

「藥品給付規定」修訂對照表

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

(自 113 年 8 月 1 日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
<p>1.6.4.Nusinersen(如 Spinraza) 、 risdiplam (如 Evrysdi) : (109/7/1 、 109/10/1 、 112/4/1 、 112/6/1 、 112/8/1 、 <u>113/8/1</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，且經衛生福利部國民健康署認定之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal muscular atrophy,SMA)病人，並具以下(1)、(2)任何一個條件： (112/4/1 、 112/6/1 、 112/8/1 、 <u>113/8/1</u>)</p> <p>(1)經<u>新生兒篩檢確診之病人</u>，限使用 nusinersen 。 (<u>113/8/1</u>)</p> <p>(2)<u>18 歲以下發病確診之病人</u>。 (<u>113/8/1</u>)</p>	<p>1.6.4.Nusinersen(如 Spinraza) 、 risdiplam (如 Evrysdi) : (109/7/1 、 109/10/1 、 112/4/1 、 112/6/1 、 112/8/1)</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，且經衛生福利部國民健康署認定之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal muscular atrophy,SMA)病人，並具以下(1)、(2)、(3)、(4)、(5)、<u>(6)</u>任何一個條件： (112/4/1 、 112/6/1 、 112/8/1)</p> <p>(1)<u>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</u>，限使用 nusinersen 。 (109/10/1 、 112/4/1)</p> <p>(2)<u>Nusinersen 限使用於 3 歲內發病確診，且開始治療年齡未滿 7 歲者</u>。 (<u>112/4/1</u>)</p> <p>(3)<u>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</u>。(112/4/1)</p> <p>(4)<u>Nusinersen 限使用 3 歲內發病確診且開始治療年齡滿 7 歲者，且臨床評估運動功能指標 RULM ≥ 15 之 SMA 個案</u>。(112/4/1)</p> <p>(5)<u>Risdiplam 限使用 3 歲內發病確診</u></p>

修訂後給付規定	原給付規定
<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>(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><u>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\geq15。(112/4/1、112/6/1)</u></p> <p><u>(6)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\geq15，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： (112/6/1)</u></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\geq50 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>(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>

修訂後給付規定	原給付規定
<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>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>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 則於開始用藥滿 2 個月評估一次，之後每 4 個月評估一次。<u>若於 113 年 8 月 1 日前已依修訂前之給付規定使用 risdiplam 之病人，於首次重新申請時得滿 2 個月評估一次，之後每 4 個月評估一次。(112/4/1、113/8/1)。</u></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。<u>須選擇治療前>0 分之評估工具（若 RULM=0 建議使用 CHOP</u></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>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>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>(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>

修訂後給付規定	原給付規定
<p><u>INTEND, HFMSE, MFM32</u>)；<u>有獨自行走能力的病人，須做 6MWT 暨其他兩項運動功能評估。除因不適合該年齡之評估工具外，不能轉換其他評估工具，以利後續評估。</u> (112/4/1、113/8/1)</p> <p>I.<u>CHOP INTEND(限用於嬰兒、兒童及 RULM 為 0 之第一型、第二型之病人)</u>(113/8/1)</p> <p>II.HINE section 2(限用於 2 至 24 個月大及第一型之病人) (113/8/1)</p> <p>III.HFMSE(限用於 2.5 歲以上之病人)(113/8/1)</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(限用於嬰兒、兒童及第一型之病人)(113/8/1)</p> <p>VI.MFM32(限用於 2.5 歲以上之病人)(112/4/1、113/8/1)</p> <p>VII.6MWT(若可行走之病人必選)(112/4/1、113/8/1)</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>I.CHOP INTEND</p> <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>

修訂後給付規定	原給付規定
<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>(6)醫師提交接受 nusinersen 治療之 SMA 病友所有標準運動功能評估錄影之影片，必須包含所有可評估項目及內容。</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。(109/10/1)</p> <p>7.Nusinersen 或 risdiplam 或 onasemnogene abeparvovec 限擇一使用，且不得互換。<u>惟使用 nusinersen 或 risdiplam 後出現嚴重不耐受反應，經特殊專案審查核准後，此兩種藥物得轉換，以一次為限。轉換時應考慮二者藥物動力學及半衰期之差異，注意替換後開始使用時間與前次最後使用日期。</u>(112/4/1、112/8/1、113/8/1)</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>(6)醫師提交接受 nusinersen 治療之 SMA 病友所有標準運動功能評估錄影之影片，必須包含所有可評估項目及內容。</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。(109/10/1)</p> <p>7.Nusinersen 或 risdiplam 或 onasemnogene abeparvovec 限擇一使用，且不得互換。(112/4/1、112/8/1)</p>

修訂後給付規定	原給付規定
<u>註：建議從 nusinersen 轉換至 risdiplam，至少間隔 135 天；</u> <u>risdiplam 轉換至 nusinersen，應至少間隔 50 小時。</u>	

備註：劃線部份為新修訂之規定