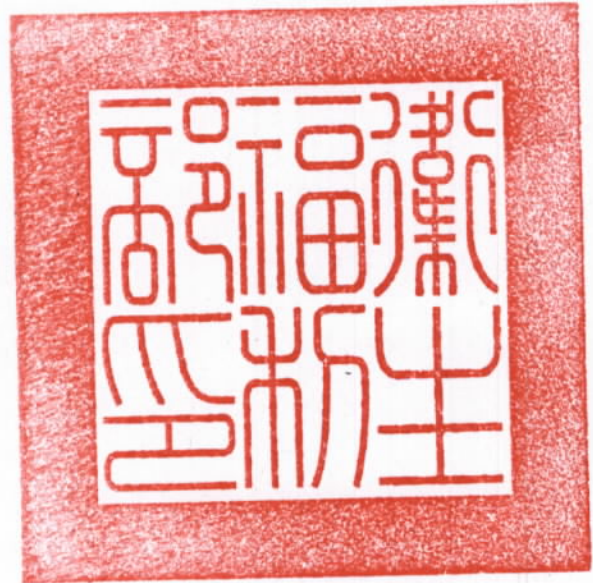


衛生福利部 公告

發文日期：中華民國104年7月6日

發文字號：部授食字第1041405348號

附件：修正草案總說明及修正草案對照表各1份



主旨：預告修正「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」草案。

依據：行政程序法第一百五十一條第二項準用第一百五十四條第一項。

公告事項：

一、修正機關：衛生福利部。

二、修正依據：罕見疾病防治及藥物法第三條第二項及第二十三條。

三、修正內容：

(一)新增認定「Dimethyl fumarate」(Capsule; 120mg、240mg)為適用罕見疾病防治及藥物法之藥物，適應症為「復發型多發性硬化症」。

(二)新增認定「Diacerein」(Ointment; 1%(w/w))為適用罕見疾病防治及藥物法之藥物，適應症為「單純型遺傳性表皮分解性水泡症」。

(三)新增「Interferon-beta-1a」認定劑量「60mcg/ml」，適應症為「復發型多發性硬化症」。

(四)新增「Everolimus」認定適應症「結節性硬化症併有腎血管肌脂肪瘤之成年患者，其腎血管肌脂肪瘤最長直徑需 $\geq 4\text{cm}$ ，且曾有發生臨床上有意義之出血或確認病

灶有血管瘤直徑 $\geq 5\text{mm}$ ，而無法以外科手術治療或動脈栓塞治療，或經動脈栓塞治療或外科手術治療後無效或復發者」。

四、「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」修正草案總說明及修正對照表如附件。本案另載於本部全球資訊網站 (<http://www.mohw.gov.tw>) 法令規章一衛生法令查詢系統之法規草案項下，及衛生福利部食品藥物管理署全球資訊網站 (<http://www.fda.gov.tw>) 之「公告區」。

五、對於本公告內容如有任何意見或修正建議者，請於本公告刊登公報次日起10日內陳述意見或洽詢。

(一)承辦單位：衛生福利部食品藥物管理署。

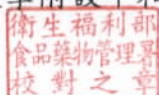
(二)地址：台北市南港區昆陽街161-2號。

(三)電話：02-2787-7441。

(四)傳真：02-2787-7498。

(五)電子郵件：hsp@fda.gov.tw。

副本：社團法人臺灣臨床藥學會、本部法規會、衛生福利部國民健康署、衛生福利部中央健康保險署、財團法人罕見疾病基金會、財團法人生物技術開發中心、財團法人醫藥品查驗中心、財團法人製藥工業技術發展中心、台灣醫院協會、台灣製藥工業同業公會、中華民國開發性製藥研究協會、中華民國西藥代理商業同業公會、中華民國西藥商業同業公會全國聯合會、中華民國製藥發展協會、台北市西藥代理商業同業公會、高雄市西藥商業同業公會、國立臺灣大學醫學院附設醫院、國立成功大學醫學院附設醫院、臺北榮民總醫院、臺中榮民總醫院、高雄榮民總醫院、三軍總醫院、長庚醫療財團法人林口長庚紀念醫院、財團法人馬偕紀念醫院、國泰醫療財團法人國泰綜合醫院、新光醫療財團法人新光吳火獅紀念醫院、秀傳醫療財團法人秀傳紀念醫院、中國醫藥大學附設醫院、財團法人佛教慈濟綜合醫院、財團法人彰化基督教醫院、奇美醫療財團法人奇美醫院、私立高雄醫學大學附設中和紀念醫院、中山醫學大學附設醫院、全國藥物不良反應通報中心



部長蔣丙煌

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項修正草案總說明

依據罕見疾病防治及藥物法第二十三條規定：「罕見疾病及藥物之認定、許可、撤銷及廢止，中央主管機關應定期公告之。」為配合實務需要，經衛生福利部召開衛生福利部罕見疾病及藥物審議會，重新檢討修正適用「罕見疾病防治及藥物法」之藥物品項，爰擬具「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」修正草案，增訂二項藥品品項、一項藥品之認定劑量及一項藥品之認定適應症。

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項修正草案對照表

修正規定			現行規定			說明
成分名	劑型劑量	適應症	成分名	劑型劑量	適應症	修正適用本法之藥物品項，新增二項藥品品項、一項藥品之認定劑量及一項藥品之認定適應。
<u>Dimethyl fumarate</u>	[Capsule] [120mg、240mg]	<u>復發型多發性硬化症</u>	Interferon-beta-1a	[Injection] [3MIU、6MIU、12MIU/vial]	多發性硬化症	
<u>Diaceroin</u>	[Ointment] [1% (w/w)]	<u>單純型遺傳性表皮分解性水泡症</u>	Everolimus	[Tablet] [2.5mg、5mg]	結節性硬化症具有明確成長跡象或腫瘤已引起水腦現象之腦室管膜下巨細胞星狀瘤(TSC-SEG A)。說明：明確成長跡象為：腫瘤比原先病灶長大25%以上，或是有最大直徑1公分以上之新病灶。	
Interferon-beta-1a	1.[Injection] [3MIU、6MIU、12MIU/vial] 2.[Injection] [60mcg/ml]	1.多發性硬化症 2. <u>復發型多發性硬化症</u>				
Everolimus	[Tablet] [2.5mg、5mg]	結節性硬化症具有明確成長跡象或腫瘤已引起水腦現象之腦室管膜下巨細胞星狀瘤(TSC-SEG A)。說明：明確成長跡象為：腫瘤比原先病灶				

		長大 25% 以上，或是有最大直徑 1 公分以上之新病灶。 <u>結節性硬化症併有腎血管肌脂肪瘤之成年患者，其腎血管肌脂肪瘤最長直徑需 $\geq$ 4cm，且曾有發生臨床上有意義之出血或確認病灶有血管瘤直徑 $\geq$ 5mm，而無法以外科手術治療或動脈栓塞治療，或經動脈栓塞治療或外科手術治療後無效或復發者。</u>		
--	--	---	--	--