Produits ayant obtenu au moins un statut d'orphelin en Europe et/ou aux Etats-Unis en 2015

* 1-(4-(benzylamino)-7,8-dihydro-5H-pyrano[4,3-d]pyrimidin-2-yl)-2-methyl-1H-indole (CB-5083) *Inhibiteur de la protéine p97 impliquée dans l'homéostasie des protéines*
* 1-(4-(N-glycylamido)phenyl)-3-trifluoromethyl-5-(phenanthren-2-yl)-pyrazole (AR-12) *Inhibiteur de la protéine PDK-1 (Phosphoinositide-dependent kinase-1) impliquée dans la voie de signalisation PI3K/Akt*
* 17-α-hydroxyprogesterone caproate (LPCN 1107) - *Progestatif*
* 177-LU-DOTA-GlyGlyNle-CycMSHhex – *Peptide radiomarqué*
* 18Fluorine-N-3-Fluoropropyl-2beta-carbomethoxy-3beta-(4-iodophenyl) - N-t-butylhydroxylamine Nortropane
* (1OR)-7-amino-12-fluoro-2,10,16-trimethyl-15 oxo-10,15,16,17-tetrahydro-2H-8,4-(metheno)pyrazolo[4,3-h][2,5,11]benzoxadiazacyclotetradecine-3-carbonitrile - (PF-06463922) *Inhibiteur de kinase/Inhibiteur de tyrosine kinase ALK*
* 2-chloro-N6-(3-iodobenzyl) adenosine-5'-N-methyluronamide
* 2-ethylbutyl (2S)-2-{[(S)-{[(2R,3S,4R,5R)-5-(4-aminopyrrolo[2,1-f][1,2,4]triazin-7-yl)-5-cyano-3,4-dihydroxytetrahydrofuran-2-yl]methoxy}(phenoxy)phosphoryl]amino}propanoate
*2-(2-chlorophenyl)-4-[3-(dimethylamino)phenyl]-5-methyl-1H-pyrazolo[4,3-C]pyridine-3,6(2H,5H)-dione – *Inhibiteur des NADPH Oxydases 1 et 4*
* 2-(2-chlorobenzylidene) hydrazinecarboximidamide acetate – (sephin1) *Inhibiteur sélectif d'une sous -unité régulatrice de la phosphatase PP1*
* 2-(2-phenylvinyl)-4-[4-methylpiperazin-1-yl)]-6-(5-methyl-2H-pyrazol-3-yl-amino)-pyrimidine L(+) tartrate – *Inhibiteur d'Aurora kinase*
* 2-((3-((4-((3-aminopropyl)amino)butyl)amino)propyl)amino)-N-((5S,5aS,8aR,9R)-9-(4-hydroxy-3,5-dimethoxyphenyl)-8-oxo5,5a,6,8,8a,9-hexahydrofuro[3',4':6,7]naphtho[2,3-d][1,3]dioxol-5-yl)acetamide, tetrahydrochloride – *Inhibiteur de topoisomérase*
* 2-(3-(4-(7H-pyrrolo[2,3-d]pyrimidin-4-yl)-1H-pyrazol-l-yl)-1-(1-(3-fluoro-2-(trifluoromethyl) isonicotinoyl)piperidin-4-yl)azetidin-3-yl) acetonitrile adipate - *Inhibiteur de kinase/Inhibiteur de tyrosine kinase JAK*
* 2-(5-fluoro-2-methyl-1H-indol-3-yl)-1H-imidazo[4,5-f][1,10] phenanthroline – *Inducteur du gène KLF4*
* 2-(7-ethoxy-4-(3-fluorophenyl)-1-oxophthalazin-2(1H)-yl)-N-methyl-N-(2-methylbenzo[d]oxazol-6-yl)acetamide – *Correcteur de la mutation F508d du gène CFTR*
* 2-amino-2-[2-[2-chloro-4-[[3-(phenylmethoxy) phenyl] thio]phenyl]ethyl]1,3 - *agoniste du récepteur de la sphingosine 1P*
* 2-hydroxy-6-((2-(1-isopropyl-1H-pyrazol-5-yl)pyridin-3-yl) methoxy) benzaldehyde – *Modificateur de l'hémoglobine*
* 2'-deoxyguanosylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'-deoxythymidylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'- deoxyguanosylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'-deoxycytidylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'- deoxycytidylyl -(3',5'-phosphoryl)-2'-deoxycytidylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'- deoxyguanosylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'-deoxycytidilyl-(3',5'-phosphoryl)-2'- deoxycytidylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'-deoxycytidylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'-deoxycytidylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'-deoxythymidylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'- deoxyadenosyl-(3',5'-phosphoryl)-2'-deoxycytidylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'- deoxyguanosylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'-deoxycytidylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'- deoxyguanosylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'-deoxycytidylyl-(3',5'-phosphoryl)-2'- deoxyadenosyl-(3',5'-phosphoryl)-2'-deoxycytidylyl-(3',5'-

phosphoryl)-2’- deoxyguanosylyl-2’-deoxycytidylyl-(3’,5’-phosphoryl)-2’-deoxyadenosyl-(3’,5’- phosphoryl)-2’-deoxycytidine – *oligonucléotide interférant avec le gène Bcl2*
* 2'-O-methyl phosphorothioate RNA oligonucleotide, 5'm5CUGm5CUGm5CUGm5CUGm 5CUGm5CUGm5CUG-3' – *oligonucléotide antisens*
* 3-{[2,3,5,6-tetrafluoro-3'-(trifluoromethoxy)biphenyl-4-yl]carbamoyl}thiophene-2 - *inhibiteur d’une enzyme de la voie de biosynthèse de la pyrimidine*
* (3S)-(+)-(5-chloro-2-methoxyphenyl)-1,3-dihydro-3-fluoro-6-(trifluoromethyl)-2H-indol-2-one *Activateur du canal potassique BKCa*
* (3S,4R)-3-ethyl-4-(3H-imidazo[1,2-a]pyrrolo[2,3-e]pyrazin-8-yl)-N-(2,2,2-trifluoroethyl)pyrrolidine-1-carboxamide (2R,3R)-2,3-dihydroxybutanedioate *Inhibiteur de kinase JAK1*
* 3-pentylbenzenacetic acid sodium salt (PBI-4050)
* [4-aminobutanoic acid-glycyl-L-glutaminyl-L-arginyl-L-.alpha.-glutamyl-L-threonyl-L-prolyl-L-.alpha.-glutamylglycyl-L-alanyl-L-.alpha.-glutamyl-L-alanyl-L-lysyl-L-prolyl-L-tryptophyl-L-tyrosylL-aspartyl](cyclo 1-Dgamma17) - *Peptide*
* [5-(5-chloro-1H-pyrrolo[2,3-b]pyridin-3-ylmethyl)-pyridin-2-yl]-(6-trifluoromethyl-pyridin-3-ylmethyl)-amine hydrochloride – *Inhibiteur du récepteur CSF1R*
* (5-[8-methyl-9-(1-methylethyl)-2-(4-morpholinyl)-9H-purin-6-yl]-2-pyrimidinamine) *Inhibiteur de kinase - inhibiteur multikinase (PI3K,mTORC1 et mTORC2)*
* 5,10,15,20-tetrakis(2,6-difluoro-3-N-methylsulfamoylphenyl)bacteriochlorine) - *Thérapie photodynamique*
* (5S,8S,10aR)-N-benzhydryl-5-((S)-2-(methylamino)propanamido)-3-(3-methylbutanoyl)-6-oxodecahydropyrrolo[1,2-a][1,5]diazocine-8-carboxamide - *Inhibiteur de protéines apoptotiques*
* 5-hydroxymethyl-2-furfural
* 5-imino-13-déoxydoxorubicine HCl (GPX-150) – *Analogue de doxorubicine* (*antibiotique cytotoxique)*
* 5'-CTATCTGUC- G1TTCTCTGU-3'.17 Na+ - *Oligonucléotide*
* 5'-$A_sC_sA_sT_sC_sA_sG_sT_sC_sT_sG_sA_sU_sA_sA_sG_sC_sT_sA$-3' (RG-012) – *Oligonucléotide*
* 6-ethoxy-7-methoxy-2-(2-methylsulfanylphenyl)-3,1-benzoxazin-4-one - *Inhibiteur de la kallikréine*
* 8-(1-Hydroxy-ethyl)-2-methoxy-3-(4-methoxy-benzyloxy)-benzo[c]chromen-6-one - RES-529 - *Inhibiteur de kinase – inhibiteur de la voie PI3K/Akt/mTOR*
* N-(2-((4Z,7Z,10Z,13Z,16Z,19Z)-docosa-4,7,10,13,16,19-hexaenamido)ethyl)-2-hydroxybenzamide - *Inhibiteur de la protéine NF-κB*
* N-[2,6-bis(1-methylethyl)phenyl]-N'-[[1-[4-(dimethylamino)phenyl]cyclopentyl]methyl]urea, hydrochloride – *Inhibiteur de l’acyl-coA-cholesterol acyltransférase*
* N-(3-(4-(3-(diisobutylamino)propyl)piperazin-1-yl)propyl)-1H-benzo[d]imidazol-2-amine disulphate salt - AZP2006 – *Inhibiteur de la phosphorylation des protéines Tau*
* N'-(7-Chloroquinolin-4-yl)-N,N-diethyl-propane-1,3-diamine – *Agent antipaludique*
* (R)-1-[1-(4-acetoxy-3,3-dimethyl-2-oxo-butyl)-2-oxo-5-(pyridin-2-yl)-2,3-dihydro-1Hbenzo[e][1,4]diazepin-3-yl]-3-(3-methylamino-phenyl)-urée - *Inhibiteur du récepteur de la gastrine*
* (R)-6-(2-fluorophenyl)-N-(3-(2-((2-methoxyethyl)amino)ethyl)phenyl)-5,6-dihydrobenzo[h]quinazolin-2-amine dihydrochloride - *Inhibiteur de kinase - inhibiteur multikinase*
* (S)-2-(1-((6-amino-5-cyanopyrimidin-4-yl)amino)ethyl)-4-oxo-3-phenyl-3,4- dihydropyrrolo[2,1-f][1,2,4]triazine-5-carbonitrile – *Inhibiteur de kinase – inhibiteur de PI3K-delta*
* (S)-6-hydroxy-2,5,7,8-tetramethyl-N-((R)-piperidin-3-yl)chroman-2-carboxamide hydrochloride – *agent antioxydant*

* S3,S13-cyclo(D-tyrolsyl-L-isoleucyl-L-cysteinyl-L-valyl-1-methyl-L-tryptophyl-L-glutaminyl-Laspartyl-L-tryptophyl-N-methyl-L-glycyl-L-alanyl-L-histidyl-L-arginyl-L-cysteinyl-N-methyl-Lisoleucinamide - *Peptide*
* Sodium 3-[(4aR,6R,7R,7aS)-7-hydroxy-2-oxido-2-sulfanylidene-4a,6,7,7a-tetrahydro-4H-furo [3,2-d][1,3,2] dioxaphosphinin-6-yl]-2-bromo-6-phenyl-5H-imidazo[1,2-a]purin-9-one – *Inhibiteur de kinase – inhibiteur de la protéine kinase G*
* S-7-(1-(9H-purin-6-ylamino)ethyl)-6-(3-fluorophenyl)-3-methyl-5H-thiazolo[3,2-a]pyrimidin-5-one *Inhibiteur de kinase – inhibiteur de PIK3*
* S)-8-{2-Amino-6-[1-(5-chloro-biphenyl-2-yl)-(R)-2,2,2-trifluoro-ethoxy]-pyrimidin-4-yl}-2,8-diaza-spiro[4.5]decane-3-carboxylic acid ethyl ester
* (S)-N-(5-((R)-2-(2,5-difluorophenyl)pyrrolidin-1-yl)pyrazolo[1,5-a]pyrimidin-3-yl)-3-hydroxypyrrolidine-1-carboxamide hydrogen sulfate - *Inhibiteur de kinase TRK*
* Sodium (2R,3S,5R)-5-(4-amino-2-oxo-1,3,5-triazin-1(2H)-yl)-2 (hydroxymethyl)tetrahydro-furan-3-yl((2R,3S,5R)-5-(2-amino-6-oxo-1H-purin-9(6H)-yl)-3-hydroxytetrahydrofuran-2-yl)methyl phosphate – *Inhibiteur de DNA methyltransférases*
* AASSGVSTPGSAGHDIITEQPRS (P42) - *Peptide*
* acalabrutinib - *Inhibiteur de kinase*
* acetylcystéine en comprimés effervescents - *Mucolytique*
* acetyl-D-arginyl-D-arginyl-D-arginyl-D-arginyl-D-arginyl-D-arginyl-D-arginyl-D-arginyl-D-arginyl-D-arginyl-D-cysteinyl-D-glutaminyl-D-cystenyl-D-arginyl-D-arginyl-D-lysyl-D-asparaginylmaide disulfide - *Peptide*
* acide 1-(6-benzothiazolylsulfonyl)-5-chloro-1H-indole-2-butanoique - *Modulateur PPAR*
* acide 2-{3-[(3R)-3-({[2-chloro-3-(trifluoromethyl)phenyl]methyl}(2,2 diphenylethyl) amino)butoxy]phenyl}acétique
* acide 3-[2-(4-carbamimidoyl-phenylcarbamoyl)-5-methoxy-4-vinyl-phenyl]-6-(cyclopropylmethylcarbamoyl)-pyridine-2-carboxylique - BCX4161 - *inhibiteur de la kallikréine*
* acide 4-(4-Methoxy-phenylamino)-6-methylcarbamyl-quinoline-3-carboxylique - CLT-28643 - *Antagoniste de l'intégrine*
* acide (6aR,10aR)-3-(1,1-dimethylheptyl)-6a,7,10,10a-tetrahydro-1-hydroxy-6,6-dimethyl-6H-Dibenzo(b,d)pyran-9-carboxylique (Resunab™) - *Agoniste des récepteurs cannabinoïdes*
* acide docosahexaenoique – *Acide gras omega 3*
* acide glycyl-L-2-methylprolyl-L-glutamique - NNZ-2566 – *Analogue de glypromate*
* acide nano-diamino-tetraiodothyroacetique
* acide oxaloacétique
* activateur allostérique d'une forme spécifique de pyruvate kinase
* Ad-RTS-hIL-12 + veledimex – *Thérapie génique*
* adalimumab – *Anticorps monoclonal*
* afatinib – *Inhibiteur de kinase*
* alectinib – *Inhibiteur de kinase – Inhibiteur de tyrosine kinase ALK*
* alvocidib– *Inhibiteur de kinase – Inhibiteur de kinases cycline-dépendantes*
* amantadine HCl - OS-320 ("Osmolex ER") - *Antiparkinsonien*
* amantadine hydrochloride Nurelin® (ADS-5102) - *Antiparkinsonien*
* amifampridine phosphate (Firdapse®) - *Inhibiteur des canaux potassium*
* amylopectine - *Polyoside*

* [a-N-(2'succinyl-paclitaxel)Thr]-Phe-Phe-Tyr-Gly-Gly-Ser-Arg-Gly- [epsilon-N-(2'succinyl-paclitaxel)Lys]-Arg-Asn-Asn-Phe-[epsilon-N -(2'succinyl-paclitaxel)Lys]-Thr-Glu-Glu-Tyr – *dérivé de taxane/inhibiteur des microtubules/poison du fuseau*
* anakinra (Kineret®) - *Antagoniste du récepteur de l'interleukine-1*
* andexanet alfa – *Protéine – Inhibiteur du facteur Xa*
* anisina (ATM 3507) – *Inhibiteur de la tropomyosine*
* anlotinib - *Inhibiteur de kinase – Inhibiteur de tyrosine kinase*
* antagoniste de la E-selectine (GMI-1271)
* anticorps anti-CD37 conjugué à la maytansinoide DM1 (IMGN52) – *Anticorps monoclonal*
* anticorps antinucléaire conjugué à la doxorubicine – *Anticorps monoclonal*
* anticorps antirabiques humanisés – *Anticorps monoclonal*
* anticorps anti-tau humanisé – *Anticorps monoclonal*
* anticorps anti-tau humanisé C2N-8E12 – *Anticorps monoclonal*
* anticorps bivalent anti-myostatine – *Anticorps monoclonal*
* anticorps chimérique anti CD37 – *Anticorps monoclonal*
* anticorps dirigé contre la métalloprotéine MMP9 (GS-5745) – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal chimérique contre l'antigène O-acetyl-GD2 – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal ciblant l'eotaxine-2 – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal dirigé contre l'intégrine anti-Beta 1 – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal humanisé ciblant la sous-unité a du récepteur de l'IL-3 (antigène CD123) – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal humanisé ciblant le CD47 (Hu5F9) – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal humanisé ciblant la sous-unité a du récepteur de l'IL-3 (antigène CD123) (JNJ-56022473) – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal humanisé dirigé contre le CD19 (MOR208) – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal humain se liant à la protéine d'adhésion vasculaire (BTT1023) – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal inhibant la kallikréine plasmatique (DX-2930) – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal liant les récepteurs de l'insuline – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal recombinant contre la réponse immunitaire T – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonal recombinant dirigé contre la composante amyloïde sérique P – *Anticorps monoclonal*
* anticorps monoclonaux chimères homme/souris dirigés contre la glyprotéine de surface du virus Ebola (Zaire) – *Anticorps monoclonal*
* antroquinonol - Hocena®
* arginase I recombinante pégylée - *Enzyme*
* arginine deiminase pegylée recombinante - *Enzyme*
* ARN double brin spécifique du gène de l'oxydase hydroxyacide 1 – *ARN interférent*
* ARNi ARC-AAT – *ARN interférent*
* ARM210/S48168 – Rycal® - *Modulateur des canaux calciques*
* ARN messager du gène codant pour la protéine CFTR (*cystic fibrosis transmembrane conductance regulator*) complexé avec du polyéthylénéimine ramifié
* artesunate – *agent antipaludique*
* ascorbate de sodium et complexe de bisulfite de sodium et de ménadione
* aspartylglucosaminidase humaine recombinante - *Enzyme*
* ataluren – *Molécule permettant la lecture de codons stop sur l'ARN messager*
* avelumab – *Anticorps monoclonal*

* avicine d – *Inducteur de l'apoptose*
* azacitidine (Vidaza®) - *Analogue de nucléoside/antimétabolite*
* baclofène (Gablofen®) - *Agoniste du récepteur GABA*
* bardoxolone – *Modulateur de l'inflammation antioxydant*
* beloranib – *Inhibiteur de la methionine aminopeptidase 2 (MetAP2*)
* bendamustine (formulation orale) – *Agent alkylant*
* betamethasone - *Corticosteroide*
* bortezomib – *Inhibiteur du protéasome*
* bryostatine 1 – *Activateur de la protéine kinase C*
* bucillamine
* butylidenephthalide
* C21H27O10P (Minnelide®) – *Analogue de triptolide*
* C24H28N8O7S2 (CUDC-907) - *Inhibiteur d'histone*
* calcium levomefolate
* cannabidiol - *Antagoniste des récepteurs des cannabinoïdes*
* cannabidiol et tetrahydrocannabinol (combinaison) - *Antagoniste des récepteurs des cannabinoïdes*
* cannabidiol et dronabinol (combinaison) - *Antagoniste des récepteurs des cannabinoïdes*
* cantrixil
* carboxyhémoglobine bovine pegylée (Sanguinate®) - *Protéine*
* carboxy pyrrolidine hexanoyl pyrrolidine carboxylate (CPHPC) – *Agent dépleteur du composant sérique amyloïde P*
* ceftriaxone - *Antibiotique*
* celiprolol - *β-bloquant*
* cellules allogéniques dérivées de la cardiosphère (CAP-1002) – *Thérapie cellulaire*
* cellules allogéniques de sang du cordon traitées *ex vivo* par la 16,16-diméthyl prostaglandine E2 – *Thérapie cellulaire*
* cellules endothéliales hémogéniques adultes – *Thérapie cellulaire*
* cellules hématopoiétiques CD33+ allogéniques, dérivées de sang de cordon et multipliées *ex vivo* et cellules hématopoiétiques CD33+ allogéniques, dérivées de sang de cordon non multipliées – *Thérapie cellulaire*
* cellules mésenchymateuses stromales dérivées de la moelle osseuse et mutlipliées *ex-vivo* – *Thérapie cellulaire*
* cellules mononucléaires allogéniques du sang périphérique induites à un état apoptotique précoce – *Thérapie cellulaire*
* cellules ostéoblastiques allogéniques humaines issues de cellules souches de la moelle osseuse (ALLOB®) – *Thérapie cellulaire*
* cellules placentaires allogéniques multipliées *ex vivo* (cellules PLX-PAD) – *Thérapie cellulaire*
* cellules souches allogéniques adultes isolées du muscle squelettique et mutlipliées *ex vivo* – *Thérapie cellulaire*
* cellules souches autologues CD34+ dérivées de la moelle osseuse transduites avec un vecteur gammaretroviral codant pour l'IL2RG (yc)
* cellules souches mésenchymateuses allogéniques (Stemchymal®) – *Thérapie cellulaire*
* cellules souches mésenchymateuses allogéniques dérivées du sang de cordon et multipliées *ex vivo* – *Thérapie cellulaire*
* cellules souches mésenchymateuses autologues dérivées du tissu adipeux – *Thérapie cellulaire*
* cellules stromales vasculaires autologues dérivées du tissu adipeux – *Thérapie cellulaire*
* cellules T autologues spécifiques du virus d'Epstein-Barr (CMD-003) – *Thérapie cellulaire*

* cellules tumorales autologues fusionnées avec une lignée de cellules tumorales transfectées – *Thérapie cellulaire*
* céramidase humaine recombinante – *Enzyme*
* chloroquine - *Agent antipaludique*
* chlorotoxine conjuguée à du vert d'indocyanine – *Agent d'imagerie*
* Cisplatine ChemoThin Wafer – *Agent alkylant*
* citrate d'arimoclomol – *Inducteur des protéines Hsp*
* cladribine – *Analogue de nucléoside*
* cobratoxine A modifiée – *Antagoniste du récepteur nicotinique de l'acétylcholine*
* Col-Treg – *Thérapie cellulaire*
* combinaison de H-Lys-Lys-Gly-Pro-Arg-Cys(SH)-Leu-Thr-Arg-Tyr-Tyr-Ser-Ser- (ATX-F8-117) - *Peptide*
* combretastatine A1 diphosphate (OXi4503)
* composé activant la procaspase
* copanlisib - *Inhibiteur de kinase – inhibiteur de PIK3*
* cromoglycate sodique en inhalation – *Antihistaminique stabilisateur des macrocytes*
* cyclo{-Asn-Leu-d-Phe-Al[(N5-acetyl-N5-hydroxy-Orn)-(N5-acetyl-N5- VL-2397 - ASP2397 – *Agent antifongique*
* cystathionine beta-synthase humaine pegylée - *Enzyme*
* dabrafenib et trametinib - *Inhibiteur de kinase - inhibiteur de kinase RAF - inhibiteur de kinase MEK*
* dalbavancine (Dalvance®) - *Antibiotique*
* dacomitinib - *Inhibiteur de kinase – inhibiteur de l'EGFR*
* daratumumab – *Anticorps monoclonal*
* defactinib - *Inhibiteur de kinase – inhibiteur de la kinase FAK (focal adhesion kinase)/PTK2 (Protein tyrosine kinase 2)*
* deferasirox (Exjade®) – *Agent chélateur du fer*
* deflazacort - *Corticostéroïde*
* dérivé de porphyrine tetra-substitué et contenant du manganèse (AEOL 10150)
* deutetrabenazine (SD-809) - *Inhibiteur du transporteur vésiculaire des monoamines 2*
* diazepam intranasal (NRL-1) - *Benzodiazépine*
* diphenylcyclopropenone gel (Samcyprone™)
* dipraglurant – *Modulateur allostérique du récepteur mGlu5*
* dodecafluoropentane (NVX-108) - *Radiosensibilisateur*
* doxorubicine - *Antibiotique cytotoxique*
* DPX-Survivac – *Produit d'immunothérapie*
* echinomycine - *Antibiotique peptidique/Peptide*
* edaravone - *Agent neuroprotecteur*
* eflornithine – *Inhibiteur de l'ornithine décarboxylase*
* emtricitabine - *Inhibiteur nucléosidique de la transcriptase inverse*
* enadenotucirev (ColoAd1) - *Virus oncolytique/Produit d'immunothérapie*
* enoxacine - *Antibiotique*
* entrectinib - *Inhibiteur de kinase - inhibiteur multikinase*
* enzyme de *Streptococcus pyogenes* dégradant les IgG - *Enzyme*
* everolimus - *Immunosuppresseur*
* facteur de croissance des nerfs humain recombinant - *Protéine*
* facteur neurotrophique dérivé des astrocytes mésencéphaliques (MANF) - *Protéine*
* facteur neurotrophique mésencéphalique humain dérivé des astrocytes - *Protéine*

* fluticasone propionate - *Corticostéroïde*
* fibroblastes et kératinocytes autologues inclus dans une couche dermique basée sur du collagène – *Thérapie cellulaire*
* filgrastim - *Protéine*
* fluciclovine (18F) - *Radiopharmaceutique/Analogue d'acide aminé*
* fosbretabulin tromethamine (CA4P) - *Antiangiogénique*
* fosfomycine disodique et tobramycine (combinaison à dose fixe) – *Antibiotique*
* fostamatinib disodium - *Inhibiteur de kinase – inhibiteur de la spleen tyrosine kinase (Syk)*
* fraction mononucléaire enrichie de sang de cordon (U-Cord-Cell®) – *Thérapie cellulaire*
* fragments d'immunoglobuline équine anti-H5N1 (FBF-001) - *Protéine*
* fragments d'immunoglobuline ovine dirigés contre le venin de *Vipera berus* - *Protéine*
* fucosyltransferase VI humaine recombinante [FTVI] et GDP-fucose) (TZ101) - *Enzyme*
* gallium Ga 68-edotreotide - *Radioconjugué/Analogue de peptide*
* ganaxolone - *Neurosteroïde*
* gemcitabine - *Antimétabolite*
* glutamate oxaloacetate transaminase 1 humaine recombinante - *Enzyme*
* glyburide - *Sulfonylurée*
* golimumab (Simponi®Aria) – *Anticorps monoclonal*
* guadecitabine (SGI-110) – *Inhibiteur de la DNA methyltransferase 1 (DNMT1)*
* hepcidine – *Hormone/Peptide*
* histidyl-tRNA synthétase humaine recombinante (Resolaris®) - *Enzyme*
* hydrochlorure de 5,7-dichloro-2-methylaminomethyl-8-hydroxyquinolone (PBT2)
* hydrocinnamate-[Orn-Pro-dCha-Trp-Arg]acetate – Inhibiteur du récepteur C5a du complément
* hydrocortisone (formulation à libération contrôlée) - *Corticosteroïde*
* hydrocortisone en granulés - *Corticosteroïde*
* hydroxyurée
* hypericine synthétique (SGX301)
* ibrutinib - *Inhibiteur de kinase - inhibiteur de tyrosine kinase de Bruton*
* ibudilast (MN-166) - *Inhibiteur d'enzyme - inhibiteur de phosphodiestérases*
* idarucizumab (Praxbind®) – *Anticorps monoclonal*
* imetelstat - *Inhibiteur d'enzyme - inhibiteur de télomérase*
* imidazopyridine – *Agoniste des récepteurs GABA A*
* inecalcitol – *Analogue de vitamine D*
* inhibiteur de l'alpha1-protéinease (Prolastin-C®) - *Inhibiteur d'enzyme*
* inhibiteur de l'alpha-1 protéinease dérivé du plasma - *Inhibiteur d'enzyme*
* inhibiteur d'isocitrate dehydrogenase 1 (IDH1)-mutant - *Inhibiteur d'enzyme*
* inhibiteur de leukotriene A4 hydrolase (CTX-4430) - *Inhibiteur d'enzyme*
* inhibiteur de la tyrosine kinase de Bruton - *Inhibiteur de kinase - inhibiteur de tyrosine kinase de Bruton*
* inhibiteur sélectif du récepteur du facteur de croissance des fibroblastes 4 (FGFR4)
* insuline humaine - *Protéine*
* insuline humaine recombinante (NTRA-9620) - *Protéine*
* interferon alfa-n3 (Alferon N Injection®) - *Protéine*
* iodure d'ecothiophate - *Inhibiteur d'enzyme*
* kératinocytes autologues multipliés *ex vivo* et contenant des cellules souches de l'épiderme transformées avec un vecteur rétroviral codant pour COL7A1 – *Thérapie génique*

* kératinocytes autologues multipliés *ex vivo* et contenant des cellules souches de l'épiderme transformées avec un vecteur rétroviral codant pour COL17A1 – *Thérapie génique*
* kératinocytes autologues multipliés *ex vivo* et contenant des cellules souches de l'épiderme transformées avec un vecteur rétroviral codant pour LAMB-3 – *Thérapie génique*
* ketotifène
* KTE-C19 – *Thérapie cellulaire*
* *Lactobacillus acidophilus* et *Bifidobacterium animalis subsp. Lactis*) STP-206 – *Produit vivant*
* *Lactobacillus reuteri – Produit vivant*
* lactoferrine bovine - *Protéine*
* lanreotide acetate - *Peptide*
* L-cysteine, L-cysteinylglycyl-L-glutaminyl-L-arginyl-L-.alpha.-glutamyl-Lthreonyl-L-prolyl-L-.alpha.-glutamylglycyl-L-alanyl-L-.alpha.-glutamyl-L-alanyl-L-lysyl-L-prolyl-Ltryptophyl-L-tyrosyl-,cyclic (1.fwdarw.17)-disulfide - *Peptide*
* lebrikizumab – *Anticorps monoclonal*
* lenalidomide - *Agent immunomodulateur*
* lenvatinib - *Inhibiteur de kinase - inhibiteur de tyrosine kinase – inhibiteur multikiase*
* lipopeptide dérivé de la région preS du virus de l'hepatitis B virus - *Peptide*
* lisinopril (solution orale) – *Inhibiteur d'enzyme - inhibiteur de l'enzyme de conversion de l'angiotensine*
* *Listeria monocytogenes* delta actA/delta inlB attenuée exprimant la mésothéline humaine – *Produit vivant*
* *Listeria monocytogenes* attenuée et modifiée avec un récepteur chimérique du facteur de croissance épidermique fusionné avec une forme tronquée de la protéine LM listériolysine O – *Produit vivant*
* LOAd703 – *Thérapie génique*
* lucerastat - *Inhibiteur d'enzyme - inhibiteur de l'α-D-galactosidase*
* lutetium (177Lu) edotreotide - *Peptide*
* lymphocytes infiltrant les tumeurs LN-144 – *Thérapie cellulaire*
* lymphocytes T activés *in vitro* par une cytokine et cellules du sang périphériques Vdelta1 – *Thérapie cellulaire*
* lymphocytes T CD4+ et CD8+ allogéniques incubées *ex vivo* avec des peptides synthétiques des antigènes de cytomégalovirus, d'adénovirus et de virus d'Epstein-Barr – *Thérapie cellulaire*
* marizomib – *Inhibiteur du protéasome*
* masitinib - *Inhibiteur de kinase – Inhibiteur de tyrosine kinase*
* mazindol - *Antagoniste des récepteurs des cannabinoïdes*
* mecasermine (Increlex®) – *Hormone/Peptide*
* melphalan – *Agent alkylant*
* melphalan flufenamide hydrochloride – *Agent alkylant*
* methotrexate (solution orale) - *Antimétabolite*
* methotrexate (formulation liquide) - *Antimétabolite*
* mirvetuximab soravtansine (IMGN853) - *Anticorps conjugué*
* mongersen (GED-030) - *Oligonucléotide antisens*
* monomethoxypolyethylene glycol adénosine déaminase recombinante (EZN-2279) - *Enzyme*
* motolimod – *Agoniste des récepteurs Toll/Agoniste TLR8*
* myriocine - *Antibiotique*
* nanoparticules d'ADN ABCA4 - ADN
* naltrexone - *Antagoniste des opiacés*
* naproxcinod - *Anti-inflammatoire non stéroïdien*

* necitumumab (Portrazza®) – *Anticorps monoclonal*
* nimodipine – *Antagoniste du calcium*
* nimotuzumab – *Anticorps monoclonal*
* nitrite de sodium et EDTA
* nitroglycerine
* nivolumab – *Anticorps monoclonal*
* noscapine – *Alcaloïde/antitussif*
* obinutuzumab (Gazyva®) – *Anticorps monoclonal*
* olaratumab – *Anticorps monoclonal*
* oligomère synthétique de 16 nucléotides - *ADN*
* oligonucléotide antisens dirigé contre l'ARNm TGF-ß2 – *Oligonucléotide antisens*
* oligonucléotide antisens Grb-2 – *Oligonucléotide antisens*
* oligonucléotide chimérique modifié ciblant l'ARN de la huntingtine – *Oligonucléotide antisens*
* ombitasvir/paritaprevir/ritonavir et dasabuvir (Viekira Pak™) – *Agent antiviral direct*
* omeprazole-lansoprazole – *Inhibiteur de la pompe à protons*
* ondansetron par voie inhalée – *Antiémétique/Antagoniste du récepteur 5-HT3 à la sérotonine*
* oxyde nitrique
* paclitaxel encapsulé dans des liposomes - *Dérivé de taxane/inhibiteur des microtubules*
* paclitaxel (nanoparticules Nanotax®) - *Dérivé de taxane/inhibiteur des microtubules*
* pantothenate phosphate
* paricalcitol (Zemplar®) – *Analogue de vitamine D*
* paromomycine - *Antibiotique*
* pelareorep (Reolysin®) - *Virus oncolytique/Produit d'immunothérapie*
* pembrolizumab – *Anticorps monoclonal*
* pentapeptide de séquence Ac-VSRRR-NH2
* pentetrazol - *Antagoniste du récepteur GABA*
* peptides de la protéine de la tumeur de Wilms - *Peptide*
* peptide signal de la mucine humaine (acides aminés 1-21) - *Peptide*
* phenol, 4-[2-(aminomethyl)-4-thiazolyl]-2,6-bis(1,1-dimethylethyl) monohydrochloride
* phenylbutyrate de sodium
* phosphate alcaline humaine recombinante (recAP) – *Enzyme*
* plasminogène humain - *Protéine*
* polidocanol
* poly-CD-PEG-camptothecine (CRLX101) – *Inhibiteur d'enzyme/inhibiteur de topoisomérase*
* polysulfate de pentosan sodique
* ponatinib - *Inhibiteur de kinase/Inhibiteur de tyrosine kinase*
* prasugrel (Effient®) – *Agent anticoagulant*
* propagermanium et irbesartan (DMX-200) - *Antagoniste du récepteur de l'angiotensine II*
* propranolol hydrochloride et etodolac - *β-bloquant et Anti-inflammatoire non stéroïdien*
* protéine A de *Staphylococcus aureus* (formulation hautement purifiée) – *Protéine*
* protéine A de *Staphylococcus aureus* (PRTX-100) – *Protéine*
* protéine de capside du papillomavirus humain modifiée et conjuguée à un colorant dans le proche infrarouge – *Protéine*
* protéine chimérique fusionnant l'alpha-N-acetylglucosaminidase humaine recombinante et l'IGF2 humain – *Protéine*
* protéine de fusion ciblant l'activine A humaine – *Protéine de fusion*

* protéine de fusion humanisée associant le domaine extracellulaire du CD24 lié au domaine Fc de l'IgG1 – *Protéine de fusion*
* protéine de fusion recombinante contenant l'exenatide et XTEN (NB1001) – *Protéine de fusion*
* protéine de fusion combinant interleukine-3 et toxine diphtérique tronquée – *Protéine de fusion*
* protéine humaine recombinante *club cell* 10 KDa – *Protéine*
* pyrvinium - *Anthelminthique*
* région Fc de l'IgG1 recombinante multimérisée – *Protéine*
* regorafenib - *Inhibiteur de kinase - inhibiteur multikinase* (VEGFR1, 2, 3, TIE2, KIT, RET, RAF-1, BRAF, BRAFV600E, PDGFR, FGFR)
* revusiran - *ARN interférent*
* rimeporide – *Inhibiteur d'enzyme/ inhibiteur de transporteur membranaire*
* rintatolimod - *ARN*
* rituximab – *Anticorps monoclonal*
* roneparstat - *Inhibiteur d'enzyme/inhibiteur de l'héparanase*
* rovalpituzumab tesirine Rova-T – *Anticorps conjugé*
* saposine C - *Protéine*
* sarizotan - *Antagoniste du récepteur D2 et agoniste du récepteur 5HT1A*
* selinexor (KPT-330) - *Inhibiteur d'enzyme/inhibiteur sélectif de l'exportation nucléaire*
* selumetinib - *Inhibiteur de kinase - inhibiteur de kinase MEK*
* setmelanotide - *Agoniste du récepteur de la mélanocortine-4*
* sevuparine - *Polysaccharide*
* siG12D-LODER - *ARN interférent*
* simtuzumab – *Anticorps monoclonal*
* sirolimus - *Immunosuppresseur*
* sodium 2-hydroxylinoleate - *Inhibiteur de kinase /inhibiteur mtTOR*
* solnatide (AP301) - *Peptide*
* sonidegib - *Inhibiteur de la voie de signalisation Hedgehog*
* sparsentan (RE-021) - *Antagoniste du récepteur de l'endothéline*
* sphères d'albumine revêtues de fibrinogène - *Protéine*
* spores encapsulées de microbiote fécal (SER-109) – *Thérapie cellulaire*
* sulfate d'amikacine – *Antibiotique*
* tacrolimus - *Immunosuppresseur*
* tadalafil (Cialis®/Adcirca®) - *Inhibiteur d'enzyme/inhibiteur de la phosphodiesterase de type 5*
* tarextumab – *Anticorps monoclonal*
* tenofovir disoproxil fumarate - *Inhibiteur d'enzyme/inhibiteur de la transcriptase inverse*
* tétrachlorhydrate de trientine - *Agent chélateur du cuivre*
* theranost 68Ga RGD - *Peptide*
* thioureidobutyronitrile (Kevetrin®)
* thiosulfate de sodium
* tideglusib - *Inhibiteur de kinase/ inhibiteur de la Glycogène Synthase Kinase 3*
* tirapazamine
* tisagenlecleucel-T (CTL019) – *Thérapie cellulaire*
* tolerogen – *Protéine de fusion*
* TPIV200 – *Produit d'immunothérapie*
* trehalose - *Disaccharide*
* triheptanoine - *Triglyceride*
* triamcinolone acetonide - *Corticosteroide*

* tremelimumab – *Anticorps monoclonal*
* treosulfan - *Agent alkylant*
* treprostinil (solution dispensée avec une micropompe) - *Analogue de la prostacycline*
* triolimus (combinaison de paclitaxel, de rapamycine et de tanespimycine) - *dérivé de taxane/inhibiteur des microtubules/ Immunosuppresseur/Antibiotique*
* trioxide d'arsenic
* ubenimex (Bestatin™) - *Inhibiteur d'enzyme/inhibiteur de protéase*
* udenafil - *Inhibiteur d'enzyme - inhibiteur de phosphodiestérase*
* ulocuplumab – *Anticorps monoclonal*
* vadastuximab talirine (SGN-CD33A) – *Anticorps conjugué*
* valproate de sodium – Agent antiépileptique
* valsartan (solution orale) - *Antagoniste du récepteur de l'angiotensine II*
* variant du facteur X recombinant - *Protéine*
* variant du facteur de croissance des fibroblastes 19 - *Protéine*
* varlitinib - *Inhibiteur de kinase/Inhibiteur de tyrosine kinase*
* Vasomera® (PB1046) – *Protéine de fusion*
* vecteur adénoviral codant pour la protéine REIC (*Reduced Expression in Immortalized Cells protein*) (MTG-201) – *Thérapie génique*
* vecteur adénoviral exprimant le gène d'*E.coli* codant pour la purine nucléoside (Gedeptin) – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé de sérotype 5 contenant le gène humain CHM – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé de sérotype 5 contenant le gène humain RPE65– *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé de sérotype 5 contenant l'isoforme D du facteur de croissance vasculaire endothélial – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé de sérotype 8 codant pour le gène humain ATP7B placé sous le contrôle du promoteur de l'alpha-1 antitrypsine humaine – *Thérapie génique*
* vecteur adéno –associé de sérotype 8 contenant le gène humain CNGA3 – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé de sérotype 8 contenant le gène humain codant pour le facteur VII – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé exprimant le gène exprimant le gène du VEGF – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé de sérotype 8 contenant le gène humain MTM1 - AT001 – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé de sérotype 8 codant pour l'ornithine transcarbamylase humaine – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé de type 8 contenant le promoteur de la rétinoschisine et l'ADN de la rétinoschisine humaine – *Thérapie génique*
* vecteur adéno –associé de sérotype 9 exprimant le gène SMN humain (*Survival Motor Neuron)* Char- iSMA™ – *Thérapie génique*
* vecteur adéno –associé de sérotype 9 exprimant l'iduronate-2-sulfatase humaine – *Thérapie génique*
* vecteur adéno –associé de sérotype 10 exprimant l'ADNc de la N-sulfoglucosamine sulfohydrolase – *Thérapie génique*
* vecteur adéno –associé de sérotype 9 contenant le gène humain HGSNAT – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé de sérotype 9 contenant le gène humain de la glucocérébrosidase – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé de sérotype 9 exprimant la L-iduronidase humaine - RGX-111 – *Thérapie génique*
* vecteur adénoviral de sérotype 9 contenant le gène UBE3A codant pour l'ubiquitine protéine ligase E3A/E6-AP – *Thérapie génique*

* vecteur adéno-associé de sérotype rh10 exprimant le gène du facteur IX humain – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé contenant un gène variant codant pour un facteur IX – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé contenant une cassette d'expression codant pour un variant du facteur IX – *Thérapie génique*
* vecteur adéno-associé exprimant le gène humain CNGA3 – *Thérapie génique*
* vecteur lentiviral pseudotypé par le sérotype Indiana de la protéine G du virus de la stomatite vésiculaire codant pour un antigène dérivé des protéines Tax, HBZ, p12I et p30II du virus HTLV-1 (THV-02) – *Thérapie génique*
* vecteur lentiviral pseudotypé par le sérotype New Jersey de la protéine G du virus de la stomatite vésiculaire codant pour un antigène dérivé des protéines Tax, HBZ, p12I et p30II du virus HTLV-1 – *Thérapie génique*
* veltuzumab – *Anticorps monoclonal*
* verucerfont - *Antagoniste du récepteur du facteur de libération de la corticotrophine*
* virus herpes simplex de type 1 virus contenant le gène B-myb (Myb34.5) – *Thérapie génique*
* virus adéno-associé de type 2 exprimant le gène codant pour la protéine RPE65 SPK-RPE65 — *Thérapie génique*
* virus adéno–associé rh74 exprimant le gène de la GalNac transferase (GALGT2) humaine sous le sous le contrôle du promoteur de la créatine kinase musculaire (MCK) – *Thérapie génique*
* vitamine A palmitate
* xenon