

衛生福利部公告

中華民國114年1月17日

衛授食字第1131414212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「rADAMTS13」(Lyophilized Powder for Injection, 500IU、1500IU) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於先天性血栓性血小板低下紫斑症 (Congenital Thrombotic Thrombocytopenic Purpura, cTTP) 之病人，作為預防性治療或需要時酵素補充療法 (Enzyme Replacement Therapy, ERT)」。
- (二) 新增認定「Eplontersen」(Solution for Injection, 45mg/0.8ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療成人TTR (transthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic polyuropathy)」。
- (三) 新增認定「Sotatercept」(Injection, 50mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療患有特發性或遺傳性肺動脈高壓的成人病人」。
- (四) 新增認定「Iptacopan Hydrochloride」(Capsules, 200mg) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「治療陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH) 的成人病人」。
- (五) 新增認定「Odevixibat Sesquihydrate」(Capsules, 200mg、400mg、600mg、1200mg) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「六個月以上進行性家族性肝內膽汁滯留症 (Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis, PFIC) 病人的膽汁鬱積搔癢症；一歲以上阿拉吉歐症候群 (Alagille syndrome, ALGS) 病人的膽汁滯留性搔癢」。
- (六) 新增認定「Crovalimab」(Injection, 170mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於十三歲以上且體

重四十公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症（Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH）病人」。

（七）修正「Maralixibat Chloride」（Oral Solution, 9.5mg/ml）認定之適應症為「用於治療二個月以上的阿拉吉歐症候群（Alagille syndrome, ALGS）病人的膽汁鬱積搔癢症；用於治療三個月以上的進行性家族性肝內膽汁滯留症（Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis, PFIC）病人的膽汁鬱積搔癢症。使用限制：LIVMARLI可能對於PFIC第二型病患帶有ABCB11變異所導致不具功能或完全缺失的膽鹽輸出幫浦蛋白（BSEP-3）無效」。

（八）修正「Eladocagene Exuparvovec」認定之劑型為「Solution for Infusion」。

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，增訂六項藥品品項、修正一項藥品品項之適應症及修正一項藥品品項之劑型。

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		增訂項品、修正項品之適應症及修正項品項劑型。
rADAMTS13	Lyophilized Powder for Injection , 500IU、1500IU	用於先天性血栓性血小板低下紫斑症 (Congenital Thrombotic Thrombocytopenic Purpura、cTTP)之病人，作為預防性治療或需要時酵素補充療法(Enzyme Replacement Therapy，ERT)。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Eplontersen	Solution for Injection , 45mg/0.8ml	適用於治療成人TTR(transsthyretin)家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic polyuropathy)。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Sotatercept	Injection , 50mg/ml	適用於治療患有特發性或遺傳性肺動脈高壓的成人病人。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Iptacopan Hydrochloride	Capsules , 200mg	治療陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria , PNH)的成人病人。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Odevixibat Sesquihydrate	Capsules , 200mg、400mg、600mg、1200mg	1. 六個月以上進行性家族性肝內膽汁滯留症 (Progressive familial intrahepatic cholestasis, PFIC)病人的膽汁鬱積搔癢症。 2. 一歲以上阿拉		

		吉歐症候群 (Alagille syndrome, ALGS)病人的膽汁滯留性搔癢。			
成分名	劑型劑量	適應症			
Crovalimab	Injection , 170mg/ml	適用於十三歲以上且體重四十公斤以上的陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria , PNH)病人。			
成分名	劑型劑量	適應症	成分名	劑型劑量	適應症
Maralixibat Chloride	Oral Solution , 9.5 mg/ml	1. 用於治療二個月以上的阿拉吉歐症候群 (Alagille syndrome, ALGS)病人的膽汁鬱積搔癢症。 2. 用於治療三個月以上的進行性家族性肝內膽汁滯留症 (Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis, PFIC)病人的膽汁鬱積搔癢症。使用限制： <u>LIVMARLI</u> 可能對於 PFIC 第二型病患帶有 <u>ABCB11</u> 變異所導致不具功能或完全缺失的膽鹽輸出幫浦蛋白 (BSEP-3)無效。	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 Intrahepatic Cholestasis)病人的膽汁鬱積搔癢症。
成分名	劑型劑量	適應症	成分名	劑型劑量	適應症
Eladocagene exuparvovec	Solution for Infusion , 2.8x 10 ¹¹ vg/0.5 mL	適用於治療年齡在十八個月以上，且經臨床、分子和基因證實確診為具有嚴重表現型的芳香族 L-胺基酸類脫羧	Eladocagene exuparvovec	Solution for Injection , 2.8x 10 ¹¹ vg/0.5 mL	適用於治療年齡在十八個月以上，且經臨床、分子和基因證實確診為具有嚴重表現型的芳香族 L-胺基酸類脫羧

		基酶(Aromatic L-amino acid decarboxylase, AADC) 缺乏症的病人。			基酶(Aromatic L-amino acid decarboxylase, AADC) 缺乏症的病人。	
--	--	---	--	--	---	--