

衛生福利部 公告

發文日期：中華民國114年5月23日
發文字號：衛授食字第1141414668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「Elapegamase」(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, 2 mg/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, 0.75 mg/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