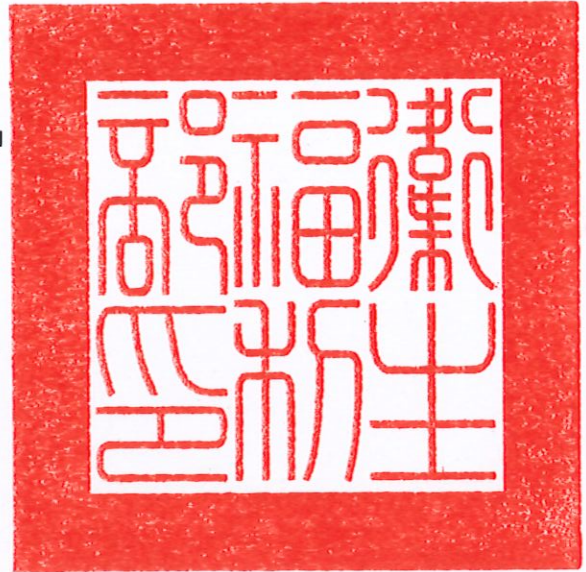


衛生福利部 公告

發文日期：中華民國111年6月2日
發文字號：衛授食字第1111403986號
附件：「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



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) 新增適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項「Ravulizumab」(concentrate for solution for infusion)之認定劑量「100 mg/ml」，及修正適應症為「治療陣發性夜間血紅素尿症(paroxysmal nocturnal hemoglobinuria, PNH)成人病人、治療非典型性尿毒溶血症候群(atypical hemolytic uremic syndrome, aHUS)年齡一個月以上的兒童及成人病人」。

(二) 新增認定「Voretigene neparvovec」(concentrate for solution for injection, 5×10^{12} vg/ml)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於四歲以上因雙對偶基因RPE65突變之萊伯氏先天性黑矇症(Leber congenital

amaurosis, LCA)，而喪失視力，並具有足夠的存活視網膜細胞的病人」。

(三) 新增認定「Satralizumab」(solution for injection, 120 mg/ml)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療抗水通道蛋白4抗體陽性[anti-aquaporin-4 (AQP4) antibody positive]的泛視神經脊髓炎(neuromyelitis optica spectrum disorder, NMOSD)之成人及12歲以上青少年病人」。

(四) 新增認定「Inebilizumab」(solution for intravenous infusion, 10 mg/ml)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療抗水通道蛋白4抗體陽性[anti-aquaporin-4 (AQP4) antibody positive]的泛視神經脊髓炎(Neuromyelitis optica spectrum disorder, NMOSD)之成人病人」。

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：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