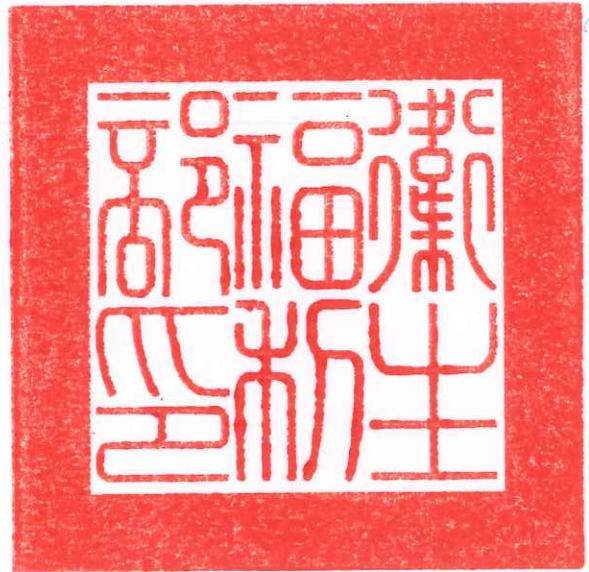


衛生福利部 公告

發文日期：中華民國112年10月13日
發文字號：衛授食字第1121409545號
附件：修正草案總說明及對照表



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「Pegunigalsidase alfa」(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「用於治療 α -半乳糖苷酶(α -galactosidase A)缺乏的成年病人(即法布瑞氏症, Fabry disease)，提供長期酵素補充治療」。

(二)修正「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」
「Pegvaliase」(solution for injection, 20 mg/ml)認定之劑
量為「5 mg/ml、20 mg/ml」。

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)電話：02-2787-7671。

(四)傳真：02-2653-2072。

(五)電子郵件：sam610826@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，增訂一項藥品品項及修正一項認定藥品劑量。

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	成分名	劑型劑量	適應症	
<u>Pegunigalsidase alfa</u>	<u>Injection</u> , <u>2 mg/ml</u>	用於治療 α -半乳糖苷酶 (α -galactosidase A) 缺乏的成年病人(即法布瑞氏症, Fabry disease), 提供長期酵素補充治療				增訂一項藥品品項。
Pegvaliase	solution for injection , <u>5mg/ml</u> 、20 mg/ml	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	Pegvaliase	solution for injection , 20 mg/ml	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	修正一項認定藥品劑量