

衛生福利部公告

中華民國111年9月14日

衛授食字第1111408593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「Voretigene neparvovec」（concentrate for solution for injection, 5×10^{12} vg/ml）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於因雙對偶基因RPE65突變之萊伯氏先天性黑矇症（Leber congenital amaurosis, LCA），而喪失視力，並具有足夠的存活視網膜細胞的病人」。
- 二、新增認定「Satralizumab」（solution for injection, 120 mg/ml）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療抗水通道蛋白4抗體陽性 [anti-aquaporin-4 (AQP4) antibody positive] 的泛視神經脊髓炎（neuromyelitis optica spectrum disorder, NMOSD）之成人及十二歲以上青少年病人」。
- 三、新增認定「Inebilizumab」（solution for intravenous infusion, 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「適用於治療抗水通道蛋白4抗體陽性 [anti-aquaporin-4 (AQP4) antibody positive] 的泛視神經脊髓炎（Neuromyelitis optica spectrum disorder, NMOSD）之成人病人」。

部 長 薛瑞元

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
Voretigene neparvovec	concentrate for solution for injection , 5x10 ¹² vg/ml	適用於因雙對偶基因 RPE65 突變之萊伯氏先天性黑矇症 (Leber congenital amaurosis, LCA) , 而喪失視力 , 並具有足夠的存活視網膜細胞的病人。
Satralizumab	solution for injection , 120 mg/ml	適用於治療抗水通道蛋白 4 抗體陽性[anti-aquaporin-4 (AQP4) antibody positive]的泛視神經脊髓炎(neuromyelitis optica spectrum disorder, NMOSD)之成人及十二歲以上青少年病人。
Inebilizumab	solution for intravenous infusion , 10 mg/ml	適用於治療抗水通道蛋白 4 抗體陽性[anti-aquaporin-4 (AQP4) antibody positive]的泛視神經脊髓炎(Neuromyelitis optica spectrum disorder, NMOSD)之成人病人。