

衛生福利部公告

中華民國113年2月19日

衛授食字第1131400556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）修正「Cannabidiol」（Oral Solution，100mg/ml）認定之適應症為「適用於年滿二歲之Dravet症候群（Dravet Syndrome，DS），或年滿一歲之結節性硬化症（Tuberous Sclerosis Complex，TSC）的病人，作為該二類病人於現有藥物治療下癲癇控制不佳時之輔助治療」。

（二）修正「Maralixibat chloride」（Oral Solution，9.5mg/ml）認定之適應症為「用於治療三個月以上的阿拉吉歐症候群（Alagille Syndrome）病人的膽汁鬱積搔癢症；用於治療一歲以上的進行性家族性肝內膽汁滯留症（Progressive Familial Intra-hepatic Cholestasis）病人的膽汁鬱積搔癢症」。

（三）修正「Ravulizumab」（Concentrate for Solution for Infusion，100mg/ml）認定之適應症為「治療陣發性夜間血紅素尿症（Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria，PNH）病人；治療非典型性尿毒溶血症候群（Atypical Hemolytic Uremic Syndrome，aHUS）病人。使用限制：不可用於治療與產志賀毒素大腸桿菌相關之溶血性尿症候群（STEC-HUS）；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）成年病人」。

（四）修正「Vosoritide」（Powder and Solvent for Solution for Injection，0.4mg/0.5ml、0.56mg/0.7ml、1.2mg/0.6ml）認定之適應症為「用於改善二歲以上患有軟骨發育不全症（Achondroplasia）且骨骺未閉合病人之身高」。

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：臺北市研究院路一段130巷109號。

（三）聯絡人：李金翰。

（四）電話：02-2787-7476。

（五）傳真：02-2653-2072。

（六）電子郵件：daikin3988@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，修正四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	成分名	劑型劑量	適應症	
Cannabidiol	Oral Solution , 100 mg/ml	適用於年滿二歲之 Dravet 症候群 (Dravet Syndrome , DS) , 或年滿一歲之結節性硬化症 (Tuberous Sclerosis Complex , TSC) 的病人 , 作為該二類病人於現有藥物治療下癲癇控制不佳時之輔助治療。	Cannabidiol	Oral Solution , 100 mg/ml	適用於年滿二歲之 Dravet 症候群 (Dravet syndrome ; DS) , 或年滿一歲之結節性硬化症 (Tuberous Sclerosis Complex ; TSC) 的病人 , 作為該二類病人癲癇發作之輔助治療。	修正四項藥品品項之適應症。
Maralixibat Chloride	Oral Solution , 9.5 mg/ml	1. 用於治療三個月以上的阿拉吉歐症候群 (Alagille Syndrome) 病人的膽汁鬱積搔癢症。 2. 用於治療一歲以上的進行性家族性肝內膽汁滯留症 (Progressive Familial Intra-hepatic Cholestasis) 病人的膽汁鬱積搔癢症。	Maralixibat Chloride	Oral Solution , 9.5 mg/ml	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	
Ravulizumab	Concentrate for Solution for Infusion , 10 mg/ml	1. 治療陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria , PNH) 病人。 2. 治療非典型性尿毒溶血症候群 (Atypical Hemolytic Uremic Syndrome , aHUS) 病人。使用限制：不可	Ravulizumab	concentrate for solution for infusion , 10 mg/ml、100 mg/ml	治療陣發性夜間血紅素尿症 (paroxysmal nocturnal hemoglobinuria , PNH) 病人、治療非典型性尿毒溶血症候群 (atypical hemolytic uremic syndrome , aHUS) 病人。使用限制：不可用於治療與產志賀毒素	

		用於治療與產志賀毒素大腸桿菌相關之溶血性尿症候群(STEC-HUS)。			大腸桿菌相關之溶血性尿症候群(STEC-HUS)。
	<u>Concentrate for Solution for Infusion , 100 mg/ml</u>	1. 治療陣發性夜間血紅素尿症(Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria , PNH)病人。 2. 治療非典型性尿毒溶血症候群(Atypical Hemolytic Uremic Syndrome , aHUS)病人。使用限制：不可用於治療與產志賀毒素大腸桿菌相關之溶血性尿症候群(STEC-HUS)。 3. 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)成年病人。			
成分名	劑型劑量	適應症	成分名	劑型劑量	適應症
Vosoritide	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	用於改善二歲以上患有軟骨發育不全症(achondroplasia)且骨骺未閉合病人之身高。	Vosoritide	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	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