

「藥品給付規定」修訂對照表

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

(自 111 年 9 月 1 日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
3. 3. 19. 先天性代謝異常之罕見疾病藥品(108/9/1、108/12/1、<u>111/9/1</u>) 1. 藥品成分：<u>(111/9/1)</u> (1)Levocarnitine/L-Carnitine inner salt (2)Sodium phenylbutyrate (3)Citrulline malate (4)L-Arginine (5)Sapropterin dihydrochloride (Tetrahydro-Biopterin, BH4) (6)betaine (7)oxitriptan (L-5-hydroxytryptophan, 5-HTP) (8)alpha-glucosidase (9)sodium benzoate (10)diazoxide <u>(11)Cholic acid(111/9/1)</u> 2. 用於尚未確診經主管機關認定為罕見疾病者，需緊急使用時，<u>除下列各款另有規定外</u>，應由具小兒專科醫師證書且接受過小兒遺傳或小兒新陳代謝或小兒內分泌科次專科訓練之醫師處方使用，並於病歷詳實記載病程、確診之檢驗資料及治療	3. 3. 19. 先天性代謝異常之罕見疾病藥品(108/9/1、108/12/1) 1. 藥品成分： (1) Levocarnitine/L-Carnitine inner salt (2) Sodium phenylbutyrate (3) Citrulline malate (4) L-Arginine (5) Sapropterin dihydrochloride (Tetrahydro-Biopterin, BH4) (6) betaine (7)oxitriptan (L-5-hydroxytryptophan, 5-HTP) (8) alpha-glucosidase (9) sodium benzoate (10)diazoxide 2. 用於尚未確診經主管機關認定為罕見疾病者，需緊急使用時，應由具小兒專科醫師證書且接受過小兒遺傳或小兒新陳代謝或小兒內分泌科次專科訓練之醫師處方使用，並於病歷詳實記載病程、確診之檢驗資料及治療反應，且須符合下列<u>任一</u>條

反應，且<u>第一項各款藥品須符合下列各對應條件：</u> (1)~(3)略 (4)<u>新生兒初次發作之不明原因高血氨，懷疑是先天代謝異常者(血氨值高於 $150\ \mu\text{mol/L}$)。</u> (111/9/1) (5)<u>新生兒篩檢為苯酮尿症陽性個案(blood phenylalanine 高於 $200\ \mu\text{mol/L}$)。</u>(111/9/1) (6)~(7)略 (8) <u>經心電圖，胸部 X 光，或是心臟超音波等，證實已出現心臟影響徵象之嬰兒型龐貝氏症患者(本款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)。</u> (111/9/1) (9)~(10) 略 (11)<u>臨床上高度懷疑需緊急使用，並符合下列條件之膽汁滯留症患者(本款限兒科消化次專科醫師，或小兒神經科醫師，或兒科專科經醫學遺傳學次專訓練取得證書之醫師使用)：</u> (111/9/1)	件： (1)~(3)略 (4)<u>新生兒篩檢為苯酮尿症陽性個案(blood phenylalanine 高於 $200\ \mu\text{mol/L}$)。</u> (5)<u>新生兒初次發作之不明原因高血氨，懷疑是先天代謝異常者(血氨值高於 $150\ \mu\text{mol/L}$)。</u> (6)~(7)略 (8) <u>經心電圖，胸部 X 光，或是心臟超音波等，證實已出現心臟影響徵象之嬰兒型龐貝氏症患者</u> (9)~(10) 略
---	---

I. <u>嬰兒肝內膽汁滯留症超過兩週。</u> II. <u>γ-Glutamyltransferase $\leq$ 150 U/L</u> III. <u>alaine aminotransferase $>$ 2x upper limit of normal (ULN)</u> IV. <u>血清膽汁酸濃度 $\leq$ 150 μmol/L。</u> 3. <u>經通報主管機關，符合下列情形之一時，應停止使用：(111/9/1)</u> <u>(1)用藥後，若病情無法持續改善或疾病已惡化者。</u> <u>(2)經主管機關認定非為罕見疾病時。</u> <u>(3)本類藥品依個別給付規定需經事前審查，審查結果未核准使用者。</u> 4. 未通報主管機關認定者，用藥日數以 14 日為限。 5. <u>本類藥品依個別給付規定需經事前審查者，依本規定初次緊急用藥時應併送事前審查。(111/9/1)</u>	3. <u>經通報主管機關認定者，用藥後，14 日內若病情無法持續改善或疾病已惡化，或經主管機關認定非為罕見疾病時，應停止使用。</u> 4. 未通報主管機關認定者，用藥日數以 14 日為限。
--	--

備註：劃線部分為新修訂規定