

衛生福利部公告

中華民國114年5月21日

衛授食字第1141414510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「Idursulfase beta」(Solution for injection, 2mg/mL) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於患有韓特氏(Hunter)症候群(第二型黏多糖症, MPS II)病人的酵素替代療法」。
- (二) 新增「Risdiplam」認定劑型、劑量「Film-coated tablet, 5mg」為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療體重二十公斤以上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」。
- (三) 新增認定「Metteleptin」(Powder for solution for injection, 3mg/vial, 5.8mg/vial) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「經確認罹患先天性全身脂質營養不良症(Congenital generalized lipodystrophy)的二歲以上病人」。
- (四) 新增認定「Tofersen」(Solution for injection, 6.7mg/mL) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於治療與超氧化物歧化酶1(superoxide dismutase 1, SOD1)基因突變相關的成人肌萎縮性側索硬化症(Amyotrophic lateral sclerosis, ALS)」。
- (五) 修正「Migalastat」(Capsule, 123mg) 認定之適應症為「適用於已確診為法布瑞氏症(Fabry disease)且於體外試驗確定為可符合性基因突變(amenable mutation)的十二歲以上病人」。

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://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：weihuko@fda.gov.tw。

部 長 邱泰源 出國

政務次長 林靜儀 代行

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，增訂三項藥品品項、增訂一項藥品品項之劑型劑量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	成分名	劑型劑量	適應症	
<u>Idursulfase beta</u>	<u>Solution for injection , 2 mg/mL</u>	<u>適用於患有韓特氏(Hunter)症候群(第二型黏多醣症, MPS II)病人的酵素替代療法。</u>				增訂藥品、增一藥品之劑量、修正藥品之適應症。
<u>Risdiplam</u>	<u>Powder for oral solution , 0.75 mg/mL</u>	<u>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。</u>	<u>Risdiplam</u>	<u>Powder for oral solution , 0.75 mg/mL</u>	<u>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。</u>	
	<u>Film-coated tablet , 5mg</u>	<u>適用於治療體重二十公斤以上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。</u>				
<u>Metreleptin</u>	<u>Powder for solution for injection , 3 mg/vial , 5.8mg/vial</u>	<u>經確認罹患先天性全身脂質營養不良症 (Congenital generalized lipodystrophy) 的二歲以上病人。</u>				
<u>Tofersen</u>	<u>Solution for injection , 6.7mg/mL</u>	<u>用於治療與超氧化物歧化酶 1 (superoxide dismutase 1, SOD1) 基因突變相關的成人肌萎縮性側索硬化症 (Amyotrophic lateral sclerosis , ALS)。</u>				

成分名	劑型劑量	適應症	成分名	劑型劑量	適應症
Migalastat	Capsule , 123mg	適用於已確診為法布瑞氏症 (Fabry disease) 且於體外試驗確定為可符合性基因突變 (amenable mutation) 的十二歲以上病人。	Migalastat	Capsule , 123mg	適用於已確診為法布瑞氏症且於體外試驗確定為可符合性基因突變的16歲(含)以上病人。