

## 適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項修正草案總說明

依據罕見疾病防治及藥物法第二十三條規定：「罕見疾病及藥物之認定、許可、撤銷及廢止，中央主管機關應定期公告之。」為配合實務需要，經衛生福利部召開罕見疾病及藥物審議會審議，爰擬具「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」修正草案，增訂六項藥品品項、修正一項藥品品項之適應症及修正一項藥品品項之劑型。

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項修正草案對照表

修正規定			現行規定	說明
成分名	劑型劑量	適應症		增訂項品、修正項品之適應症及修正項品項劑型。
rADAMTS13	Lyophilized Powder for Injection , 500IU 、 1500IU	用於先天性血栓性血小板低下紫斑症 (Congenital Thrombotic Thrombocytopenic Purpura 、 cTTP) 之病人，作為預防性治療或需要時酵素補充療法 (Enzyme Replacement Therapy , ERT) 。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Eplontersen	Solution for Injection , 45mg/0.8ml	適用於治療成人 TTR(transsthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic polyuropathy) 。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Sotatercept	Injection , 50mg/ml	適用於治療患有特發性或遺傳性肺動脈高壓的成人病人。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Iptacopan Hydrochloride	Capsules , 200mg	治療陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria , PNH) 的成人病人。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Odevixibat Sesquihydrate	Capsules , 200mg 、 400mg 、 600mg 、 1200mg	1. 六個月以上進行性家族性肝內膽汁滯留症 (Progressive familial intrahepatic cholestasis , PFIC) 病人的膽汁鬱積搔癢症。 2. 一歲以上阿拉		

		吉歐症候群 (Alagille syndrome, ALGS)病人的膽汁滯留性搔癢。			
成分名	劑型劑量	適應症			
Crovalimab	Injection , 170mg/ml	適用於十三歲以上且體重四十公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria , PNH)病人。			
成分名	劑型劑量	適應症	成分名	劑型劑量	適應症
Maralixibat Chloride	Oral Solution , 9.5 mg/ml	1. 用於治療二個月以上的阿拉吉歐症候群 (Alagille syndrome, ALGS)病人的膽汁鬱積搔癢症。 2. 用於治療三個月以上的進行性家族性肝內膽汁滯留症 (Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis, PFIC)病人的膽汁鬱積搔癢症。使用限制： <u>LIVMARLI</u> 可能對於 PFIC 第二型病患帶有 <u>ABCB11</u> 變異所導致不具功能或完全缺失的膽鹽輸出幫浦蛋白 ( <u>BSEP-3</u> )無效。	Maralixibat Chloride	Oral Solution , 9.5 mg/ml	1. 用於治療三個月以上的阿拉吉歐症候群 (Alagille syndrome)病人的膽汁鬱積搔癢症。 2. 用於治療一歲以上的進行性家族性肝內膽汁滯留症 (Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis)病人的膽汁鬱積搔癢症。
成分名	劑型劑量	適應症	成分名	劑型劑量	適應症
Eladocagene exuparvovec	Solution for Infusion , 2.8x 10 <sup>11</sup> vg/0.5 mL	適用於治療年齡在十八個月以上，且經臨床、分子和基因證實確診為具有嚴重表現型的芳香族 L-胺基酸類脫羧	Eladocagene exuparvovec	Solution for Injection , 2.8x 10 <sup>11</sup> vg/0.5 mL	適用於治療年齡在十八個月以上，且經臨床、分子和基因證實確診為具有嚴重表現型的芳香族 L-胺基酸類脫羧

		基酶(Aromatic L-amino acid decarboxylase, AADC) 缺乏症的患者。			基酶(Aromatic L-amino acid decarboxylase, AADC) 缺乏症的患者。	
--	--	---	--	--	---	--