

# 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，經衛生福利部召開衛生福利部罕見疾病及藥物審議會，重新檢討修正適用「罕見疾病防治及藥物法」之藥物品項，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、一項藥品之認定劑量及一項藥品之認定適應症。

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	
Dimethyl fumarate	[Capsule] [120mg、240mg]	復發型多發性硬化症	Interferon-beta-1a	[Injection] [3MIU、6MIU、12MIU/vial]	多發性硬化症	修正適用本法之藥物品項，新增二項藥品品項、一項藥品之認定劑量及一項藥品之認定適應。
Diacerein	[Ointment] [1% (w/w)]	單純型遺傳性表皮分解性水泡症	Everolimus	[Tablet] [2.5mg、5mg]	結節性硬化症具有明確成長跡象或腫瘤已引起水腦現象之腦室管膜下巨細胞星狀瘤(TSC-SEG A)。說明：明確成長跡象為：腫瘤比原先病灶長大25%以上，或是有最大直徑1公分以上之新病灶。	
Interferon-beta-1a	1. [Injection] [3MIU、6MIU、12MIU/vial] 2. [Injection] [60mcg/ml]	1. 多發性硬化症 2. 復發型多發性硬化症				
Everolimus	[Tablet] [2.5mg、5mg]	結節性硬化症具有明確成長跡象或腫瘤已引起水腦現象之腦室管膜下巨細胞星狀瘤(TSC-SEG A)。說明：明確成長跡象為：腫瘤比原先病灶				

長大 25%  
以上，或是  
有最大直  
徑 1 公分  
以上之新  
病灶。  
結節性硬  
化症併有  
腎血管肌  
脂肪瘤之  
成年患  
者，其腎血  
管肌脂肪  
瘤最長直  
徑需  $\geq$   
4cm，且曾  
有發生臨  
床上有意  
義之出血  
或確認病  
灶有血管  
瘤直徑  $\geq$   
5mm，而  
無法以外  
科手術治  
療或動脈  
栓塞治  
療，或經動  
脈栓塞治  
療或外科  
手術治療  
後無效或  
復發者。

