

衛生福利部公告

中華民國114年2月19日

衛授食字第1141410592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「Elapegamase」(Injection, 2.4mg/1.5ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「治療腺苷脫胺酶嚴重複合型免疫缺乏症(Adenosine deaminase severe combined immune deficiency, ADA-SCID)的病人」。
- (二) 新增認定「Garadacimab」(Solution for injection, 200mg/1.2ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「十二歲以上第一型及第二型遺傳性血管性水腫(Hereditary angioedema, HAE)反覆發作病人的常規預防。須符合下列二者之一：1.曾經有過三個月內發作三次(含)以上；2.曾有過危及生命之發作」。
- (三) 新增認定「Sebelipase alfa」(Solution for infusion, 2mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於溶酶體酸性脂肪酶缺乏症(Lysosomal acid lipase deficiency, LALD)病人的長期酵素替代療法」。
- (四) 新增認定「Pegcetacoplan」(Solution for infusion, 54mg/ml) 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「Idursulfase beta」(Injection, 15mg/ml) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「一歲以上黏多醣症第二型(Mucopolysaccharidoses type II)合併神經系統症狀的病人」。
- (六) 修正「Risdiplam」(Powder for oral solution, 0.75mg/mL) 認定之適應症為「適用於治療經基因確診之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal muscular atrophy, SMA)病人，其SMN2為一到三套或已出現症狀之SMA第一、二、三型病人」。

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) 聯絡人：柯威旭。

(四) 電話：02-2787-7426。

(五) 傳真：02-2653-2072。

(六) 電子郵件：weihsuko@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，擬具「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」修正草案，增訂五項藥品品項及修正一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		增訂五藥品項修正藥品之適應症。
Elapegedemasce	Injection , 2.4mg/1.5ml	治療腺苷脫胺酶嚴重複合型免疫缺乏症 (Adenosine deaminase severe combined immune deficiency , ADA-SCID) 的病人。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Garadacimab	Solution for injection , 200mg/1.2ml	十二歲以上第一型及第二型遺傳性血管性水腫 (Hereditary angioedema , HAE) 反覆發作病人的常規預防。須符合下列二者之一：1. 曾經有過三個月內發作三次(含)以上；2. 曾有過危及生命之發作。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Sebelipase alfa	Solution for infusion , 2mg/ml	適用於溶酶體酸性脂肪酶缺乏症 (Lysosomal acid lipase deficiency , LALD) 病人的長期酵素替代療法。		
成分名	劑型劑量	適應症		
Pegcetacoplan	Solution for infusion , 54mg/ml	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		
Idursulfase beta	Injection , 15mg/ml	一歲以上黏多糖症第二型 (Mucopolysaccharidoses type II) 合併神經系統症狀的病人		

人。					
成分名	劑型劑量	適應症	成分名	劑型劑量	適應症
Risdiplam	Powder for oral solution , 0.75 mg/mL	適用於治療經基因確診之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal muscular atrophy , SMA)病人，其 <u>SMN2 為一到三套或已出現症狀之</u> SMA 第一、二、三型病人。	Risdiplam	powder for oral solution , 0.75 mg/mL	適用於治療經基因確診且已出現症狀之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal Muscular Atrophy , SMA)第一、二、三型病人， <u>但不適用於已使用呼吸器每天十二小時以上且連續超過三十天者。</u>