

## 衛生福利部公告

中華民國 109 年 11 月 12 日

衛授食字第 1091410663 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：

(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

## 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，增訂五項藥品品項。

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		<u>增訂五項藥品品項。</u>
Risdiplam	powder for oral solution , 0.75 mg/mL	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。		
Ofatumumab	solution for injection , 50 mg/mL	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)。		

Ravulizumab	concentrate for solution for infusion , 10 mg/mL	治療陣發性夜間血紅素尿症 (paroxysmal nocturnal hemoglobinuria, PNH) 病人。		
Human C1-esterase inhibitor	Injection , 500 IU	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。		
Ataluren	granules for oral suspension , 125, 250, 1000 mg	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。		