

衛生福利部公告

中華民國112年7月13日

衛授食字第1121406998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「Maralixibat Chloride」(Oral Solution, 9.5mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於治療一歲以上的阿拉吉歐症候群 (Alagille Syndrome) 病人的膽汁鬱積搔癢症」。
- 二、新增認定「Olipudase Alfa」(Powder and Solvent for Solution for Injection, 4mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用以治療患有酸性神經鞘磷脂酶缺乏症 (Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) (又名Niemann-Pick氏症A型和B型) 病人的非中樞神經系統 (non-CNS) 表徵之酵素替代療法」。
- 三、新增認定「Vosoritide」(Powder and Solvent for Solution for Injection, 0.4mg/0.5ml、0.56mg/0.7ml、1.2mg/0.6ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於改善五歲以上骨骺未閉合且患有軟骨發育不全症 (Achondroplasia) 病人之身高」。
- 四、新增「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」 「Eculizumab」 (Injection, 300mg/vial) 之認定適應症為「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」。
- 五、修正「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」 「Risdiplam」 (Powder for Oral Solution, 0.75mg/mL) 認定之適應症為「適用於治療經基因確診且已出現症狀之脊髓性肌肉萎縮症 (Spinal Muscular Atrophy, SMA) 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 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
Maralixibat Chloride	Oral Solution , 9.5 mg/ml	用於治療一歲以上的阿拉吉歐症候群 (Alagille Syndrome)病人的膽汁鬱積搔癢症。
Olipudase Alfa	Powder and Solvent for Solution for Injection , 4 mg/ml	用以治療患有酸性神經鞘磷脂酶缺乏症(Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) (又名 Niemann-Pick 氏症 A 型和 B 型)病人的非中樞神經系統 (non-CNS)表徵之酵素替代療法。
Vosoritide	Powder and Solvent for Solution for Injection , 0.4 mg/0.5 ml 、 0.56 mg/0.7 ml 、 1.2 mg/0.6 ml	用於改善五歲以上骨骺未閉合且患有軟骨發育不全症(Achondroplasia)病人之身高。
Eculizumab	Injection , 300 mg/vial	1. 陣發性夜間血紅素尿症患者有溶血性貧血且需輸血或有栓塞的併發症、非典型溶血性尿毒症候群 (限施於 Plasma Therapy-Resistant 之病人)。 2. 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。
Risdiplam	Powder for Oral Solution , 0.75 mg/mL	適用於治療經基因確診且已出現症狀之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal Muscular Atrophy, SMA)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。