

衛生福利部公告

中華民國115年8月6日

衛授食字第1151406642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：修正「Eculizumab」認定適應症為「（1）治療陣發性夜間血紅素尿症（PNH）病人、（2）治療對血漿治療反應不佳之非典型溶血性尿毒症候群（aHUS）病人；說明：過去一星期內接受至少四次血漿治療後血小板計數低於正常值的病人；使用限制：Eculizumab不可以用於治療Shiga toxin E.coli相關的溶血性尿毒症候群的病人、（3）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：臺北市南港區研究院路一段130巷109號。
 - （三）聯絡人：許博雅。
 - （四）電話：02-2787-7682。
 - （五）傳真：02-2653-2072。
 - （六）電子郵件：hpy@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，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	
Eculizumab	Injection , 300 mg/vial	(1) 治療陣發性夜間血紅素尿症 (PNH)病人、 (2) 治療對血漿治療反應不佳之非典型溶血性尿毒症候群 (aHUS)病人； 說明：過去一星期內接受至少四次血漿治療後血小板計數低於正常值的病人；使用限制： Eculizumab 不可以用於治療 Shiga toxin E. coli 相關的溶血性尿毒症候群的病人、 (3) 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。	Eculizumab	Injection , 300 mg/vial	陣發性夜間血紅素尿症患者有溶血性貧血且需輸血或有栓塞的併發症、非典型溶血性尿毒症候群（限施於 plasma therapy-resistant 之病人）；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。	修正藥品項之適應症。