

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號 | 成分名                                                                               | 劑型、劑量                          | 認定適應症                                                                            | 認定日期                                                          | 許可日期                                                                                                                                                                               | 聯絡單位                                         | 罕見疾病/困難取得 |
|----|-----------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------|-----------|
| 1  | (RS)-2,3-bis (sulphonyl) propane-1-sulfonic acid (DMPS), sodium salt, Monohydrate | [ Injection ]                  | 急性汞中毒解毒劑                                                                         | 90年08月15日衛署藥字第0900055243號公告                                   | 90年12月10日衛署罕藥輸字第000003號                                                                                                                                                            | 科懋生物科技股份有限公司                                 | 困難取得      |
| 2  | (RS)-2,3-Dimercapto-1-propanesulfonic acid (DMPS), sodium salt, Monohydrate       | [ Capsule ]                    | 慢性汞中毒（金屬汞，揮發性有機或無機化合物）慢性鉛中毒                                                      | 90年08月15日衛署藥字第0900055243號公告                                   | 90年12月10日衛署罕藥輸字第000002號                                                                                                                                                            | 科懋生物科技股份有限公司                                 | 困難取得      |
| 3  | [Meso-2,3-dimercaptosuccinic acid, DMSA]                                          | [ Capsule ] [ 100 mg ]         | 鉛、砷、汞中毒之解毒                                                                       | 88年06月17日衛署藥字第88036149號公告<br>97年01月22日衛署藥字第0970302902號公告修正適應症 | 97年01月02日衛署罕藥製字第000011號                                                                                                                                                            | 科進製藥科技股份有限公司                                 | 困難取得      |
| 4  | Agalsidase-alpha                                                                  | [ Injection ]                  | alpha-galactosidase A deficiency (Fabry disease)                                 | 91年04月09日衛署藥字第0910027540號公告                                   | 93年04月26日衛署罕菌疫輸字第000004號                                                                                                                                                           | 台灣武田藥品工業股份有限公司                               | 罕見疾病      |
| 5  | Agalsidase-beta                                                                   | [ Injection ]                  | alpha-galactosidase A deficiency (Fabry disease)                                 | 91年04月09日衛署藥字第0910027540號公告                                   | 93年04月26日衛署罕菌疫輸字第000005號                                                                                                                                                           | 賽諾菲股份有限公司                                    | 罕見疾病      |
| 6  | Albendazole; Zental                                                               | [ Tablet ] [ 200 mg ]          | 鉤蟲感染之表皮幼蟲移行症                                                                     | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告                                     |                                                                                                                                                                                    | 如山藥業有限公司                                     | 困難取得      |
| 7  | Alemtuzumab                                                                       | Injection ; 10mg/ ml           | 用於治療有臨床或影像證實為活動性疾病狀態的成人復發緩解型多發性硬化症(RRMS)，基於安全性考量，應使用於曾經接受2項或以上藥品治療反應不佳之多發性硬化症病人。 | 105年10月27日部授食字第1051410789號公告                                  | 107年6月12日衛部罕菌疫輸字第000025號                                                                                                                                                           | 賽諾菲股份有限公司                                    | 罕見疾病      |
| 8  | alpha 1-antitrypsin                                                               | injection                      | 原發性alpha 1-antitrypsin缺乏之肺氣腫患者的替代治療                                              | 94年01月28日衛署藥字第0940304588號公告                                   |                                                                                                                                                                                    | 海喬國際股份有限公司                                   | 罕見疾病      |
| 9  | alpha-glucosidase                                                                 | injection                      | 龐貝氏症                                                                             | 94年01月28日衛署藥字第0940304588號公告                                   |                                                                                                                                                                                    | 賽諾菲股份有限公司                                    | 罕見疾病      |
| 10 | Ambrisentan                                                                       | 5 mg and 10 mg tablet          | 原發性肺高血壓                                                                          | 98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告                                   | 101年08月15日衛署罕藥輸字第000024號（5 mg）<br>101年08月15日衛署罕藥輸字第000023號（10 mg）                                                                                                                  | 荷商葛蘭素史克藥廠股份有限公司台灣分公司                         | 罕見疾病      |
| 11 | Anagrelide                                                                        | [ Capsule ] [ 0.5 mg; 1.0 mg ] | 原發性血小板過多症                                                                        | 88年06月17日衛署藥字第88036149號公告                                     | 92年05月21日衛署罕藥輸字第000007號（0.5 mg，武田）<br>109年07月22日衛部罕藥輸字第000061號（1mg）<br>109年05月22日衛部罕藥輸字第000062號（0.5mg，美時）<br>110年8月26日衛部罕藥輸字第000076號（0.5mg，諾華）<br>111年2月8日衛部罕藥輸字第000080號（0.5mg，旌宇） | 台灣武田藥品工業股份有限公司<br>美時化學製藥股份有限公司<br>台灣諾華股份有限公司 | 困難取得      |
| 12 | Antisense inhibitor of apolipoprotein B-100                                       | [Injection] 200mg              | 同合子家族性高膽固醇血症(病人須經基因檢測確診為同合子家族性高膽固醇血症才可使用本品)                                      | 100年09月06日署授食字第1001404946號公告                                  |                                                                                                                                                                                    | 賽諾菲股份有限公司                                    | 罕見疾病      |
| 13 | Antivenin of Vipera Russellii                                                     | [ Injection ]                  | 鎖鏈蛇咬傷                                                                            | 91年11月14日衛署藥字第0910073830號公告                                   | 97年08月01日衛署罕菌疫製字第000001號                                                                                                                                                           | 疾病管制署                                        | 困難取得      |

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號 | 成分名                  | 劑型、劑量                                            | 認定適應症                                                                                                                                                                                           | 認定日期                                                            | 許可日期                                                                                                                                                                     | 聯絡單位                 | 罕見疾病/困難取得 |
|----|----------------------|--------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------|-----------|
| 14 | Arginine             | [ Injection ]<br>[ 10 gm/100ml                   | 尿素循環障礙                                                                                                                                                                                          | 88年6月17日衛署藥字第88036149號公告                                        |                                                                                                                                                                          |                      | 罕見疾病      |
| 15 | Arsenic Trioxide     | [ Injection ]<br>[ 1 mg/ml , 10 ml/vial ]        | 急性前骨髓細胞白血病                                                                                                                                                                                      | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告                                       | 91年01月14日衛署罕藥製字第000005號                                                                                                                                                  | 臺灣東洋藥品工業股份有限公司       | 困難取得      |
| 16 | Artemisinin          | [ Tablet ] [ 100 mg ]                            | 瘧疾                                                                                                                                                                                              | 88年12月9日衛署藥字第88073234號公告<br>98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正適應症    |                                                                                                                                                                          |                      | 困難取得      |
| 17 | Asfotase alfa        | Injection , 40 、 100 mg/ml                       | 小兒發作型低磷酸脂酶症 ( paediatric-onset hypophosphatasia )                                                                                                                                               | 106年06月14日衛授食字第1061404653號                                      |                                                                                                                                                                          | 台灣瑞頌有限公司             | 罕見疾病      |
| 18 | Ataluren             | granules for oral suspension , 125, 250, 1000 mg | 用於治療抗肌縮蛋白基因無意義突變導致的裘馨氏肌肉萎縮症(Duchenne muscular dystrophy, DMD) , 兩歲以上可行走之病人。                                                                                                                     | 109年12月30日衛授食字第1091412881號公告                                    |                                                                                                                                                                          | 台灣吉帝藥品股份有限公司         | 罕見疾病      |
| 19 | Atovaquone-proguanil | [ Tablet ] [ 250 mg+100 mg ]                     | 瘧疾                                                                                                                                                                                              | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告                                       |                                                                                                                                                                          | 上群國際企業有限公司           | 困難取得      |
| 20 | Avalglucosidase alfa | Injection , 10 mg/mL                             | 用於6個月以上龐貝氏症(酸性 $\alpha$ -葡萄糖苷酶缺乏；pompe disease, acid $\alpha$ -glucosidase deficiency)病人的長期酵素替代療法                                                                                               | 111年1月21日衛授食字第1101460642號公告                                     | 111年4月7日衛部罕菌疫輸字第000037號                                                                                                                                                  | 賽諾菲股份有限公司            | 罕見疾病      |
| 21 | Betaine              | [ Powder for Reconstitution ] [ 1 gm/scoopful ]  | 高胱氨酸血症之輔助治療，包含以下輔酶缺乏或輔助因子缺乏：<br>1.光硫醚 $\beta$ 合成酶 ( Cystathionine Beta-Synthase, CBS )。<br>2. 5,10-亞甲基四氫葉酸還原酶 ( 5,10-methylene-tetrahydrofolate reductase, MTHFR )。<br>3.鈷胺 ( Cobalamin, Cbl )。 | 88年06月17日衛署藥字第88036149號公告<br>106年09月27日衛授食字第1061408346號公告修正適應症  |                                                                                                                                                                          | 科懋生物科技股份有限公司         | 罕見疾病      |
| 22 | Bosentan             | 62.5 and 125 mg tablet                           | 原發性肺動脈高血壓                                                                                                                                                                                       | 92年11月18日衛署藥字第0920331943號公告<br>95年08月22日衛署藥字第0950325795號公告修正適應症 | 94年07月26日衛署罕藥輸字第000012號 ( 62.5 mg, 嬌生 )<br>94年07月26日衛署罕藥輸字第000013號 ( 125 mg, 嬌生 )<br>106年05月10日衛部罕藥輸字第000043號 ( 62.5 mg, 運和 )<br>106年07月24日衛部罕藥輸字第000044號 ( 125 mg, 運和 ) | 嬌生股份有限公司<br>運和生技有限公司 | 罕見疾病      |
| 23 | Burosumab            | solution for injection , 10 、 20 、 30 mg/mL      | 對於性聯遺傳型低磷酸鹽症(X-linked Hypophosphatemia)成人及一歲以上兒童的治療。                                                                                                                                            | 109年8月26日衛授食字第1091408103號公告                                     | 109年09月21日衛部罕菌疫輸字第000030號(10mg)<br>109年09月21日衛部罕菌疫輸字第000031號(20mg)<br>109年09月21日衛部罕菌疫輸字第000032號(30mg)                                                                    | 台灣協和麒麟股份有限公司         | 罕見疾病      |

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號 | 成分名                   | 劑型、劑量                                       | 認定適應症                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      | 認定日期                                                                      | 許可日期                                                 | 聯絡單位         | 罕見疾病/困難取得 |
|----|-----------------------|---------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------|--------------|-----------|
| 24 | Carglumic acid        | 200mg tablet                                | 1.因N-acetylglutamate synthase deficiency缺失而引起的高血氨症<br>2.isovaleric acidaemia造成之高血氨症<br>3.methymalonic acidaemia造成之高血氨症<br>4.propionic acidaemia造成之高血氨症                                                                                                                                                                                                                                                                     | 101年11月13日署授食字第1011409066號                                                | 108年01月17日衛部罕藥輸字第000056號                             | 科懋生物科技股份有限公司 | 罕見疾病      |
| 25 | Cerliponase alfa      | Solution for infusion, 30 mg/ml             | 治療神經元蠟樣脂褐質儲積症第二型。                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                          | 107年9月7日衛授食字第1071407569號                                                  | 108年10月28日衛部罕菌疫輸字第000028號                            | 美商百傲萬里股份有限公司 | 罕見疾病      |
| 26 | 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。                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    | 109年09月29日衛授食字第1091409001號                                                |                                                      | 國嘉製藥工業股份有限公司 | 罕見疾病      |
| 27 | Chloral Hydrate       | oral solution, 100mg                        | 兒童檢查前(non-painful procedure)之鎮靜。                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           | 107年01月22日衛授食字第1061411970號                                                | 108年04月12日衛部罕藥製字第000020號                             | 晟德大藥廠股份有限公司  | 困難取得      |
| 28 | Cholic acid           | [Capsule] [50mg、250mg]                      | Sterol-27-hydroxylase deficiency、2-methylacyl-CoA racemase (AMACR) deficiency、cholesterol 7 $\alpha$ -hydroxylase (CYP7A1) deficiency、3 $\beta$ -hydroxy- $\Delta$ 5-C27-steroid dehydrogenase deficiency (3 $\beta$ -HSD)及 $\Delta$ 4-3-oxosteroid 5 $\beta$ -reductase deficiency (AKR1D1)單一酵素缺乏造成之先天性膽酸合成障礙。<br>輔助治療「過氧化體代謝異常[peroxisomal disorders (PDs)]」，包括「Zellweger spectrum disorders」病患呈現肝病表現、脂肪瀉或降低脂溶性維生素吸收併發症。 | 103年11月4日部授食字第1031411329號<br>105年7月22日部授食字第1051406889號公告修正適應症             | 107年06月06日衛部罕藥輸字第000054號<br>107年06月06日衛部罕藥輸字第000055號 | 吉帝藥品股份有限公司   | 罕見疾病      |
| 29 | Citrulline            | [Tablet, 600 mg] [oral solution, 1 g/10 ml] | 先天性因 citrulline缺乏引起尿素代謝異常之高血氨症                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                             | 89年8月1日衛署藥字第0890009615號公告<br>(92年5月2日衛署藥字第0920305496號公告新增oral solution劑型) | 90年12月11日衛署罕藥輸字第000001號(oral solution)               | 科懋生物科技股份有限公司 | 罕見疾病      |
| 30 | Cladribine            | tablet, 10mg                                | 復發型多發性硬化症(臨床上有發作，且前二年有二次復發者)。                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              | 107年1月22日衛授食字第1061411970號                                                 | 108年5月22日衛部罕藥輸字第000058號                              | 台灣默克股份有限公司   | 罕見疾病      |

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號 | 成分名                      | 劑型、劑量                                       | 認定適應症                                                                                                         | 認定日期                                                              | 許可日期                                                                       | 聯絡單位                   | 罕見疾病/困難取得 |
|----|--------------------------|---------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------|------------------------|-----------|
| 31 | Cysteamine Bitartrate    | [ Capsule ] [ EQ 50 mg, 150 mg Base ]       | nephropathic cystinosis                                                                                       | 88年12月9日衛署藥字第88073234號公告                                          |                                                                            | 科懋生物科技股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 32 | Cysteamine hydrochloride | eye drops solution , 3.8 mg/ml              | 治療二歲以上兒童及成人胱胺酸血症 (Cystinosis)患者之角膜胱胺酸(cystine)結晶堆積。                                                           | 111年4月15日衛授食字第1111403012號公告                                       |                                                                            | 科懋生物科技股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 33 | Dalfampridine            | [SR tablet] 10mg                            | 多發性硬化症，但不建議為第一線用藥                                                                                             | 100年9月6日署授食字第1001404947號公告                                        |                                                                            | 華宇藥品股份有限公司             | 罕見疾病      |
| 34 | Dantrolene               | (Injection) [ 20 mg/vial ]                  | 惡性高溫熱                                                                                                         | 88年12月9日衛署藥字第88073234號公告                                          |                                                                            | 瑞帝有限公司<br>科懋生物科技股份有限公司 | 困難取得      |
| 35 | Deferiprone (Kelfer)     | [ Capsule ] [ 250 mg ; 500 mg ]             | 重型海洋性貧血 (Thalassemia major)病人,使用Deferrioxamine治療不理想或無法接受時;或在醫師嚴格監測不良反應(如:白血球數目,肝功能狀況...)下,與Deferrioxamine合併使用 | 90年05月21日衛署藥字第0900032249號公告                                       | 91年02月25日衛署罕藥輸字第000004號 (250 mg) (已註銷)<br>91年02月25日衛署罕藥輸字第000005號 (500 mg) | 康寧藥業有限公司               | 罕見疾病      |
| 36 | Diacerein                | [Ointment][1% (w/w)]                        | 單純型遺傳性表皮分解性水泡症                                                                                                | 104年08月17日部授食字第1041407049號                                        |                                                                            | 安成生物科技股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 37 | Diazoxide                | [ Capsule, Suspension ] [ 50 mg; 50 mg/ml ] | persistent hyperinsulinemic hypoglycemia of infancy (PHHI)                                                    | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告<br>92年11月18日衛署藥字第0920331943號公告修正適應症     |                                                                            | 哈佛生技藥業股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 38 | Diloxanide Furoate       | [ Tablet ] [ 500 mg ]                       | 痢疾阿米巴帶原者                                                                                                      | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告                                         |                                                                            |                        | 困難取得      |
| 39 | Dimercaprol              | [ Injection ] [ 10% ]                       | 重金屬解毒劑                                                                                                        | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告                                         |                                                                            |                        | 困難取得      |
| 40 | Dimethyl fumarate        | [Capsule][120mg、240mg]                      | 復發型多發性硬化症                                                                                                     | 104年08月17日部授食字第1041407049號                                        | 106年06月27日衛部罕藥輸字第000039號(120mg)<br>106年06月27日衛部罕藥輸字第000040號(240mg)         | 衛采製藥股份有限公司             | 罕見疾病      |
| 41 | Eculizumab               | [Injection] 300mg/vial                      | 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）                                    | 100年05月13日署授食字第1001401566號公告<br>103年06月30日部授食字第1031406806號公告新增適應症 | 105年12月15日衛部罕菌疫輸字第000016號                                                  | 台灣大昌華嘉股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 42 | 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。                                                                                   | 109年09月29日衛授食字第1091409001號                                        |                                                                            | 台田藥品股份有限公司             | 罕見疾病      |

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號 | 成分名                                                          | 劑型、劑量                                                         | 認定適應症                                                                                                                                                                                                                                         | 認定日期                                                              | 許可日期                                                                  | 聯絡單位                 | 罕見疾病/困難取得 |
|----|--------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------|----------------------|-----------|
| 43 | Eliglustat tartrate                                          | [Capsule]<br>50mg, 100mg,<br>150mg                            | 高雪氏症第一型                                                                                                                                                                                                                                       | 103年02月12日部授食字第1031400516號公告<br>105年10月27日部授食字第1051410789號公告修正成分名 | 106年8月16日衛部罕藥輸字第000042號（100mg）                                        | 賽諾菲股份有限公司            | 罕見疾病      |
| 44 | Elosulfase alfa (N-acetylgalactosamine-6-sulfatase)(rhGALNS) | [Injection]<br>[1mg/ml]                                       | 黏多醣症第4A型                                                                                                                                                                                                                                      | 103年12月30日部授食字第1031413154號公告                                      | 106年01月21日衛部罕菌疫輸字第000023號                                             | 吉帝藥品股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 45 | Epoprostenol                                                 | [ Injection ]<br>〔 0.5 mg<br>base/vial; 1.5<br>mg base/vial 〕 | 原發性肺高血壓                                                                                                                                                                                                                                       | 88年06月17日衛署藥字第88036149號公告<br>91年11月14日衛署藥字第0910073830號公告修正適應症     | 98年06月29日衛署罕藥輸字第000017號（0.5mg）<br>98年06月29日衛署罕藥輸字第000018號（1.5mg）(已註銷) | 荷商葛蘭素史克藥廠股份有限公司台灣分公司 | 罕見疾病      |
| 46 | Everolimus                                                   | [Tablet]<br>[2.5mg, 5mg]                                      | 1.結節性硬化症具有明確成長跡象或腫瘤已引起水腦現象之腦室管膜下巨細胞星狀瘤(TSC-SEGA)。說明：明確成長跡象為：腫瘤比原先病灶長大25%以上，或是有最大直徑1公分以上之新病灶。<br>2.結節性硬化症併有腎血管肌脂肪瘤之成年患者，其腎血管肌脂肪瘤最長直徑需 $\geq 4\text{cm}$ ，且曾有發生臨床上有意義之出血或確認病灶有血管瘤直徑 $\geq 5\text{mm}$ ，而無法以外科手術治療或動脈栓塞治療，或經動脈栓塞治療或外科手術治療後無效或復發者 | 100年09月06日署授食字第1001404947號公告<br>104年08月17日部授食字第1041407049號新增適應症   | 101年7月10日衛署罕藥輸字第000021號（2.5 mg）<br>101年7月10日衛署罕藥輸字第000020號（5 mg）      | 台灣諾華股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 47 | Evolocumab                                                   | Injection；<br>140mg/ ml                                       | 同合子家族性高膽固醇血症，適用於飲食及其他降血脂療法（如：statins、ezetimibe、LDL血漿析離術）之輔助療法，用以進一步降低LDL-C，但LDLR-negative mutation之病人除外。                                                                                                                                      | 105年10月27日部授食字第1051410789號公告                                      | 106年01月25日衛部罕菌疫輸字第000018號                                             | 台灣安進藥品有限公司           | 罕見疾病      |
| 48 | Fingolimod                                                   | [hard capsule]<br>0.25mg;0.5mg                                | 復發性多發性硬化症(前一年有一次復發或前兩年有兩次復發者)                                                                                                                                                                                                                 | 100年09月06日署授食字第1001404947號公告                                      | 103年04月08日衛署罕藥輸字第000025號<br>108年08月29日衛部罕藥輸字第000059號                  | 台灣諾華股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 49 | Fomepizole                                                   | Injection, 1g/ml                                              | 甲醇或乙二醇中毒之解毒劑                                                                                                                                                                                                                                  | 103年02月12日部授食字第1031400516號公告                                      | 105年06月30日衛部罕藥製字第000016號                                              | 華宇藥品股份有限公司           | 困難取得      |
| 50 | Gabapentin                                                   | [ Capsule;<br>Tablet ]〔 600<br>mg, 800 mg 〕                   | 脊髓側索硬化症<br>(Amyotrophic Lateral Sclerosis ALS)                                                                                                                                                                                                | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告                                         |                                                                       |                      | 罕見疾病      |

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號 | 成分名                                  | 劑型、劑量                                        | 認定適應症                                                                           | 認定日期                                                                                              | 許可日期                                                                                                           | 聯絡單位                           | 罕見疾病/困難取得 |
|----|--------------------------------------|----------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------|-----------|
| 51 | Galsulfase                           | [ Injection ]<br>[ 5.0 mg/vial ]             | 黏多醣症第6型<br>Mucopolysaccharidosis VI                                             | 95年01月25日衛署藥字第0950302125號公告                                                                       | 106年04月21日衛部罕菌疫輸字第000024號                                                                                      | 美商百傲萬里生技股份有限公司台灣分公司            | 罕見疾病      |
| 52 | Givosiran                            | injection , 189 mg/ml                        | 適用於治療成人急性肝紫質症(AHP, acute hepatic porphyria)。                                    | 109年09月29日衛授食字第1091409001號公告                                                                      |                                                                                                                | 運和生技有限公司<br>吉帝藥品股份有限公司         | 罕見疾病      |
| 53 | Glatiramer acetate                   | [Injection]<br>[20 mg/ml]                    | 多發性硬化症(Multiple Sclerosis)                                                      | 88年12月9日衛署藥字第88073234號公告                                                                          | 94年3月9日衛署罕藥輸字第000009號(已註銷)<br>95年12月21日衛署罕藥輸字第000015號(已註銷)<br>104年9月1日衛部罕藥輸字第000033號                           | 香港商艾維斯有限公司台灣分公司                | 罕見疾病      |
| 53 | Glatiramer acetate                   | [Injection]<br>[40 mg/ml]                    | 用於治療首次出現臨床症狀且有MRI為佐證之多發性硬化症病人。復發型多發性硬化症，用於減少復發型多發性硬化症病人的復發頻率                    | 105年1月19日部授食字第1041412451號公告新增劑量                                                                   | 105年8月25日衛部罕藥輸字第000035號                                                                                        | 香港商艾維斯有限公司台灣分公司                | 罕見疾病      |
| 54 | Hemin                                | [ Injection ]                                | 紫質症                                                                             | 88年06月17日衛署藥字第88036149號公告                                                                         | 100年05月27日衛署罕菌疫輸字第000010號                                                                                      | 科懋生物科技股份有限公司                   | 罕見疾病      |
| 55 | Human C1-esterase inhibitor          | Injection , 500 IU                           | 第一型及第二型遺傳性血管性水腫(hereditary angioedema, HAE)急性發作的治療。                             | 109年12月30日衛授食字第1091412881號公告                                                                      | 110年11月30日衛部罕藥輸字第000034號                                                                                       | 傑特貝林有限公司                       | 罕見疾病      |
| 56 | Human plasma coagulation factor XIII | Injection , 250IU/vial                       | 先天性第十三凝血因子缺乏症的預防性治療以及圍手術期(perioperative)出血管理。                                   | 105年07月22日部授食字第1051406889號公告                                                                      | 108年6月21日衛部罕菌疫輸字第000027號                                                                                       | 傑特貝林有限公司                       | 困難取得      |
| 57 | Icatibant                            | Injection , 10mg/mL                          | 適用於體內C1酯酶抑制劑不足的成人、青少年及2歲以上兒童，在其遺傳性血管性水腫(hereditary angioedema, HAE)急性發作時進行症狀治療。 | 108年01月19日衛授食字第1071411029號公告                                                                      | 110年1月28日衛部罕藥輸字第000066號<br>110年1月28日衛部罕藥製字第000021號                                                             | 台灣武田藥品工業股份有限公司<br>南光化學製藥股份有限公司 | 罕見疾病      |
| 58 | Idursulfase (iduronate-2-sulfatase)  | [ Injection ]<br>[ 2mg/ml<br>6mg/vial ]      | long term enzyme replacement therapy for patients with MPS II (Hunter Syndrome) | 95年08月22日衛署藥字第0950325795號公告                                                                       | 101年08月09日衛署罕菌疫輸字第000011號                                                                                      | 賽諾菲股份有限公司                      | 罕見疾病      |
| 59 | Iloprost                             | nebuliser solution,<br>solution for infusion | 原發性肺高血壓                                                                         | 91年8月8日衛署藥字第0910049668號公告(nebuliser solution)<br>98年5月4日衛署藥字第0980305278號公告(solution for infusion) | 94年05月23日衛署罕藥輸字第000011號(nebuliser solution 10 µg/ml )<br>107年05月07日衛部罕藥輸字第000053號(nebuliser solution 20 µg/ml) | 臺灣拜耳股份有限公司                     | 罕見疾病      |

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號 | 成分名                                                                                                                      | 劑型、劑量                                                                                                                                       | 認定適應症                                                                                                                     | 認定日期                                                                                                                                  | 許可日期                                                                                                                                                | 聯絡單位                 | 罕見疾病/困難取得 |
|----|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------|-----------|
| 60 | Imiglucerase                                                                                                             | Injection ,<br>200、400<br>units/vial                                                                                                        | 改善高雪氏症症狀，包括貧血、血小板減少症、肝臟或脾臟腫大、骨病變，但對於神經學症狀無效。                                                                              | 88年6月17日衛署藥字第88036149號公告<br>100年9月6日署授食字第1001404947號公告新增劑量400U<br>105年7月22日部授食字第1051406889號公告修正適應症<br>106年4月5日衛授食字第1061402126號公告修正適應症 | 94年11月03日衛署罕菌疫輸字第000006號（200U）（已註銷）<br>102年12月27日衛部罕菌疫輸字第000015號（400U）                                                                              | 賽諾菲股份有限公司            | 罕見疾病      |
| 61 | Inebilizumab                                                                                                             | solution for<br>intravenous<br>infusion , 10<br>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。 | 111年9月14日衛授食字第1111408593號公告                                                                                                           | 111年9月30日衛部罕菌疫輸字第000043號                                                                                                                            | 台田藥品股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 62 | Interferon-Beta-1a                                                                                                       | 〔 Injection 〕<br>1.〔 3MIU、<br>6MIU、<br>12MIU/vial 〕<br>2.〔60mcg/ml〕                                                                         | 1.多發性硬化症(Multiple Sclerosis)<br>2.復發型多發性硬化症                                                                               | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告<br>104年08月17日部授食字第1041407049號新增劑量                                                                           | 90年05月28日衛署罕菌疫輸字第000001號 (22 mcg)<br>90年11月26日衛署罕菌疫輸字第000002號 (44 mcg)<br>101年08月20日衛署罕菌疫輸字第000012號 (66 mcg)<br>101年08月20日衛署罕菌疫輸字第000013號 (132 mcg) | 臺灣默克股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 63 | Interferon-Gamma 1b                                                                                                      | 〔 Injection 〕<br>〔 100<br>mcg/0.5ml 〕                                                                                                       | 慢性肉芽腫病(Chronic Granulomatous Disease)                                                                                     | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告                                                                                                             |                                                                                                                                                     | 吉帝藥品股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 64 | Iodoquinol                                                                                                               | 〔 Tablet 〕〔<br>210mg; 650 mg<br>〕                                                                                                           | 阿米巴性痢疾                                                                                                                    | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告<br>98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正適應症                                                                         |                                                                                                                                                     | 上群國際企業有限公司           | 困難取得      |
| 65 | Ivermectin                                                                                                               | 〔 Tablet 〕〔 3<br>and 6 mg 〕                                                                                                                 | 糞小桿線蟲感染、血絲蟲感染                                                                                                             | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告<br>98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告新增劑量                                                                          | 106年10月17日衛部藥輸字第027134號（3mg, 腸道糞小桿線蟲感染、蟠尾絲蟲感染）                                                                                                      | 美商默沙東股份有限公司          | 困難取得      |
| 66 | KH <sub>2</sub> PO <sub>4</sub> + Na <sub>2</sub> HPO <sub>4</sub> + NaH <sub>2</sub> PO <sub>4</sub> · H <sub>2</sub> O | tablet ,<br>KH <sub>2</sub> PO <sub>4</sub><br>155mg +<br>Na <sub>2</sub> HPO <sub>4</sub><br>852mg +<br>NaH <sub>2</sub> PO <sub>4</sub> · | 性聯遺傳型低磷酸鹽佝僂症(X-linked Hypophosphatemic Rickets)                                                                           | 109年8月26日衛授食字第1091408103號公告                                                                                                           |                                                                                                                                                     | 華宇藥品股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 67 | L-5-hydroxytryptophan (5-HTP)                                                                                            | 〔 Capsule 〕                                                                                                                                 | BH <sub>4</sub> 缺乏性苯酮尿症 (異型苯酮尿症)〔 Tetrahydrobiopterin (BH <sub>4</sub> ) deficiency PKU 〕                                 | 90年08月15日衛署藥字第0900055243號公告                                                                                                           |                                                                                                                                                     | 中國化學製藥股份有限公司<br>新豐工廠 | 罕見疾病      |
| 68 | Lactic acid bacteria                                                                                                     | oral use                                                                                                                                    | chronic pouchitis disease<br>慢性囊炎疾病                                                                                       | 91年08月08日衛署藥字第0910049668號公告                                                                                                           |                                                                                                                                                     |                      | 困難取得      |

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號 | 成分名            | 劑型、劑量                                                                     | 認定適應症                                                           | 認定日期                                                                                                         | 許可日期                                                                                                                                               | 聯絡單位                           | 罕見疾病/困難取得 |
|----|----------------|---------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------|-----------|
| 69 | Lanadelumab    | injection , 150mg/ml                                                      | 作為遺傳性血管性水腫反覆發作之預防。說明：1.曾經有過1個月發作3次(含)以上或6個月發作達到5次；2.曾有過危及生命之發作。 | 108年9月24日衛授食字第1081409142號公告                                                                                  | 110年1月28日衛部罕菌疫輸字第000033號                                                                                                                           | 台灣武田藥品工業股份有限公司                 | 罕見疾病      |
| 70 | Laronidase     | 100 units/ml solution for infusion                                        | 黏多醣儲積症第一型                                                       | 92年11月 18日衛署藥字第0920331943號公告                                                                                 | 95年09月13日衛署罕菌疫輸字第000007號<br>95年09月13日衛署罕菌疫輸字第000008號                                                                                               | 賽諾菲股份有限公司                      | 罕見疾病      |
| 71 | Levocarnitine  | [ Injection; Oral Solution; Tablet ] [ 200 mg/ml, 1 gm/10ml, 330 mg, 1gm] | 用於先天遺傳性代謝異常的續發性 Carnitine缺乏症病患之急性慢性治療                           | 88年06月17日衛署藥字第88036149號公告                                                                                    | 91年05月03日衛署罕藥輸字第000006號(tab,翰亨)<br>95年01月26日衛署罕藥輸字第000014號(inj,翰亨)<br>97年05月15日衛署罕藥輸字第000016號(oral solution,翰亨)<br>104年03月04日衛部罕藥製0000015號(Inj,旭能) | 翰亨實業股份有限公司<br>旭能醫藥生技股份有限公司     | 罕見疾病      |
| 72 | Lomitapide     | [Capsule] 5mg, 10mg, 20mg                                                 | 同合子家族性高膽固醇血症                                                    | 103年02月12日部授食字第1031400516號公告                                                                                 | 104年04月21日衛部罕藥輸字第000030號（5mg）（已註銷）<br>104年04月21日衛部罕藥輸字第000031號（10mg）（已註銷）<br>104年04月21日衛部罕藥輸字第000032號（20mg）（已註銷）                                   | 祥瑞醫藥生技有限公司                     | 罕見疾病      |
| 73 | Luspatercept   | injection , 50 mg/ml                                                      | 用於治療與β型重型海洋性貧血相關的輸血依賴性貧血的成年病人。                                  | 110年10月13日部授食字第1101409428號公告                                                                                 | 111年08月15日衛部罕菌疫輸字第000041號                                                                                                                          | 台灣必治妥施貴寶股份有限公司<br>台灣大昌華嘉股份有限公司 | 罕見疾病      |
| 74 | Macitentan     | 10mg film-coated tablets                                                  | 適用於世界衛生組織（WHO）功能分類第II至第IV級的原發性肺動脈高血壓患者                          | 102年10月07日部授食字第1021451178號公告                                                                                 | 105年01月25日衛部罕藥輸字第000034號                                                                                                                           | 嬌生股份有限公司                       | 罕見疾病      |
| 75 | Mefloquine     | [ Tablet ] [ 250 mg ]                                                     | 瘧疾                                                              | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告<br>98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正成分劑量及適應症                                           | 100年06月23日衛署罕藥輸字第000019號                                                                                                                           | 鴻汶醫藥實業有限公司                     | 困難取得      |
| 76 | Methylene blue | [Injection] 0.5%, 1%                                                      | 變性血紅素血症 (Methemoglobinemia)                                     | 101年02月16日衛署藥字第1001409639號公告                                                                                 | 104年03月09日衛部罕藥製字第 000013號（1%）                                                                                                                      | 安星製藥股份有限公司                     | 困難取得      |
| 77 | Migalastat     | capsule , 123mg                                                           | 適用於已確診為法布瑞氏症且於體外試驗確定為符合性基因突變的16歲(含)以上病人                         | 108年05月30日衛授食字第1081404660號公告                                                                                 | 109年2月3日衛部罕藥輸字第000060號                                                                                                                             | 台灣大昌華嘉股份有限公司                   | 罕見疾病      |
| 78 | Miglustat      | capsule                                                                   | 1.Type I Gaucher Disease<br>2.Niemann-Pick Disease Type C       | 94年01月28日衛署藥字第0940304588號公告(Type I Gaucher Disease)<br>98年05月4日衛署藥字第0980305278號公告 (Niemann-Pick Disease Type | 103年05月10日衛部罕藥輸字第000028號(Type I Gaucher Disease)                                                                                                   | 嬌生股份有限公司                       | 罕見疾病      |
| 79 | Mitotane       | [ Tablet ] [ 500 mg ]                                                     | 腎上腺皮質癌                                                          | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告                                                                                    |                                                                                                                                                    | 吉帝藥品股份有限公司                     | 困難取得      |



適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號 | 成分名                      | 劑型、劑量                                                       | 認定適應症                                                                                                                                                | 認定日期                                                              | 許可日期                                                                                                  | 聯絡單位            | 罕見疾病/困難取得 |
|----|--------------------------|-------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------|-----------|
| 80 | Modafinil                | 200 mg                                                      | 改善猝睡症患者的日間過度睡眠症狀                                                                                                                                     | 90年05月21日衛署藥字第0900032249號公告<br>95年01月25日衛署藥字第0950302125號公告修正適應症   | 94年02月24日衛署罕藥輸字第000010號                                                                               | 香港商艾維斯有限公司台灣分公司 | 困難取得      |
| 81 | Natalizumab              | 300 mg/15 ml vial, solution for infusion                    | 多發性硬化症                                                                                                                                               | 98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告                                       | 101年08月27日衛署罕菌疫輸字第000014號                                                                             | 衛采製藥股份有限公司      | 罕見疾病      |
| 82 | Nitisinone               | 2.0 mg/cap                                                  | 酪胺酸血症第一型 Tyrosinemia type I                                                                                                                          | 95年01月25日衛署藥字第0950302125號公告                                       |                                                                                                       | 吉帝藥品股份有限公司      | 罕見疾病      |
| 83 | Nitric Oxide             | 〔 Inhaler 〕                                                 | 新生兒原發性肺高血壓用                                                                                                                                          | 88年06月17日衛署藥字第88036149號公告                                         |                                                                                                       |                 | 罕見疾病      |
| 84 | Nusinersen               | injection , 2.4mg/ml                                        | 經基因確診之SMA脊髓性肌肉萎縮症病人，其SMN2為2或3套或已出現症狀之SMA第一、二、三型病人，但不適用於已使用呼吸器每天12小時以上且連續超過30天者。                                                                      | 107年03月12日衛授食字第1071401892號<br>109年8月26日衛授食字第1091408103號公告修正適應症    | 108年01月22日衛部罕藥輸字第000057號                                                                              | 台灣百健有限公司        | 罕見疾病      |
| 85 | Ofatumumab               | solution for injection , 50 mg/mL                           | (1)成人復發緩解型多發性硬化症(relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)<br>(2)成人活動性次發進展型多發性硬化症(active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)。 | 109年12月30日衛授食字第1091412881號公告<br>110年10月13日部授食字第1101409428號公告修正適應症 | 111年2月24日衛部罕菌疫輸字第000035號                                                                              | 台灣諾華股份有限公司      | 罕見疾病      |
| 86 | Onasemnogene abeparvovec | 2x10 <sup>13</sup> vg/ml, solution for intravenous infusion | 治療6個月以下且SMN1發生雙對偶基因突變之脊髓性肌肉萎縮症病人。                                                                                                                    | 109年3月18日衛授食字第1091401809號公告                                       | 109年12月22日衛部罕菌疫輸字第000029號                                                                             | 台灣諾華股份有限公司      | 罕見疾病      |
| 87 | Ozanimod                 | capsule , 0.23 mg、0.46 mg、0.92 mg                           | 成人復發緩解型多發性硬化症(relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)的治療。                                                                                      | 110年10月13日衛授食字第1101409428號公告                                      | 111年2月7日衛部罕藥輸字第000077號(0.23 mg)<br>111年2月7日衛部罕藥輸字第000078號(0.46 mg)<br>111年2月7日衛部罕藥輸字第000079號(0.92 mg) | 台灣必治妥施貴寶股份有限公司  | 罕見疾病      |
| 88 | Paromomycin Sulfate      | 〔 Capsule 〕〔 250 mg 〕                                       | 隱孢子蟲感染、阿米巴性痢疾                                                                                                                                        | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告<br>98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正適應症     |                                                                                                       | 輝瑞大藥廠股份有限公司     | 困難取得      |
| 89 | Patisiran                | Solution for infusion , 2 mg/mL                             | 治療成人TTR ( transthyretin ) 家族性澱粉樣多發性神經病變 ( Familial Amyloidotic Polyneuropathy ) ，神經病變的疾病嚴重度限於第                                                       | 108年01月19日衛授食字第1071411029號公告                                      | 109年12月10日衛部罕藥輸字第000063號                                                                              | 艾拉倫股份有限公司       | 罕見疾病      |

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號  | 成分名                                                                           | 劑型、劑量                                                                                      | 認定適應症                                                                                                                                                          | 認定日期                                                                         | 許可日期                                                                                                            | 聯絡單位                   | 罕見疾病/困難取得 |
|-----|-------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------|-----------|
| 90  | Peginterferon beta-1a                                                         | [Injection]<br>[126mcg/ml、<br>188mcg/ml、<br>250mcg/ml]                                     | 復發型多發性硬化症                                                                                                                                                      | 105年01月19日部授食字第<br>1041412451號公告                                             | 106年11月28日衛部罕菌疫輸字第000019號 (63 mcg)<br>106年11月28日衛部罕菌疫輸字第000020號 (94 mcg)<br>106年11月28日衛部罕菌疫輸字第000021號 (125 mcg) | 衛采製藥股份有限公司             | 罕見疾病      |
| 91  | Phenytoin                                                                     | 〔 Capsule 〕〔<br>30 mg 〕                                                                    | 癲癇症(限用於調整劑量)                                                                                                                                                   | 88年12月09日衛署藥字第<br>88073234號公告                                                |                                                                                                                 |                        | 困難取得      |
| 92  | Phosphate solution                                                            | 〔 Solution 〕                                                                               | 性聯遺傳型低磷酸鹽性佝<br>僂症 [X-linked<br>hypophosphatemic Rickets]                                                                                                       | 90年08月15日衛署藥字第<br>0900055243號公告                                              |                                                                                                                 | 信東生技股份有限公司             | 罕見疾病      |
| 93  | Ponesimod                                                                     | film-coated<br>tablet，2 mg、<br>3 mg、4 mg、5<br>mg、6 mg、7<br>mg、8 mg、9<br>mg、10 mg、<br>20 mg | (1)成人復發緩解型多發性<br>硬化症(relapsing-remitting<br>multiple sclerosis, RRMS)<br>(2)成人活動性次發進展型<br>多發性硬化症(active<br>secondary progressive<br>multiple sclerosis, active | 111年1月21日衛授食字第<br>1101460642號公告                                              |                                                                                                                 | 嬌生股份有限公司               | 罕見疾病      |
| 94  | potassium acid phosphate<br>+ sodium acid phosphate,<br>anhydrous             | 〔 Tablet 〕                                                                                 | 性聯遺傳型低磷酸鹽性佝<br>僂症 [X-linked<br>hypophosphatemic Rickets]                                                                                                       | 91年11月14日衛署藥字第<br>0910073830號公告                                              |                                                                                                                 | 吉帝藥品股份有限公司             | 罕見疾病      |
| 95  | Primaquine-Phosphate                                                          | 〔 Tablet 〕〔<br>7.5 mg 〕                                                                    | 瘧疾、肺囊蟲肺炎                                                                                                                                                       | 88年12月09日衛署藥字第<br>88073234號公告<br>98年05月04日衛署藥字第<br>0980305278號公告修正劑量<br>及適應症 |                                                                                                                 | 如山藥業有限公司               | 困難取得      |
| 96  | protein C                                                                     | injection                                                                                  | 先天性protein C缺乏所致之<br>嚴重靜脈血栓                                                                                                                                    | 94年1月1日衛署藥字第<br>0940304588號公告                                                | 111年10月12日衛部罕菌疫輸字第000042號                                                                                       | 台灣武田藥品工業股份有限<br>公司     | 罕見疾病      |
| 97  | Pyrimethamine                                                                 | 〔 Tablet 〕〔<br>25 mg 〕                                                                     | 弓形蟲感染                                                                                                                                                          | 88年12月09日衛署藥字第<br>88073234號公告<br>98年05月04日衛署藥字第<br>0980305278號公告修正成分<br>及劑量  |                                                                                                                 | 如山藥業有限公司<br>上群國際企業有限公司 | 困難取得      |
| 98  | Ravulizumab                                                                   | concentrate for<br>solution for<br>infusion，10<br>mg/mL                                    | 治療陣發性夜間血紅素尿<br>症(paroxysmal nocturnal<br>hemoglobinuria, PNH)病人。                                                                                               | 109年12月30日衛授食字第<br>1091412881號公告                                             | 111年2月7日衛部罕菌疫輸字第000036號                                                                                         | 台灣大昌華嘉股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 99  | Recombinant human<br>insulin-like growth factor<br>1, rhIGF-1<br>(MECASERMIN) | 〔 Injection 〕                                                                              | Laron Syndrome                                                                                                                                                 | 95年08月22日衛署藥字第<br>0950325795號公告                                              | 97年03月17日衛署罕菌疫輸字第000009號                                                                                        | 法商益普生股份有限公司台<br>灣分公司   | 罕見疾病      |
| 100 | Risdiplam                                                                     | powder for oral<br>solution，0.75<br>mg/mL                                                  | 治療年齡二個月以上、經<br>基因確診且已出現症狀之<br>SMA脊髓性肌肉萎縮症<br>(spinal muscular atrophy)第<br>一、二、三型病人，但不<br>適用於已使用呼吸器每天<br>十二小時以上且連續超過<br>三十天者。                                  | 109年12月30日衛授食字第<br>1091412881號公告<br>111年1月21日衛授食字第<br>1101460642號公告修正適應<br>症 | 110年11月30日衛部罕藥輸字第000075號                                                                                        | 羅氏大藥廠股份有限公司            | 罕見疾病      |

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號  | 成分名                                      | 劑型、劑量                                                                                 | 認定適應症                                                                                                                              | 認定日期                                                                                                 | 許可日期                                                                                                                                                                                                                                                                                     | 聯絡單位                 | 罕見疾病/困難取得 |
|-----|------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------|-----------|
| 101 | Risedronate                              | [ Tablet ] [ 30 mg ]                                                                  | 原發性變形性骨炎 ( Primary Paget disease )                                                                                                 | 90年3月22日衛署藥字第0900018284號公告                                                                           | 92年08月21日衛署罕藥輸字第000008號 ( 已註銷 )                                                                                                                                                                                                                                                          | 賽諾菲股份有限公司            | 罕見疾病      |
| 102 | Sacrosidase                              | [ Oral Solution ] [ 900 IU/ml ]                                                       | PKU with congenital sucrase-isomaltase deficiency                                                                                  | 88年12月9日衛署藥字第88073234號公告                                                                             |                                                                                                                                                                                                                                                                                          | 科懋生物科技股份有限公司         | 罕見疾病      |
| 103 | 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12歲以上青少年病人。 | 111年9月14日衛授食字第1111408593號公告                                                                          |                                                                                                                                                                                                                                                                                          | 台灣中外製藥股份有限公司         | 罕見疾病      |
| 104 | Selexipag                                | [film-coated tablet]<br>[200mcg、400mcg、600mcg、800mcg、1000mcg、1200mcg、1400mcg、1600mcg] | 原發性肺動脈高血壓                                                                                                                          | 104年11月6日部授食字第1041410183號                                                                            | 107年02月01日衛部罕藥輸000045 (200 mcg)<br>107年02月01日衛部罕藥輸000046 (400 mcg)<br>107年02月01日衛部罕藥輸000047 (600 mcg)<br>107年02月01日衛部罕藥輸000048 (800 mcg)<br>107年02月01日衛部罕藥輸000049 (1000 mcg)<br>107年02月01日衛部罕藥輸000050 (1200 mcg)<br>107年02月01日衛部罕藥輸000051 (1400 mcg)<br>107年02月01日衛部罕藥輸000052 (1600 mcg) | 嬌生股份有限公司             | 罕見疾病      |
| 105 | Sildenafil citrate                       | [ Tablet ] [ 20 mg ]                                                                  | 原發性肺高血壓                                                                                                                            | 98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告                                                                          |                                                                                                                                                                                                                                                                                          | 暉致醫藥股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 106 | Siponimod fumaric acid                   | film coated tablet , 0.25、2 mg                                                        | 治療次發進展型多發性硬化症 (secondary progressive multiple sclerosis；SPMS)病人。                                                                   | 109年8月26日衛授食字第1091408103號公告                                                                          | 109年12月28日衛部罕藥輸字第000064號 (2mg)<br>109年12月28日衛部罕藥輸字第000065號 (0.25mg)                                                                                                                                                                                                                      | 台灣諾華股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 107 | Sodium Benzoate                          | [ Capsule ] [250 mg]                                                                  | Non-ketotic hyperglycinemia                                                                                                        | 88年06月17日衛署藥字第88036149號公告                                                                            | 90年02月20日衛署罕藥製字第000001號                                                                                                                                                                                                                                                                  | 科進製藥科技股份有限公司         | 罕見疾病      |
| 108 | Sodium phenylacetate and sodium benzoate | injection                                                                             | 先天性尿素循環代謝障礙                                                                                                                        | 96年08月08日衛署藥字第0960303535號公告                                                                          |                                                                                                                                                                                                                                                                                          | 吉發企業股份有限公司           | 罕見疾病      |
| 109 | Sodium Phenylbutyrate                    | Powder , 3gm/teaspoonful；<br>Tablet , 500mg；<br>顆粒劑 , 483mg/ g                        | 缺乏 carbamylphosphate synthetase (CPS), Ornithine transcarbamylase (OTC) 或 Argininosuccinic synthetase (AS) 之先天性尿素循環障礙              | 88年06月17日 衛署藥字第88036149號公告<br>97年01月22日衛署藥字第0970302902號公告修正適應症<br>105年07月22日部授食字第1051406889號公告新增劑型劑量 | 90年4月9日衛署罕藥製字第000002號 (tablet, 東洋)(已註銷)<br>104年12月7日衛部罕藥製字第000014號 (tablet, 旭能)                                                                                                                                                                                                          | 旭能醫藥生技股份有限公司         | 罕見疾病      |
| 110 | Sodium Stibogluconat                     | [ Injection ] [ 100 mg/ml, 100 ml/bot ]                                               | 利什曼症(黑熱病)                                                                                                                          | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告                                                                            |                                                                                                                                                                                                                                                                                          | 荷商葛蘭素史克藥廠股份有限公司台灣分公司 | 困難取得      |

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號  | 成分名                        | 劑型、劑量                                           | 認定適應症                                                                                                                                                                                                               | 認定日期                                                              | 許可日期                                                                                                                                                                   | 聯絡單位                                | 罕見疾病/困難取得 |
|-----|----------------------------|-------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------|-----------|
| 111 | Stiripentol                | capsule ,<br>250、500mg<br>powder ,<br>250、500mg | Stiripentol與clobazam及valproate併用於嬰幼兒期嚴重肌痙攣性癲癇（SMEI, Dravet's syndrome）患者，輔助治療難治的全身性強直陣攣性發作（generalized tonic-clonic seizure），因患者僅服用clobazam及valproate無法充分控制癲癇發作。                                                    | 108年7月18日衛授食字第1081406808號公告                                       | 110年5月18日衛部罕藥輸字第000067號(capsule, 250mg)<br>110年5月18日衛部罕藥輸字第000068號(powder, 500mg)<br>110年5月18日衛部罕藥輸字第000069號(powder, 250mg)<br>110年5月18日衛部罕藥輸字第000070號(capsule, 500mg) | 科懋生物科技股份有限公司                        | 罕見疾病      |
| 112 | Tafamidis meglumine        | 20mg soft capsule                               | 治療TTR (transthyretin)家族性澱粉樣多發性神經病變(Familial Amyloidotic Polyneuropathy)，神經病變的疾病嚴重度限於第一期的病人。                                                                                                                         | 108年7月18日衛授食字第1081406808號公告<br>110年10月13日衛授食字第1101409428號公告修正成分名  |                                                                                                                                                                        | 輝瑞大藥廠股份有限公司                         | 罕見疾病      |
| 113 | Taliglucerase alfa         | [Injection]<br>[200U/vial]                      | 改善高雪氏症症狀，包括貧血、血小板減少症、肝臟或脾臟腫大、骨病變，但對於神經學症狀無效。                                                                                                                                                                        | 105年05月06日部授食字第1051404038號公告<br>106年04月05日衛授食字第1061402126號公告修正適應症 | 106年4月11日衛部罕菌疫輸字第000022號                                                                                                                                               | 輝瑞大藥廠股份有限公司                         | 罕見疾病      |
| 114 | Teriflunomide              | [film-coated tablet]<br>[7mg、14mg]              | (1) 成人復發緩解型多發性硬化症(relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)<br>(2) 疑似多發性硬化症之成人臨床單一症候群(clinically isolated syndrome, CIS)<br>(3) 成人活動性次發進展型多發性硬化症(active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)。 | 104年04月21日部授食字第1041402939號公告<br>110年10月13日部授食字第1101409428號公告修正適應症 | 106年05月04日衛部罕藥輸字第000037號（7mg）<br>106年05月04日衛部罕藥輸字第000038號（14mg）                                                                                                        | 賽諾菲股份有限公司                           | 罕見疾病      |
| 115 | tetrabenazine              | 〔 Tablet 〕                                      | 亨汀頓氏舞蹈症Huntington disease                                                                                                                                                                                           | 97年01月22日衛署藥字第0970302902號公告                                       | 102年02月05日衛署罕藥輸字第000026號（25mg）<br>102年02月04日衛署罕藥輸字第000027號（12.5mg）                                                                                                     | 吉泰藥品股份有限公司                          | 罕見疾病      |
| 116 | Tetrahydro-Biopterin(BH4)  | 〔 Tablet 〕〔 10, 50 and 100 mg 〕                 | 1.Treatment of patients with hyperphenylalaninemia due to tetrahydrobiopterin deficiency.<br>2.Tetrahydrobiopterin-responsive                                                                                       | 88年12月09日衛署藥字第88073234號公告<br>98年05月04日衛署藥字第0980305278號公告修正劑量及適應症  | 106年11月30日衛部罕藥製字第000017號（10mg, 科進）<br>106年11月30日衛部罕藥製字第000018號（50mg, 科進）<br>106年11月30日衛部罕藥輸字第000041號（100mg, 百傲萬里）                                                      | 科進製藥科技股份有限公司<br>美商百傲萬里生技股份有限公司台灣分公司 | 罕見疾病      |
| 117 | Thalidomide                | 〔 Capsule 〕〔 50 mg 〕                            | 結節狀紅斑leprosum                                                                                                                                                                                                       | 88年12月9日衛署藥字第88073234號公告                                          | 91年10月16日衛署罕藥製字第000006號（東洋）<br>103年06月17日衛部罕藥製字第000012號（美時化學）                                                                                                          | 臺灣東洋藥品工業股份有限公司<br>美時化學製藥股份有限公司      | 困難取得      |
| 118 | Thymosin alfa 1            | injection                                       | DiGeorge Syndrome                                                                                                                                                                                                   | 91年08月08日衛署藥字第0910049668號公告                                       |                                                                                                                                                                        | 騏名貿易有限公司                            | 罕見疾病      |
| 119 | Thyrotropin alfa Injection | [Injection]<br>[1.1mg/vial]                     | 甲狀腺分化癌治療之輔助診斷製劑                                                                                                                                                                                                     | 88年06月17日衛署藥字第88036149號公告                                         | 92年05月06日衛署罕菌疫輸字第000003號                                                                                                                                               | 賽諾菲股份有限公司                           | 困難取得      |

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物 111年11月25日整理

認定日期：公告適用罕見疾病防治及藥物法之日期；許可日期：核發許可證之日期

| 序號  | 成分名                                                              | 劑型、劑量                                                                                       | 認定適應症                                                                                                                        | 認定日期                                                            | 許可日期                                                                                                                                                     | 聯絡單位                       | 罕見疾病/困難取得 |
|-----|------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------|-----------|
| 120 | Tobramycin                                                       | 1. 300 mg/5 ml solution for inhalation<br>2. 28mg inhalation powder hard capsules           | 1.囊狀纖維化症患者因基因缺陷致肺部因綠膿桿菌慢性感染造成反覆急性發作<br>支氣管擴張症之持續性治療<br>2.治療6歲以上(含6歲)囊狀纖維化症患者(cystic fibrosis)之肺部綠膿桿菌(Pseudomonas aeruginosa) | 95年08月22日衛署藥字第0950325795號公告<br>101年11月13日署授食字第1011409066號公告新增劑型 | 104年04月21日衛部罕藥輸字第000029號(已註銷)                                                                                                                            | 台灣邁蘭有限公司<br>台灣諾華股份有限公司     | 罕見疾病      |
| 121 | TPN for PKU with congenital sucrase-somaltase deficiency之全靜脈營養注射 | [ Injection ]                                                                               | TPN For PKU with congenital sucrase-isomaltase deficiency 之全靜脈營養注射劑                                                          | 88年12月9日衛署藥字第88073234號公告                                        |                                                                                                                                                          |                            | 罕見疾病      |
| 122 | treprostinil sodium                                              | [ Injection ]<br>[ 1.0, 2.5, 5.0, 10.0 mg/ml ]<br>[ Solution for inhalation ] [ 0.6 mg/ml ] | 1.原發性肺高血壓<br>2.WHO group I原發性肺動脈高血壓合併NYHA class III症狀                                                                        | 91年11月14日衛署藥字第0910073830號公告<br>101年11月13日署授食字第1011409066號公告新增劑型 | 110年8月2日衛部罕藥輸字第000071號 (1mg/ml)<br>110年8月2日衛部罕藥輸字第000072號 (2.5mg/ml)<br>110年8月2日衛部罕藥輸字第000073號 (5mg/ml)<br>110年8月2日衛部罕藥輸字第000074號 (10mg/ml)              | 科懋生物科技股份有限公司               | 罕見疾病      |
| 123 | Tretinoin                                                        | soft gelatin capsules 10 mg                                                                 | 急性前骨髓性白血病                                                                                                                    | 92年11月18日衛署藥字第0920331943號公告                                     |                                                                                                                                                          | 裕利股份有限公司                   | 困難取得      |
| 124 | Trientine HCl                                                    | [Capsule] [250, 300 mg]                                                                     | 威爾森氏病(Wilson Disease)                                                                                                        | 88年06月17日衛署藥字第88036149號公告<br>97年07月09日衛署藥字第0970305564號公告新增劑量    | 108年05月28日衛部罕藥製字第000019號(300mg)                                                                                                                          | 旭能醫藥生技股份有限公司               | 罕見疾病      |
| 125 | Velaglucerase alfa                                               | Injection；400U/vial                                                                         | 第一型高雪氏症                                                                                                                      | 105年10月27日部授食字第1051410789號公告                                    | 106年08月29日衛部罕菌疫輸字第000026號                                                                                                                                | 台灣武田藥品工業股份有限公司             | 罕見疾病      |
| 126 | Voretigene neparvovec                                            | concentrate for solution for injection，5x10 <sup>12</sup> vg/ml                             | 適用於因雙對偶基因PRE65突變之萊伯氏先天性黑矇症(Leber con-genital amaurosis, LCA)，而喪失視力，並具有足夠的存活視網膜細胞的病人。                                         | 111年9月14日衛授食字第1111408593號公告                                     |                                                                                                                                                          | 台灣諾華股份有限公司                 | 罕見疾病      |
| 127 | Zinc Acetate                                                     | [Capsule] [25-50 mg]                                                                        | 威爾森氏病(Wilson Disease)                                                                                                        | 90年12月04日衛署藥字第0900074831號公告                                     | 93年11月29日衛署罕藥製字第000007號 (50 mg, 科進)<br>95年01月26日衛署罕藥製字第000010號 (25 mg, 科進)<br>94年03月15日衛署罕藥製字第000008號 (25 mg, 吉帝)<br>94年03月15日衛署罕藥製字第000009號 (50 mg, 吉帝) | 科進製藥科技股份有限公司<br>吉帝藥品股份有限公司 | 罕見疾病      |
| 128 | "沛佳"法斯樂-杜瓦伸縮式髓內釘系統                                               |                                                                                             | 本產品是暫時性植入物於成骨不全而生長板正常的小兒患者,以幫助長骨幹骨折、骨切開術、骨折斷端對位不良及未癒合骨折的固定，並防止股骨、脛骨及肱骨進一步的骨折                                                 | 102年10月07日部授食字第1021451178號公告                                    | 103年06月10日衛部罕醫器輸字第000001號                                                                                                                                | 裕強生科技股份有限公司                | 罕見疾病      |