

衛生福利部 公告

受文者：

發文日期：中華民國109年2月10日

發文字號：衛授食字第1091400508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：新增認定「Onasemnogene abeparvovec」(solution for intravenous infusion, 2×10^{13} vg/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6個月以下且SMN1發生雙對偶基因突變之脊髓性肌肉萎縮症病人」。

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：02-2787-7422。
- (四)傳真：02-2653-2072。
- (五)電子郵件：801667@fda.gov.tw

副本：

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，增訂一項藥品品項。



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		本項新增。
Onasemnogene abeparvovec	Solution for intravenous infusion , 2x10 ¹³ vg/mL	治療六個月以下且SMN1發生雙對偶基因突變之脊髓性肌肉萎縮症病人。		



