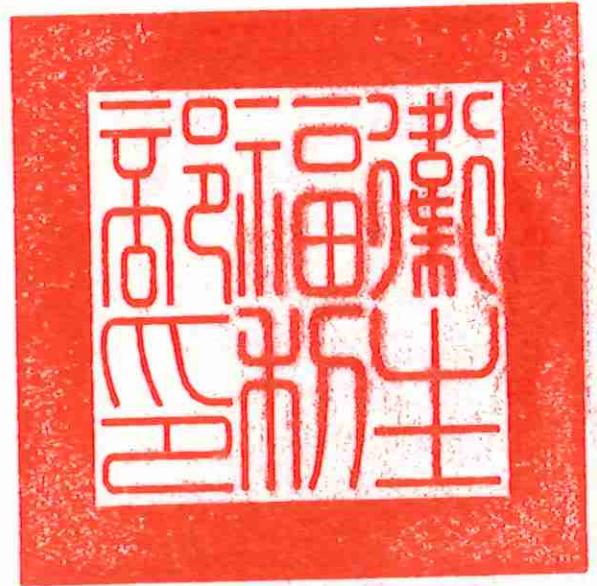


衛生福利部 公告

發文日期：中華民國114年8月19日
發文字號：衛授食字第1141418512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」，並自即日起生效。

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「Idursulfase beta」(Solution for injection, 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「適用於患有韓特氏(Hunter)症候群(第二型黏多醣症，MPS II)病人的酵素替代療法」。
- 二、新增「Risdiplam」認定劑型、劑量「Film-coated tablet, 5mg」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」。

三、新增認定「Metreleptin」(Powder for solution for injection, 3mg/vial, 5.8mg/vial)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「經確認罹患先天性全身脂質營養不良症(Congenital generalized lipodystrophy)的二歲以上病人」。

四、新增認定「Tofersen」(Solution for injection, 6.7mg/ml)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於治療與超氧化物歧化酶1(superoxide dismutase 1, SOD1)基因突變相關的成人肌萎縮性側索硬化症(Amyotrophic lateral sclerosis, ALS)」。

五、修正「Migalastat」(Capsule, 123mg)認定之適應症為「適用於已確診為法布瑞氏症(Fabry disease)且於體外試驗確定為可符合性基因突變(amenable mutation)的十二歲以上病人」。

部長邱泰源