhược cơ - Dự phòng bệnh giảm tiểu cầu miễn dịch ở thai nhi và trẻ sơ sinh (FNAIT) - Điều trị bệnh viêm đa rễ và dây thần kinh mất myelin mạn tính - Dự phòng bệnh tan máu ở thai nhi và trẻ sơ sinh - Điều trị bệnh thiếu máu tan máu tự miễn	Công ty TNHH Johnson & Johnson (Việt Nam)	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị bệnh nhược cơ. (Các chỉ định còn lại không được EMA/FDA phê duyệt chỉ định hiếm và/hoặc cấp phép lưu hành). - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
22	Olutasidenib		AML R/R đột biến IDH1	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo FDA, EMA: điều trị bệnh bạch cầu tủy cấp tính; điều trị cho bệnh nhân trưởng thành mắc bệnh bạch cầu tủy cấp tính tái phát hoặc kháng trị (AML) có đột biến isocitrate dehydrogenase-1 (IDH1). - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
23	Pacritinib		Xơ tủy với tiểu cầu $<50 \times 10^9/L$	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
24	Pirtobrutinib		MCL R/R; CLL/SLL R/R	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: Treatment of chronic lymphocytic leukemia/small lymphocytic lymphoma; Treatment of mantle cell lymphoma. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
25	Pomalidomid		Điều trị đa u tủy xương (MM-Multiple Myeloma)	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
26	Potassium Citrate		Điều trị tăng oxalate niệu, sỏi thận (do RTA, tăng acid uric...)	Bệnh viện Nhi Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị sỏi calci oxalat do giảm citrat niệu; Điều trị sỏi acid uric có hoặc không kèm sỏi calci. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
27	Riluzole		Điều trị người bệnh Xơ cột bên teo cơ	Trung tâm Thần kinh – Bệnh viện Bạch Mai	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
28	Risdiplam	Uống: Viên nén, thuốc bột	Điều trị teo cơ tủy sống	Văn phòng đại diện F.Hoffmann-La Roche Ltd tại Hà Nội, Bệnh viện Nhi Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
29	Rituximab		- Điều trị u lympho không Hodgkin (NHL) tế bào B - Điều trị bệnh bạch cầu mạn dòng lympho (CLL) - Điều trị bệnh Pemphigus thông thường	Văn phòng đại diện F.Hoffmann-La Roche Ltd tại Hà Nội, Bệnh viện Nhi Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo phê duyệt thuốc hiếm đã cấp phép lưu hành theo FDA, EMA. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
30	Secukinumab		· Viêm khớp thiếu niên, viêm khớp vẩy nến, viêm cột sống dính khớp, lupus, viêm màng bồ đào	Bệnh viện Nhi Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo EMA: Điều trị Bệnh vẩy nến mảng bám, Viêm tuyến mô hôi mù (HS), Viêm khớp vẩy nến, Viêm cột sống dính khớp trục (axSpA), Viêm cột sống trục không chụp X-quang (nr-axSpA), Viêm khớp tự phát ở trẻ em (JIA), Viêm khớp vẩy nến ở trẻ em (JPsA). - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
31	Selexipag		Tăng áp động mạch phổi	Công ty TNHH Johnson & Johnson (Việt Nam)	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
32	Talquetamab		Điều trị đa u tủy	Công ty TNHH Johnson & Johnson (Việt Nam), Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
33	Teclistamab		Điều trị đa u tủy	Công ty TNHH Johnson & Johnson (Việt Nam), Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
34	Tocilizumab		Viêm khớp tự phát thiếu niên, viêm màng bồ đào, tổn thương phổi kẽ, xơ cứng bì, hội chứng MAS	Bệnh viện Nhi Trung ương, Văn phòng đại diện F.Hoffmann-La Roche Ltd tại Hà Nội	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị xơ cứng hệ thống; Điều trị hội chứng giải phóng cytokine do tế bào T gây ra bởi thụ thể kháng nguyên khảm (CAR); Điều trị cho bệnh nhi (từ 16 tuổi trở xuống) bị viêm khớp tự phát thiếu niên thể đa khớp. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
35	Treosulfan		Điều kiện hoá trong Ghép tế bào gốc tạo máu	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị hỗ trợ trước khi ghép tế bào gốc tạo máu (HSCT) ở bệnh nhân mắc bệnh ác tính và lành tính ở người lớn và trẻ em. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
36	Upadacitinib		· Viêm khớp thiếu niên, vẩy nến, viêm da cơ địa nặng, loét đại tràng	Bệnh viện Nhi Trung ương	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị viêm khớp tự phát thiếu niên (JIA) ở trẻ em (từ 0 đến 16 tuổi) theo phân loại ILAR, ngoại trừ JIA toàn thân; điều trị viêm động mạch tế bào khổng lồ. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
37	Vestronidase alfa		Chỉ định điều trị Mucopolysaccharidosis típ VII (hội chứng Sly) ở người lớn và trẻ em. Dung dịch tiêm truyền 2 mg/mL, lọ 10mg/5ml	Bệnh viện Nhi Trung ương	Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
38	Zanubrutinib		· Điều trị bệnh nhân người lớn u lympho tế bào lớp vỏ (MCL) ở bệnh nhân đã được điều trị ít nhất một liệu pháp trước đó. · Điều trị bệnh nhân người lớn tăng globulin máu đại phân tử Waldenstrom (WM). · U lympho vùng rìa tái phát hoặc kháng trị (MZL) ở bệnh nhân đã được điều trị ít nhất một phác đồ dựa trên kháng thể kháng CD20. · Phối hợp để điều trị cho bệnh nhân trưởng thành mắc bệnh u lympho nang (FL). · Bệnh bạch cầu lympho mạn tính (CLL) hoặc u lympho lympho tế bào nhỏ (SLL).	Công ty TNHH Zuellig Pharma Pte., Ltd	- Sửa đổi chỉ định theo FDA: Điều trị bệnh bạch cầu lymphocytic mạn tính; Điều trị u lympho vùng rìa hạch (MZL); Điều trị u lympho nang; Điều trị bệnh tăng globulin máu đại phân tử Waldenstrom; Điều trị u lympho vùng rìa tái phát hoặc kháng trị (MZL); Điều trị u lympho tế bào áo khoác; Điều trị u lympho vùng rìa ngoài hạch của mô lympho liên quan đến niêm mạc (MALT). - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
39	Lutetium (177Lu) vipivotide tetraxetan, Tiêm truyền tĩnh mạch		Thuốc được cấp phép lưu hành bởi EMA (12/2022) và US-FDA (3/2022) với chỉ định Ung thư tuyến tiền liệt kháng cắt tinh hoàn di căn (mCRPC) tiến triển dựa trên bằng chứng lâm sàng hiện có của Lutetium (177Lu) vipivotide tetraxetan đã cho thấy lợi ích lâm sàng rõ rệt trong việc giảm tiến triển bệnh, kéo dài thời gian sống còn và cải thiện chất lượng cuộc sống trên bệnh nhân mCRPC.	Công ty TNHH Novartis Việt Nam	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiếm hoặc chưa được cấp phép lưu hành)
40	Abatacept		·	Bệnh viện Nhi Trung ương, Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. Không rõ chỉ định hiếm đề xuất. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
41	Aminosalicylic acid			Bệnh viện Phổi Trung ương	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. Không rõ chỉ định hiếm đề xuất. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
42	Baricitinib 1mg. 2mg. 4mg		· Viêm khớp dạng thấp	Bệnh viện Nhi Trung ương	Không được cấp chỉ định hiếm bởi cả EMA và FDA. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
43	Belimumab		Viêm thận Lupus	Bệnh viện Nhi Trung ương	Không được cấp chỉ định hiếm bởi cả EMA và FDA. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
44	Binimetinib 15mg		- Điều trị ung thư buồng trứng. - Điều trị ung thư hắc tố da giai đoạn IIB-IV. - Phối hợp với encorafenib điều trị ung thư hắc tố da có đột biến BRAF.	Công ty TNHH Pierre Fabre Việt Nam	FDA phê duyệt thuốc hiếm vào ngày 19/11/2013; tuy nhiên đã rút ra khỏi thuốc hiếm vào ngày 15/11/2022. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
45	Budesonid		Viêm ruột, Crohn, GVHD đường tiêu hoá	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. Không rõ chỉ định hiếm đề xuất. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
46	calaspargase pegol (INN, USAN)		- Điều trị ung thư dòng bạch cầu lympho cấp tính		Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. Không rõ chỉ định hiếm đề xuất. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
47	CAN-2409 (aglatimagene besadenovec)		- U thần kinh đệm - Điều trị ung thư tụy	Dr. Reddy's Laboratories Limited	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiếm hoặc chưa được cấp phép lưu hành) - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
48	Carmustine	Tiêm: Thuốc bột pha tiêm	Điều trị trong quá trình ghép tế bào gốc tạo máu	Dr. Reddy's Laboratories Limited, Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí đối với đề xuất chỉ định của thuốc hiếm. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiếm hoặc chưa được cấp phép lưu hành)

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
49	CAR-T cell therapy targeting BCMA (Tế bào lympho T mang thụ thể kháng nguyên nhân tạo nhắm đích trên BCMA)*		Đa u tủy xương tái phát/kháng trị	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
50	CAR-T cell therapy targeting CD19, CD22 (Tế bào lympho T mang thụ thể kháng nguyên nhân tạo nhắm đích CD19, CD22)*		B-ALL, B-NHL tái phát, kháng trị	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
51	Cosyntropin; 250 µg		Chẩn đoán và đánh giá dự trữ tuyến thượng thận trong suy thượng thận; xác định vị trí u thượng thận tiết aldosterol trong lấy máu thượng thận hai bên	Bệnh viện Chợ Rẫy	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiếm hoặc chưa được cấp phép lưu hành). Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
52	Cycloserin			Bệnh viện Phổi Trung ương	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí.
53	Deferoxamin 500 mg	Uống; Viên nén	Điều trị quá tải sắt cho bệnh nhân truyền nhiều chế phẩm máu như thalassemia	Bệnh viện Nhi Trung ương	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiếm hoặc chưa được cấp phép lưu hành)
54	Delamanid			Bệnh viện Phổi Trung ương	Không rõ chỉ định hiếm đề xuất. (tra cứu PMDA: Điều trị bệnh lao phổi kháng đa thuốc; EMA chỉ định thuốc hiếm trong điều trị lao). Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
55	Everolimus	Uống; các dạng	Bệnh ghép chống chủ mạn tính	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Đã có trong Danh mục thuốc hiếm tại Thông tư 26/2019/TT-BYT (STT 86). Chưa đồng ý bổ sung chỉ định như đề xuất do chỉ định chưa được phê duyệt (chưa đáp ứng tiêu chí). Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ
56	Liệu pháp gen cho Hemophilia A/B*	Tiêm truyền tế bào	Hemophilia A/B	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Tên hoạt chất chưa đúng theo phê duyệt của FDA; chỉ định phê duyệt tương ứng với mỗi hoạt chất khác nhau. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
57	Liệu pháp gen cho Sickle Cell Disease (SCD)	Tiêm truyền tế bào	Giảm VOC ở bệnh hồng cầu hình liềm	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Tên hoạt chất chưa đúng theo phê duyệt của FDA; chỉ định phê duyệt tương ứng với mỗi hoạt chất khác nhau. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
58	Liệu pháp gen cho β -thalassemia*	Tiêm truyền tế bào	β -thalassemia phụ thuộc truyền máu	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Tên hoạt chất chưa đúng theo phê duyệt của FDA (Treatment of β -thalassemia major and intermedia). Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
59	Mitoxantron		Điều trị Lơ xê mi cấp dòng lympho, dòng tủy	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	(1) EMA không thấy thông tin; (2) FDA chỉ định thuốc hiếm điều trị u lympho tế bào T ngoại vi ngày 20/09/2027; tuy nhiên, chưa được phê duyệt cho chỉ định này. (3) FDA chỉ định thuốc hiếm điều trị bệnh bạch cầu tủy cấp tính, còn gọi là bệnh bạch cầu không phải lymphocytic cấp tính vào ngày 13/07/1987, được phê duyệt vào ngày 23/12/1987 và hết hiệu lực ngày 23/12/1994. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
60	Nilotinib 200mg		Chỉ định bổ sung: Lơ xê mi kinh dòng bạch cầu hạt có ph1(+) Lơ xê mi cấp dòng lympho có ph1 (+)	Trung tâm Huyết học và Truyền máu, Bệnh viện Bạch Mai	Đã có trong Danh mục thuốc hiếm tại Thông tư 26/2019/TT-BYT (STT 86). Chưa đồng ý bổ sung chỉ định như đề xuất do chỉ định chưa được (chưa đáp ứng tiêu chí) (FDA phê duyệt chỉ định thuốc hiếm Điều trị bệnh bạch cầu tủy mãn tính). Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
61	Paclitaxel (liposomal formulation)		Điều trị ung thư tụy	Dr. Reddy's Laboratories Limited	Chỉ định điều trị ung thư tụy của paclitaxel dạng liposom được EMA phê duyệt chỉ định hiếm nhưng chưa được cấp phép lưu hành. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
62	Pamdrominate 90 mg/10 ml		· Điều trị bệnh mô bào Langerhans thể tổn thương xương	Bệnh viện Nhi Trung ương	Pamidronate: chưa có tài liệu về thuốc được cấp chỉ định hiếm (tra cứu EMA, FDA, PMDA không có). Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
63	Phức hợp Prothrombin cô đặc hoạt hoá (aPCC-Activated Prothrombin complex concentrate)		Điều trị và dự phòng chảy máu ở bệnh nhân Hemophilia A/B có kháng thể kháng yếu tố VIII/IX. - Kiểm soát chảy máu nặng hoặc phẫu thuật khi liệu pháp thay thế yếu tố không hiệu quả. - Đảo ngược tác dụng thuốc kháng đông thể hệ mới trong trường hợp khẩn cấp khi chưa	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
64	Pimicotinib, 25 mg	Uống; Viên nang	Điều trị cho bệnh nhân trưởng thành bị u tế bào khổng lồ bao gân màng hoạt dịch (TGCT) cần điều trị toàn thân	VPĐD Merck Export GmbH tại Thành Phố Hồ Chí Minh, Trung tâm Cơ xương khớp – Bệnh viện Bạch Mai, Công ty TNHH Merck Healthcare Việt Nam, Bệnh viện Chợ Rẫy	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiếm, chưa được cấp phép lưu hành).
65	Prothionamide			Bệnh viện Phổi Trung ương	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA, FDA, PMDA: chưa được cấp chỉ định hiếm, chưa được cấp phép lưu hành). Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
66	Rifabutin			Bệnh viện Phổi Trung ương	Cơ sở không đề xuất chỉ định bệnh hiếm. (Tra cứu FDA: FDA phê duyệt chỉ định thuốc hiếm ngày 18/12/1989; cấp phép sử dụng ngày 23/12/1992 (Phòng ngừa bệnh phức hợp Mycobacterium avium lan tỏa ở bệnh nhân nhiễm HIV tiến triển)). Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
67	Ruxolitinib 5mg		Viêm da cow đại, HLH	Bệnh viện Nhi Trung ương	Chưa có tài liệu đối với đề xuất chỉ định bệnh hiếm Viêm da cow đại, HLH. (Tra cứu FDA: FDA phê duyệt chỉ định thuốc hiếm và cấp phép lưu hành đối với Điều trị bệnh ghép chống vật chủ; Điều trị bệnh đa hồng cầu nguyên phát; Điều trị bệnh xơ tủy). Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
68	Sarilumab		Viêm khớp thiếu niên, bệnh rối loạn tự viêm	Bệnh viện Nhi Trung ương, Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
69	Siltuximab		Thuốc điều trị triệu chứng CRS (Cytokine Release Syndrome) có thể xảy ra sau khi dùng các liệu pháp miễn dịch	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Chưa có tài liệu đối với đề xuất chỉ định bệnh hiếm "Thuốc điều trị triệu chứng CRS (Cytokine Release Syndrome) có thể xảy ra sau khi dùng các liệu pháp miễn dịch". (Tra cứu FDA: FDA phê duyệt chỉ định thuốc hiếm và cấp phép lưu hành đối với Điều trị bệnh Castleman) - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
70	Sirolimus		Bệnh ghép chống chủ mạn tính	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Chưa có tài liệu đối với đề xuất chỉ định bệnh hiếm "Điều trị Bệnh ghép chống chủ mạn tính". (FDA phê duyệt chỉ định thuốc hiếm và cấp phép lưu hành thuốc Điều trị bệnh u cơ trơn mạch bạch huyết (Treatment of lymphangioliomyomatosis)) - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
71	Situximab		Bệnh castleman	Bệnh viện Nhi Trung ương	- Chưa có tài liệu đối với đề xuất chỉ định bệnh hiếm "điều trị Bệnh castleman". (FDA phê duyệt chỉ định thuốc hiếm Điều trị ung thư tuyến tụy nhưng chưa cấp phép lưu hành; EMA phê duyệt thuốc hiếm (treatment in solid organ transplantation) - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
72	Sodium benzoate, viên 500 mg; dung dịch uống 500 mg/5 mL		Chỉ định điều trị rối loạn chuyển hóa chu trình ure	Bệnh viện Nhi Trung ương	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (Tra cứu FDA, EMA chưa được cấp chỉ định thuốc hiếm) - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
73	Sugemalimab		Điều trị u lympho tế bào	Dr. Reddy's Laboratories Limited	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. FDA cấp chỉ định hiếm "điều trị u lympho tế bào T" nhưng chưa được cấp phép lưu hành. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiếm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
74	Thrombin (Đơn thành phần hoặc phối hợp)		Cầm máu tại chỗ trong phẫu thuật (thần kinh, tim mạch, chỉnh hình...) - Điều trị giả phình mạch bằng tiêm tại chỗ dưới siêu âm. - Hỗ trợ cầm máu trong thủ thuật xâm lấn khi các biện pháp cơ học không hiệu quả.	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
75	Thrombomodulin		Điều trị rối loạn đông máu trong hội chứng đông máu rải rác trong lòng mạch (DIC), đặc biệt ở bệnh nhân nặng hoặc sau ghép tế bào gốc.	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
76	Tofacitinib 5mg			Bệnh viện Nhi Trung ương	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. Không rõ chỉ định hiếm đề xuất. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiếm, chưa được cấp phép lưu hành). - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
77	Tralokinumab		· Viêm da cơ đại nặng trẻ em trên 12 tuổi FDA 2023	Bệnh viện Nhi Trung ương	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiếm, chưa được cấp phép lưu hành). - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
78	Ustekinumab kháng IL12/23 45ml/0,5ml		· Viêm khớp vảy nến, Crhon, viêm loét đại tràng	Bệnh viện Nhi Trung ương	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiếm). - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
79	Valemetostat (dưới dạng Valemetostat tosylate) 50mg và 100mg		Điều trị u lympho tế bào T người lớn tái phát hoặc kháng trị (ATL) Điều trị u lympho tế bào T ngoại vi (PTCL)	Công ty TNHH Daiichi Sankyo Việt Nam	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiếm hoặc chưa được cấp phép lưu hành). - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
80	Vedolizumab 300 mg/10		Điều trị viêm túi hồi tràng (thường gặp trên bệnh nhân phẫu thuật cắt bỏ đại tràng và tạo túi hậu môn hồi tràng)	Công ty TNHH Dược Phẩm Takeda Việt Nam	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiếm hoặc chưa được cấp phép lưu hành). - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).

STT	Tên hoạt chất	Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ, hàm lượng	Chỉ định phòng, chẩn đoán, điều trị bệnh hiểm gặp	Đơn vị đề xuất	Nội dung cần xem xét lại
81	Vorasidenib (dưới dạng Vorasidenib hemicitrate hemihydrate), Hàm lượng: 10mg, 40mg		VORANIGO là chất ức chế isocitrate dehydrogenase-1 (IDH1) và isocitrate dehydrogenase-2 (IDH2) được chỉ định để điều trị cho bệnh nhân trưởng thành và bệnh nhi từ 12 tuổi trở lên mắc u tế bào hình sao hoặc u tế bào ít nhánh độ 2 với đột biến IDH1 hoặc IDH2 nhạy cảm, sau phẫu thuật bao gồm sinh thiết, cắt bỏ một phần hoặc cắt bỏ toàn bộ.	Văn phòng Đại diện Les Laboratoires Servier tại TP Hà Nội	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiểm hoặc chưa được cấp phép lưu hành)
82	Yếu tố đông máu VIIa		Điều trị chảy máu ở bệnh nhân Hemophilia A hoặc B có kháng thể kháng yếu tố VIII/IX. - Kiểm soát chảy máu nặng trong phẫu thuật/chấn thương khi các biện pháp khác thất bại	Viện Huyết học - Truyền máu Trung ương	- Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. - Thuốc đề xuất chưa có đầy đủ thông tin (Đường dùng, dạng bào chế, nồng độ/ hàm lượng).
83	Zongertinib	Uống: Viên nén bao phim	Điều trị cho bệnh nhân ung thư phổi không tế bào nhỏ (NSCLC) không thể phẫu thuật hoặc di căn có khối u với đột biến gen HER2 (ERBB2).	Công ty TNHH Boehringer Ingelheim Việt Nam, Trung tâm Y học hạt nhân và Ung Bướu, Bệnh viện Bạch Mai	Chưa có tài liệu chứng minh đáp ứng tiêu chí. (tra cứu EMA và FDA: chưa được cấp chỉ định hiểm hoặc chưa được cấp phép lưu hành)