

衛生福利部 公告

發文日期：中華民國109年8月11日

發文字號：衛授食字第1091407696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「Givosiran」(injection, 189 mg/ml)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療成人急性肝紫質症(AHP, acute hepatic porphyria)」。

(二)新增認定「Chenodeoxycholic acid」(capsule, 250 mg)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「因缺乏固醇27-氫化酶(sterol 27-hydroxylase)而導致的先天性膽酸合成障礙(呈現症狀為腦腱性黃瘤症)之1個月齡以上的病人」。

(三)修正「Patisiran」(solution for infusion, 2mg/mL)認定適應症為「治療成人TTR (transthyretin) 家族性澱

粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic Polyneuropathy) 」。

- (四)新增認定「Edaravone」 (injection, 1.5 mg/mL) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「抑制肌萎縮性側索硬化症(ALS)功能障礙情形的惡化」。

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，增訂三項藥品品項及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	備註	成分名	劑型劑量	適應症	備註	
Patisiran	solution for infusion , 2mg/mL	治療成人 TTR (transthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic Polyneuropathy)。		Patisiran	solution for infusion , 2mg/mL	治療成人 TTR (transthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic Polyneuropathy) , <u>神經病變的疾病嚴重度限於第一、二期的病人。</u>		修正一項藥品品項之適應症及增訂三項藥品品項。
<u>Givosiran</u>	<u>injection , 189 mg/ml</u>	<u>適用於治療成人急性肝紫質症(AHP, acute hepatic porphyria)。</u>						
<u>Chenodeoxycholic acid</u>	<u>capsule , 250 mg</u>	<u>因缺乏固醇 27- 氫化酶 (sterol 27-hydroxylase) 而導致的先天性膽酸合成障礙(呈現症狀為腦腱性黃瘤症)之 1 個月齡以上的病人。</u>						
<u>Edaravone</u>	<u>injection , 1.5 mg/mL</u>	<u>抑制肌萎縮性側索硬化症(ALS)功能障礙情形的惡化。</u>	<u>須符合下列使用條件：</u> <u>1.保有日常生活中大多數的功能，</u> <u>ALSFRS-R score 定義為每項至少須達 2 分。</u> <u>2.呼吸功能正常，即</u> <u>[%FVC (forced vital capacity)] ≥ 80%。</u> <u>3.初次使用病程為 2 年以內。</u>					