

「藥品給付規定」修訂對照表

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

(自112年4月1日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
<p>3.3.26. Alfa-avalglucosidase (如 Nexviazyme) (112/4/1)</p> <p>1. 用於確診為主管機關認定之6個月以上龐貝氏症患者，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：</p> <p>(1) 嬰兒型龐貝氏症為未滿1歲前發病，包括出現肌肉無力、心室肥大、肌酸激酶 (CK) 升高、或肌肉切片顯示有肝醣堆積者。</p> <p>(2) 晚發型龐貝氏症為滿1歲後發病，包括出現肌肉無力、肌酸激酶 (CK) 持續升高、或肌肉切片顯示有肝醣堆積者。</p> <p>2. 使用劑量如下：</p> <p>(1) 嬰兒型龐貝氏症劑量為40 mg/kg/every 2 weeks</p> <p>(2) 晚發型龐貝氏症：</p> <p>I. 大於或等於30 kg，劑量為20 mg/kg/every 2 weeks</p>	<p>無</p>

II. 小於30 kg，劑量為40 mg/kg/
every 2 weeks

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。

4. 有以下任一情形，則立即停藥：

(1) 出現嚴重的輸注過敏反應。

(2)運動或呼吸功能的衰退速率與治療前相似，治療至病人達運動功能末期(上肢及下肢肌力皆小於或等於2)與24小時呼吸器依賴時。

5. 本藥品不能與 alpha-glucosidase 合併使用。

備註：劃線部分為新修訂之給付規定