

衛生福利部公告

中華民國113年1月8日

衛授食字第1121414181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「Pegunigalsidase alfa」(Injection, 2mg/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 α -半乳糖苷酶(α -galactosidase A) 缺乏的成年病人(即法布瑞氏症, Fabry disease)，提供長期酵素補充治療」。
- 二、修正「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」 「Pegvaliase」 (solution for injection, 20mg/ml) 認定之劑量為「5mg/ml、20mg/ml」。

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
Pegunigalsidase alfa	Injection, 2 mg/ml	用於治療 α -半乳糖苷酶(α -galactosidase A)缺乏的成年病人(即法布瑞氏症, Fabry disease), 提供長期酵素補充治療。
Pegvaliase	solution for injection, 5 mg/ml、20 mg/ml	適用於治療即使已使用其他治療手段, 血中苯丙胺酸濃度仍無法獲得充分控制(血中苯丙胺酸濃度高於600微莫耳/升)之年滿十六歲的苯丙酮尿症(Phenylketonuria; PKU)病人。