

Primär biliäre Cholangitis (PBC)

Herozygote Sichelzellanämie

Morbus Wilson (Lebererkrankung)

Glutarazidurie Typ-1

Alport-Syndrom (Angeborene Nierenerkrankung)

ASMD – Lysosomale Speicherkrankheit

Dermatologische Krankheitsbilder

CBAVD – Congenitale bilaterale Aplasie der Samenleiter

Mukoviszidose

Favismus

Thalassämie

Lupus erythematodes

Friedreich Ataxie

AADC-Mangel

Nicht dystrophe Myotonien

Übersicht über die Neuzulassungen 2024

u. v. m.