

衛生福利部公告

中華民國112年10月2日

衛授食字第1121409849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「Belzutifan」(Tablet, 40 mg)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療患有Von Hippel-Lindau (VHL) 症候群且須治療伴隨發生之腎細胞癌 (Renal Cell Carcinoma, RCC)、中樞神經系統血管母細胞瘤 (Central Nervous System Hemangioblastoma) 或胰臟神經內分泌腫瘤 (Pancreatic Neuroendocrine Tumours, pNET)，但不適合局部手術的成年病人」。
- 二、新增認定「Eladocagene exuparvovec」(Solution for Injection, 2.8×10^{11} vg/0.5 mL)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療年齡在18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) 缺乏症的病人」。
- 三、適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項「Interferon Beta-1a」(Injection)之認定劑量「3 MIU、6 MIU、12 MIU/vial」修正為「44、88 mcg/ml」，並新增認定適應症「發生單一臨床症狀 (Clinically isolated syndrome, CIS) 疑似多發性硬化症的病患，可延緩其惡化成多發性硬化症」。

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
Belzutifan	Tablet, 40 mg	適用於治療患有 Von Hippel-Lindau (VHL)症候群且須治療伴隨發生之腎細胞癌(Renal Cell Carcinoma, RCC)、中樞神經系統血管母細胞瘤(Central Nervous System Hemangioblastoma)或胰臟神經內分泌腫瘤(Pancreatic Neuroendocrine Tumours, pNET)，但不適合局部手術的成年病人。
Eladocagene exuparvovec	Solution for Injection, 2.8 x 10 ¹¹ vg/0.5 mL	適用於治療年齡在18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) 缺乏症的病人。
Interferon Beta-1a	Injection, 44、88 mcg/ml	1. 多發性硬化症(Multiple Sclerosis)。 2. 發生單一臨床症狀(Clinically isolated syndrome, CIS) 疑似多發性硬化症的病患，可延緩其惡化成多發性硬化症。
	Injection, 60 mcg/ml	復發型多發性硬化症。