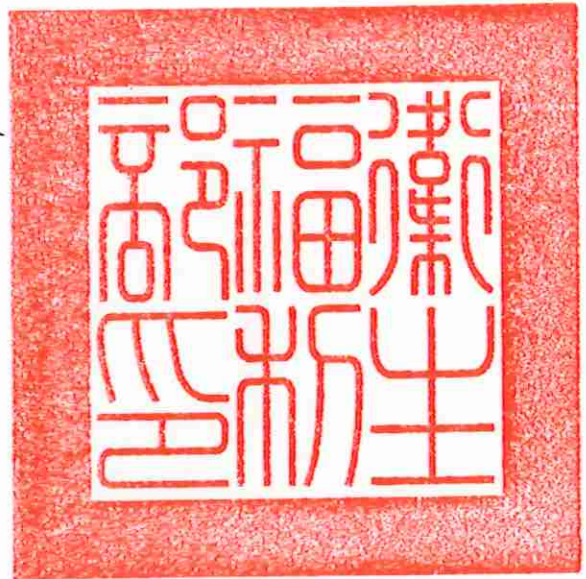


衛生福利部 公告

發文日期：中華民國113年5月16日
發文字號：衛授食字第1131404908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、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」。

部長 薛瑞元