

衛生福利部公告

中華民國111年1月21日

衛授食字第1101460642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「Ponesimod」（Film-coated tablets, 2 mg、3 mg、4 mg、5 mg、6 mg、7 mg、8 mg、9 mg、10 mg及20 mg）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「（1）成人復發緩解型多發性硬化症（relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS）、（2）成人活動性次發進展型多發性硬化症（active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS）」。
- 二、新增認定「Avalglucosidase alfa」（Injection, 10 mg/ml）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於六個月以上龐貝氏症（酸性 α -葡萄糖苷酶缺乏；pompe disease, acid α -glucosidase deficiency）病人的長期酵素替代療法」。
- 三、修正適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項「Risdiplam」（Powder for oral solution, 0.75 mg/mL）認定之適應症為「適用於治療年齡二個月以上、經基因確診且已出現症狀之SMA脊髓性肌肉萎縮症（spinal muscular atrophy）第一、二、三型病人，但不適用於已使用呼吸器每天十二小時以上且連續超過三十天者」。

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
Ponesimod	Film-coated tablets , 2 mg、3 mg、4 mg、5 mg、6 mg、7 mg、8 mg、9 mg、10 mg 及 20 mg	1. 成人復發緩解型多發性硬化症(relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)。 2. 成人活動性次發進展型多發性硬化症(active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)。
Avalglucosidase alfa	Injection , 10 mg/ml	用於六個月以上龐貝氏症(酸性 α -葡萄糖苷酶缺乏；pompe disease, acid α -glucosidase deficiency)病人的長期酵素替代療法
Risdiplam	Powder for oral solution , 0.75 mg/mL	適用於治療年齡二個月以上、經基因確診且已出現症狀之 SMA 脊髓性肌肉萎縮症(spinal muscular atrophy)第一、二、三型病人，但不適用於已使用呼吸器每天十二小時以上且連續超過三十天者。