

罕見疾病藥物名單

中華民國99年3月1日 署授食字第0991601856號公告

認定日期: 公告列入罕見疾病藥物名單中; 許可日期: 核發許可證, 准予上市日期

序號	成分名	劑型、劑量	適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	修正說明
(一)	(RS)-2,3-bis (sulphonyl) propane-1-sulfonic acid (DMPS), sodium salt, Monohydrate	[Injection]	急性汞中毒解毒劑	90年8月15日衛署藥字第0900055243號公告	90年12月10日 罕藥輸字第000003號	科懋生物科技股份有限公司	
(二)	(RS)-2,3-Dimercapto-1-propanesulfonic acid (DMPS), sodium salt, Monohydrate	[Capsule]	急慢性汞中毒（金屬汞，揮發性有機或無機化合物）慢性鉛中毒	90年8月15日衛署藥字第0900055243號公告	90年12月10日 罕藥輸字第000002號	科懋生物科技股份有限公司	
(三)	[Meso-2,3-dimercaptosuccinic acid, DMSA]	[Capsule] [100 mg]	鉛、砷、汞中毒之解毒	88年6月17日衛署藥字第88036149號公告 97年1月22日衛署藥字第0970302902號公告 修正適應症	97年1月2日 罕藥製字第000011號	科進製藥科技股份有限公司	
(四)	Agalsidase-alpha	[Injection]	alpha-galactosidase A deficiency (Fabry disease)	91年4月9日衛署藥字第0910027540號公告	93年4月26日 罕菌疫輸字第000004	科懋生物科技股份有限公司	
(五)	Agalsidase-beta	[Injection]	alpha-galactosidase A deficiency (Fabry disease)	91年4月9日衛署藥字第0910027540號公告	93年4月26日 罕菌疫輸字第000005	吉帝藥品股份有限公司	
(六)	Albendazole	[Tablet] [200 mg]	鉤蟲感染之表皮幼蟲移行症	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告			
(七)	alpha 1-antitrypsin	injection	原發性alpha 1-antitrypsin缺乏之肺氣腫患者的替代治療	94年1月28日衛署藥字第0940304588號公告		海喬國際股份有限公司	
(八)	alpha-glucosidase	injection	龐貝氏症	94年1月28日衛署藥字第0940304588號公告		昆泰股份有限公司	
(九)	Ambisentan	5 mg and 10 mg tablet	原發性肺高血壓	98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告		荷商葛蘭素史克藥廠股份有限公司台灣分公司	
(十)	Anagrelide	[Capsule] [0.5 mg; 1.0 mg]	原發性血小板過多症	88年6月17日衛署藥字第88036149號公告	92年5月21日 罕藥輸字第000007號	吉泰藥品股份有限公司	
(十一)	Antivenin of Vipera Russelli	[Injection]	鎖鏈蛇咬傷	91年11月14日衛署藥字第0910073830號公告	97年8月1日 罕菌疫製字第000001號	疾病管制局	

序號	成分名	劑型、劑量	適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	修正說明
(十二)	Arginine	〔 Injection 〕 〔 10 gm/100ml 〕	尿素循環障礙	88年6月17日衛署藥字 第88036149號公告			
(十三)	Arsenic Trioxide	〔 Injection 〕 〔 1 mg/ml , 10 ml/vial 〕	急性前骨髓細胞白血病	88年12月9日衛署藥字 第88073234號公告	91年2月5日 罕藥製字第000005號	台灣東洋藥品股 份有限公司	
(十四)	Artemisinin	〔 Tablet 〕 〔 100 mg 〕	瘧疾	88年12月9日衛署藥字 第88073234號公告 98年5月4日衛署藥字 第0980305278號公告 修正適應症			
(十五)	Atovaquone-proguanil	〔 Tablet 〕 〔 250 mg+100 mg 〕	瘧疾	88年12月9日衛署藥字 第88073234號公告			
(十六)	Betaine	〔 Powder for Reconstitution 〕 〔 1 gm/scoopful 〕	高胱氨酸尿症	88年6月17日衛署藥字 第88036149號公告			
(十七)	Bosentan	62.5 and 125 mg tablet	原發性肺動脈高血壓	92年11月18日衛署藥 字第0920331943號公 告 (95年8月 22日衛署藥字第 0950325795號公告修	94年7月26日 罕藥輸字第000012號 (62.5 mg) 罕藥輸字第000013號 (125 mg)	科懋生物科技股 份有限公司	
(十八)	Citrulline	〔 Tablet, 600 mg 〕 〔 oral solution, 1 g/10 ml 〕	先天性因 citrulline缺乏引 起尿素代謝異常之高血氨 症	89年8月 1日衛署藥字 第0890009615號公告 (92年5月2日衛署藥字 第0920305496號公告 新增oral solution劑型)	90年12月11日 罕藥輸字第000001號	科懋生物科技股 份有限公司	
(十九)	Cysteamine Bitartrate	〔 Capsule 〕 〔 EQ 50 mg, 150 mg Base 〕	nephropathic cystinosis	88年12月9日衛署藥字 第88073234號公告			
(二十)	Dantrolene	(Injection) 〔 20 mg/vial 〕	惡性高溫熱	88年12月9日衛署藥字 第88073234號公告			

序號	成分名	劑型、劑量	適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	修正說明
(二十一)	Deferiprone (Kelfer)	〔 Capsule 〕 〔 250 mg ; 500 mg 〕	重型海洋性貧血 (Thalassemia major)病人, 使用Deferrioxamine治療不 理想或無法接受時;或在醫 師嚴格監測不良反應(如: 白血球數目,肝功能狀況 ...)下,與Deferrioxamine合	90年5月21日衛署藥字 第0900032249號公告	91年2月25日 罕藥輸字第000004號 (250 mg) 罕藥輸字第000005號 (500 mg)	康寧藥業股份有 限公司	
(二十二)	Diazoxide	〔 Capsule, Suspension 〕 〔 50 mg; 50 mg/ml 〕	persistent hyperinsulinemic hypoglycemia of infancy (PHHI)	88年12月9日衛署藥字 第88073234號公告 (92年11月18日衛署藥 字第0920331943號公 告修正適應症)			
(二十三)	Diloxanide Furoate	〔 Tablet 〕 〔 500 mg 〕	痢疾阿米巴帶原者	88年12月9日衛署藥字 第88073234號公告			
(二十四)	Dimercaprol	〔 Injection 〕 〔 10% 〕	重金屬解毒劑	88年12月9日衛署藥字 第88073234號公告			
(二十五)	Epoprostenol	〔 Injection 〕 〔 0.5 mg base/vial; 1.5 mg base/vial 〕	原發性肺高血壓	88年6月17日衛署藥字 第88036149號公告 (91年11月14日衛署藥 字第0910073830號公 告修正適應症)			
(二十六)	Gabapentin	〔 Capsule; Tablet 〕 〔 600 mg, 800 〕	脊髓側索硬化症 (Amyotrophic Laterol Sclerosis ALS)	88年12月9日衛署藥字 第88073234號公告		派德股份有限公 司	
(二十七)	Galsulfase	〔 Injection 〕 〔 5.0 mg/vial 〕	黏多醣症第6型 Mucopolysaccharidosis VI	95年1月25日衛署藥字 第0950302125號公告			
(二十八)	Glatiramer acetate	〔 Injection 〕 〔 20 mg/vial 〕	多發性硬化症(Multiple Sclerosis)	88年12月9日衛署藥字 第88073234號公告	94年3月9日 罕藥輸字第000009號 (powder for solution for injection) 95年12月21日 罕藥輸字第000015號 (solution for injection)	海喬國際股份有 限公司	

序號	成分名	劑型、劑量	適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	修正說明
(二十九)	Hemin	〔 Injection 〕	紫質症	88年6月17日衛署藥字第88036149號公告			
(三十)	idursulfase (iduronate-2-sulfatase)		long term enzyme replacement therapy for patients with MPS II (Hunter Syndrome)	95年8月22日衛署藥字第0950325795號公告			
(三十一)	Iloprost	nebuliser solution solution for infusion	原發性肺高血壓	91年8月8日衛署藥字第0910049668號公告 (nebuliser solution) 98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告 (solution for infusion)	94年5月23日 罕藥輸字第000011號 (nebuliser solution)	台灣拜耳股份有限公司	
(三十二)	Imiglucerase	〔 Injection 〕 〔 200 units/vial 〕	第一型(Type I)高雪氏症	88年6月17日衛署藥字第88036149號公告	94年11月3日 罕菌疫輸字第000006號	吉帝藥品股份有限公司	
(三十三)	Interferon-Beta-1a	〔 Injection 〕 〔 3MIU、6MIU、12MIU/vial 〕	多發性硬化症(Multiple Sclerosis)	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告	90年6月6日 罕菌疫輸字第000001號 90年11月26日	新加坡雪蘭諾股份有限公司台灣分公司	
(三十四)	Interferon-Gamma 1b	〔 Injection 〕 〔 100 mcg/0.5ml 〕	慢性肉芽腫病(Chronic Granulomatous Disease)	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告			
(三十五)	Iodoquinol	〔 Tablet 〕 〔 210mg; 650 mg 〕	阿米巴性痢疾	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告 98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告 修正適應症			
(三十六)	Ivermectin	〔 Tablet 〕 〔 3 and 6 mg 〕	糞小桿線蟲感染、血絲蟲感染	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告 98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告 新增劑量			

序號	成分名	劑型、劑量	適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	修正說明
(三十七)	L-5-hydroxytryptophan (5-HTP)	〔 Capsule 〕	BH4缺乏性苯酮尿症 (異型苯酮尿症) 〔 Tetrahydrobiopterin (BH4) deficiency PKU 〕	90年8月15日衛署藥字第0900055243號公告			
(三十八)	Lactic acid bacteria	oral use	chronic pouchitis disease 慢性囊炎疾病	91年8月8日衛署藥字第0910049668號公告		翰亨實業股份有限公司	
(三十九)	Laronidase	100 units/ml solution for infusion	黏多醣儲積症第一型	92年11月 18日衛署藥字第0920331943號公告	95年9月13日 罕菌疫輸字第000007號 罕菌疫輸字第000008號	吉帝藥品股份有限公司	
(四十)	Levocarnitine	〔 Injection; Oral Solution; Tablet 〕 [200 mg/ml, 1 gm/10ml, 330 mg, 1gm]	用於先天遺傳性代謝異常的續發性Carnitine缺乏症病患之急性慢性治療	88年6月17日衛署藥字第88036149號公告	91年5月3日 罕藥輸字第000006號 (tab)	健康化學製藥股份有限公司(i)翰亨實業股份有限公司(t)	
(四十一)	miglustat	capsule	Type I Gaucher Disease Niemann-Pick Disease Type C	94年1月28日衛署藥字第0940304588號公告 (Type I Gaucher Disease) 98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告 (Niemann-Pick Disease Type C)		科懋生物科技股份有限公司	
(四十二)	Mitotane	〔 Tablet 〕 〔 500 mg 〕	腎上腺皮質癌	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告			
(四十三)	Modafinil	200 mg	改善猝睡症患者的日間過度睡眠症狀	90年5月21日衛署藥字第0900032249號公告 (95年1月25日衛署藥字第0950302125號公告修正適應症)	94年2月24日 罕藥輸字第000010號	信東生技股份有限公司	
(四十四)	Natalizumab	300 mg/15 ml vial, solution for infusion	多發性硬化症	98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告			

序號	成分名	劑型、劑量	適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	修正說明
(四十五)	Nitisinone	2.0 mg/cap	酪胺酸血症第一型 Tyrosinemia type I	95年1月25日衛署藥字第0950302125號公告			
(四十六)	Nitric Oxide	〔 Inhaler 〕	新生兒原發性肺高血壓用	88年6月17日衛署藥字第88036149號公告			
(四十七)	Paromomycin Sulfate	〔 Capsule 〕 〔 250 mg 〕	隱孢子蟲感染、阿米巴性痢疾	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告 98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告 修正適應症			
(四十八)	Phenytoin	〔 Capsule 〕 〔 30 mg 〕	癲癇症(限用於調整劑量)	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告			
(四十九)	Phosphate solution	〔 Solution 〕	性聯遺傳型低磷酸鹽性佝僂症 [X-linked hypophosphatemic Rickets]	90年8月15日衛署藥字第0900055243號公告			
(五十)	potassium acid phosphate + sodium acid phosphate, anhydrous	〔 Tablet 〕	性聯遺傳型低磷酸鹽性佝僂症 [X-linked hypophosphatemic Rickets]	91年11月14日衛署藥字第0910073830號公告		吉帝藥品有限公司	
(五十一)	Primaquine-Phosphate	〔 Tablet 〕 〔 7.5 mg 〕	瘧疾、肺囊蟲肺炎	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告 98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告 修正劑量及適應症			
(五十二)	protein C	injection	先天性protein C缺乏所致之嚴重靜脈血栓	94年1月日衛署藥字第0940304588號公告		海喬國際股份有限公司	
(五十三)	Pyrimethamine	〔 Tablet 〕 〔 25 mg 〕	弓形蟲感染	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告 98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告 修正成分及劑量			
(五十四)	mefloquine	〔 Tablet 〕 〔 250 mg 〕	瘧疾	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告 98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告 修正成分劑量及適應症			

序號	成分名	劑型、劑量	適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	修正說明
(五十五)	Recombinant human insulin-like growth factor 1, rhIGF-1		Laron Syndrome	95年8月22日衛署藥字第0950325795號公告	97年3月17日 罕菌疫輸字第000009號	吉帝藥品股份有限公司	
(五十六)	Risedronate	[Tablet] [30 mg]	原發性變形性骨炎 (Primary Paget disease)	90年3月22日衛署藥字第0900018284號公告	92年8月21日 罕藥輸字第000008號	台灣安萬特藥品股份有限公司	
(五十七)	Sacrosidase	[Oral Solution] [900 IU/ml]	PKU with congenital sucrase-isomaltase deficiency	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告			
(五十八)	Sildenafil citrate	[Tablet] [20 mg]	原發性肺高血壓	98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告		輝瑞大藥廠股份有限公司	
(五十九)	Sod. Benzoate	[Capsule] [250 mg]	Non-ketotic hyperglycinemia	88年6月17日衛署藥字第88036149號公告	90年3月21日 罕藥製字第000001號	科進製藥科技股份有限公司	
(六十)	Sodium phenylacetate and sodium benzoate	injection	先天性尿素循環代謝障礙	96年8月8日衛署藥字第0960303535號公告		吉發企業股份有限公司	
(六十一)	Sodium Phenylbutyrate	[Powder; Tablet] [3 gm /teaspoonful; 500 mg]	缺乏 carbamylphosphate synthetase (CPS), Ornithine transcarbamylase (OTC)或 Argininosuccinic synthetase (AS)之先天性尿素循環障	88年6月17日 衛署藥字第88036149號公告 (97年1月22日衛署藥字第0970302902號公告修正適應症)			
(六十二)	Sodium Stibogluconat	[Injection] [100 mg/ml, 100 ml/bot]	利什曼症(黑熱病)	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告			
(六十三)	taltirelin hydrate	[Tablet]	脊髓小腦變性症 spinocerebellar degeneration, SCD	97年1月22日衛署藥字第0970302902號公告		台田藥品股份有限公司	一、本品項刪除。 二、本品適應症應修正為「脊髓小腦退化性動作協調障礙 spinocerebellar ataxia, SCA」，惟因廠商未提供足夠資料證明其適用之疾病分型，無法據以認定，故予以刪除。
(六十四)	tetrabenazine	[Tablet]	亨汀頓氏舞蹈症 Huntington disease	97年1月22日衛署藥字第0970302902號公告			

序號	成分名	劑型、劑量	適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	修正說明
(六十五)	Tetrahydro-Biopterin(BH4)	〔 Tablet 〕〔 10, 50 and 100 mg 〕	Treatment of patients with hyperphenylalaninemia due to tetrahydrobiopterin deficiency. Tetrahydrobiopterin-responsive	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告 98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告 修正劑量及適應症			
(六十六)	Thalidomide	〔 Capsule 〕〔 50 mg 〕	結節狀紅斑leprosum	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告	91年10月16日 罕藥製字第000006號	台灣東洋藥品股份有限公司	
(六十七)	Thymosin alfa 1	injection	DiGeorge Syndrome	91年8月8日衛署藥字第0910049668號公告			
(六十八)	Thyrotropin alfa Injection	[Injection] [1.1mg/ml]	甲狀腺分化癌治療之輔助診斷製劑	88年6月17日衛署藥字第88036149號公告	92年5月6日 罕菌疫輸字第000003	吉帝藥品股份有限公司	
(六十九)	Tobramycin	300 mg/5 ml solution for inhalation	囊狀纖維化症患者因基因缺陷致肺部因綠膿桿菌慢性感染,造成反覆急性發作支氣管擴張症之持續性治療	95年8月22日衛署藥字第0950325795號公告			
(七十)	TPN for PKU with congenital sucrase-somaltase deficiency之全靜脈營養注射	〔 Injection 〕	TPN For PKU with congenital sucrase-isomaltase deficiency之全靜脈營養注射劑	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告			
(七十一)	treprostinil sodium	〔 Injection 〕〔 1.0, 2.5, 5.0, 10.0 〕	原發性肺高血壓	91年11月 14日衛署藥字第0910073830號公告		科懋生物科技股份有限公司	
(七十二)	Tretinoin	soft gelatin capsules 10	急性前骨髓性白血病	92年11月 18日衛署藥字第0920331943號公		羅氏大藥廠股份有限公司	
(七十三)	Trientine HCl	[Capsule] [250, 300 mg]	威爾森氏病(Wilson Disease)	88年6月17日衛署藥字第88036149號公告 97年7月9日衛署藥字第0970305564號公告 新增劑量			

序號	成分名	劑型、劑量	適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	修正說明
(七十四)	Zinc Acetate	[Capsule] [25-50 mg]	威爾森氏病(Wilson Disease)	90年12月4日衛署藥字第0900074831號公告	93年11月29日罕藥製字第000007號(50 mg, 科進) 95年1月26日罕藥製字第000010號(25 mg, 科進) 94年3月15日罕藥製字第000008號(25 mg, 吉帝) 94年3月15日罕藥製字第000009號(50 mg, 吉帝)	科進製藥科技股份有限公司 吉帝藥品股份有限公司	

[illegible]

[illegible]

[illegible]

[illegible]

[illegible]

[illegible]

[illegible]

[illegible]

