

衛生福利部公告

中華民國112年4月7日

衛授食字第1121401858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「Maralixibat Chloride」(Oral Solution, 9.5mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於治療一歲以上的阿拉吉歐症候群 (Alagille Syndrome) 病人的膽汁鬱積搔癢症」。

(二) 新增認定「Olipudase Alfa」(Powder and Solvent for Solution for Injection, 4mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用以治療患有酸性神經鞘磷脂酶缺乏症 (Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD) (又名Niemann-Pick氏症A型和B型) 病人的非中樞神經系統 (non-CNS) 表徵之酵素替代療法」。

(三) 新增認定「Vosoritide」(Powder and Solvent for Solution for Injection, 0.4mg/0.5ml、0.56mg/0.7ml、1.2mg/0.6ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於改善五歲以上骨骺未閉合且患有軟骨發育不全症 (Achondroplasia) 病人之身高」。

(四) 新增「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」 「Eculizumab」 (Injection, 300mg/vial) 之認定適應症為「適用於治療抗水通道蛋白4抗體陽性 [anti-aquaporin-4 (AQP4) antibody positive] 的泛視神經脊髓炎 (Neuromyelitis Optica Spectrum Disorder, NMOSD) 之成人病人」。

(五) 修正「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」 「Risdiplam」 (Powder for Oral Solution, 0.75mg/mL) 認定之適應症為「適用於治療經基因確診且已出現症狀之脊髓性肌肉萎縮症 (Spinal Muscular Atrophy, SMA) 第一、二、三型病人，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://mohwlaw.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，增訂三項藥品品項、新增一項藥品品項之適應症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>Maralixibat Chloride</u>	<u>Oral Solution, 9.5 mg/ml</u>	用於治療一歲以上的阿拉吉歐症候群 (<u>Alagille Syndrome</u>) 病人的膽汁鬱積搔癢症。				
成分名	劑型劑量	適應症				增訂一項藥品品項。
<u>Olipudase Alfa</u>	<u>Powder and Solvent for Solution for Injection, 4 mg/ml</u>	用以治療患有酸性神經鞘磷脂酶缺乏症 (<u>Acid Sphingomyelinase Deficiency, ASMD</u>) (又名 <u>Niemann-Pick 氏症 A 型和 B 型</u>) 病人的非中樞神經系統 (<u>non-CNS</u>) 表徵之酵素替代療法。				
成分名	劑型劑量	適應症				增訂一項藥品品項。
<u>Vosoritide</u>	<u>Powder and Solvent for Solution for Injection, 0.4 mg/0.5 ml、0.56 mg/0.7 ml、1.2 mg/0.6 ml</u>	用於改善五歲以上骨骺未閉合且患有軟骨發育不全症 (<u>Achondroplasia</u>) 病人之身高。				
成分名	劑型劑量	適應症	成分名	劑型劑量	適應症	新增一項藥物品項之適應症
<u>Eculizumab</u>	<u>Injection, 300 mg/vial</u>	1. 陣發性夜間血紅素尿症患者有溶血性貧血且需輸血或有栓塞的併發症、非典型溶血性尿毒症候群 (限施於 plasma therapy-resistant 之病人)。 2. 適用於治療抗水通道蛋白 4 抗體陽性 [<u>anti-aquaporin-4</u>	<u>Eculizumab</u>	<u>Injection, 300 mg/vial</u>	陣發性夜間血紅素尿症患者有溶血性貧血且需輸血或有栓塞的併發症、非典型溶血性尿毒症候群 (限施於 plasma therapy-resistant 之病人)。	

		(AQP4) antibody positive]的泛視神經脊髓炎(Neuromyelitis Optica Spectrum Disorder, NMOSD)之成人病人。				
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
Risdiplam	Powder for Oral Solution, 0.75 mg/mL	適用於治療經基因確診且已出現症狀之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal Muscular Atrophy, SMA)第一、二、三型病人，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。	Risdiplam	Powder for Oral Solution, 0.75 mg/mL	治療年齡二個月以上、經基因確診且已出現症狀之SMA脊髓性肌肉萎縮症(spinal muscular atrophy)第一、二、三型病人，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。	