

## 香港罕見疾病藥物清單

發布日期: 2024年4月 (綠色字體為更新部分)

本文件資訊只供參考，並非詳盡無遺，亦不能取代醫生或其他合格醫療專業人員的建議。如有資料更新，將會不時發佈。

本清單內容為香港罕見病 (RDHK) 版權所有，事先未經RDHK書面授權和批准，不得以任何方式複製、複製、下載或傳播用於任何商業用途。個人使用可供複製或列印，惟內容未能修改且包含RDHK版權的部分。

編號	成分	參考適應症	藥物分類	藥物名冊分類*	適應症資料來源
1	Adalimumab	- 化膿性汗腺炎	皮膚科藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
2	Adalimumab	- 活性、非感染性、中段 / 後段 / 全葡萄膜炎 - 小兒慢性非感染性前葡萄膜炎	眼科藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
3	Adalimumab	- 幼年特發性關節炎	肌肉骨骼和關節疾病藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
4	Aqalsidase Alfa	- 法布瑞氏症	NA	專用藥物	醫管局網頁
5	Aqalsidase Beta	- 法布瑞氏症	NA	專用藥物	醫管局網頁
6	Alemtuzumab	- 復發緩解型多發性硬化症 (RRMS)	腫瘤及免疫系統藥物	專用藥物	MIMS HK
7	Alglucosidase Alfa	- 龐貝氏症	NA	專用藥物	醫管局網頁
8	Ambrisentan	- 原發性肺動脈高血壓	心臟科藥物	專用藥物	MIMS HK
9	Avalglucosidase alfa	- 龐貝氏症	NA	專用藥物	醫管局網頁
10	Baclofen	- 某些情況引起的肌肉痙攣 (如多發性硬化症、脊髓損傷/疾病)	肌肉骨骼和關節疾病藥物	專用藥物	醫管局網頁
11	Bosentan	- 肺動脈高壓 (PAH)	心臟科藥物	專用藥物	MIMS HK
12	Burosumab	- X連結低磷血症	NA	安全網藥物 (關愛基金)	醫管局網頁
13	Canakinumab	- Cryopyrin相關週期性綜合症 (CAPS) - 家族性地中海熱 - 高免疫球蛋白 D 綜合症/甲羥戊酸激酶缺乏症 - 全身幼年特發性關節炎 - 腫瘤壞死因子受體相關週期性綜合症	腫瘤及免疫系統藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
14	Cladribine	- 毛細胞白血病	腫瘤及免疫系統藥物	專用藥物	醫管局網頁
15	Cladribine (Mavenclad)	- 復發緩解型多發性硬化症 (RRMS)	腫瘤及免疫系統藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
16	Deferiprone (Kelfer)	- 重型地中海貧血症	營養劑及血液科藥物	專用藥物	MIMS HK
17	Dimethyl fumarate	- 復發緩解型多發性硬化症 (RRMS)	腫瘤及免疫系統藥物	專用藥物	MIMS HK
18	Dinutuximab Beta	- 治療高風險或復發 / 難治的神經母細胞瘤	NA	安全網藥物 (關愛基金)	醫管局網頁
19	Eculizumab	- 非典型溶血性尿毒症候群 (aHUS)	NA	安全網藥物 (關愛基金)	醫管局網頁
20	Eculizumab	- 陣發性夜間血紅素尿症 (PNH)	NA	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
21	Elosulfase Alfa	- 黏多糖症第4A型	NA	專用藥物	醫管局網頁
22	Eltrombopag	- 慢性免疫性血小板減少性紫癜 - 重度再生障礙性貧血 (SAA)	營養劑及血液科藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
23	Epoprostenol	- 原發性肺動脈高血壓	心臟科藥物	通用藥物	MIMS HK
24	Everolimus	- 結節性硬化症相關腎血管平滑肌脂肪瘤 (TSC) - 與結節性硬化症相關的室管膜下鉅細胞星形細胞瘤 (TSC) - 輔助治療與結節性硬化症相關的難治性部分性癲癇 (TSC)	腫瘤及免疫系統藥物	根據不同適應症，此藥品被歸類為專用藥物、安全網藥物 (撒瑪利亞基金) 及自費藥物。	MIMS HK
25	Evolocumab	- 同合子家族性高膽固醇血症 (HoFH)	心臟科藥物	專用藥物	MIMS HK
26	Fingolimod	- 復發緩解型多發性硬化症 (RRMS)	腫瘤及免疫系統藥物	專用藥物	MIMS HK
27	Galsulfase	- 黏多糖症第6型	NA	專用藥物	醫管局網頁
28	Growth Hormone	- 侏儒症	內分泌系統藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
29	Human C1-esterase inhibitor	- 遺傳性血管性水腫 (HAE)	呼吸系統藥物	專用藥物	醫管局網頁
30	Icatibant	- 遺傳性血管性水腫 (HAE)	呼吸系統藥物	自費藥物	醫管局網頁
31	Idursulfase	- 黏多糖症第2型	NA	專用藥物	醫管局網頁
32	Iloprost	- 肺動脈高壓 (PAH)	心臟科藥物	專用藥物	MIMS HK
33	Imiglucerase	- 高雪氏症	NA	專用藥物	醫管局網頁
34	Interferon-Beta	- 多發性硬化症 (MS)	腫瘤及免疫系統藥物	專用藥物	MIMS HK
35	Interferon-Gamma 1b	- 慢性肉芽腫疾病	腫瘤及免疫系統藥物	專用藥物	醫管局網頁
36	Laronidase	- 黏多糖症第1型	NA	專用藥物	醫管局網頁
37	Luspatercept	- 骨髓增生異常綜合症候群伴環狀鐵粒幼細胞而導致輸血依賴性貧血	營養劑及血液科藥物	自費藥物	醫管局網頁 · 立法會網頁
38	Macitentan	- 肺動脈高壓 (PAH)	心臟科藥物	專用藥物	MIMS HK
39	Mepolizumab	- 嗜酸細胞增多綜合症 (HES) - 嗜酸性肉芽腫性多血管炎 (EGPA)	腫瘤及免疫系統藥物	自費藥物	醫管局網頁 · MIMS HK

40	Migalastat	- 法布瑞氏症	NA	專用藥物	醫管局網頁·立法會網頁
41	Natalizumab	- 復發緩解型多發性硬化症 (RRMS)	腫瘤及免疫系統藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
42	Nintedanib	- 特發性肺纖維化 (IPF)	呼吸系統藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
43	Nintedanib	- 惡化性間質性肺病 (PF-ILD)	呼吸系統藥物	自費藥物	醫管局網頁·RDHK
44	Nusinersen	- 嬰兒期發病型脊髓肌肉萎縮症 - 兒童期發病型脊髓肌肉萎縮症 - 尚未出現症狀的脊髓肌肉萎縮症	NA	安全網藥物 (關愛基金)	醫管局網頁
45	Ofatumumab	- 復發緩解型多發性硬化症 (RRMS)	腫瘤及免疫系統藥物	專用藥物	醫管局網頁
46	Onasemnogene abeparovovec	- 嬰兒期發病型脊髓肌肉萎縮症 - 尚未出現症狀的脊髓肌肉萎縮症	NA	安全網藥物 (關愛基金)	醫管局網頁
47	Pasireotide	- 庫欣病 / 肢端肥大症	腫瘤及免疫系統藥物	專用藥物	MIMS HK
48	Penicillamine	- 威爾遜氏症	肌肉骨骼和關節疾病藥物	通用藥物	MIMS HK
49	Ravulizumab	- 非典型溶血性尿毒症候群 (aHUS)	NA	安全網藥物 (關愛基金)	醫管局網頁
50	Ravulizumab	- 陣發性夜間血紅素尿症 (PNH)	NA	安全網藥物 (關愛基金)	醫管局網頁
51	Risdiplam	- 嬰兒期發病型脊髓肌肉萎縮症 - 兒童期發病型脊髓肌肉萎縮症	NA	安全網藥物 (關愛基金)	醫管局網頁
52	Risedronate	- 原發性變形性骨炎	內分泌系統藥物	專用藥物	MIMS HK
53	Rituximab	- 非致命性及嚴重肉芽腫性血管炎或顯微多發性血管炎	風濕病學藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
54	Rufinamide	- 輔助雷葛氏症候群引起的癲癇 (LGS)	中樞神經系統藥物	專用藥物	MIMS HK
55	Ruxolitinib	- 移植體抗宿主反應 (GvHD)	腫瘤及免疫系統藥物	自費藥物	醫管局網頁
56	Selexipag	- 肺動脈高壓 (PAH)	心臟科藥物	專用藥物	MIMS HK
57	Sildenafil citrate	- 肺動脈高壓 (PAH)	心臟科藥物	專用藥物	MIMS HK
58	Siltuximab	- 多發型Castleman病	腫瘤及免疫系統藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
59	Siponimod	- 次發進展型多發性硬化症 (SPMS)	腫瘤及免疫系統藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
60	Tafamidis	- 遺傳性轉甲狀腺素蛋白類澱粉沉著症造成之心肌病變 (ATTR-CM)	NA	安全網藥物 (關愛基金)	醫管局網頁
61	Tafamidis Meglumine	- 用於治療患有轉甲狀腺素澱粉樣蛋白疾病屬第一期帶症狀多發性神經病變的成年患者·用作延遲周邊神經障礙的產生	NA	安全網藥物 (關愛基金)	醫管局網頁
62	Teriflunomide	- 成人復發緩解型多發性硬化症 (RRMS)	腫瘤及免疫系統藥物	專用藥物	MIMS HK
63	Tisagenlecleucel	- 用於治療年齡為 25 歲或以下的復發或難治性 B 細胞急性淋巴瘤細胞性白血病患者 - 兩種或以上全身系統性療程後復發或難治性的瀰漫性大型 B 細胞淋巴瘤的成年患者	NA	安全網藥物 (關愛基金)	醫管局網頁
64	Tobramycin	- 囊腫性纖維化	抗微生物藥物	通用藥物	MIMS HK
65	Tocilizumab	- 幼年特發性關節炎 - 全身性幼年特發性關節炎 - 難治性巨細胞動脈炎	肌肉骨骼和關節疾病藥物	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)	醫管局網頁
66	Zinc Acetate	- 威爾遜氏症	營養劑及血液科藥物	通用藥物	FDA

#### 醫院管理局《藥物名冊》分類\*

通用藥物	經證實對病人有關臨床情況適用和有效，並可供一般使用的藥物。公立醫院和診所提供這類藥物時，會收取標準費用。
專用藥物	在特定臨床應用下經專科醫生特別授權使用的藥物。如這類藥物是在特定的臨床應用下處方，公立醫院和診所會收取標準費用。如個別病人在特定臨床應用以外選擇使用專用藥物，便需自行支付藥物的費用。
獲安全網資助的自費購買藥物 (自費藥物)	經證實有顯著療效，但超出醫管局一般資助服務範圍所能提供的非常昂貴藥物。這些藥物不屬公立醫院和診所標準收費提供的項目。需要使用這些藥物而有能力負擔費用的病人須自費購買。然而，相關基金會為需要這些藥物而經濟上有困難的病人提供安全網。
不獲安全網資助的自費藥物	僅經初步醫療驗證的藥物、與其他替代藥物相比僅具邊緣效益，但成本明顯昂貴的藥物，以及生活方式藥物(例如減肥藥)。這些藥物並不會包括在標準收費範圍內，病人需自費購買。

(資料來源：<https://www.ha.org.hk/hadf/zh-hk/Drug-Formulary-Management.html>)