

衛生福利部公告

中華民國115年5月25日

衛授食字第1151404323號

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「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, 2.2mg/ml)為「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」，適應症為「適用於治療二歲以上卓飛症候群 (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為二或三套或已出現症狀之SMA第一、二、三型病人」。

部 長 石崇良

適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項修正規定

成分名	劑型劑量	適應症
Tadalafil	Film-coated tablet, 20 mg	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。
Fenfluramine Hydrochloride	Oral Solution, 2.2 mg/ml	適用於治療二歲以上卓飛症候群(Dravet syndrome)病人之癲癇發作。
Nusinersen	Solution for Injection, 2.4 mg/ml	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。