

「藥品給付規定」修正規定(草案)
第3節 代謝及營養劑 Metabolic & nutrient agents
(自107年4月1日生效)

修正後給付規定	原給付規定
<p>3.3.17. Elosulfase alfa (如 Vimizim) (107/4/1)</p> <p>1.診斷：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，須證明患者之週邊血液白血球或經培養之皮膚纖維芽細胞 GALNS 活性缺乏，或是患者 GALNS 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 IVA 型之突變。</p> <p>2.限小兒遺傳專科醫師使用。</p> <p>3.排除使用於：</p> <p>(1)患者合併有其他嚴重疾病，無法從酵素治療得到長期效益。</p> <p>(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。</p> <p>(3)病患不願意配合追蹤評估。</p> <p>4.黏多醣症第四型患者之傷害多屬不可逆性，治療前應與患者及家屬充分溝通知下列事項，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估。</p> <p>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，依下列病患疾病進程分類，若有評估項目中任兩項未達標準，則不予同意使用：</p> <p>(1)至少能以助行器行走的患者，針對下列1~5 項；</p> <p>(2)非因年齡過小而無法行走的患者，針對下列2~5 項；</p> <p>(3)因年齡過小而無法行走的患者，針對下列3~5 項</p> <p>I .6分鐘步行測驗：相較於治療前，至少有10%的改善，或在達療效高原期後維持10%的改善。</p> <p>II.呼吸功能檢查：FVC 或 FEV-1相較於治療前至少有5%的改善，或在達療效高原期後維持5%的改善。</p> <p>III.尿液中 keratan sulfate (Uks)相較於治療前降低大於20%。</p> <p>IV.呼吸功能檢查：血液中氧氣飽和度(SpO2)在2小時內需持續維持1小時以上≥90%。</p> <p>V.以心臟超音波檢測，Ejection Fraction 相較於治療前降低少於10%。</p> <p>6.須立即停止 elosulfase alfa 治療的情形：</p> <p>(1)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 elosulfase alfa 的療效。</p> <p>(2)病患發生嚴重不良反應。</p> <p>(3)病患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。</p>	<p>3.3.17.(無)</p>

備註：劃線部分為新修訂規定