**AADC缺乏症基因治療發展歷程**

**附件一**

|  |  |
| --- | --- |
| 2007 | * 罕病基金會育成AADC缺乏症病友聯誼會。 |
| 2008 | * 臺大醫療團隊評估在台灣進行基因治療可行性。 * 罕病基金會開啟「罕見疾病臨床試驗計畫補助辦法」，以協助本土臨床試驗研究案。 |
| 2010 | * 首例AADC缺乏症個案琦琦獲衛福部同意以恩慈療法進行基因治療。 * 張榮發基金會與張榮發總裁捐贈NT$1,100萬元予罕病基金會，用於基因治療研發與病患照護。 |
| 2011 | * 經由張榮發總裁善款，罕病基金會委託美國製造基因治療所需之病毒載體，隨後捐贈病毒載體予臺大醫院進行基因治療之用。 * 臺大醫院於2011年8月完成8位病童恩慈療法。 |
| 2013 | * 臺大醫院進行AADC缺乏症新生兒篩檢先趨計劃。 |
| 2014 | * 臺大醫院申請AADC缺乏症腦部基因治療臨床試驗第I/II期獲衛福部正式同意。 |
| 2016 | * 臺大醫院開始臨床試驗第IIb，該試驗獲美國PTC Therapeutics經費支持。 |
| 2020 | * 臺大醫院AADC缺乏症新生兒篩檢重新啟動 * 臺大醫院完成第30例個案治療。 |
| 2022 | * 基因治療藥物Upstaza(eladocagene exuparvovec)獲歐洲藥品管理局(EMA)同意授予上市許可 |

製表:罕見疾病基金會2022/7