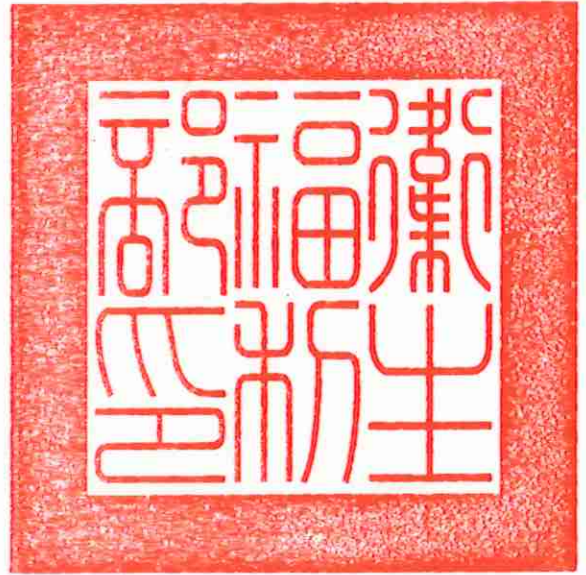


衛生福利部 公告

發文日期：中華民國114年5月21日
發文字號：衛授食字第1141414510號
附件：修正草案總說明及修正草案對照表各1份



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「Idursulfase beta」(Solution for injection, 2 mg/mL)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於患有韓特氏(Hunter)症候群(第二型黏多糖症，MPS II)病人的酵素替代療法」。

(二)新增「Risdiplam」認定劑型、劑量「Film-coated tablet，5mg」為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療體重二十公斤以上經基因確診之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal muscular atrophy，SMA)病人，其SMN2為一到三套或已出現症狀之SMA第一、二、三型病人」。

(三)新增認定「Metreleptin」(Powder for solution for injection，3mg/vial，5.8mg/vial)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「經確認罹患先天性全身脂質營養不良症(Congenital generalized lipodystrophy)的二歲以上病人」。

(四)新增認定「Tofersen」(Solution for injection，6.7mg/mL)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於治療與超氧化物歧化酶1(superoxide dismutase 1，SOD1)基因突變相關的成人肌萎縮性側索硬化症(Amyotrophic lateral sclerosis，ALS)」。

(五)修正「Migalastat」(Capsule，123mg)認定之適應症為「適用於已確診為法布瑞氏症(Fabry disease)且於體外試驗確定為可符合性基因突變(amenable mutation)的十二歲以上病人」。

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：臺北市南港區研究院路一段130巷109號。
- (三)聯絡人：柯威旭。
- (四)電話：02-2787-7426。
- (五)傳真：02-2653-2072。
- (六)電子郵件：weihsuko@fda.gov.tw。



部長邱泰源 出國
政務次長 林靜儀 代行