

衛生福利部公告

中華民國110年8月18日

衛授食字第1101407388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)修正適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項「Tafamidis」(soft capsule, 20mg)之成分名為「Tafamidis meglumine」。

(二)新增認定「Ozanimod」(capsule, 0.23 mg、0.46mg、0.92mg)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「成人復發緩解型多發性硬化症(relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)的治療」。

(三)新增認定「Luspatercept」(injection, 50mg/ml)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於治療與β型重型海洋性貧血相關的輸血依賴性貧血的成年病人」。

(四)修正適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項「Ofatumumab」(solution for injection, 50mg/ml)認定之適應症為「(1)成人復發緩解型多發性硬化症(relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)、(2)成人活動性次發進展型多發性硬化症(active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)」。

(五)修正適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項「Teriflunomide」(film-coated tablet, 7mg、14mg)認定之適應症為「(1)成人復發緩解型多發性硬化症(relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)、(2)疑似多發性硬化症之成人臨床單一症候群(clinically isolated syndrome, CIS)、(3)成人活動性次發進展型多發性硬化症(active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)」。

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次日起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：02-2787-7681。

(四)傳真：02-3322-9527。

(五)電子郵件：scliu880@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，修正一項藥品品項成分名、增訂二項藥品品項及修正二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	
Tafamidis_meglumine	soft capsule, 20mg	治療 TTR (transthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic Polyneuropathy), 神經病變的疾病嚴重度限於第一期的病人。		Tafamidis	soft capsule, 20mg	治療 TTR (transthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic Polyneuropathy), 神經病變的疾病嚴重度限於第一期的病人。		修正一項藥品品項成分名、修正二項藥品品項之適應症及增訂二項藥品品項。
Ofatumumab	solution for injection, 50 mg/mL	1. 成人復發緩解型多發性硬化症 (relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)。 2. 成人活動性次發進展型多發性硬化症 (active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)。		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)。		
Teriflunomide	film-coated tablet, 7 mg、14 mg	1. 成人復發緩解型多發性硬化症 (relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)。 2. 疑似多發性硬化症之成人臨床單一症候群 (clinically isolated syndrome, CIS)。 3. 成人活動性次發進展型多發性硬化症 (active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)。		Teriflunomide	film-coated tablet, 7 mg、14 mg	復發型多發性硬化症(前一年有一次復發或前二年有二次復發)。		
Ozanimod	capsule, 0.23 mg、0.46 mg、0.92 mg	成人復發緩解型多發性硬化症 (relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS) 的治療。						

Luspatercept	injection · 50 mg/ml	用於治療與β型重型 海洋性貧血相關的輸 血依賴性貧血的成年 病人。			
--------------	-------------------------	--	--	--	--