

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
1	(RS)-2,3-bis (sulphonyl) propane-1-sulfonic acid (DMPS), sodium salt, Monohydrate	[Injection]	急性汞中毒解毒劑	90年08月15日衛署藥字第0900055243號公告	90年12月10日衛署罕藥輸字第000003號	科懋生物科技股份有限公司	困難取得
2	(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08月15日衛署藥字第0900055243號公告	90年12月10日衛署罕藥輸字第000002號	科懋生物科技股份有限公司	困難取得
3	[Meso-2,3-dimercaptosuccinic acid, DMSA]	[Capsule] [100 mg]	鉛、砷、汞中毒之解毒	88年06月17日衛署藥字第88036149號公告 97年01月22日衛署藥字第0970302902號公告修正適應症	97年01月02日衛署罕藥製字第000011號	科進製藥科技股份有限公司	困難取得
4	Agalsidase-alpha	[Injection]	alpha-galactosidase A deficiency (Fabry disease)	91年04月09日衛署藥字第0910027540號公告	93年04月26日衛署罕菌疫輸字第000004號	台灣武田藥品工業股份有限公司	罕見疾病
5	Agalsidase-beta	[Injection]	alpha-galactosidase A deficiency (Fabry disease)	91年04月09日衛署藥字第0910027540號公告	93年4月26日衛署罕菌疫輸字第000005號 (35 mg/vial) 112年2月8日衛部罕菌疫輸字第000046號 (5 mg/vial)	賽諾菲股份有限公司	罕見疾病
6	Albendazole; Zental	[Tablet] [200 mg]	鉤蟲感染之表皮幼蟲移行症	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告		如山藥業有限公司 龍生藥品股份有限公司	困難取得
7	Alemtuzumab	Injection ; 10mg/ml	用於治療有臨床或影像證實為活動性疾病狀態的成人復發緩解型多發性硬化症(RRMS)，基於安全性考量，應使用於曾經接受2項或以上藥品治療反應不佳之多發性硬化症病人。	105年10月27日部授食字第1051410789號公告	107年6月12日衛部罕菌疫輸字第000025號	賽諾菲股份有限公司	罕見疾病
8	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01月28日衛署藥字第0940304588號公告		海喬國際股份有限公司	罕見疾病
9	alpha-glucosidase	injection	龐貝氏症	94年01月28日衛署藥字第0940304588號公告		賽諾菲股份有限公司	罕見疾病
10	Ambrisentan	5 mg and 10 mg tablet	原發性肺高血壓	98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告	101年08月15日衛署罕藥輸字第000024號 (5 mg) 101年08月15日衛署罕藥輸字第000023號 (10 mg)	荷商葛蘭素史克藥廠股份有限公司台灣分公司	罕見疾病
11	Anagrelide	[Capsule] [0.5 mg; 1.0 mg]	原發性血小板過多症	88年06月17日衛署藥字第88036149號公告	92年05月21日衛署罕藥輸字第000007號 (0.5 mg , 武田) 109年07月22日 衛部罕藥輸字第000061號 (1mg) 109年05月22日 衛部罕藥輸字第000062號 (0.5mg , 美時) 110年8月26日 衛部罕藥輸字第000076號(0.5mg , 諾華) 111年2月8日 衛部罕藥輸字第000080號(0.5mg , 旌宇)	台灣武田藥品工業股份有限公司 美時化學製藥股份有限公司 台灣諾華股份有限公司 旌宇藥業股份有限公司	困難取得
12	Antisense inhibitor of apolipoprotein B-100	[Injection] 200mg	同合子家族性高膽固醇血症(病人須經基因檢測確診為同合子家族性高膽固醇血症才可使用本品)	100年09月06日署授食字第1001404946號公告		賽諾菲股份有限公司	罕見疾病
13	Antivenin of Vipera Russellii	[Injection]	鎖鏈蛇咬傷	91年11月14日衛署藥字第0910073830號公告	97年08月01日衛署罕菌疫製字第000001號	疾病管制署	困難取得
14	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		科懋生物科技股份有限公司	罕見疾病

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
15	Arsenic Trioxide	〔 Injection 〕〔 1 mg/ml , 10 ml/vial	急性前骨髓細胞白血病	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告	91年01月14日衛署罕藥製字第000005號	臺灣東洋藥品工業股份有限公司	困難取得
16	Artemisinin	〔 Tablet 〕〔 100 mg 〕	瘧疾	88年12月9日衛署藥字第88073234號公告 98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正適應症			困難取得
17	Asfotase alfa	Injection , 40、100 mg/ml	小兒發作型低磷酸脂酶症 (paediatric-onset hypophosphatasia)	106年06月14日衛授食字第1061404653號	113年10月8日衛部罕菌疫輸字第000052號(40mg/ml) 113年10月8日衛部罕菌疫輸字第000053號(100mg/ml)	台灣瑞頌有限公司	罕見疾病
18	Ataluren	granules for oral suspension , 125, 250, 1000 mg	用於治療抗肌縮蛋白基因無意義突變導致的裘馨氏肌肉萎縮症 (Duchenne muscular dystrophy, DMD)，兩歲以上可行走之病人。	109年12月30日衛授食字第1091412881號公告		台灣吉帝藥品股份有限公司	罕見疾病
19	Atovaquone-proguanil	〔 Tablet 〕〔 250 mg+100 mg 〕	瘧疾	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告		上群國際企業有限公司	困難取得
20	Avalglucosidase alfa	Injection , 10 mg/mL	用於6個月以上龐貝氏症(酸性 α -葡萄糖苷酶缺乏；pompe disease, acid α -glucosidase deficiency)病人的長期酵素替代療法	111年1月21日衛授食字第1101460642號公告	111年4月7日衛部罕菌疫輸字第000037號	賽諾菲股份有限公司	罕見疾病
21	Belzutifan	Tablet , 40 mg	適用於治療患有Von Hippel-Lindau (VHL)症候群且須治療伴隨發生之腎細胞癌(Renal Cell Carcinoma, RCC)、中樞神經系統血管母細胞瘤(Central Nervous System Hemangioblastoma)或胰臟神經內分泌腫瘤(Pancreatic Neuroendocrine Tumours, pNET)，但不適合局部手術	112年10月2日衛授食字第1121409849號公告		美商默沙東藥廠股份有限公司	罕見疾病
22	Betaine	〔 Powder for Reconstitution 〕〔 1 gm/scoopful 〕	高胱胺酸血症之輔助治療，包含以下輔酶缺乏或輔助因子缺乏： 1.光硫醚 β 合成酶 (Cystathionine Beta-Synthase, CBS)。 2. 5,10-亞甲基四氫葉酸還原酶 (5,10-methylene-tetrahydrofolate reductase, MTHFR)。 3.鈷胺 (Cobalamin, Cbl)。	88年06月17日衛署藥字第88036149號公告 106年09月27日衛授食字第1061408346號公告修正適應症		科懋生物科技股份有限公司	罕見疾病
23	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08月22日衛署藥字第0950325795號公告修正適應症	94年07月26日衛署罕藥輸字第000012號 (62.5 mg, 嬌生) 94年07月26日衛署罕藥輸字第000013號 (125 mg, 嬌生) 106年05月10日衛部罕藥輸字第000043號 (62.5 mg, 運和) (已註銷) 106年07月24日衛部罕藥輸字第000044號 (125 mg, 運和)	嬌生股份有限公司 運和生技有限公司	罕見疾病
24	Burosumab	solution for injection , 10、20、30 mg/mL	對於性聯遺傳型低磷酸鹽症(X-linked Hypophosphatemia)成人及一歲以上兒童的治療。	109年8月26日衛授食字第1091408103號公告	109年09月21日衛部罕菌疫輸字第000030號(10mg) 109年09月21日衛部罕菌疫輸字第000031號(20mg) 109年09月21日衛部罕菌疫輸字第000032號(30mg)	台灣協和麒麟股份有限公司	罕見疾病

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
25	Cannabidiol	oral solution, 100 mg/ml	適用於年滿二歲之Dravet症候群 (Dravet Synrome, DS), 或年滿一歲之結節性硬化症(Tuberous Sclerosis Complex, TSC)的病人, 作為該二類病人於現有藥物治療下癲癇控制不佳時之輔助治療。	112年4月25日衛授食字第1121402685號公告 113年5月16日衛授食字第1131404908號公告修正適應症	113年01月19日衛部罕藥輸字第000094號	衛生福利部食品藥物管理署 管制藥品製藥工廠	罕見疾病
26	Carglumic acid	200mg tablet	1.因N-acetylglutamate synthase deficiency缺失而引起的高血氨症 2.isovaleric acidemia造成之高血氨症 3.methymalonic acidemia造成之高血氨症	101年11月13日署授食字第1011409066號	108年01月17日衛部罕藥輸字第000056號	科懋生物科技股份有限公司	罕見疾病
27	Cerliponase alfa	Solution for infusion, 30	治療神經元蠟樣脂褐質儲積症第二型。	107年9月7日衛授食字第1071407569號	108年10月28日衛部罕菌疫輸字第000028號	美商百傲萬里股份有限公司	罕見疾病
28	Chenodeoxycholic acid	capsule, 250 mg	因缺乏固醇27-烴化酶 (sterol 27-hydroxylase)而導致的先天性膽酸合成障礙(呈現症狀為腦腱性黃瘤症)之1個月齡以上的病人。	109年09月29日衛授食字第1091409001號		國嘉製藥工業股份有限公司	罕見疾病
29	Chloral Hydrate	oral solution, 100mg	兒童檢查前 (non-painful procedure) 之鎮靜。	107年01月22日衛授食字第1061411970號	108年04月12日衛部罕藥製字第000020號	晟德大藥廠股份有限公司	困難取得
30	Cholic acid	[Capsule] [50mg、250mg]	Sterol-27-hydroxylase deficiency、2-methylacyl-CoA racemase (AMACR) deficiency、cholesterol 7 α -hydroxylase (CYP7A1) deficiency、3 β -hydroxy- Δ 5-C27-steroid dehydrogenase deficiency (3 β -HSD) 及 Δ 4-3-oxosteroid 5 β -reductase deficiency (AKR1D1)單一酵素缺乏造成之先天性膽酸合成障礙。輔助治療「過氧化體代謝異常 [peroxisomal disorders (PDs)]」, 包括「Zellweger spectrum disorders」病患呈現肝病表現、脂肪瀉或降低	103年11月4日部授食字第1031411329號 105年7月22日部授食字第1051406889號公告修正適應症	107年06月06日衛部罕藥輸字第000054號 107年06月06日衛部罕藥輸字第000055號	吉帝藥品股份有限公司	罕見疾病
31	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日衛署罕藥輸字第000001號 (oral solution)	科懋生物科技股份有限公司	罕見疾病
32	Cladribine	tablet, 10mg	復發型多發性硬化症 (臨床上有發作, 且前二年有二次復發者)。	107年1月22日衛授食字第1061411970號	108年5月22日衛部罕藥輸字第000058號	台灣默克股份有限公司	罕見疾病
33	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		科懋生物科技股份有限公司	罕見疾病
34	Cysteamine hydrochloride	eye drops solution, 3.8 mg/ml	治療二歲以上兒童及成人胱胺酸血症 (Cystinosis)患者之角膜胱胺酸 (cystine)結晶堆積。	111年4月15日衛授食字第1111403012號公告		科懋生物科技股份有限公司	罕見疾病
35	Dalfampridine	[SR tablet] 10mg	多發性硬化症, 但不建議為第一線用藥	100年9月6日署授食字第1001404947號公告		華宇藥品股份有限公司	罕見疾病

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
36	Danicopan	Film-Coated Tablets, 50mg、100mg	適用於作為Ravulizumab或Eculizumab的附加藥物，治療陣發性夜間血紅素尿症(Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH)且曾經有血管外溶血(Extravascular Hemolysis, EVH)的成年病人。	113年12月2日衛授食字第1131414091號公告		臺灣阿斯特捷利康股份有限公司	罕見疾病
37	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		瑞帝有限公司	困難取得
38	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合併使用	90年05月21日衛署藥字第0900032249號公告	91年02月25日衛署罕藥輸字第000004號(250 mg)(已註銷) 91年02月25日衛署罕藥輸字第000005號(500 mg)	康寧藥業有限公司	罕見疾病
39	Diacerein	[Ointment][1% (w/w)]	單純型遺傳性表皮分解性水泡症	104年08月17日部授食字第1041407049號		安成生物科技股份有限公司	罕見疾病
40	Diazoxide	〔 Capsule, Suspension 〕〔 50 mg; 50 mg/ml 〕	persistent hyperinsulinemic hypoglycemia of infancy (PHHI)	88年12月09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		哈佛生技藥業股份有限公司	罕見疾病
41	Diloxanide Furoate	〔 Tablet 〕〔 500 mg 〕	痢疾阿米巴帶原者	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告			困難取得
42	Dimercaprol	〔 Injection 〕〔 10% 〕	重金屬解毒劑	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告			困難取得
43	Dimethyl fumarate	[Capsule][120mg、240mg]	復發型多發性硬化症	104年08月17日部授食字第1041407049號	106年06月27日衛部罕藥輸字第000039號(120mg) 106年06月27日衛部罕藥輸字第000040號(240mg)	衛采製藥股份有限公司	罕見疾病
44	Eculizumab	[Injection] 300mg/vial	陣發性夜間血紅素尿症患者有溶血性貧血且需輸血或有栓塞的併發症、非典型溶血性尿毒症候群(限施於plasma therapy-resistant之病人)；適用於治療抗水通道蛋白4抗體陽性[anti- aquaporin-4 (AQP4) antibody positive]的泛視神經脊髓炎(Neuromyelitis Optica Spectrum Disorder, NMOSD)之成人病人	100年05月13日署授食字第1001401566號公告 103年06月30日部授食字第1031406806號公告新增適應症 112年7月13日衛授食字第1121406998號公告新增適應症	105年12月15日衛部罕菌疫輸字第000016號	臺灣阿斯特捷利康股份有限公司	罕見疾病
45	Edaravone	injection, 1.5 mg/mL	抑制肌萎縮性側索硬化症(ALS)功能障礙情形的惡化。	109年09月29日衛授食字第1091409001號		台田藥品股份有限公司	罕見疾病

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
46	Eladocagene exuparvovec	Solution for Injection, 2.8x 10 ¹¹ vg/0.5 mL	適用於治療年齡在18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。	112年10月2日衛授食字第1121409849號公告	113年4月25日衛部罕菌疫輸字第000051號	吉帝藥品股份有限公司	罕見疾病
47	Eliglustat tartrate	[Capsule] 50mg, 100mg, 150mg	高雪氏症第一型	103年02月12日部授食字第1031400516號公告 105年10月27日部授食字第1051410789號公告修正成分名	106年8月16日衛部罕藥輸字第000042號（100mg）	賽諾菲股份有限公司	罕見疾病
48	Elosulfase alfa (N-acetylgalactosamine-6-sulfatase)(rhGALNS)	[Injection] [1mg/ml]	黏多醣症第4A型	103年12月30日部授食字第1031413154號公告	106年01月21日衛部罕菌疫輸字第000023號	吉帝藥品股份有限公司	罕見疾病
49	Epoprostenol	[Injection] [0.5 mg base/vial; 1.5 mg base/vial]	原發性肺高血壓	88年06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	98年06月29日衛署罕藥輸字第000017號（0.5mg） 98年06月29日衛署罕藥輸字第000018號（1.5mg）(已註銷)	荷商葛蘭素史克藥廠股份有限公司台灣分公司	罕見疾病
50	Everolimus	[Tablet] [2.5mg, 5mg]	1.結節性硬化症具有明確成長跡象或腫瘤已引起水腦現象之腦室管膜下巨細胞星狀瘤(TSC-SEGA)。說明：明確成長跡象為：腫瘤比原先病灶長大25%以上，或是有最大直徑1公分以上之新病灶。 2.結節性硬化症併有腎血管肌脂肪瘤之成年患者，其腎血管肌脂肪瘤最長直徑需≥4cm，且曾有發生臨床上有意義之出血或確認病灶有血管瘤直徑≥5mm，而無法以外科手術治療或動脈栓塞治療，或經動脈栓塞治療或外科手術治療後無效或復發者	100年09月06日署授食字第1001404947號公告 104年08月17日部授食字第1041407049號新增適應症	101年7月10日衛署罕藥輸字第000021號（2.5 mg） 101年7月10日衛署罕藥輸字第000020號（5 mg）	台灣諾華股份有限公司	罕見疾病
51	Evolocumab	Injection；140mg/ml	同合子家族性高膽固醇血症，適用於飲食及其他降血脂療法（如：statins、ezetimibe、LDL血漿析離術）之輔助療法，用以進一步降低LDL-C，但LDLR-negative mutation之病人除外。	105年10月27日部授食字第1051410789號公告	106年01月25日衛部罕菌疫輸字第000018號	台灣安進藥品有限公司	罕見疾病
52	Fingolimod	[hard capsule] 0.25mg;0.5mg	復發性多發性硬化症(前一年有一次復發或前兩年有兩次復發者)	100年09月06日署授食字第1001404947號公告	103年04月08日衛署罕藥輸字第000025號 108年08月29日衛部罕藥輸字第000059號	台灣諾華股份有限公司	罕見疾病
53	Fomepizole	Injection, 1g/ml	甲醇或乙二醇中毒之解毒劑	103年02月12日部授食字第1031400516號公告	105年06月30日衛部罕藥製字第000016號	華宇藥品股份有限公司	困難取得
54	Gabapentin	[Capsule; Tablet] [600 mg, 800 mg]	脊髓側索硬化症(Amyotrophic Laterol Sclerosis ALS)	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告			罕見疾病
55	Galsulfase	[Injection] [5.0 mg/vial]	黏多醣症第6型 Mucopolysaccharidosis VI	95年01月25日衛署藥字第0950302125號公告	106年04月21日衛部罕菌疫輸字第000024號	美商百傲萬里生技股份有限公司台灣分公司	罕見疾病

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
56	Givosiran	injection，189 mg/ml	適用於治療成人急性肝紫質症 (AHP, acute hepatic porphyria)。	109年09月29日衛授食字第1091409001號公告	112年06月30日衛部罕藥輸字第000091號	吉帝藥品股份有限公司	罕見疾病
57	Glatiramer acetate	[Injection] [20 mg/ml]	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日衛署罕藥輸字第000009號(已註銷) 95年12月21日衛署罕藥輸字第000015號(已註銷) 104年9月1日衛部罕藥輸字第000033號	香港商梯瓦藥業有限公司台灣分公司	罕見疾病
58	Glatiramer acetate	[Injection] [40 mg/ml]	用於治療首次出現臨床症狀且有MRI為佐證之多發性硬化症病人。復發型多發性硬化症，用於減少復發型多發性硬化症病人的復發頻率	105年1月19日部授食字第1041412451號公告新增劑量	105年8月25日衛部罕藥輸字第000035號	香港商梯瓦藥業有限公司台灣分公司	罕見疾病
59	Glycerol phenylbutyrate	oral solution, 1.1 g/ml	本品用於不能藉由限制蛋白質的攝入和/或單純補充氨基酸控制的尿素循環代謝異常(Urea Cycle Disorder；UCDs)病人的長期輔助治療，包括carbamoyl phosphate synthetase (CPS) I缺乏症、鳥胺酸氨甲醯基轉移酶(ornithine carbamoyltransferase(OTC))缺乏症、argininosuccinate synthetase(ASS)缺乏症、argininosuccinate lyase(ASL)缺乏症、arginase (ARG)I缺乏症和ornithine translocase缺失引起之高鳥胺酸血症-高氨血症-高瓜胺酸血症症候群(hyperornithinaemia-hyperammonaemia homocitrullinuria	112年4月25日衛授食字第1121402685號公告		微功商行有限公司	罕見疾病
60	Human Hemin	[Injection]	紫質症	88年06月17日衛署藥字第88036149號公告	100年05月27日衛署罕菌疫輸字第000010號	科懋生物科技股份有限公司	罕見疾病
61	Human C1-esterase inhibitor	Injection，500 IU	第一型及第二型遺傳性血管性水腫(hereditary angioedema, HAE)急性發作的治療。	109年12月30日衛授食字第1091412881號公告	110年11月30日衛部罕菌疫輸字第000034號	傑特貝林有限公司	罕見疾病
62	Human plasma coagulation factor XIII	Injection，250IU/vial	先天性第十三凝血因子缺乏症的預防性治療以及圍手術期(periooperative)出血管理。	105年07月22日部授食字第1051406889號公告	108年6月21日衛部罕菌疫輸字第000027號	傑特貝林有限公司	困難取得
63	Icatibant	Injection，10mg/mL	適用於體內C1酯酶抑制劑不足的成人、青少年及2歲以上兒童，在其遺傳性血管性水腫（hereditary angioedema，HAE）急性發作時進行症狀治療。	108年01月19日衛授食字第1071411029號公告	110年1月28日衛部罕藥輸字第000066號(武田) 110年1月28日衛部罕藥製字第000021號(南光)	台灣武田藥品工業股份有限公司 南光化學製藥股份有限公司	罕見疾病
64	Idebenone	film-coated tablets，150 mg	適用於治療十二歲以上病人因雷伯氏遺傳性視神經病變(Leber's hereditary optic neuropathy；LHON)造成之視力障礙。	112年4月25日衛授食字第1121402685號公告		台灣大昌華嘉股份有限公司	罕見疾病
65	Idursulfase (iduronate-2-sulfatase)	[Injection] [2mg/ml 6mg/vial]	long term enzyme replacement therapy for patients with MPS II (Hunter Syndrome)	95年08月22日衛署藥字第0950325795號公告	101年08月09日衛署罕菌疫輸字第000011號	賽諾菲股份有限公司	罕見疾病

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
66	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05月23日衛署罕藥輸字第000011號(nebuliser solution 10 µg/ml) 107年05月07日衛部罕藥輸字第000053號(nebuliser solution 20 µg/ml)	臺灣拜耳股份有限公司	罕見疾病
67	Imiglucerase	Injection, 200、400 units/vial	改善高雪氏症症狀，包括貧血、血小板減少症、肝臟或脾臟腫大、骨病變，但對於神經學症狀無效。	88年6月17日衛署藥字第88036149號公告 100年9月6日署授食字第1001404947號公告新增劑量400U 105年7月22日部授食字第1051406889號公告修正適應症 106年4月5日衛授食字第1061402126號公告修正適應症	94年11月03日衛署罕菌疫輸字第000006號（200U）（已註銷） 102年12月27日衛部罕菌疫輸字第000015號（400U）	賽諾菲股份有限公司	罕見疾病
68	Inebilizumab	solution for intravenous infusion, 10 mg/ml	適用於治療抗水通道蛋白4抗體陽性[anti-aquaporin-4 (AQP4) antibody positive]的泛視神經脊髓炎(Neuromyelitis optica spectrum disorder, NMOSD)之成人病人。	111年9月14日衛授食字第1111408593號公告	111年9月30日衛部罕菌疫輸字第000043號	台田藥品股份有限公司	罕見疾病
69	Interferon-Beta-1a	〔 Injection 〕 [44、88 mcg/ml]	1.多發性硬化症(Multiple Sclerosis) 2.發生單一臨床症狀(Clinically isolated syndrome, CIS) 疑似多發性硬化症的病患，可延緩其惡化成多發性硬化症。	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告 104年08月17日部授食字第1041407049號新增劑量 112年10月2日衛授食字第1121409849號公告修正劑量及新增適應症	90年05月28日衛署罕菌疫輸字第000001號 (22 mcg) 90年11月26日衛署罕菌疫輸字第000002號 (44 mcg) 101年08月20日衛署罕菌疫輸字第000012號 (66 mcg) 101年08月20日衛署罕菌疫輸字第000013號 (132 mcg)	臺灣默克股份有限公司	罕見疾病
		〔 Injection 〕 60 mcg/ml	復發型多發性硬化症	112年10月2日衛授食字第1121409849號公告修正劑量及新增適應症		臺灣默克股份有限公司	罕見疾病
70	Interferon-Gamma 1b	〔 Injection 〕 [100 mcg/0.5ml]	慢性肉芽腫病(Chronic Granulomatous Disease)	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告		吉帝藥品股份有限公司	罕見疾病
71	Iodoquinol	〔 Tablet 〕 [210mg; 650 mg]	阿米巴性痢疾	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告 98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正適應症		上群國際企業有限公司	困難取得
72	Ivermectin	〔 Tablet 〕 [3 and 6 mg]	糞小桿線蟲感染、血絲蟲感染	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告 98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告新增劑		美商默沙東股份有限公司	困難取得
73	KH ₂ PO ₄ + Na ₂ HPO ₄ + NaH ₂ PO ₄ · H ₂ O	tablet, KH ₂ PO ₄ 155mg + Na ₂ HPO ₄ 852mg + NaH ₂ PO ₄ ·	性聯遺傳型低磷酸鹽佝僂症(X-linked Hypophosphatemic Rickets)	109年8月26日衛授食字第1091408103號公告		華宇藥品股份有限公司	罕見疾病

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
74	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08月15日衛署藥字第0900055243號公告		中國化學製藥股份有限公司新豐工廠	罕見疾病
75	Lactic acid bacteria	oral use	chronic pouchitis disease 慢性囊炎疾病	91年08月08日衛署藥字第0910049668號公告			困難取得
76	Lanadelumab	injection , 150mg/ml	作為遺傳性血管性水腫反覆發作之預防。說明：1.曾經有過1個月發作3次(含)以上或6個月發作達到5次；2.曾有過危及生命之發作。	108年9月24日衛授食字第1081409142號公告	110年1月28日衛部罕菌疫輸字第000033號	台灣武田藥品工業股份有限公司	罕見疾病
77	Laronidase	100 units/ml solution for	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09月13日衛署罕菌疫輸字第000007號 95年09月13日衛署罕菌疫輸字第000008號(已註銷)	賽諾菲股份有限公司	罕見疾病
78	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06月17日衛署藥字第88036149號公告	91年05月03日衛署罕藥輸字第000006號(tab,翰亨) 95年01月26日衛署罕藥輸字第000014號(inj,翰亨) 97年05月15日衛署罕藥輸字第000016號(oral solution,翰亨) 104年03月04日衛部罕藥製0000015號(Inj,旭能)	翰亨實業股份有限公司 旭能醫藥生技股份有限公司	罕見疾病
79	Lumasiran	Solution for Injection , 94.5	治療原發性高草酸鹽尿症1型 (Primary Hyperoxaluria type 1 ,	113年12月2日衛授食字第1131414091號公告		艾拉倫股份有限公司	罕見疾病
80	Lomitapide	[Capsule] 5mg, 10mg, 20mg	同合子家族性高膽固醇血症	103年02月12日部授食字第1031400516號公告	104年04月21日衛部罕藥輸字第000030號 (5mg) (已註銷) 104年04月21日衛部罕藥輸字第000031號 (10mg) (已註銷) 104年04月21日衛部罕藥輸字第000032號 (20mg) (已註銷)	祥瑞醫藥生技有限公司	罕見疾病
81	Luspatercept	injection , 50 mg/ml	用於治療與β型重型海洋性貧血相關的輸血依賴性貧血的成年病人。	110年10月13日部授食字第1101409428號公告	111年08月15日衛部罕菌疫輸字第000041號	台灣必治妥施貴寶股份有限公司	罕見疾病
82	Macitentan	10mg film-coated tablets	適用於世界衛生組織 (WHO) 功能分類第II至第IV級的原發性肺動脈高血壓患者	102年10月07日部授食字第1021451178號公告	105年01月25日衛部罕藥輸字第000034號	嬌生股份有限公司	罕見疾病
83	Maralixibat Chloride	Oral Solution , 9.5 mg/ml	1.用於治療三個月以上的阿拉吉歐症候群(Alagille syndrome)病人的膽汁鬱積搔癢症。 2.用於治療一歲以上的進行性家族性肝內膽汁滯留症(Progressive Familial Intra-hepatic Cholestasis)病人的膽汁鬱積搔癢症。	112年7月13日衛授食字第1121406998號公告 113年5月16日衛授食字第1131404908號公告修正適應症	112年08月15日衛部罕藥輸字第000093號(10mg/ml)	北海康成股份有限公司	罕見疾病
84	Mefloquine	〔 Tablet 〕 〔 250 mg 〕	瘧疾	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告 98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正成分劑量及適應症	100年06月23日衛署罕藥輸字第000019號	鴻汶醫藥實業有限公司	困難取得
85	Methylene blue	[Injection] 0.5%, 1%	變性血紅素血症 (Methemoglobinemia)	101年02月16日衛署藥字第1001409639號公告	104年03月09日衛部罕藥製字第 000013號 (1%)	安星製藥股份有限公司	困難取得
86	Migalastat	capsule , 123mg	適用於已確診為法布瑞氏症且於體外試驗確定為可符合性基因突變的16歲(含)以上病人	108年05月30日衛授食字第1081404660號公告	109年2月3日衛部罕藥輸字第000060號	台灣大昌華嘉股份有限公司	罕見疾病

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
87	Miglustat	capsule	1.Type I Gaucher Disease 2.Niemann-Pick Disease Type C	94年01月28日衛署藥字第0940304588號公告(Type I Gaucher Disease) 98年05月4日衛署藥字第0980305278號公告(Niemann-Pick Disease Type	103年05月10日衛部罕藥輸字第000028號(Type I Gaucher Disease)	嬌生股份有限公司	罕見疾病
88	Mitotane	〔 Tablet 〕〔 500 mg 〕	腎上腺皮質癌	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告	112年06月26日衛部罕藥輸字第000092號	吉帝藥品股份有限公司	困難取得
89	Modafinil	200 mg	改善猝睡症患者的日間過度睡眠症狀	90年05月21日衛署藥字第0900032249號公告 95年01月25日衛署藥字第0950302125號公告修正適應症	94年02月24日衛署罕藥輸字第000010號	香港商梯瓦藥業有限公司台灣分公司	困難取得
90	Natalizumab	300 mg/15 ml vial, solution for	多發性硬化症	98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告	101年08月27日衛署罕菌疫輸字第000014號	衛采製藥股份有限公司	罕見疾病
91	Nitisinone	2.0 mg/cap	酪胺酸血症第一型 Tyrosinemia type I	95年01月25日衛署藥字第0950302125號公告		吉帝藥品股份有限公司	罕見疾病
92	Nitric Oxide	〔 Inhaler 〕	新生兒原發性肺高血壓用	88年06月17日衛署藥字第88036149號公告			罕見疾病
93	Nusinersen	injection , 2.4mg/ml	經基因確診之SMA脊髓性肌肉萎縮症病人，其SMN2為2或3套或已出現症狀之SMA第一、二、三型病人，但不適用於已使用呼吸器每天12小時以上且連續超過30天者。	107年03月12日衛授食字第1071401892號 109年8月26日衛授食字第1091408103號公告修正適應症	108年01月22日衛部罕藥輸字第000057號	台灣百健有限公司	罕見疾病
94	Ofatumumab	solution for injection , 50 mg/mL	(1)成人復發緩解型多發性硬化症(relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS) (2)成人活動性次發進展型多發性硬化症(active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)。	109年12月30日衛授食字第1091412881號公告 110年10月13日部授食字第1101409428號公告修正適應症	111年2月24日衛部罕菌疫輸字第000035號	台灣諾華股份有限公司	罕見疾病
95	Olipudase Alfa	Powder and Solvent for Solution for Injection , 4 mg/ml	用以治療患有酸性神經鞘磷脂酶缺乏症(Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) (又名Niemann-Pick氏症A型和B型)病人的非中樞神經系統(non-CNS)表徵之酵素替代療法	112年7月13日衛授食字第1121406998號公告	113年1月25日衛部罕菌疫輸字第000048號	賽諾菲股份有限公司	罕見疾病
96	Onasemnogene abeparvovec	2x10 ¹³ vg/ml, solution for intravenous infusion	治療二歲以下，經基因確診之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal Muscular Atrophy；SMA)病人，其SMN2為二或三套，但不適用於已使用呼吸器每天十二小時以上且連續超過三十天者。	109年3月18日衛授食字第1091401809號公告 112年4月25日衛授食字第1121402685號公告修正適應症	109年12月22日衛部罕菌疫輸字第000029號	台灣諾華股份有限公司	罕見疾病

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
97	Ozanimod	capsule，0.23 mg、0.46 mg、0.92 mg	成人復發緩解型多發性硬化症 (relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS) 的治療。	110年10月13日衛授食字第1101409428號公告	111年2月7日衛部罕藥輸字第000077號(0.23 mg) 111年2月7日衛部罕藥輸字第000078號(0.46 mg) 111年2月7日衛部罕藥輸字第000079號(0.92 mg)	台灣必治妥施貴寶股份有限公司	罕見疾病
98	Pegvaliase	solution for injection，5 mg/ml、20 mg/ml	適用於治療即使已使用其他治療手段，血中苯丙胺酸濃度仍無法獲得充分控制(血中苯丙胺酸濃度高於600微莫耳/升)之年滿十六歲的苯丙酮尿症(Phenylketonuria；PKU)病人。	112年4月25日衛授食字第1121402685號公告 113年1月8日衛授食字第1121414182號公告修正劑量	111年11月15日衛部罕菌疫輸字第000038號(10 mg) 111年11月15日衛部罕菌疫輸字第000039號(20 mg) 111年11月15日衛部罕菌疫輸字第000040號(2.5 mg)	美商百傲萬里生技股份有限公司台灣分公司	罕見疾病
99	Paromomycin Sulfate	〔 Capsule 〕〔 250 mg 〕	隱孢子蟲感染、阿米巴性痢疾	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告 98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正適應症		輝瑞大藥廠股份有限公司	困難取得
100	Patisiran	Solution for infusion，2 mg/mL	治療成人TTR (transthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic Polyneuropathy)，神經病變的疾病嚴重度限於第一、二期的病人。	108年01月19日衛授食字第1071411029號公告	109年12月10日衛部罕藥輸字第000063號	艾拉倫股份有限公司	罕見疾病
101	Peginterferon beta-1a	[Injection] [126mcg/ml、188mcg/ml、250mcg/ml]	復發型多發性硬化症	105年01月19日部授食字第1041412451號公告	106年11月28日衛部罕菌疫輸字第000019號 (63 mcg) 106年11月28日衛部罕菌疫輸字第000020號 (94 mcg) 106年11月28日衛部罕菌疫輸字第000021號 (125 mcg)	衛采製藥股份有限公司	罕見疾病
102	Pegunigalsidase alfa	Injection，2 mg/ml	用於治療 α -半乳糖苷酶(α -galactosidase A)缺乏的成年病人 (即法布瑞氏症, Fabry disease)，提供長期酵素補充治療。	113年1月8日衛授食字第1121414182號公告		友華生技醫藥股份有限公司	罕見疾病
103	Phenytoin	〔 Capsule 〕〔 30 mg 〕	癲癇症(限用於調整劑量)	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告			困難取得
104	Phosphate solution	〔 Solution 〕	性聯遺傳型低磷酸鹽性佝僂症 [X-linked hypophosphatemic Rickets]	90年08月15日衛署藥字第0900055243號公告		信東生技股份有限公司	罕見疾病
105	Ponesimod	film-coated tablet，2 mg、3 mg、4 mg、5 mg、6 mg、7 mg、8 mg、9 mg、10 mg、20 mg	(1)成人復發緩解型多發性硬化症 (relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS) (2)成人活動性次發進展型多發性硬化症(active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)。	111年1月21日衛授食字第1101460642號公告	111年10月12日衛部罕藥輸字第000081號 (2 mg) 111年10月12日衛部罕藥輸字第000082號 (3 mg) 111年10月12日衛部罕藥輸字第000083號 (4 mg) 111年10月12日衛部罕藥輸字第000084號 (5 mg) 111年10月12日衛部罕藥輸字第000085號 (6 mg) 111年10月12日衛部罕藥輸字第000086號 (7 mg) 111年10月12日衛部罕藥輸字第000087號 (8 mg) 111年10月12日衛部罕藥輸字第000088號 (9 mg) 111年10月12日衛部罕藥輸字第000089號 (10 mg) 111年10月12日衛部罕藥輸字第000090號 (20 mg)	嬌生股份有限公司	罕見疾病
106	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		吉帝藥品股份有限公司	罕見疾病
107	Primaquine-Phosphate	〔 Tablet 〕〔 7.5 mg 〕	瘧疾、肺囊蟲肺炎	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告 98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正劑量及適應症		如山藥業有限公司	困難取得

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
108	protein C	injection，100 IU/mL	適用於嚴重先天性蛋白質C缺乏症的病人，預防和治療靜脈血栓及爆性紫斑(purpura fulminans)。	94年1月日衛署藥字第0940304588號公告 112年4月25日衛授食字第1121402685號公告修正劑量及適應症	111年10月12日衛部罕菌疫輸字第000042號	台灣武田藥品工業股份有限公司	罕見疾病
109	Pyrimethamine	〔 Tablet 〕〔 25 mg 〕	弓形蟲感染	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告 98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正成分及劑量		上群國際企業有限公司	困難取得
110	Ravulizumab	Concentrate for Solution for Infusion，10 mg/ml Concentrate for Solution for Infusion，100 mg/ml	1.治療陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria，PNH)病人。 2.治療非典型性尿毒溶血症候群 (Atypical Hemolytic Uremic Syndrome，aHUS)病人。使用限制：不可用於治療與產志賀毒素大腸桿菌相關之溶血性尿症候群 1.治療陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria，PNH)病人。 2.治療非典型性尿毒溶血症候群 (Atypical Hemolytic Uremic Syndrome，aHUS)病人。使用限制：不可用於治療與產志賀毒素大腸桿菌相關之溶血性尿症候群 (STECUS)。 3.治療抗水通道蛋白4抗體陽性 [antiaquaporin-4(AQP4) antibody positive]的泛視神經脊髓炎 (Neuromyelitis Optica Spectrum	109年12月30日衛授食字第1091412881號公告 112年1月31日衛授食字第1111413477號公告修正劑量、適應症 113年5月16日衛授食字第1131404908號公告修正適應症	111年2月7日衛部罕菌疫輸字第000036號 (10 mg/ml) 112年2月1日衛部罕菌疫輸字第000045號 (100 mg/ml)	臺灣阿斯特捷利康股份有限公司	罕見疾病
111	Recombinant human insulin-like growth factor 1, rhIGF-1 (MECASERMIN)	〔 Injection 〕	Laron Syndrome	95年08月22日衛署藥字第0950325795號公告	112/02/01	法商益普生股份有限公司台灣分公司	罕見疾病
112	Risdiplam	powder for oral solution，0.75 mg/mL	適用於治療經基因確診且已出現症狀之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal Muscular Atrophy, SMA)第一、二、三型病人，但不適用於已使用呼吸器每天十二小時以上且連續超過三十天者	109年12月30日衛授食字第1091412881號公告 111年1月21日衛授食字第1101460642號公告修正適應症 112年7月13日衛授食字第1121406998號公告修正適應症	110年11月30日衛部罕藥輸字第000075號	羅氏大藥廠股份有限公司	罕見疾病
113	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08月21日衛署罕藥輸字第000008號 (已註銷)	賽諾菲股份有限公司	罕見疾病
114	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		科懋生物科技股份有限公司	罕見疾病

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
115	Satralizumab	solution for injection, 120 mg/ml	適用於治療抗水通道蛋白4抗體陽性[anti-aquaporin-4 (AQP4) antibody positive]的泛視神經脊髓炎(neuromyelitis optica spec-trum disorder, NMOSD)之成人及12歲以上青少年病人。	111年9月14日衛授食字第1111408593號公告	112年11月21日衛部罕菌疫輸字第000047號	台灣中外製藥股份有限公司	罕見疾病
116	Selexipag	[film-coated tablet] [200mcg、400mcg、600mcg、800mcg、1000mcg、1200mcg、1400mcg、1600mcg]	原發性肺動脈高血壓	104年11月6日部授食字第1041410183號	107年02月01日衛部罕藥輸000045 (200 mcg) 107年02月01日衛部罕藥輸000046 (400 mcg) 107年02月01日衛部罕藥輸000047 (600 mcg) 107年02月01日衛部罕藥輸000048 (800 mcg) 107年02月01日衛部罕藥輸000049 (1000 mcg) 107年02月01日衛部罕藥輸000050 (1200 mcg) 107年02月01日衛部罕藥輸000051 (1400 mcg) 107年02月01日衛部罕藥輸000052 (1600 mcg)	嬌生股份有限公司	罕見疾病
117	Sildenafil citrate	[Tablet] [20 mg]	原發性肺高血壓	98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告		暉致醫藥股份有限公司	罕見疾病
118	Siponimod fumaric acid	film coated tablet, 0.25、2 mg	治療次發進展型多發性硬化症(secondary progressive multiple sclerosis；SPMS)病人。	109年8月26日衛授食字第1091408103號公告	109年12月28日衛部罕藥輸字第000064號 (2mg) 109年12月28日衛部罕藥輸字第000065號 (0.25mg)	台灣諾華股份有限公司	罕見疾病
119	Sodium Benzoate	[Capsule] [250 mg]	Non-ketotic hyperglycinemia	88年06月17日衛署藥字第88036149號公告	90年02月20日衛署罕藥製字第000001號	科進製藥科技股份有限公司	罕見疾病
120	Sodium phenylacetate and sodium benzoate	injection	先天性尿素循環代謝障礙	96年08月08日衛署藥字第0960303535號公告		吉發企業股份有限公司	罕見疾病
121	Sodium Phenylbutyrate	Powder, 3gm/teaspoonful； Tablet, 500mg； 顆粒劑, 483mg/ g	缺乏carbamylphosphate synthetase (CPS), Ornithine transcarbamylase (OTC)或Argininosuccinic synthetase (AS)之先天性尿素循環障礙	88年06月17日衛署藥字第88036149號公告 97年01月22日衛署藥字第0970302902號公告修正適應症 105年07月22日部授食字第1051406889號公告新增劑型劑量	90年4月9日衛署罕藥製字第000002號 (tablet,東洋)(已註銷) 104年12月7日衛部罕藥製字第000014號 (tablet,旭能)	旭能醫藥生技股份有限公司	罕見疾病
122	Sodium Stibogluconat	[Injection] [100 mg/ml, 100	利什曼症(黑熱病)	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告		荷商葛蘭素史克藥廠股份有限公司台灣分公司	困難取得
123	Stiripentol	capsule, 250、500mg powder, 250、500mg	Stiripentol與clobazam及valproate併用於嬰兒期嚴重肌痙攣性癲癇(SMEI, Dravet's syndrome)患者，輔助治療難治的全身性強直陣攣性發作(generalized tonic-clonic seizure)，因患者僅服用clobazam及valproate無法充分控制癲癇發	108年7月18日衛授食字第1081406808號公告	110年5月18日衛部罕藥輸字第000067號(capsule, 250mg) 110年5月18日衛部罕藥輸字第000068號(powder, 500mg) 110年5月18日衛部罕藥輸字第000069號(powder, 250mg) 110年5月18日衛部罕藥輸字第000070號(capsule, 500mg)	科懋生物科技股份有限公司	罕見疾病
124	Tafamidis meglumine	20mg soft capsule	治療TTR (transthyretin)家族性澱粉樣多發性神經病變(Familial Amyloidotic Polyneuropathy)，神經病變的疾病嚴重度限於第一期的病人。	108年7月18日衛授食字第1081406808號公告 110年10月13日衛授食字第1101409428號公告修正成分名		輝瑞大藥廠股份有限公司	罕見疾病

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
125	Taliglucerase alfa	[Injection] [200U/vial]	改善高雪氏症症狀，包括貧血、血小板減少症、肝臟或脾臟腫大、骨病變，但對於神經學症狀無效。	105年05月06日部授食字第1051404038號公告 106年04月05日衛授食字第1061402126號公告修正適應症	106年4月11日衛部罕菌疫輸字第000022號	輝瑞大藥廠股份有限公司	罕見疾病
126	Teriflunomide	[film-coated tablet] [7mg、14mg]	(1) 成人復發緩解型多發性硬化症 (relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS) (2) 疑似多發性硬化症之成人臨床單一症候群 (clinically isolated syndrome, CIS) (3) 成人活動性次發進展型多發性硬化症 (active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)。	104年04月21日部授食字第1041402939號公告 110年10月13日部授食字第1101409428號公告修正適應症	106年05月04日衛部罕藥輸字第000037號 (7mg) (已註銷) 106年05月04日衛部罕藥輸字第000038號 (14mg)	賽諾菲股份有限公司	罕見疾病
127	tetrabenazine	[Tablet]	亨汀頓氏舞蹈症Huntington disease	97年01月22日衛署藥字第0970302902號公告	102年02月05日衛署罕藥輸字第000026號 (25mg) 102年02月04日衛署罕藥輸字第000027號 (12.5mg)	吉泰藥品股份有限公司	罕見疾病
128	Tetrahydro-Biopterin(BH4)	[Tablet] [10, 50 and 100 mg]	1.Treatment of patients with hyperphenylalaninemia due to tetrahydrobiopterin deficiency. 2.Tetrahydrobiopterin-responsive phenylketonuria(PKU).	88年12月09日衛署藥字第88073234號公告 98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正劑量及適應症	106年11月30日衛部罕藥製字第000017號 (10mg, 科進) 106年11月30日衛部罕藥製字第000018號 (50mg, 科進) 106年11月30日衛部罕藥輸字第000041號 (100mg, 百傲萬里)	科進製藥科技股份有限公司 美商百傲萬里生技股份有限公司台灣分公司	罕見疾病
129	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日衛署罕藥製字第000006號 (東洋) 103年06月17日衛部罕藥製字第000012號 (美時化學)	臺灣東洋藥品工業股份有限公司 美時化學製藥股份有限公司	困難取得
130	Thymosin alfa 1	injection	DiGeorge Syndrome	91年08月08日衛署藥字第0910049668號公告		騏名貿易有限公司	罕見疾病
131	Thyrotropin alfa Injection	[Injection] [1.1mg/vial]	甲狀腺分化癌治療之輔助診斷製劑	88年06月17日衛署藥字第88036149號公告	92年05月06日衛署罕菌疫輸字第000003號	賽諾菲股份有限公司	困難取得
132	Tobramycin	1. 300 mg/5 ml solution for inhalation 2. 28mg inhalation powder hard capsules	1.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 2.治療6歲以上(含6歲)囊狀纖維化症患者(cystic fibrosis)之肺部綠膿桿菌(Pseudomonas aeruginosa)	95年08月22日衛署藥字第0950325795號公告 101年11月13日署授食字第1011409066號公告新增劑型	104年04月21日衛部罕藥輸字第000029號(已註銷)	台灣邁蘭有限公司 台灣諾華股份有限公司	罕見疾病
133	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			罕見疾病
134	treprostinil sodium	[Injection] [1.0, 2.5, 5.0, 10.0 mg/ml] [Solution for inhalation] [0.6 mg/ml]	1.原發性肺高血壓 2.WHO group I原發性肺動脈高血壓合併NYHA class III症狀	91年11月14日衛署藥字第0910073830號公告 101年11月13日署授食字第1011409066號公告新增劑型	110年8月2日衛部罕藥輸字第000071號 (1mg/ml) 110年8月2日衛部罕藥輸字第000072號 (2.5mg/ml) 110年8月2日衛部罕藥輸字第000073號 (5mg/ml) 110年8月2日衛部罕藥輸字第000074號 (10mg/ml)	科懋生物科技股份有限公司	罕見疾病
135	Tretinoin	soft gelatin capsules 10 mg	急性前骨髓性白血病	92年11月18日衛署藥字第0920331943號公告		裕利股份有限公司	困難取得

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 113年12月2日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

序號	成分名	劑型、劑量	認定適應症	認定日期	許可日期	聯絡單位	罕見疾病/困難取得
136	Trientine HCl	[Capsule] [250, 300 mg]	威爾森氏病(Wilson Disease)	88年06月17日衛署藥字第88036149號公告 97年07月09日衛署藥字第0970305564號公告新增劑	108年05月28日衛部罕藥製字第000019號(300mg)	旭能醫藥生技股份有限公司	罕見疾病
137	Trientine Tetrahydrochloride	film coated tablet , 150 mg	治療五歲以上病人之威爾森氏症 (Wilson's disease)，且對於青黴胺無法耐受者。	113年3月13日衛授食字第1131401415號公告		裕捷股份有限公司	罕見疾病
138	Velaglucerase alfa	Injection ; 400U/vial	第一型高雪氏症	105年10月27日部授食字第1051410789號公告	106年08月29日衛部罕菌疫輸字第000026號	台灣武田藥品工業股份有限公司	罕見疾病
139	Voretigene neparvovec	concentrate for solution for injection , 5x10 ¹² vg/ml	適用於因雙對偶基因PRE65突變之萊伯氏先天性黑矇症 (Leber congenital amaurosis, LCA)，而喪失視力，並具有足夠的存活視網膜細胞的病人。	111年9月14日衛授食字第1111408593號公告	111年9月15日衛部罕菌疫輸字第000044號	台灣諾華股份有限公司	罕見疾病
140	Vosoritide	Powder and Solvent for Solution for Injection , 0.4 mg/0.5 ml、0.56 mg/0.7 ml、1.2	用於改善二歲以上患有軟骨發育不全症(achondroplasia)且骨骼未閉合病人之身高。	112年7月13日衛授食字第1121406998號公告 113年5月16日衛授食字第1131404908號公告修正適應症	113年02月19日衛部罕菌疫輸字第000049號(2 mg/ml, 百傲萬里) 113年02月19日衛部罕菌疫輸字第000050號(0.8 mg/ml, 百傲萬里)	美商百傲萬里生技股份有限公司台灣分公司	罕見疾病
141	Vutrisiran	solution for injection , 50 mg/ml	用於治療成人TTR (transthyretin)家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic)	112年4月25日衛授食字第1121402685號公告		艾拉倫股份有限公司	罕見疾病
142	Zinc Acetate	[Capsule] [25-50 mg]	威爾森氏病(Wilson Disease)	90年12月04日衛署藥字第0900074831號公告	93年11月29日衛署罕藥製字第000007號 (50 mg, 科進) 95年01月26日衛署罕藥製字第000010號 (25 mg, 科進) 94年03月15日衛署罕藥製字第000008號 (25 mg, 吉帝) 94年03月15日衛署罕藥製字第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	罕見疾病
143	"沛佳"法斯樂-杜瓦伸縮式髓內釘系統		本產品是暫時性植入物於成骨不全而生長板正常的小兒患者,以幫助長骨幹骨折、骨切開術、骨折斷端對位不良及未癒合骨折的固定，並防止股骨、脛骨及肱骨進一步的骨折	102年10月07日部授食字第1021451178號公告	103年06月10日衛部罕醫器輸字第000001號	裕強生技股份有限公司	罕見疾病