

衛生福利部公告

中華民國115年2月26日
衛授食字第1151400667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「Tadalafil」(Film-coated tablet, 20mg) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療特發性與遺傳性肺動脈高壓 (Idiopathic or Heritable pulmonary arterial hypertension (IPAH or HPAH)) 之成人病人」。

(二) 新增認定「Fenfluramine Hydrochloride」(Oral Solution, 2.2 mg/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2歲以上卓飛症候群 (Dravet syndrome) 病人之癲癇發作」。

(三) 修正「Nusinersen」認定適應症為「經基因確診之SMA脊髓性肌肉萎縮症 (Spinal muscular atrophy) 病人，其SMN2為2或3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://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一眾開講」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：洪啟堡。

(四) 02-2787-8487。

(五) 傳真：02-2653-2072。

(六) 電子郵件：justin97122@fda.gov.tw。

部 長 石崇良

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，增訂二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	
<u>Tadalafil</u>	<u>Film-coated tablet, 20mg</u>	<u>適用於治療特發性與遺傳性肺動脈高壓(Idiopathic or Heritable pulmonary arterial hypertension (IPAH or HPAH))之成人病人。</u>				增訂藥品項修正藥品之應症。
<u>Fenfluramine Hydrochloride</u>	<u>Oral Solution, 2.2 mg/ml</u>	<u>適用於治療二歲以上卓飛症候群(Dravet syndrome)病人之癲癇發作。</u>				
<u>Nusinersen</u>	<u>Solution for Injection, 2.4 mg/ml</u>	<u>經基因確診之SMA脊髓性肌肉萎縮症(Spinal muscular atrophy)病人,其SMN2為二或三套或已出現症狀之SMA第一、二、三型病人。</u>	<u>Nusinersen</u>	<u>Solution for Injection, 2.4 mg/ml</u>	<u>經基因確診之SMA脊髓性肌肉萎縮症病人,其SMN2為2或3套或已出現症狀之SMA第一、二、三型病人,但不適用於已使用呼吸器每天12小時以上且連續超過30天者。</u>	