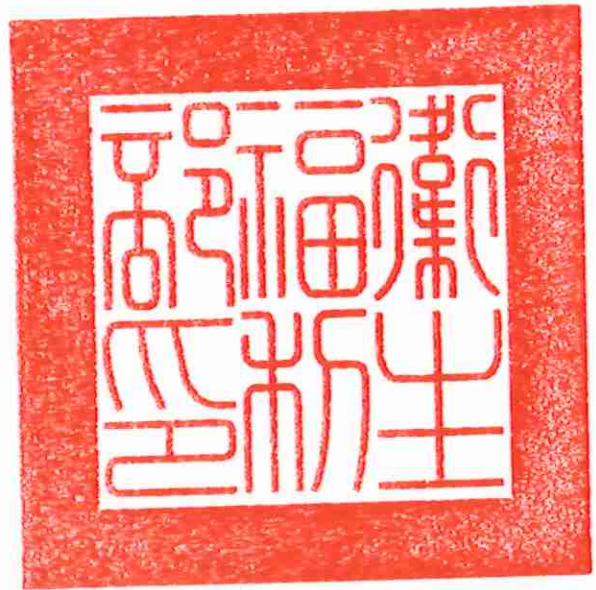


衛生福利部 公告

發文日期：中華民國113年2月19日
發文字號：衛授食字第1131400556號
附件：修正草案總說明及修正草案對照表各1份



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)修正「Cannabidiol」(Oral Solution, 100 mg/ml)認定之適應症為「適用於年滿二歲之Dravet症候群(Dravet Syndrome, DS)，或年滿一歲之結節性硬化症(Tuberous Sclerosis Complex, TSC)的病人，作為該二類病人於現有藥物治療下癲癇控制不佳時之輔助治療」。
- (二)修正「Maralixibat chloride」(Oral Solution, 9.5 mg/ml)認定之適應症為「用於治療三個月以上的阿拉吉歐症候群(Alagille Syndrome)病人的膽汁鬱積搔癢症；用於治療一歲以上的進行性家族性肝內膽汁滯留症(Progressive Familial Intra-hepatic Cholestasis)病人的膽汁鬱積搔癢症」。
- (三)修正「Ravulizumab」(Concentrate for Solution for Infusion, 100 mg/ml)認定之適應症為「治療陣發性夜間血

紅素尿症(Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH)病人；治療非典型性尿毒溶血症候群(Atypical Hemolytic Uremic Syndrome, aHUS)病人。使用限制：不可用於治療與產志賀毒素大腸桿菌相關之溶血性尿症候群(STEC-HUS)；治療抗水通道蛋白4抗體陽性[anti-aquaporin-4(AQP4) antibody positive]的泛視神經脊髓炎(Neuromyelitis Optica Spectrum Disorder, NMOSD)成年病人」。

- (四)修正「Vosoritide」(Powder and Solvent for Solution for Injection, 0.4 mg/0.5 ml、0.56 mg/0.7 ml、1.2 mg/0.6 ml)認定之適應症為「用於改善二歲以上患有軟骨發育不全症(Achondroplasia)且骨骺未閉合病人之身高」。

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、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60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：臺北市研究院路一段130巷109號。
(三)聯絡人：李金翰。
(四)電話：02-2787-7476。
(五)傳真：02-2653-2072。
(六)電子郵件：daikin3988@fda.gov.tw。

部長 薛瑞元