

衛生福利部公告

中華民國114年4月24日

衛授食字第1141413082號

主 旨：修正「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，並自即日生效。

依 據：罕見疾病防治及藥物法第三條第二項及第二十三條。

公告事項：

- 一、新增認定「rADAMTS13」（Lyophilized Powder for Injection，500IU、1500IU）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於先天性血栓性血小板低下紫斑症（Congenital Thrombotic Thrombocytopenic Purpura，cTTP）之病人，作為預防性治療或需要時酵素補充療法（Enzyme Replacement Therapy，ERT）」。
- 二、新增認定「Eplontersen」（Solution for Injection，45mg/0.8ml）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療成人TTR（transthyretin）家族性澱粉樣多發性神經病變（Familial Amyloidotic polyuropathy）」。
- 三、新增認定「Sotatercept」（Injection，50mg/ml）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療患有特發性或遺傳性肺動脈高壓的成人病人」。
- 四、新增認定「Iptacopan Hydrochloride」（Capsules，200mg）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「治療陣發性夜間血紅素尿症（Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria，PNH）的成人病人」。
- 五、新增認定「Odevixibat Sesquihydrate」（Capsules，200mg、400mg、600mg、1200mg）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「六個月以上進行性家族性肝內膽汁滯留症（Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis，PFIC）的病人；一歲以上阿拉吉歐症候群（Alagille syndrome，ALGS）病人的膽汁滯留性搔癢」。
- 六、新增認定「Crovalimab」（Injection，170mg/ml）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於十三歲以上且體重四十公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症（Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria，PNH）病人」。
- 七、修正「Maralixibat Chloride」（Oral Solution，9.5 mg/ml）認定之適應症為「用於治療二個月以上的阿拉吉歐症候群（Alagille syndrome，ALGS）病人的膽汁鬱積搔癢症；用於治療三個月以上的進行性家族性肝內膽汁滯留症（Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis，PFIC）病人的膽汁鬱積搔癢症。使用限制：Maralixibat

Chloride可能對於PFIC第二型病患帶有ABCB11變異所導致不具功能或完全缺失的膽鹽輸出幫浦蛋白（BSEP-3）無效」。

八、修正「Eladocagene Exuparvovec」認定之劑型為「Solution for Infusion」。

部 長 邱泰源

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項

成分名	劑型劑量	適應症
rADAMTS13	Lyophilized Powder for Injection, 500IU、1500IU	用於先天性血栓性血小板低下紫斑症(Congenital Thrombotic Thrombocytopenic Purpura, cTTP)之病人，作為預防性治療或需要時酵素補充療法(Enzyme Replacement Therapy, ERT)。
Eplontersen	Solution for Injection, 45mg/0.8ml	適用於治療成人TTR(transthyretin)家族性澱粉樣多發性神經病變(Familial Amyloidotic polyuropathy)。
Sotatercept	Injection, 50mg/ml	適用於治療患有特發性或遺傳性肺動脈高壓的成人病人。
Iptacopan Hydrochloride	Capsules, 200mg	治療陣發性夜間血紅素尿症(Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH)的成人病人。
Odevixibat Sesquihydrate	Capsules, 200mg、400mg、600mg、1200mg	1.六個月以上進行性家族性肝內膽汁滯留症(Progressive familial intrahepatic cholestasis, PFIC)的病人。 2.一歲以上阿拉吉歐症候群(Alagille syndrome, ALGS)病人的膽汁滯留性搔癢。
Crovalimab	Injection, 170mg/ml	適用於十三歲以上且體重四十公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症(Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH)病人。

Maralixibat Chloride	Oral Solution , 9.5 mg/ml	1.用於治療二個月以上的阿拉吉歐症候群(Alagille syndrome, ALGS)病人的膽汁鬱積搔癢症。 2.用於治療三個月以上的進行性家族性肝內膽汁滯留症(Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis, PFIC)病人的膽汁鬱積搔癢症。使用限制：Maralixibat Chloride 可能對於 PFIC 第二型病患帶有 ABCB11 變異所導致不具功能或完全缺失的膽鹽輸出幫浦蛋白 (BSEP-3)無效。
Eladocagene Exuparvovec	Solution for Infusion , 2.8x 10 ¹¹ vg/0.5 mL	適用於治療年齡在十八個月以上，且經臨床、分子和基因證實確診為具有嚴重表現型的芳香族 L-胺基酸類脫羧基酶(Aromatic L-amino acid decarboxylase, AADC) 缺乏症的病人。