

附件 1

第一批罕见病用药保障药品名单

序号	罕见病病种	药品	上市持有人	生产企业
1	戈谢病	注射用伊米苷酶 (商品名: 思而赞)	Genzyme Europe B.V.	Genzyme Ireland Ltd.
2	糖原累积病 II 型 (庞贝病)	注射用阿糖苷酶 α (商品名: 美而赞)	Genzyme Europe B.V.	Genzyme Ireland Ltd.
3	法布里病 (法布雷病)	注射用阿加糖酶 β (商品名: 法布赞)	Genzyme Europe B.V.	Genzyme Ireland Ltd.
		阿加糖酶 α 注射用 浓溶液 (商品名: 瑞 普佳)	Shire Human Genetic Therapies AB	Vetter Pharma-Fertigung GmbH & Co.KG
4	脊髓性肌萎缩 症 (SMA)	诺西那生钠注射液	Biogen Netherlands B.V.	Patheon Italia S.P.A
5	黏多糖贮积症 IVA 型	依洛硫酸酯酶 α 注 射液 (商品名: 唯铭 赞)	BioMarin International Limited	Vetter Pharma-Fertigung GmbH & Co.KG