

「藥品給付規定」修訂對照表

第3節 代謝及營養劑 Metabolic & nutrient agents

(自110年12月1日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
<p><u>3.3.21. alpha-glucosidase(如 Myozyme)(110/12/1)</u></p> <p><u>1. 用於確診為主管機關認定之罕見疾病龐貝氏症患者，限由具兒科專科醫師證書，且經小兒遺傳及內分泌新陳代謝科或小兒神經科訓練之醫師，或具神經科專科醫師證書之醫師處方使用，並應於病歷詳實記載病程、確診之檢驗資料及治療反應，亦應符合下列任一條件：</u></p> <p><u>(1) 嬰兒型龐貝氏症為未滿1歲前發病，出現肌肉無力，或心室肥大，或肌酸激酶CK升高，或於肌肉切片顯示有肝醣堆積者。</u></p> <p><u>(2) 晚發型龐貝氏症為滿1歲後發病，出現肌肉無力，或肌酸激酶(CK)持續升高，或於肌肉切片顯示有肝醣堆積者。</u></p> <p><u>2. 限使用標準劑量，為 Myozyme 20 mg/kg/every 2 weeks，如需使用至高劑量(40 mg/Kg/every 2 weeks)，僅限下列條件：</u></p> <p><u>(1) 嬰兒型龐貝氏症：未滿1歲前發病。</u></p> <p><u>(2) 晚發型龐貝氏症：Myozyme 20</u></p>	<p>無</p>

mg/kg/every 2 weeks 用藥後，病情無法持續改善，或疾病已惡化。

3. 需經事前審查核准後使用，並應定期追蹤評估患者下列事項之治療效果，每次申請以1年為限，期滿需經再次申請核准後，始得續用：

(1) 嬰兒型龐貝氏症追蹤事項：肝功能、腎功能、肌酸激酶(CK)、尿液 Glc4、心電圖、心臟超音波、肌力以及整體發展，至少1年2次。抗體測定至少每年1次。治療目標為心臟肥大現象改善或穩定，肌肉無力現象改善或穩定，肌酸激酶(CK)數值改善或穩定，尿液 Glc4 數值改善或穩定，整體發展持續進步、穩定或減緩退化的速度。

(2) 晚發型龐貝氏症追蹤事項：肝功能、腎功能、肌酸激酶(CK)、尿液 Glc4、肺功能、肌力以及整體發展，至少1年2次。抗體測定至少每年1次。治療目標為肌肉無力現象改善或穩定，肌酸激酶 CK 數值改善或穩定，尿液 Glc4 數值改善或穩定，整體發展持續進步、穩定或減緩退化的速度。

備註：劃線部分為新修訂規定