

衛生福利部 公告

發文日期：中華民國109年11月12日

發文字號：衛授食字第1091410663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「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12小時以上且連續超過30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」。

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。本案另載於行政院公報資訊網、本部網站「衛生福利法規檢索系統」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。對於公告內容有任何意見或修正建議者，可於本公告刊登公報之隔日起14日內，至前揭「衛生福利法規檢索系統」或「公共政策網路參與平臺—眾開講」網頁陳述意見或洽詢：

(一)承辦單位：衛生福利部食品藥物管理署。

(二)地址：台北市南港區昆陽街161-2號。

(三)電話：02-2787-7422。

(四)傳真：02-2653-2072。

(五)電子郵件：801667@fda.gov.tw

部長陳時中