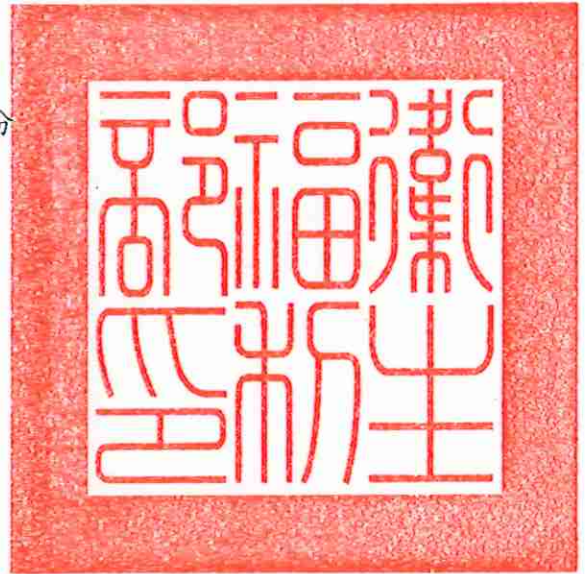


衛生福利部 公告

發文日期：中華民國114年4月24日
發文字號：衛授食字第1141413082號
附件：適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項1份



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

