

「藥品給付規定」修訂對照表
 第3節 代謝及營養劑 Metabolic & nutrient agents
 (自114年1月1日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
<p>3.3.31. <u>Givosiran(如Givlaari)：</u> <u>(114/1/1)</u></p> <p>1. <u>限用於確診為衛生福利部國民健康署認定之罕見疾病紫質症(porphyria)中屬急性肝紫質症(acute hepatic porphyria, AHP)[如：急性間歇性紫質症(AIP)、遺傳性紫質症(HCP)、異位型紫質症(VP)、ALAD缺乏紫質症(ADP)]，且符合下列全部條件者：</u></p> <p><u>(1)年滿18歲以上。</u></p> <p><u>(2)具HMBS(PBGD)、ALAD、CPOX、PPOX致病基因變異者(需檢附基因診斷報告)。</u></p> <p><u>(3)經過適當醫療處置2年後，仍於申請本藥品前1年內，發生4次(含)以上急性發作，急性發作時需急診或住院治療，且使用靜脈輸注血基質藥品(hemin)治療反應不佳或耐受性不良(intolerance)或無效者。</u></p> <p><u>(4)過去1年內尿液檢查曾經偵測出高量(大於等於正常值之4倍以上)的胺基酮戊酸(aminolevulinic acid, ALA)與膽色素原(porphobilinogen, PBG)(需檢附</u></p>	無

修訂後給付規定	原給付規定
<p><u>實驗室檢查報告</u>)。</p> <p><u>備註：</u></p> <p><u>I. 反應不佳定義：使用hemin治療後，每年平均發作次數仍大於4次，且每次發作都需連續使用hemin。</u></p> <p><u>II. 耐受性不良定義：使用hemin後，造成與hemin相關之嚴重且具有臨床顯著意義，會限制生活、對健康有立即或長期影響，或必須住院或延長住院處理的不良反應，例如：反覆人工血管感染或菌血症、敗血症、其他感染、鐵質沉積、靜脈炎等。</u></p> <p><u>(5)無任一下列情形：</u></p> <p><u>I. 曾接受過肝移植患者。</u></p> <p><u>II. 病人合併有其他嚴重疾病，無法從本藥品治療得到長期效益。</u></p> <p><u>III. 病人無生活自理能力。</u></p> <p><u>2. 限由神經內科、血液科、肝膽腸胃科、遺傳科醫師處方。</u></p> <p><u>3. 治療中有輕微不良反應(如轉胺酶或血清肌酸酐升高)而暫停使用者，得於狀況排除後使用。</u></p> <p><u>4. 需經事前審查核准後使用，每次申請以1年為限，期滿需再次申請並經核准後始得續用：</u></p>	

修訂後給付規定	原給付規定
<p><u>(1) 送審時應檢附病歷紀錄及原始治療醫囑單、治療紀錄單且載明hemin使用劑量、發作症狀、次數及嚴重程度及對hemin耐受性不良或無效之證明。</u></p> <p><u>(2) 治療目標：相較於治療前，治療後胺基酮戊酸(ALA)、膽色素原(PBG)及年發作率(急性發作次數)下降需達50%。</u></p> <p><u>(3) 申請續用者：</u></p> <p><u>I. 需達治療目標及檢附至少3次療效評估項目資料，方可續用。</u></p> <p><u>II. 經第1年治療後未達治療目標者，可續申請1次(共6個月)之藥物，不受治療目標之限制。</u></p> <p><u>5. 療效評估項目(每3個月評估一次)：</u></p> <p><u>(1) 臨床症狀及徵兆的病歷紀錄(含發作次數)。</u></p> <p><u>(2) 胺基酮戊酸(ALA)與膽色素原(PBG)實驗室檢查報告。</u></p> <p><u>(3) 轉氨酶、血清肌酸酐、血中半同胱胺酸(此3項初始使用需每個月追蹤檢查，至少3個月)。</u></p> <p><u>6. 停藥條件：</u></p> <p><u>(1) 發生藥物不良反應，懷孕或出現仿單禁忌症之病人，應立即停止以本藥品治療。</u></p> <p><u>(2) 治療18個月後，以用藥前1年為基</u></p>	

修訂後給付規定	原給付規定
<p><u>準未達治療目標者。</u></p> <p><u>(3) 停經後持續治療18個月且無急性發作者。</u></p> <p><u>7. 本藥品不可合併使用human hemin預防性治療(prophylactic hemin)。</u></p> <p><u>8. 使用3年後未再發作或大幅改善可先暫停用藥，得視病情需要重新申請使用。</u></p>	

備註：劃線部分為新修訂規定