

中華民國 109 年 9 月 29 日
衛生福利部公告 衛授食字第 1091409001 號

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「Givosiran」（injection，189 mg/ml）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療成人急性肝紫質症（AHP, acute hepatic porphyria）」。
- 二、新增認定「Chenodeoxycholic acid」（capsule，250 mg）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「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」。
- 三、新增認定「Edaravone」（injection，1.5 mg/mL）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「抑制肌萎縮性側索硬化症（ALS）功能障礙情形的惡化」。

部 長 陳時中

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
Givosiran	injection，189 mg/ml	適用於治療成人急性肝紫質症（AHP, acute hepatic porphyria）。
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。
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。