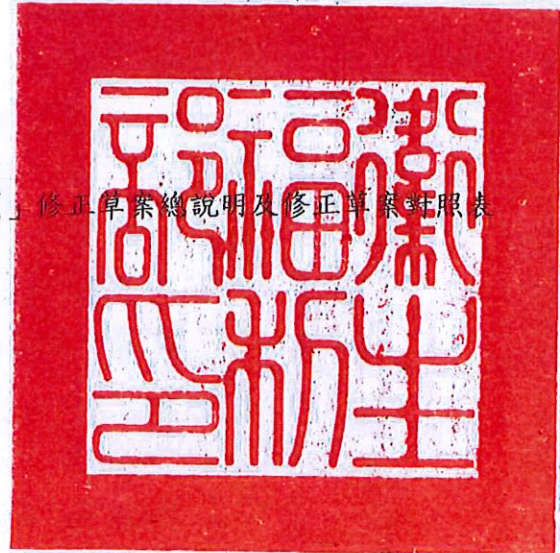


檔 號：  
保存年限：

## 衛生福利部 公告

發文日期：中華民國107年11月28日  
發文字號：衛授食字第1071409372號  
附件：「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草案對照表



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「Patisiran」(solution for infusion, 2mg/mL)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「治療成人TTR (transthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic Polyneuropathy)，神經病變的疾病嚴重度限於第一、二期的病人」。

(二)新增認定「Icatibant」(injection, 10mg/mL)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為

「適用於體內C1酯酶抑制劑不足的成人、青少年及2歲以上兒童，在其遺傳性血管性水腫（hereditary angioedema, HAE）急性發作時進行症狀治療」。

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草案對照表如附件。本案另載於行政院公報資訊網、本部網站「衛生福利法規檢索系統」下「法規草案」網頁、本部食品藥物管理署網站「公告資訊」下「本署公告」網頁及國家發展委員會「公共政策網路參與平臺—眾開講」網頁(<https://join.gov.tw/policies/>)。

五、本案為例行罕見疾病藥物之認定預告修正案，屬較無爭議且涉及病人後續用藥之申請，為免影響病人治療權益，爰定公告期為14天。對於公告內容有任何意見或修正建議者，可於本公告刊登公報之隔日起14日內，至前揭「衛生福利法規檢索系統」或「公共政策網路參與平臺—眾開講」網頁陳述意見或洽詢：

(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：02-2787-7426。

(四)傳真：02-3322-9527。

(五)電子郵件：irene-1019@fda.gov.tw。

部長陳時中

# 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，經衛生福利部召開罕見疾病及藥物審議會審議，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。

## 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		<u>增訂二項藥品品項。</u>
Patisiran	solution for infusion, 2mg/mL	治療成人TTR (transthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic Polyneuropathy), 神經病變的疾病嚴重度限於第一、二期的病人。		
Icatibant	injection, 10mg/mL	適用於體內C1 酯酶抑制劑不足的成人、青少年及2歲以上兒童, 在其遺傳性血管性水腫 (hereditary angioedema, HAE) 急性發作時進行症狀治療。		