

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，增訂二項藥品品項及修正一項藥品品項之適應症。

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	備註	成分名	劑型劑量	適應症	備註	
Risdiplam	Tablet, 30 mg	<u>適用於治療年齡二個月以上、經基因確診且已出現症狀之 SMA 脊髓性肌肉萎縮症(spinal muscular atrophy)第一、二、三型病人，但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。</u>		Risdiplam	Tablet, 30 mg	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。		修正一項藥品項之適應症及增訂二項藥品項。
Ponesimod	Film-coated tablets, 2 mg、3 mg、4 mg、5 mg、6 mg、7 mg、8 mg、9 mg、10 mg 及 20 mg	1. <u>成人復發緩解型多發性硬化症 (relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)。</u> 2. <u>成人活動性次發進展型多發性硬化症 (active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)。</u>						
<u>Avalglucosidase alfa</u>	Injection, 10 mg/ml	<u>用於六個月以上龐貝氏症(酸性α-葡萄糖苷酶缺乏；pompe disease, acid α-glucosidase deficiency)病人的長期酵素替代療法</u>						