

衛生福利部 公告

發文日期：中華民國110年12月7日

發文字號：衛授食字第1101411572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「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)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「(1)成人復發緩解型多發性硬化症(relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)、(2)成人活動性次發進展型多發性硬化症(active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)」。

(二)新增認定「Avalglucosidase alfa」(Injection, 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「用於6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」。

(三)修正適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項「Risdiplam」(Tablet, 30 mg)認定之適應症為「適用於治療年齡兩個月以上、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12小時以上且連續超過30天者」。

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。本案另載於本部網站「衛生福利法規檢索系統」網站(<https://mohwlaw.mohw.gov.tw/>)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。對於本公告內容有任何意見或修正建議者，請於本公告刊登公報之次日起14日內陳述意見或洽詢：

(一)承辦單位：衛生福利部食品藥物管理署

(二)地址：115-61 臺北市南港區昆陽街161-2號

(三)電話：02-2787-7681

(四)傳真：02-3322-9527

(五)電子郵件：scliu880@fda.gov.tw

部長陳時中