

衛生福利部公告

中華民國114年8月15日

衛授食字第1141418044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「Birch bark」(Gel, 100mg/g) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「在年齡為六個月以上的病人中，治療伴隨失養型及接合型大皰性表皮分解水皰症(Epidermolysis Bullosa, EB) 出現的部分厚度傷口」。

(二) 修正「Iptacopan hydrochloride」(Capsules, 200 mg) 認定之適應症為「治療陣發性夜間血紅素尿症(Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH) 出現溶血性貧血(hemolytic anemia) 的成人病人」。

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，增訂一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	成分名	劑型劑量	適應症	
Birch bark	Gel, 100mg/g	在年齡為六個月以上的病人中，治療伴隨失養型及接合型大皰性表皮分解水皰症 (Epidermolysis Bullosa, EB) 出現的部分厚度傷口。				增訂藥品項修正藥品之適應症。
Iptacopan hydrochloride	Capsules, 200 mg	治療陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH) 出現溶血性貧血 (hemolytic anemia) 的成人病人。	Iptacopan hydrochloride	Capsules, 200 mg	治療陣發性夜間血紅素尿症 (Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, PNH) 的成人病人。	