

衛生福利部公告

中華民國111年12月30日

衛授食字第1111412816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「Pegvaliase」(solution for injection, 20mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療即使已使用其他治療手段，血中苯丙胺酸濃度仍無法獲得充分控制(血中苯丙胺酸濃度高於600微莫耳/升)之年滿十六歲的苯丙酮尿症(Phenylketonuria; PKU)病人」。

(二) 新增認定「Cannabidiol」(oral solution, 100mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於年滿二歲之Dravet症候群(Dravet syndrome; DS)，或年滿一歲之結節性硬化症(Tuberous Sclerosis Complex; TSC)的病人，作為該二類病人癲癇發作之輔助治療」。

(三) 新增認定「Vutrisiran」(solution for 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「用於治療成人TTR(transthyretin)家族性澱粉樣多發性神經病變(Familial Amyloidotic Polyneuropathy; FAP)」。

(四) 新增認定「Idebenone」(film-coated tablets, 150mg) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療十二歲以上病人因雷伯氏遺傳性視神經病變(Leber's hereditary optic neuropathy; LHON)造成之視力障礙」。

(五) 新增認定「Glycerol phenylbutyrate」(口服液劑, 1.1g/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「本品用於不能藉由限制蛋白質的攝入和/或單純補充氨基酸控制的尿素循環代謝異常(Urea Cycle Disorder; UCDs)病人的長期輔助治療，包括carbamoyl phosphate synthetase (CPS) I缺乏症、鳥胺酸氨甲醯基轉移酶(ornithine carbamoyltransferase (OTC))缺乏症、argininosuccinate synthetase (ASS)缺乏症、argininosuccinate lyase (ASL)缺乏症、arginase (ARG) I缺乏症和ornithine translocase缺失引起之高鳥胺酸血症—高氨血症—

高瓜胺酸血症症候群 (hyperornithinaemia-hyperammonaemia homocitrullinuria syndrome; HHH) 」。。

(六) 修正適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項「protein C」(Injection) 之認定劑量「100IU/mL」, 及修正適應症為「適用於嚴重先天性蛋白質C缺乏症的病人, 預防和治療靜脈血栓及猛爆性紫斑 (purpura fulminans) 」。。

(七) 修正適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項「Onasemnogene abeparvovec」(solution for intravenous infusion, 2x10¹³vg/ml) 認定之適應症為「治療二歲以下, 經基因確診之脊髓性肌肉萎縮症 (Spinal Muscular Atrophy; SMA) 病人, 其SMN2為二或三套, 但不適用於已使用呼吸器每天十二小時以上且連續超過三十天者」。

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。本案另載於本部網站「衛生福利法規檢索系統」網站

(<https://mohlaw.mohw.gov.tw/>) 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、對於本公告內容有任何意見或修正建議者, 請於本公告刊登公報之次日起60日內陳述意見或洽詢:

(一) 承辦單位: 衛生福利部食品藥物管理署。

(二) 地址: 臺北市南港區昆陽街161-2號。

(三) 電話: 02-2787-7681。

(四) 傳真: 02-2653-2072。

(五) 電子郵件: scliu880@fda.gov.tw。

部 長 薛瑞元

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、修正一項藥物品之適應症及劑量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		增訂一項藥品品項。
<u>Pegvaliase</u>	<u>solution for injection , 20 mg/ml</u>	<u>適用於治療即使已使用其他治療手段,血中苯丙胺酸濃度仍無法獲得充分控制(血中苯丙胺酸濃度高於 600 微莫耳/升)之年滿十六歲的苯丙酮尿症(Phenylketonuria; PKU)病人。</u>		
成分名	劑型劑量	適應症		增訂一項藥品品項。
<u>Cannabidiol</u>	<u>oral solution , 100 mg/ml</u>	<u>適用於年滿二歲之 Dravet 症候群 (Dravet syndrome;DS), 或年滿一歲之結節性硬化症(Tuberous Sclerosis Complex;TSC)的病人,作為該二類病人癲癇發作之輔助治療。</u>		
成分名	劑型劑量	適應症		增訂一項藥品品項。
<u>Vutrisiran</u>	<u>solution for injection , 50 mg/ml</u>	<u>用於治療成人 TTR (transthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變(Familial Amyloidotic Polyneuropathy;FAP)</u>		
成分名	劑型劑量	適應症		增訂一項藥品品項。
<u>Idebenone</u>	<u>film-coated tablets , 150 mg</u>	<u>適用於治療十二歲以上病人因雷伯氏遺傳性視神經病變 (Leber's hereditary optic neuropathy; LHON)造成之視力障礙。</u>		

<p>成分名 <u>Glycerol phenylbutyrate</u></p>	<p>劑型劑量 <u>口服液劑，1.1 g/ml</u></p>	<p>適應症 本品用於不能藉由限制蛋白質的攝入和/或單純補充氨基酸控制的尿素循環代謝異常(Urea Cycle Disorder; UCDS)病人的長期輔助治療，包括 <u>carbamoyl phosphate synthetase (CPS) I 缺乏症、鳥胺酸氨甲醯基轉移酶(ornithine carbamoyltransferase (OTC)) 缺乏症、argininosuccinate synthetase(ASS) 缺乏症、argininosuccinate lyase(ASL) 缺乏症、arginase (ARG) 缺乏症和 ornithine translocase 缺失引起之高鳥胺酸血症-高氨血症-高瓜胺酸血症症候群 (hyperornithinaemia-hyperammonaemia homocitrullinuria syndrome;HHH)。</u></p>			
<p>成分名 protein C</p>	<p>劑型劑量 <u>Injection，100 IU/mL</u></p>	<p>適應症 適用於嚴重先天性蛋白質 C 缺乏症的病人，<u>預防和治療靜脈血栓及猛爆性紫斑(purpura fulminans;PF)。</u></p>	<p>成分名 protein C</p>	<p>劑型劑量 Injection</p> <p>適應症 先天性 protein C 缺乏所致之嚴重靜脈血栓</p>	<p>修正一項藥品之適應症及劑量</p>

成分名	劑型劑量	適應症	成分名	劑型劑量	適應症	修正 一項 藥物 品之 適應 症
Onasemnogene abeparvovec	solution for intravenous infusion , 2x10 ¹³ vg/ml	治療二歲以下，經 基因確診之脊髓性 肌肉萎縮症(Spinal Muscular Atrophy; SMA)病人，其 SMN2 為二或三 套，但不適用於已 使用呼吸器每天十 二小時以上且連續 超過三十天者。	Onasemnogene abeparvovec	solution for intravenous infusion , 2x10 ¹³ vg/ml	治療 6 個月以 下且 SMN1 發 生雙對偶基因 突變之脊髓性 肌肉萎縮症病 人。	