

收文編號：1090009863

議案編號：1100107071003500

立法院議案關係文書 (中華民國41年9月起編號)
中華民國110年4月7日印發

院總第 1053 號 政府提案第 14332 號之 2943

案由：衛生福利部函，為修正「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，請查照案。

衛生福利部函

受文者：立法院

發文日期：中華民國 109 年 12 月 30 日

發文字號：衛授食字第 1091412922 號

速別：普通件

密等及解密條件或保密期限：

附件：公告影本 1 份

主旨：「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，業經本部於中華民國 109 年 12 月 30 日以衛授食字第 1091412881 號公告修正，並自即日生效，茲檢送公告影本 1 份，請查照。

說明：旨揭「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」修正草案，業經本部於中華民國 109 年 11 月 12 日以衛授食字第 1091410663 號公告於行政院公報，踐行法規預告程序。

正本：立法院

副本：行政院法規會、本部法規會

衛生福利部 公告

發文日期：中華民國109年12月30日
發文字號：衛授食字第1091412881號
附件：適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項1份



主旨：修正「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，並自即日起生效。

依據：罕見疾病防治及藥物法第三條第二項及第二十三條。

公告事項：

- 一、新增認定「Risdiplam」(powder for oral solution, 0.75 mg/mL) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「治療二歲以下發病之脊髓性肌肉萎縮症(spinal muscular atrophy, SMA)病人。不適用於已使用呼吸器每天十二小時以上且連續超過三十天者」。
- 二、新增認定「Ofatumumab」(solution for injection, 50 mg/mL) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療成人復發型多發性硬化症(relapsing forms of multiple sclerosis, RMS)病人(前一年有一次復發或前兩年有兩次復發者)」。
- 三、新增認定「Ravulizumab」(concentrate for solution for 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「治療陣發性夜間血紅素尿症 (paroxysmal nocturnal hemoglobinuria, PNH) 病人」。

- 四、新增認定「Human C1-esterase inhibitor」(injection, 500 IU) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「第一型及第二型遺傳性血管性水腫(hereditary angioedema, HAE)急性發作的治療」。
- 五、新增認定「Ataluren」(granules for oral suspension, 125, 250, 1000 mg) 為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「用於治療抗肌縮蛋白基因無意義突變導致的裘馨氏肌肉萎縮症(Duchenne muscular dystrophy, DMD)，兩歲以上可行走之病人」。

部長陳時中

立法院第 10 屆第 3 會期第 7 次會議議案關係文書