

中央健康保險署「新藥及新醫材病友意見分享」平台-罕見疾病藥物

中文藥品名	英文藥品名	許可證字號	適應症
妥立瑞輸注射液 300 毫克 (新藥)	Ultomiris concentrate for solution for infusion 300mg	衛部罕菌疫輸字第 000036 號、衛部罕菌疫輸字第 000045 號	抑制 PNH 病人末端補體調節的血管內溶血及 aHUS 病人之栓塞性微血管病變 (TMA)。
歐萊酶凍晶注射劑 4 mg/mL (新藥)	Xenpozyme Powder for Concentrate for Solution for Infusion 4 mg/mL	罕藥臨時碼 (無罕藥許可證) 字第 000130 號	用以治療患有酸性神經鞘磷脂酶缺乏症 (acid sphingomyelinase deficiency (ASMD))(又名 NiemannPick 氏症 A 型和 B 型)病人的非中樞神經系統(non - CNS)表徵之酵素替代療法
樂適達注射劑	Luxturna concentrate and solvent for solution for injection	罕藥臨時碼 (無罕藥許可證) 字第 000116 號	適用於四歲以上因雙對偶基因 RPE 65 缺損之萊伯氏先天性黑矇症 (Leber congenital amaurosis, LCA)，而喪失視力，並具有足夠的存活視網膜細胞的病人

註：上表資料取自中央健康保險署「新藥及新醫材病友意見分享」平台(112年8月22日)。