

## 衛生福利部公告

中華民國 108 年 6 月 17 日

衛授食字第 1081405545 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「Tafamidis」(soft capsule, 20mg) 為適用「罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「治療 TTR (transthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic Polyneuropathy)，神經病變的疾病嚴重度限於第一期的病人。」。

(二) 新增認定「Stiripentol」(capsule, 250、500mg；powder, 250、500mg) 為適用「罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「Stiripentol 與 clobazam 及 valproate 併用於嬰兒期嚴重肌痙攣性癲癇 (SMEI, Dravet's syndrome) 患者，輔助治療難治的全身性強直陣攣性發作 (generalized tonic-clonic seizure)，因患者僅服用 clobazam 及 valproate 無法充分控制癲癇發作。」。

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。本案另載於行政院公報資訊網、本部網站「衛生福利法規檢索系統」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、本案為例行罕見疾病藥物之認定預告修正案，屬較無爭議且涉及病人後續用藥之申請，為免影響病人治療權益，爰定公告期為 14 天。對於公告內容有任何意見或修正建議者，可於本公告刊登公報之隔日起 14 日內，至前揭「衛生福利法規檢索系統」或「公共政策網路參與平臺－眾開講」網頁陳述意見或洽詢：

(一) 承辦單位：衛生福利部食品藥物管理署。

(二) 地址：台北市南港區昆陽街 161-2 號。

(三) 電話：02-2787-7476。

(四) 傳真：02-2653-2072。

(五) 電子郵件：Haro014@fda.gov.tw。

部 長 陳時中

## 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，增訂二項藥品品項。

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		<u>增訂二項藥品品項。</u>
Tafamidis	soft capsule, 20 mg	治療 TTR (transthyretin) 家族性澱粉樣多發性神經病變 (Familial Amyloidotic Polyneuropathy), 神經病變的疾病嚴重度限於第一期的病人。		
Stiripentol	capsule, 250、500 mg ; powder, 250、500 mg	Stiripentol 與 clobazam 及 valproate 併用於嬰兒期嚴重肌痙攣性癲癇 (SMEI, Dravet's syndrome) 患者, 輔助治療難治的全身性強直陣攣性發作 (generalized tonic-clonic seizure), 因患者僅服用 clobazam 及 valproate 無法充分控制癲癇發作。		