

檔 號：
保存年限：

衛生福利部 書函

地址：11558 台北市南港區忠孝東路
六段488號

聯絡人：張婷雅

聯絡電話：02-27877422

傳真：(02)2653-2073

電子信箱：801667@fda.gov.tw

受文者：行政院公報編印中心

發文日期：中華民國109年12月25日

發文字號：衛授食字第1091412916號

速別：普通件

密等及解密條件或保密期限：

附件：公告稿odt檔、法規及行政規則刊登行政院公報資料提要表odt檔及公告PDF檔各1份

主旨：修正「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，本部預定於中華民國109年12月30日公告發布，茲檢送公告稿1份，請刊登行政院公報。

說明：

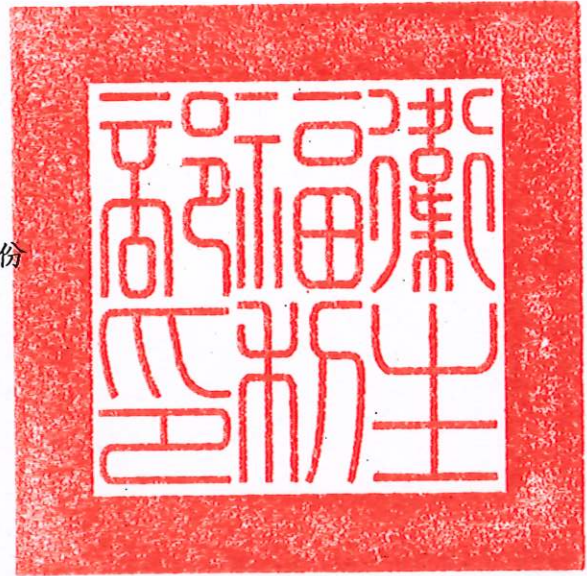
- 一、本案係依「罕見疾病防治及藥物法」第3條第2項及第23條規定，具對外效力，屬中央法規標準法第3條所列7種名稱以外之法規命令。
- 二、併附法規及行政規則刊登行政院公報資料提要表。

正本：行政院公報編印中心

副本： 電子公文
交14.換46章

衛生福利部 公告

發文日期：中華民國109年12月30日
發文字號：衛授食字第1091412881號
附件：適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項1份



主旨：修正「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，並自即日起生效。

依據：罕見疾病防治及藥物法第三條第二項及第二十三條。

公告事項：

- 一、新增認定「Risdiplam」(powder for oral solution, 0.75 mg/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十二小時以上且連續超過三十天者」。
- 二、新增認定「Ofatumumab」(solution for injection, 50 mg/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)」。
- 三、新增認定「Ravulizumab」(concentrate for solution for infusion, 10 mg/mL) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之

藥物品項」，適應症為「治療陣發性夜間血紅素尿症 (paroxysmal nocturnal hemoglobinuria, PNH)病人」。

四、新增認定「Human C1-esterase inhibitor」(injection, 500 IU) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「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」。

五、新增認定「Ataluren」(granules for oral suspension, 125, 250, 1000 mg) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「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」。

裝

訂

部長陳時中

線

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項

成分名	劑型劑量	適應症
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十二小時以上且連續超過三十天者。
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 hemoglobinuria, 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。