

行政院衛生署 公告

10478

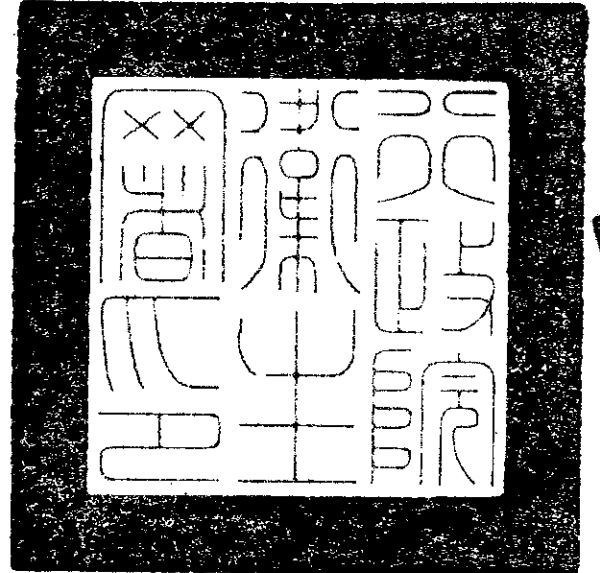
台北市中山區建國北路二段87號10F之1

受文者：中華民國西藥代理商業同業公會

發文日期：中華民國101年10月2日

發文字號：署授食字第1011407759號

附件：總說明及修正對照表各1份



主旨：預告修正「適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項」。

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：行政院衛生署。

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：新增認定3項適用「罕見疾病防治及藥物法」之藥物：

(一)「Carbaglu」，適應症為「(1)因N-acetylglutamate synthase deficiency缺失而引起的高血氨症；(2) isovaleric acidaemia造成之高血氨症；(3)methylmalonic acidaemia造成之高血氨症及(4)propionic acidaemia造成之高血氨症」。

(二)「Tyvaso」，適應症為「WHO Group I原發性肺動脈高血壓合併NYHA class III症狀」。

(三)「TOBI Podhaler」，適應症為「治療6歲以上(含6歲)囊狀纖維化症患者(cystic fibrosis)之肺部綠膿桿菌

(Pseudomonas aeruginosa)感染」。

四、本案另載於本署全球資訊網站<http://www.doh.gov.tw>，衛生署公告網頁，及行政院衛生署食品藥物管理局全球資訊網站（網址：<http://www.fda.gov.tw>）之「公告區」。

五、對於本公告內容如有任何意見或修正建議者，請於本公告刊登公報次日起10日內陳述意見或洽詢：

(一)承辦單位：行政院衛生署食品藥物管理局。

(二)地址：台北市南港區昆陽街161-2號。

(三)電話：(02) 2787-7447。

(四)傳真：(02) 2787-7498。

(五)電子郵件：[ktlin@fda.gov.tw](mailto:ktlin@fda.gov.tw)。

副本：本署法規委員會、本署醫事處、行政院衛生署國民健康局、行政院衛生署中央健康保險局、財團法人罕見疾病基金會、財團法人生物技術開發中心、財團法人醫藥品查驗中心、財團法人製藥工業技術發展中心、台灣醫院協會、台灣區製藥工業同業公會、中華民國開發性製藥研究協會、中華民國西藥代理商業同業公會、中華民國西藥商業同業公會全國聯合會、中華民國製藥發展協會、台北市西藥代理商業同業公會、高雄市西藥商業同業公會、國立臺灣大學醫學院附設醫院、國立成功大學醫學院附設醫院、行政院國軍退除役官兵輔導委員會臺北榮民總醫院、行政院國軍退除役官兵輔導委員會臺中榮民總醫院、行政院國軍退除役官兵輔導委員會高雄榮民總醫院、三軍總醫院、秀傳醫療財團法人秀傳紀念醫院、長庚醫療財團法人林口長庚紀念醫院、財團法人馬偕紀念醫院、國泰醫療財團法人國泰綜合醫院、新光醫療財團法人新光吳火獅紀念醫院、中國醫藥大學附設醫院、財團法人佛教慈濟綜合醫院、財團法人彰化基督教醫院、財團法人奇美醫院、財團法人高雄醫學大學附設中和紀念醫院、中山醫學大學附設醫院、全國藥物不良反應通報中心、社團法人臺灣臨床藥學會



署長 邱文達

# 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，經行政院衛生署召開罕見疾病及藥物審議委員會，重新檢討修正適用「罕見疾病防治及藥物法」之藥物品項。

# 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
適用罕見疾病防治及藥物法之藥物品項				修正適用本法之藥物品項，新增認定三項藥物品項。
成分名	劑型劑量	適應症		
Carbaglu	[tablet] [200 mg]	(1)因 <u>N-acetylglutamate synthase deficiency</u> 缺失而引起的高血氨症；(2) <u>isovaleric acidaemia</u> 造成之高血氨症；(3) <u>methymalonic acidaemia</u> 造成之高血氨症及(4) <u>propionic acidaemia</u> 造成之高血氨症」		
Tyvaso	[solution for oral inhalation] [0.6mg/mL]	WHO Group I 原發性肺動脈高血壓合併 NYHA class III 症狀		
TOBI Podhaler	[Inhalation powder hard capsules] [28mg]	治療6歲以上(含6歲)囊狀纖維化症患者( <u>cystic fibrosis</u> )之肺部綠膿桿菌 ( <u>Pseudomonas aeruginosa</u> )感染		