

## 「藥品給付規定」修訂對照表(草案)

## 第1節 神經系統藥物 Drugs acting on the nervous system

(自112年6月1日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
<p>1.6. 其他 Miscellaneous</p> <p>1.6.4. Nusinersen(如 Spinraza)、risdiplam (如 Evrysdi) : (109/7/1、109/10/1、112/4/1、<u>112/6/1</u>)</p> <p>1. 限用經標準檢測方法 MLPA(Multiplex Ligation Dependent Probe Amplification) 或 NGS 檢測 SMN1 基因變異之個案，並具以下(1)、(2)、(3)、(4)、(5)、(6)任何一個條件：<u>(112/4/1、112/6/1)</u></p> <p>(1)具3個(含)以下 SMN2 基因拷貝數，經新生兒篩檢即將發病之個案，限使用 nusinersen。(109/10/1、112/4/1)</p> <p>(2)Nusinersen 限使用於3歲內發病確診，且開始治療年齡未滿7歲者。 (112/4/1)</p> <p>(3)Risdiplam 限使用於治療年齡兩個月以上，3歲內發病確診，且開始治療年齡未滿7歲者。(112/4/1)</p> <p>(4)Nusinersen 限使用3歲內發病確診且開始治療年齡滿7歲者，且臨床評</p>	<p>1.6. 其他 Miscellaneous</p> <p>1.6.4. Nusinersen(如 Spinraza)、risdiplam (如 Evrysdi) : (109/7/1、109/10/1、112/4/1)</p> <p>1. 限用經標準檢測方法 MLPA(Multiplex Ligation Dependent Probe Amplification) 或 NGS 檢測 SMN1 基因變異之個案，並具以下(1)、(2)、(3)、(4)、(5)任何一個條件：<u>(112/4/1)</u></p> <p>(1)具3個(含)以下 SMN2 基因拷貝數，經新生兒篩檢即將發病之個案，限使用 nusinersen。(109/10/1、112/4/1)</p> <p>(2)Nusinersen 限使用於3歲內發病確診，且開始治療年齡未滿7歲者。 (112/4/1)</p> <p>(3)Risdiplam 限使用於治療年齡兩個月以上，3歲內發病確診，且開始治療年齡未滿7歲者。(112/4/1)</p> <p>(4)Nusinersen 限使用3歲內發病確診且開始治療年齡滿7歲者，且臨床評</p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p>估運動功能指標 RULM<math>\geq</math>15 之 SMA 個案。(112/4/1)</p> <p>(5)<u>Risdiplam 限使用 3 歲內發病確診且開始治療年齡滿 7 歲至未滿 18 歲，且臨床評估運動功能指標 RULM<math>\geq</math>15。</u> (112/4/1、112/6/1)</p> <p>(6)<u>Risdiplam 限使用於 3 歲內發病確診，且開始治療年齡滿 18 歲以上，且臨床評估運動功能指標 RULM<math>\geq</math>15，並經小兒神經專科、神經科醫師判定下列任一情形，致無法使用 nusinersen 藥品：</u>(112/6/1)</p> <p><u>I. 施行過脊椎融合術</u></p> <p><u>II. 脊椎側彎嚴重(Cobb Angle<math>\geq</math>50 度)</u></p> <p><u>III. 對於施行麻醉有困難</u></p> <p>2. 需檢附下列資料，經二位以上專家之專家小組特殊專案審查核准後使用，每年檢附療效評估資料重新申請。</p> <p>(1)符合衛生福利部國民健康署 SMA 罕見疾病個案通報審查標準之臨床症狀錄影之影片（內容必須包含： a. 全身肌張力低下， b. 全身四肢無力，近端比遠端嚴重且下肢比上肢嚴重， c. 深部肌腱反射，如：膝反射、踝反射、二頭肌反射等消失）。</p>	<p>估運動功能指標 RULM <math>\geq</math> 15 之 SMA 個案。(112/4/1)</p> <p>(5)Risdiplam 限使用於起始治療年齡兩個月以上，未滿 18 歲之病患，且開始治療年齡滿 7 歲者，且臨床評估運動功能指標 RULM <math>\geq</math> 15 之 SMA 個案。(112/4/1)</p> <p>2. 需檢附下列資料，經二位以上專家之專家小組特殊專案審查核准後使用，每年檢附療效評估資料重新申請。</p> <p>(1)符合衛生福利部國民健康署 SMA 罕見疾病個案通報審查標準之臨床症狀錄影之影片（內容必須包含： a. 全身肌張力低下， b. 全身四肢無力，近端比遠端嚴重且下肢比上肢嚴重， c. 深部肌腱反射，如：膝反射、踝反射、二頭肌反射等消失）。</p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p>(2)3 個 (含) 以下 SMN2 基因拷貝數之即將發病之個案，須附經標準檢測方法 MLPA 或 NGS 基因診斷技術報告。(112/4/1)</p>	<p>(2)3 個 (含) 以下 SMN2 基因拷貝數之即將發病之個案，須附經標準檢測方法 MLPA 或 NGS 基因診斷技術報告。(112/4/1)</p>
<p>(3)臨床病歷摘要。</p>	<p>(3)臨床病歷摘要。</p>
<p>(4)標準運動功能評估 (CHOP INTEND、HINE section 2、HFMSE、RULM、WHO motor milestone、MFM32、6MWT) 錄影之影片。(112/4/1)</p>	<p>(4)標準運動功能評估 (CHOP INTEND、HINE section 2、HFMSE、RULM、WHO motor milestone、MFM32、6MWT) 錄影之影片。(112/4/1)</p>
<p>3. 排除條件：SMA 病友在非急性住院期間，連續 30 天 (含) 以上呼吸器的使用且每天超過 12 小時。</p>	<p>3. 排除條件：SMA 病友在非急性住院期間，連續 30 天 (含) 以上呼吸器的使用且每天超過 12 小時。</p>
<p>4. 療效評估方式及時機：</p>	<p>4. 療效評估方式及時機：</p>
<p>(1)標準運動功能評估時機：</p>	<p>(1)標準運動功能評估時機：</p>
<p>I. Nusinersen 或 risdiplam 治療前。(112/4/1)</p>	<p>I. Nusinersen 或 risdiplam 治療前。(112/4/1)</p>
<p>II. 在 4 劑 loading doses 0、14、28、63 天) 後，每 4 個月給與 nusinersen maintain dose 治療前，若使用 risdiplam 則每 4 個月評估一次。(112/4/1)</p>	<p>II. 在 4 劑 loading doses 0、14、28、63 天) 後，每 4 個月給與 nusinersen maintain dose 治療前，若使用 risdiplam 則每 4 個月評估一次。(112/4/1)</p>
<p>(2)標準運動功能評估：需由提供 nusinersen 或 risdiplam 治療之小兒神經專科、神經科醫師選擇下列適合療效評估工具並判定評估結果 (112/4/1)</p>	<p>(2)標準運動功能評估：需由提供 nusinersen 或 risdiplam 治療之小兒神經專科、神經科醫師選擇下列適合療效評估工具並判定評估結果 (112/4/1)</p>
<p>I. CHOP INTEND</p>	<p>I. CHOP INTEND</p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p>II. HINE section 2</p> <p>III. HFMSE</p> <p>IV. RULM(起始治療年紀滿 7 歲以上病患必選) (112/6/1)</p> <p>V. WHO motor milestone</p> <p>VI. MFM32 (112/4/1)</p> <p>VII. 6MWT(限使用於可行走之病患)(112/4/1)</p> <p>(3)醫師提交接受 nusinersen 或 risdiplam 治療之標準運動功能評估錄影之影片。(112/4/1)</p> <p>(4)醫師提交接受 nusinersen 或 risdiplam 治療之 SMA 病友，每年的年度治療報告書包括標準運動功能評估項目、內容及錄影之影片。(112/4/1)</p> <p>(5)標準運動功能評估應由受過訓練之專科醫師，包含：小兒神經科、神經科醫師、復健科醫師或物理治療師執行。</p> <p>5. 停藥時機（下列評估需在 SMA 病友非急性住院期間執行）：用藥後追蹤至少 2 項標準運動功能評估(CHOP INTEND、HINE section 2、HFMSE、RULM、WHO motor milestone、MFM32、6MWT)，兩項評估分數每次均</p>	<p>II. HINE section 2</p> <p>III. HFMSE</p> <p>IV. RULM</p> <p>V. WHO motor milestone</p> <p>VI. MFM32 (112/4/1)</p> <p>VII. 6MWT(限使用於可行走之病患)(112/4/1)</p> <p>(3)醫師提交接受 nusinersen 或 risdiplam 治療之標準運動功能評估錄影之影片。(112/4/1)</p> <p>(4)醫師提交接受 nusinersen 或 risdiplam 治療之 SMA 病友，每年的年度治療報告書包括標準運動功能評估項目、內容及錄影之影片。(112/4/1)</p> <p>(5)標準運動功能評估應由受過訓練之專科醫師，包含：小兒神經科、神經科醫師、復健科醫師或物理治療師執行。</p> <p>5. 停藥時機（下列評估需在 SMA 病友非急性住院期間執行）：用藥後追蹤至少 2 項標準運動功能評估(CHOP INTEND、HINE section 2、HFMSE、RULM、WHO motor milestone、MFM32、6MWT)，兩項評估分數每次均</p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p>低於起始治療前該項標準運動功能之第 1 次評估分數。(112/4/1)</p> <p>6. 使用本類藥品需完成個案系統登錄，亦需於療程結束或停止使用該藥品後，於此系統登錄結案。</p> <p>7. Nusinersen 或 risdiplam 限擇一使用，且不得互換。(112/4/1)</p>	<p>低於起始治療前該項標準運動功能之第 1 次評估分數。(112/4/1)</p> <p>6. 使用本類藥品需完成個案系統登錄，亦需於療程結束或停止使用該藥品後，於此系統登錄結案。</p> <p>7. Nusinersen 或 risdiplam 限擇一使用，且不得互換。(112/4/1)</p>

備註：劃線部分為新修訂規定