

衛生福利部公告

中華民國114年5月23日

衛授食字第1141414668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「Elapegedemase」(Injection, 2.4mg/1.5ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「治療腺苷脫胺酶嚴重複合型免疫缺乏症 (Adenosine deaminase severe combined immune deficiency, ADA-SCID) 的病人」。
- 二、新增認定「Garadacimab」(Solution for injection, 200mg/1.2ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「十二歲以上第一型及第二型遺傳性血管性水腫 (Hereditary angioedema, HAE) 反覆發作病人的常規預防。須符合下列二者之一：1. 曾經有過三個月內發作三次 (含) 以上；2. 曾有過危及生命之發作」。
- 三、新增認定「Sebelipase alfa」(Solution for infusion, 2mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於溶酶體酸性脂肪酶缺乏症 (Lysosomal acid lipase deficiency, LALD) 病人的長期酵素替代療法」。
- 四、新增認定「Pegcetacoplan」(Solution for infusion, 54mg/ml) 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「Idursulfase beta」(Injection, 15mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「一歲以上黏多醣症第二型 (Mucopolysaccharidoses type II) 合併神經系統症狀的病人」。
- 六、修正「Risdiplam」(Powder for oral solution, 0.75mg/mL) 認定之適應症為「適用於治療經基因確診之脊髓性肌肉萎縮症 (Spinal muscular atrophy, SMA) 病人，其SMN2為一到三套或已出現症狀之SMA第一、二、三型病人」。

部 長 邱泰源 出國

政務次長 林靜儀 代行

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
Elapegamase	Injection, 2.4mg/1.5ml	治療腺苷脫胺酶嚴重複合型免疫缺乏症(Adenosine deaminase severe combined immune deficiency, ADA-SCID)的病人。
Garadacimab	Solution for injection, 200mg/1.2ml	十二歲以上第一型及第二型遺傳性血管性水腫(Hereditary angioedema, HAE)反覆發作病人的常規預防。須符合下列二者之一：1.曾經有過三個月內發作三次(含)以上；2.曾有過危及生命之發作。
Sebelipase alfa	Solution for infusion, 2mg/ml	適用於溶酶體酸性脂肪酶缺乏症(Lysosomal acid lipase deficiency, LALD)病人的長期酵素替代療法。
Pegcetacoplan	Solution for infusion, 54mg/ml	治療陣發性夜間血紅素尿症(Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria, PNH)的成人病人。
Idursulfase beta	Injection, 15mg/ml	一歲以上黏多醣症第二型(Mucopolysaccharidoses type II)合併神經系統症狀的病人。
Risdiplam	Powder for oral solution, 0.75 mg/mL	適用於治療經基因確診之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal muscular atrophy, SMA)病人，其 SMN2 為一到三套或已出現症狀之 SMA 第一、二、三型病人。