

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。