

罕見疾病防治及藥物法

中華民國 89 年 2 月 9 日華總一義字第 8900031600 號總統令公布

中華民國 94 年 1 月 19 日華總一義字第 09400004921 號總統令公布，刪除第 12 條、第 37 條條文；並修正第 1 條、第 3 條、第 5 條、第 7 條至第 11 條、第 13 條、第 15 條、第 19 條、第 25 條、第 32 條、第 34 條及 36 條條文

中華民國 99 年 12 月 8 日總統華總一義字第 09900331421 號令修正公布第 6、33 條條文

中華民國 104 年 1 月 14 日華總一義字第 10400002311 號總統令公布，刪除第 5 條；並修正第 2 條、第 3 條、第 4 條、第 8 條、第 10 條、第 11 條、第 13 條、第 15 條之 1、第 17 條、第 22 條、第 26 條、第 27 條之 1、第 33 條、第 34 條之 1 條文

第一條 為防治罕見疾病之發生，及早診斷罕見疾病，加強照顧罕見疾病病人，協助病人取得罕見疾病適用藥物及維持生命所需之特殊營養食品，並獎勵與保障該藥物及食品之供應、製造與研究發展，特制定本法。

本法未規定者，適用其他有關法律之規定。

第二條 本法所稱主管機關：在中央為衛生福利部；在直轄市為直轄市政府；在縣（市）為縣（市）政府。

第三條 本法所稱罕見疾病，指疾病盛行率在中央主管機關公告基準以下或因情況特殊，經第四條所定審議會審議認定，並經中央主管機關指定公告者。

本法所稱罕見疾病藥物，指依本法提出申請，經第四條所定審議會審議認定，並經中央主管機關公告，其主要適應症用於預防、診斷、治療罕見疾病者。

本法所稱維持生命所需之特殊營養食品，指經第四條所定審議會審議認定，並經中央主管機關公告，主要適用於罕見疾病病人營養之供應者。

第四條 下列事項由罕見疾病及藥物審議會（以下簡稱審議會）辦理：

- 一、罕見疾病認定之審議及防治之諮詢。
- 二、罕見疾病藥物及維持生命所需之特殊營養食品認定之審議。
- 三、罕見疾病藥物查驗登記之審議。

四、罕見疾病藥物與維持生命所需之特殊營養食品補助及研發之審議。

五、罕見疾病國際醫療合作之審議、協助及諮詢。

六、治療特定疾病之非罕見疾病藥物之審議。

七、其他與罕見疾病有關事項之諮詢。

前項審議會由中央主管機關邀集政府機關代表、醫事學者專家及社會公正人士組成，其中委員名額，至少應有二分之一以上為具罕見疾病臨床治療、照護經驗或研究之醫事學者專家；單一性別不得少於三分之一。

審議會為辦理第一項事項，應徵詢其他相關學者專家、產業或罕見疾病病人代表之意見。

第五條 (刪除)

第六條 中央主管機關應辦理罕見疾病之防治與研究。

第七條 醫事人員發現罹患罕見疾病之病人或因而致死者，應向中央主管機關報告。

第八條 中央主管機關接獲前條報告或發現具有罕見遺傳疾病缺陷者，經病人或其法定代理人同意，應派遣專業人員訪視，告知相關疾病之影響，並提供病人及家屬心理支持、生育關懷、照護諮詢等服務。
前項服務之內容、實施方式及其他應遵循事項之辦法，由中央主管機關定之。

第九條 從事前二條業務之機關、機構、團體及其人員，應注意執行之態度及方法，尊重病人之人格與自主，並維護其隱私與社會生活之經營。
前項人員，因業務知悉或持有之罕見疾病資料，應予保密，不得無故洩漏或交付。

第十條 中央主管機關應獎勵各級醫療機構、研究機構及罕見疾病相關團體從事罕見疾病防治工作，補助相關人力培育、研究及設備所需經費。
前項獎勵及補助之項目、範圍、金額，由中央主管機關定之；直轄市、縣（市）主管機關並得準用之。

第十一條 主管機關應辦理罕見疾病之教育及宣導，並由機關、學校、團體及大眾傳播媒體協助進行。

主管機關於罕見疾病病人就學、就業或就養時，應協調相關機關（構）協助之。

第十二條 （刪除）

第十三條 罕見疾病病人或其法定代理人得備具申請書、第十條規定之醫療或研究機構出具之證明書、診療計畫書及相關證明文件，向中央主管機關提出申請，經審議會審議通過後，中央主管機關得提供補助至國外進行國際醫療合作。

前項醫療合作為代行檢驗項目者，得由第十條規定之醫療或研究機構申請補助。

前二項補助之申請程序、應備之書證資料及其他應遵行事項之辦法，由中央主管機關定之。

第十四條 除本法另有規定外，罕見疾病藥物非經中央主管機關查驗登記，並發給藥物許可證，不得製造或輸入。

第十五條 主要適應症用於預防、診斷或治療罕見疾病者，得申請查驗登記為罕見疾病藥物。

前項申請查驗登記應備之書證資料、審查程序及相關事項之準則，由中央主管機關定之。

第十五條之一 罕見疾病藥物經中央主管機關查驗登記或專案申請核定通過，依全民健康保險藥物給付項目及支付標準之收載程序辦理時，應徵詢審議會之意見。

第十六條 申請罕見疾病藥物查驗登記者，中央主管機關於必要時，得要求其進行國內臨床試驗，並應對臨床試驗之申請內容及結果予以適當之公開說明。

第十七條 罕見疾病藥物依本法查驗登記發給藥物許可證者，其許可證有效期間為十年。有效期間內，中央主管機關對於同類藥物查驗登記之申請，應不予受理。

前項罕見疾病藥物於十年期滿後仍須製造或輸入者，應事先申請中央主管機關核准展延，每次展延不得超過五年。展延期間，同類藥物得申請中央主管機關查驗登記。

罕見疾病藥物依本法查驗登記發給許可證後，如經中央主管機關公告不再列屬罕見疾病藥物者，其許可證之展延，適用藥事法有關規定。依第一項規定取得許可證之所有人，除因不可抗力之情形外，應於許可證有效期間內持續供應罕見疾病藥物；於特許時間內擬停止製造或輸入罕見疾病藥物者，應於停止日前六個月以書面通知中央主管機關。

第十八條 有下列情形之一者，中央主管機關得不受前條第一項規定之限制，受理其他同類藥物之查驗登記申請，並發給許可證：

- 一、新申請人取得經查驗登記許可為罕見疾病藥物之權利人授權同意。
- 二、具相同適應症且本質類似之罕見疾病藥物之新申請案，其安全性或有效性確優於已許可之罕見疾病藥物。
- 三、持有罕見疾病藥物許可證者無法供應該藥物之需求。
- 四、罕見疾病藥物售價經中央主管機關認定顯不合理。

依前項第二款至第四款規定經中央主管機關查驗登記發給許可證者，適用前條之規定。

第十九條 罕見疾病藥物未經查驗登記或有前條第一項第三款、第四款情形之一者，政府機關、醫療機構、罕見疾病病人與家屬及相關基金會、學會、協會，得專案申請中央主管機關許可。但不得作為營利用途。前項專案申請，中央主管機關於必要時，得委託或指定相關機構或團體辦理。

前二項專案申請應備之書證資料、審查程序及其他應遵行事項之辦法，由中央主管機關定之。

第二十條 罕見疾病藥物經認定有危害人體健康之情事或有危害之虞者，中央主管機關得命藥商或專案申請者於期限內回收。必要時，並得廢止該藥物之許可。

第二十一條 經依本法核准上市或專案申請之罕見疾病藥物，應由中央主管機關編列年報，載明其使用數量、人數、不良反應及其他相關報告等資料。

藥商及專案申請者應提供相關資料，配合前項年報之辦理。

- 第二十二條 非罕見疾病藥物依藥事法規定製造或輸入我國確有困難，且經審議會審議認定有助於特定疾病之醫療者，準用本法有關查驗登記及專案申請之規定。
- 第二十三條 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。
- 第二十四條 依本法申請查驗登記、臨床試驗、許可證之核發、展延或專案申請者，應繳納審查費、登記費或證照費；其費額，由中央主管機關定之。
- 第二十五條 主管機關得獎勵罕見疾病藥物或維持生命所需之特殊營養食品之供應、製造及研究發展；其獎勵對象、方式或被獎勵者應遵循事項之辦法，由主管機關定之。
- 第二十六條 擅自製造、輸入未經許可之罕見疾病藥物者，或明知未經許可之罕見疾病藥物，而販賣、供應、調劑、運送、寄藏、媒介、轉讓或意圖販賣而陳列者，依藥事法第八十二條、第八十三條規定處罰之。
- 第二十七條 違反第十六條規定者，處新台幣三萬元以上十五萬元以下罰鍰；其情節重大者，藥商於二年內不得再申請該藥物之查驗登記，並得處醫療機構一個月以上一年以下停業處分。
- 第二十七條之一 違反第十七條第四項規定，停止供應罕見疾病藥物，或未於停止日前六個月以書面通知中央主管機關者，處新臺幣十萬元以上五十萬元以下罰鍰，必要時並得廢止該藥物許可證。
- 第二十八條 申請罕見疾病藥物查驗登記或展延登記，提供不實之書證資料者，處新台幣二萬元以上十萬元以下之罰鍰，二年內不得再申請該藥物之查驗登記；其已領取該藥物許可證者，撤銷之；其涉及刑責者，移送司法機關辦理。
- 第二十九條 違反第十九條第一項規定，將專案申請之罕見疾病藥物充作營利用途者，處新台幣三萬元以上十五萬元以下罰鍰；其獲取之利益，沒入之；二年內並不得再行提出罕見疾病藥物之專案申請。
- 第三十條 違反主管機關依第二十條規定令其限期回收之命令者，處新台幣三萬元以上十五萬元以下罰鍰，並按次連續處罰至回收為止。

第三十一條 違反第二十一條第二項規定，藥商處新台幣一萬元以上五萬元以下之罰鍰；專案申請者，其再申請罕見疾病藥物，中央主管機關得不予許可。

第三十二條 本法所定之罰鍰，由主管機關處罰之。

前項罰鍰經限期繳納，屆期未繳納者，依法移送強制執行。

第三十三條 中央主管機關應編列預算，補助罕見疾病預防、篩檢、研究之相關經費及依全民健康保險法未能給付之罕見疾病診斷、治療、藥物、支持性與緩和性照護及維持生命所需之特殊營養食品、居家醫療照護器材費用。其補助方式、內容及其他相關事項之辦法，由中央主管機關定之。

前項補助經費，得由菸品健康福利捐之分配收入支應或接受機構、團體之捐助。

第三十四條 醫療機構得專案申請輸入罕見疾病病人維持生命所需之特殊營養食品；其應備之書證資料、申請審查程序及其他應遵行事項之辦法，由中央主管機關定之。

第三十四條之一 中央主管機關應協助各診療醫院及罕見疾病病人，維持生命所需之特殊營養食品及需用罕見疾病適用藥物之緊急取得。

第三十五條 本法施行細則，由中央主管機關定之。

第三十六條 本法自公布日起六個月施行。

本法修正條文自公布日施行。

第三十七條 (刪除)