

藥物名冊分類	成分名	藥物分類	適用的罕見疾病 (僅供參考, 藥物名冊並無指明適應症範圍)	備註
通用藥物	Diazoxide	內分泌系統藥物	Persistent Hyperinsulinemic Hypoglycemia of Infancy; PHHI (持續性幼年型胰島素過度分泌低血糖症)	藥物辦公室查不到藥物註冊紀錄。
通用藥物	Sod. Benzoate	營養劑及血液科藥物	Non-ketotic hyperglycinemia, NKH (非酮性高甘氨酸血症)	
通用藥物	Sodium phenylacetate and sodium benzoate	營養劑及血液科藥物	Citrullinemia (瓜胺酸血症)、Ornithine Transcarbamylase Deficiency (鳥胺酰基甲硫基轉移酶缺乏症)	
通用藥物	Teriflunomide	腫瘤及免疫系統藥物	Multiple Sclerosis, MS (多發性硬化症)	
通用藥物	Tobramycin	眼科藥物	Cystic Fibrosis (囊腫性纖維化)	
通用藥物	Tetrabenazine	中樞神經系統藥物	Huntington disease (亨丁頓舞蹈症)	藥物辦公室查不到藥物註冊紀錄。
通用藥物	Zinc Acetate	營養劑及血液科藥物	Wilson's Disease (威爾遜氏症)	
通用藥物	Epoprostenol	心臟科藥物	Primary Pulmonary Hypertension (原發性肺動脈高血壓)	藥物辦公室查不到藥物註冊紀錄。
專用藥物	Ambrisentan	心臟科藥物	Primary Pulmonary Hypertension (原發性肺動脈高血壓)	
專用藥物	Bosentan	心臟科藥物	Primary Pulmonary Hypertension (原發性肺動脈高血壓)	
專用藥物	Cladribine	腫瘤及免疫系統藥物	Multiple Sclerosis, MS (多發性硬化症)	
專用藥物	Deferiprone (Kelfer)	營養劑及血液科藥物	Thalassemia Major (重型地中海貧血症)	
專用藥物	Dimethyl fumarate	腫瘤及免疫系統藥物	Multiple Sclerosis, MS (多發性硬化症)	
專用藥物	Everolimus	腫瘤及免疫系統藥物	Tuberous Sclerosis Complex, TSC (結節性硬化症)	
專用藥物	Fingolimod	腫瘤及免疫系統藥物	Multiple Sclerosis, MS (多發性硬化症)	
專用藥物	Gabapentin	中樞神經系統藥物	Amyotrophic Lateral Sclerosis, ALS (脊髓側索硬化症)	
專用藥物	Iloprost	心臟科藥物	Primary Pulmonary Hypertension (原發性肺動脈高血壓)	
專用藥物	Interferon-Beta	腫瘤及免疫系統藥物	Multiple Sclerosis, MS (多發性硬化症)	
專用藥物	Macitentan	心臟科藥物	Primary Pulmonary Hypertension (原發性肺動脈高血壓)	
專用藥物	Risedronate	內分泌系統藥物	Primary Paget Disease (原發性變形性骨贅)	
專用藥物	Sildenafil citrate	心臟科藥物	Primary Pulmonary Hypertension (原發性肺動脈高血壓)	
專用藥物	Agalsidase-beta	NA	Fabry Disease (法布瑞氏症)	法布瑞氏症的ERT藥物, 曾在立法會文件提及, 未有出現在藥物名冊之內。
專用藥物	alpha-glucosidase	NA	Pompe Disease (龐貝氏症)	龐貝氏症的ERT藥物, 曾在立法會文件提及 (藥物名稱為 Alglucosidase alfa), 未有出現在藥物名冊之內。
專用藥物	Galsulfase	NA	Mucopolysaccharidosis VI (黏多醣症第6型)	MPS六型的ERT藥物, 曾在立法會文件提及, 未有出現在藥物名冊之內。
專用藥物	Idursulfase (iduronate-2-sulfatase)	NA	Mucopolysaccharidosis II (黏多醣症第2型)	MPS二型的ERT藥物, 曾在立法會文件中提及, 卻未有在藥物名冊之內。
專用藥物	Imiglucerase	NA	Gaucher's Disease (高雪氏症)	高雪氏症的ERT藥物, 曾在立法會文件中提及, 卻未有在藥物名冊之內。
專用藥物	Laronidase	NA	Mucopolysaccharidosis I (黏多醣症第1型)	MPS一型的ERT藥物, 曾在立法會文件中提及, 卻未有在藥物名冊之內。
自費藥物	Everolimus	腫瘤及免疫系統藥物	Tuberous Sclerosis Complex, TSC (結節性硬化症)	按不同適應症, 此藥亦屬專用藥物、安全網藥物 (撒瑪利亞基金)、及自費藥物。
自費藥物	Eculizumab	個別病人特別用藥計劃 (極度昂貴藥物名單)	Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria, PNH (陣發性夜間血紅素尿症); Atypical Hemolytic Uremic Syndrome, aHUS (非典型性溶血性尿毒症候群)	安全網藥物 (關愛基金)
自費藥物	Nusinersen	個別病人特別用藥計劃 (極度昂貴藥物名單)	Spinal Muscular Atrophy, SMA (脊髓性肌肉萎縮症)	安全網藥物 (關愛基金)
自費藥物	Alemtuzumab	腫瘤及免疫系統藥物	Relapsing-remitting MS, RRMS (復發緩解型多發性硬化症)	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)
自費藥物	Interferon-Gamma 1b	腫瘤及免疫系統藥物	Chronic Granulomatous Disease (慢性肉芽腫性病)	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)
自費藥物	Natalizumab	腫瘤及免疫系統藥物	Multiple Sclerosis, MS (多發性硬化症)	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)
自費藥物	Nintedanib	呼吸系統藥物	Idiopathic Pulmonary Fibrosis, IPF (特發性肺纖維化)	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)
自費藥物	Tafamidis	個別病人特別用藥計劃 (極度昂貴藥物名單)	TTR-Familial Amyloidotic Polyneuropathy, TTR-FAP (TTR-家族性澱粉樣多發性神經病變)	安全網藥物 (關愛基金)
自費藥物	Rituximab	風濕病學藥物	Severe, active non-life-threatening granulomatosis with polyangiitis / microscopic polyangiitis (非致命活性及嚴重肉芽腫性血管炎或顯微多發性血管炎)	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)
自費藥物	Growth Hormone	內分泌系統藥物	Dwarfism (侏儒症)	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)
自費藥物	Adalimumab	眼科藥物	Non-infectious intermediate, posterior and panuveitis (活性、非感染性、中後/後段/全葡萄膜炎)	安全網藥物 (撒瑪利亞基金)
個別病人用藥計劃	Elosulfase alfa (N-acetylgalactosamine-6-sulfatase)	NA	黏多醣症第4A型	