

衛生福利部公告

中華民國113年8月14日

衛授食字第1131409547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「Danicopan」（Film-Coated Tablets，50mg、100mg）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於作為Ravulizumab或Eculizumab的附加藥物，治療陣發性夜間血紅素尿症（Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria，PNH）且曾經有血管外溶血（Extravascular Hemolysis，EVH）的成年病人」。

（二）新增認定「Lumasiran」（Solution for Injection，94.5mg/0.5ml）為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「治療原發性高草酸鹽尿症1型（Primary Hyperoxaluria type 1，PH1）」。

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 邱泰源

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。

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		增訂二項藥品項。
Danicopan	Film-Coated Tablets , 50 mg、100 mg	適用於作為 Ravulizumab或 Eculizumab的附加藥物，治療陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria , PNH)且曾經有血管外溶血 (Extravascular Hemolysis , EVH) 的成年病人。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Lumasiran	Solution for Injection , 94.5 mg/0.5 ml	治療原發性高草酸鹽尿症 I 型 (Primary Hyperoxaluria type I , PH1) 。		