

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
服脊立 0.75 毫克/ 毫升	EVRYSDI Powder for Oral Solution 0.75mg/ml	罕藥臨時碼 (無罕藥許 可證)字第 000081 號	服脊立為治療二歲以下發 病之脊髓性肌肉萎縮症病 人的口服藥物
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
優視納 點 滴靜脈注射 液 100 毫克	Uplizna for Intravenous Infusion 100mg	衛部罕菌疫 輸 字 第 000043 號	適用於治療抗水通道蛋白 4 抗體陽性的泛視神經脊髓 炎之成人病人
諾健生靜脈 懸液注射劑	ZOLGENSMA Suspension for Intravenous Infusion	衛部罕菌疫 輸 字 第 00029 號	治療 6 個月以下且 SMN 1 發生雙對偶基因突變之脊 髓性肌肉萎縮症(SMA)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1月13日)。