

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 <u>meglumine</u>	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. <u>成人復發緩解型多發性硬化症 (relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)。</u> 2. <u>成人活動性次發進展型多發性硬化症 (active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)。</u>		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. <u>成人復發緩解型多發性硬化症 (relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)。</u> 2. <u>疑似多發性硬化症之成人臨床單一症候群(clinically isolated syndrome, CIS)。</u> 3. <u>成人活動性次發進展型多發性硬化症 (active secondary progressive multiple sclerosis, active SPMS)。</u>		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)。		
<u>Ozanimod</u>	capsule , 0.23 mg 、 0.46 mg 、 0.92 mg	<u>成人復發緩解型多發性硬化症 (relapsing-remitting multiple sclerosis, RRMS)的治療。</u>						

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。			
--------------	-------------------------	--	--	--	--