

衛生福利部公告
中華民國 109 年 7 月 9 日
衛授食字第 1091406532 號

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：修正「Nusinersen」（injection，2.4mg/ml）認定適應症為「經基因確診之 SMA 脊髓性肌肉萎縮症病人，其 SMN2 為 2 或 3 套或已出現症狀之 SMA 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：02-2787-7476。
 - (四) 傳真：02-3322-9527。
 - (五) 電子郵件：Haro014@fda.gov.tw。

部 長 陳時中

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，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 | 成分名 | 劑型劑量 | 適應症 | <u>修正</u> |
| Nusinersen | injection , 2.4mg/ml | 經基因確診之 SMA 脊髓性肌肉萎縮症病人，其 SMN2 為 2 或 3 套或已出現症狀之 SMA 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。 | Nusinersen | injection , 2.4mg/ml | 治療二歲以下發病確診或只有二個 SMN2 基因數之脊髓性肌肉萎縮症病人。不適用於已經在使用或惡化到須使用呼吸器每天十二小時以上且超過三十天之病人。 | <u>一項藥品項之適應症。</u> |