

衛生福利部公告

中華民國112年6月20日

衛授食字第1121405256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「Belzutifan」(Tablet, 40mg) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療患有Von Hippel-Lindau (VHL) 症候群且須治療伴隨發生之腎細胞癌 (Renal Cell Carcinoma, RCC)、中樞神經系統血管母細胞瘤 (Central Nervous System Hemangioblastoma) 或胰臟神經內分泌腫瘤 (Pancreatic Neuroendocrine Tumours, pNET)，但不適合局部手術的成年病人」。

(二) 新增認定「Eladocagene exuparvovec」(Solution for Injection, 2.8×10^{11} vg/0.5mL) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療年齡在18個月以上，且經臨床、分子和基因證實確診為具有嚴重表現型的芳香族L-胺基酸類脫羧基酶 (Aromatic L-amino acid decarboxylase, AADC) 缺乏症的病人」。

(三) 適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項「Interferon Beta-1a」(Injection) 之認定劑量「3MIU、6MIU、12MIU/vial」修正為「44、88mcg/ml」，並新增認定適應症「發生單一臨床症狀 (Clinically isolated syndrome, CIS) 疑似多發性硬化症的病患，可延緩其惡化成多發性硬化症」。

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，增訂二項藥品品項、新增一項藥品品項之適應症及修正劑量。

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>Belzutifan</u>	<u>Tablet, 40 mg</u>	<u>適用於治療患有 Von Hippel-Lindau (VHL) 症候群且須治療伴隨發生之腎細胞癌(Renal Cell Carcinoma, RCC)、中樞神經系統血管母細胞瘤(Central Nervous System Hemangioblastoma) 或胰臟神經內分泌腫瘤(Pancreatic Neuroendocrine Tumours, pNET), 但不適合局部手術的成年病人。</u>				
成分名	劑型劑量	適應症				增訂一項藥品品項。
<u>Eladocagene exuparvovec</u>	<u>Solution for Injection, 2.8 x 10¹¹ vg/0.5 mL</u>	<u>適用於治療年齡在 18 個月以上, 且經臨床、分子和基因證實確診為具有嚴重表現型的芳香族 L-胺基酸類脫羧基酶 (Aromatic L-amino acid decarboxylase, AADC) 缺乏症的病人。</u>				
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及修正劑量。
<u>Interferon Beta-1a</u>	<u>Injection, 44、88 mcg/ml</u>	<u>1. 多發性硬化症 (Multiple Sclerosis)。 2. 發生單一臨床症狀(Clinically isolated syndrome, CIS) 疑似多發性硬化症的病患, 可延緩其惡化成多發性硬化症。</u>	<u>Interferon Beta-1a</u>	<u>Injection 1. <u>3MIU、6MIU、12 MIU/vial</u> 2. 60 mcg/ml</u>	<u>1. 多發性硬化症 (Multiple Sclerosis) 2. 復發型多發性硬化症</u>	
	<u>Injection, 60 mcg/ml</u>	<u>復發型多發性硬化症。</u>				