

## 「藥品給付規定」修正規定

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

(自106年10月1日生效)

修正後給付規定	原給付規定
<p>3.3.8. Idursulfase(如 Elaprase)： (96/7/1、99/8/1、106/10/1)</p> <p><u>1.病患須符合以下診斷條件：除了臨床表徵及尿液葡萄糖胺聚醣定性、定量檢驗的佐證外，須證明患者週邊血液白血球或血漿，或經培養之皮膚纖維芽細胞的IDS酵素活性缺乏，或者是患者位於X染色體Xq27-28位點上之IDS基因經分子生物學檢驗確認有一處已知或必然會引起黏多醣第II型(MPS II)之突變。(106/10/1)</u></p> <p><u>2.限兒科專科經醫學遺傳學次專科訓練取得證書之醫師使用。(106/10/1)</u></p> <p><u>3.排除使用於：(106/10/1)</u></p> <p><u>(1)因 idursulfase 無法通過血腦屏障(blood-brain barrier)，靜脈注射 idursulfas 無法有效治療 MPS II A，若有明顯中樞神經症狀且持續惡化，應不予治</u></p>	<p>3.3.8. Idursulfase(如 Elaprase <u>solution for intravenous infusion</u>)給付規定：(96/7/1、99/8/1)</p> <p>1. 需經事前審查核准後使用。</p> <p>2. 除了臨床表徵及尿液葡萄糖胺聚醣定性、定量檢驗的佐證外，須證明患者週邊血液白血球或血漿，或經培養之皮膚纖維芽細胞的IDS酵素活性缺乏，或者是患者位於X染色體Xq27-28位點上之IDS基因經分子生物學檢驗確認有一處已知或必然會引起黏多醣第II型(MPS II)之突變。</p> <p>3. 限小兒遺傳專科醫師使用。</p> <p>4. 每次回診時，應追蹤評估治療效果，以決定是否用續用，並於病歷詳細記錄。</p> <p>5. 治療前應與患者及家屬充分溝通告知下列事項，並請其簽名確認已被告知，留存病歷備查：</p> <p>(1)確定其了解治療的預期效果。</p> <p>(2)患者有義務接受定期追蹤評</p>

療。

(2)未經治療之患者沒有任何會影響健康之症狀時。

(3)重型病患：完全臥床且無行動能力，或是無法自行呼吸且完全仰賴呼吸器維生者。

4.黏多醣症第二型患者之器官傷害多屬不可逆性，治療前應與患者及家屬充分溝通告知下列事項，並請其簽名確認已被告知，留存病歷備查：(106/10/1)

(1)確定其了解治療的預期效果。

(2)患者有義務接受定期追蹤評估，在中樞神經症狀明顯退化情況下，主治醫師在向患者及家屬清楚解釋後，適時停止 idursulfase 之治療。

5.應定期追蹤評估治療效果及下列事項：(106/10/1)

(1)至少每半年追蹤一次：

I. 身高體重；

II. 尿液黏多醣量；

III. 依 Hunter Outcome Survey (HOS) Registry 所建議之評估事項評估。

(2)至少每一年追蹤一次：

I. 腹部超音波、肝臟大小、脾臟大小；

II. 心電圖；

估，在中樞神經症狀明顯退化情況下，主治醫師在向患者及家屬清楚解釋後，適時停止 idursulfase 之治療。

6. 患者須符合下列 5 項條件，每一年須重新評估一次：

(1)需檢附尿中葡萄胺聚醣 (Urinary

Glycosaminoglycans) 與肌酸酐比值 (GAG/Cr ratio)。

(2)呼吸功能檢查：血液中氧氣飽和度 (SpO<sub>2</sub>) 在 2 小時內需持續維持 1 小時以上  $\geq 90\%$ 。

(3)可執行 6 分鐘步行測驗 (6-minute walk test) 或於 5 歲以下幼童以 DDST (Denver Developmental Screening Test) 粗動作及精細動作 (Gross Motor and Fine Motor) 檢測，發展進程年齡與實際年齡商數不低於 60%。

(4)未經治療之患者沒有任何會影響健康之症狀。

(5)患者無明顯之中樞神經症狀退化。

7. 須立即停止 idursulfase 治療的情形：

(1)因 idursulfase 無法通過血腦屏障(blood-brain

III. 心臟超音波

IV. 六分鐘步行測驗 (6-minute walk test) 或於 5 歲以下幼童以 DDST (Denver Developmental Screening Test) 粗動作及精細動作 (Gross Motor and Fine Motor) 檢測；

V. 肺功能；

VI. 藥物抗體

6. 需經事前審查核准後使用，每次申請之療程以 1 年為限。重新申請時，若有下列任一情況，則不再給予 idursulfase 治療：(106/10/1)

(1) 尿中葡萄糖胺聚醣與肌酸酐比值：於接受治療的第一年之後評估，較前一年有 50% 以上的增加；第二年之後評估，較前一年有 100% 以上的增加。

(2) 六分鐘步行測驗：較之前一年退步 50% 以上或連續 2 年有退步現象；5 歲以下幼童以 DDST 粗動作及精細動作檢測，發展進程年齡與實際年齡商數低於 60%，或比初次檢測時之發展進程年齡退步。

(3) 呼吸功能檢查：血液中氧氣飽和度在 2 小時內無法持續維持

barrier)，靜脈注射 idursulfase 無法有效治療 MPS II A，若有明顯中樞神經系統退化之臨床表徵時，應判為 MPS II A 且不予治療。

(2) 有證據顯示病人開始呈現明顯的中樞神經系統退化之臨床表徵。

(3) 病人在接受 ERT 時發生其它致命的疾病，這表示病人無法獲得 idursulfase 的療效。

(4) 病人發生嚴重不良反應。

(5) 病人無法配合最適療程所需的注射規定或無法配合療效的評估。

8. 重新申請時，若有下列任一情況，即不再給予 idursulfase 之治療：

(1) 尿中葡萄糖胺聚醣與肌酸酐比值：於接受治療的第一年之後評估，較前一年有 50% 以上的增加；第二年之後評估，較前一年有 100% 以上的增加。

(2) 6 分鐘步行測驗：較之前一年退步 50% 以上或連續 2 年有退步現象；5 歲以下幼童以 DDST 粗動作及精細動作檢測，發展進程年齡與實際年齡商數低於 60%，或比初次檢測時之發展進

1 小時以上 $\geq$ 90%。

(4)病人有認知功能退化，或有明顯中樞神經系統退化之臨床表徵。

7. 須立即停止 idusulfase 治療的情形：(106/10/1)

(1)有證據顯示病人開始呈現明顯的中樞神經系統退化之臨床表徵。

(2)病人在接受治療時發生其它致命的疾病，這表示病人無法獲得 idursulfase 的療效。

(3)病人發生嚴重不良反應。

(4)病人無法配合最適療程所需的注射規定或無法配合療效的評估。

3.3.10. Laronidase (如 Aldurazyme)：(97/7/1、106/10/1)

1. 限下列病例使用：

(1)黏多醣症第一型賀勒-施艾氏症患者。

(2)黏多醣症第一型中度至重度之施艾氏症患者。

(3)黏多醣症第一型賀勒氏症進行造血幹細胞移植或手術前後。

備註：針對早期診斷帶有文獻報告已知的嚴重型突變點的病

程年齡退步。

(3)呼吸功能檢查：血液中氧氣飽和度在 2 小時內無法持續維持 1 小時以上 $\geq$ 90%。

(4)未經治療之患者沒有任何會影響健康之症狀。

9. 請參考「中華民國人類遺傳學會黏多醣第 II 型治療原則」(附表二十五)。

3.3.10. Laronidase (如 Aldurazyme inj.)：(97/7/1)

1. 限用於黏多醣儲積症第一型之治療。

2. 需經事前審查核准後使用。

人，應持續追蹤其臨床症狀，若在兩歲以前出現明顯症狀（疝氣或呼吸道阻塞等，建議儘速進行造血幹細胞移植，如為未知但預測為嚴重型突變的病人，比照處理。

2. 限兒科專科經醫學遺傳學次專科訓練取得證書之醫師使用。

3. 排除使用於：

(1) 未經治療之患者沒有任何會影響健康之症狀時。

(2) 患者有明顯之中樞神經症狀時。

(3) 重型病患：完全臥床且無行動能力，或是無法自行呼吸且完全仰賴呼吸器維生者。

4. 應定期追蹤評估治療效果及下列事項目：

(1) 至少每半年追蹤一次：

I. 身高體重；

II. 尿液黏多醣量；

(2) 至少每一年追蹤一次：

I. 整體智能發展、中樞神經症狀；

II. 腹部超音波、肝臟大小、脾臟大小；

III. 心電圖；

IV. 心臟超音波；

V. 六分鐘步行測驗；

VI. 肺功能；

VII. 藥物抗體

5. 需經事前審查核准後使用，每次申請之療程以 1 年為限。重新申請時，若有下列任一情況，則不再給予 laronidase 治療：

(1) 尿中葡萄糖聚醣與肌酸酐比值：於接受治療的第一年之後評估，較前一年有 50% 以上的增加；第二年之後評估，較前一年有 100% 以上的增加。。

(2) 六分鐘步行測驗：較之前一年退步 50% 以上或連續 2 年有退步現象；5 歲以下幼童以 DDST 粗動作及精細動作檢測，發展進程年齡與實際年齡商數低於 60%，或比初次檢測時之發展進程年齡退步。

(3) 呼吸功能檢查：血液中氧氣飽和度在 2 小時內無法持續維持 1 小時以上  $\geq 90\%$ 。

(4) 病人有認知功能退化，或有明顯中樞神經系統退化之臨床表徵。

6. 須立即停止 laronidase 治療的情形：

(1) 有證據顯示病人開始呈現明顯的中樞神經系統退化之臨床表徵。

(2)病人在接受治療時發生其它致命的疾病，這表示病人無法獲得 laronidase 的療效。

(3)病人發生嚴重不良反應。

(4)病人無法配合最適療程所需的注射規定或無法配合療效的評估。

3.3.15. Galsulfase (如 Naglazyme) : (106/10/1)

1. 病患須符合以下診斷條件：須證明患者之週邊血液白血球或經培養之皮膚纖維芽細胞 ARSB 活性缺乏，或是患者 ARSB 基因經分子生物學檢驗確認有兩個分別來自父母雙方，已知或必然會引起黏多醣症第六型之突變。

2. 限兒科專科經醫學遺傳學次專科訓練取得證書之醫師使用。

3. 排除使用於：

(1)患者若未給予治療，並不會導致健康情況之惡化時。

(2)重型病患：完全臥床且無行動能力，或是無法自行呼吸且完全仰賴呼吸器維生者。

(3)早期診斷帶有已知嚴重突變點的病患，但無明顯臨床症狀者。

4. 標準劑量為每週經靜脈注射給予

3.3.15. (無)

galsulfase 1 mg/Kg。

5. 黏多醣症第六型對於器官之傷害

多屬不可逆性，治療前應與患者及家屬充分溝通告知下列事項，並請其簽名確認已被告知，留存病歷備查：

(1) 確定其了解治療的預期效果。

(2) 患者有義務接受定期追蹤評估。

6. 應定期追蹤評估治療效果及下列

事項：

(1) 至少每半年追蹤一次：

I. 身高體重；

II. 尿液黏多醣量；

(2) 至少每一年追蹤一次：

I. 腹部超音波、肝臟大小、脾臟大小；

II. 心電圖；

III. 心臟超音波；

IV. 六分鐘步行測驗；

V. 肺功能；

7. 需經事前審查核准後使用，每次

申請之療程以 1 年為限。重新申請時，若六分鐘步行測驗相較於治療前退步 10% 以上，則不再給予 galsulfase 治療。

8. 須立即停止 galsulfase 治療的情

形：

(1) 有證據顯示病人開始呈現明

<p><u>顯的中樞神經系統退化之臨床表徵。</u></p> <p><u>(2)病人在接受治療時發生其它致命的疾病，這表示病人無法獲得 galsulfase 的療效。</u></p> <p><u>(3)病人發生嚴重不良反應。</u></p> <p><u>(4)病人無法配合最適療程所需的注射規定或無法配合療效的評估。</u></p>	
--	--

備註：劃線部份為新修正之規定。