

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，增訂五項藥品品項。

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>增訂五項藥品品項。</u>
Risdiplam	powder for oral solution , 0.75 mg/mL	治療二歲以下發病之脊髓性肌肉萎縮症(spinal muscular atrophy, SMA)病人。不適用於已使用呼吸器每天12 小時以上且連續超過30 天者。		
Ofatumumab	solution for injection , 50 mg/mL	適用於治療成人復發型多發性硬化症(relapsing forms of multiple sclerosis, RMS)病人(前一年有一次復發或前兩年有兩次復發者)。		

Ravulizumab	concentrate for solution for infusion , 10 mg/mL	治療陣發性 夜間血紅素 尿症 (paroxysmal nocturnal hemoglobin uria, PNH) 病人。
Human C1- esterase inhibitor	Injection , 500 IU	第一型及第 二型遺傳性 血管性水腫 (hereditary angioedema, HAE)急性 發作的治 療。
Ataluren	granules for oral suspension , 125, 250, 1000 mg	用於治療抗 肌縮蛋白基 因無意義突 變導致的裘 馨氏肌肉萎 縮症 (Duchenne muscular dystrophy, DMD) , 兩 歲以上可行 走之病人。