

「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 114 年 12 月 1 日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
1. 6. 8. <u>Eladocagene exuparvovec(如 Upstaza) : (114/12/1)</u> <u>1. 限用於經衛生福利部國民健康署認定之治療年齡在 18 個月以上至未滿 6 歲，且經臨床、生化和基因證實確診為具嚴重表現型之芳香族 L-胺基酸類脫羧基酶缺乏症(Aromatic L-Amino acid decarboxylase deficiency, AADC deficiency)病人，並符合下列所有條件者：</u> <u>(1)年齡在 12 個月以上但無頭部控制能力或頭部控制不佳。</u> <u>(2)已使用多巴胺促效劑和單胺氧化酶抑制劑 (MAOIs, Monoamine oxidase inhibitor) 藥物治療後，仍無法控制疾病。</u> <u>2. 需經特殊專案審查核准後使用：</u> <u>(1)檢附神經外科醫師評估病人頭蓋骨發育已足以進行立體定位手術之病歷。</u> <u>(2)檢附病歷資料，包括治療前的標準運動功能評估(參見第 7 點療效評估)，確認病人雖已接受標準藥物療法 2 個月，仍存在由 AADC 缺乏症繼發的持續性神經症狀。</u> <u>(3)檢附醫病共享決策(Shared Decision Making, SDM)之輔助評估表資料，並請病人(或法定代理人)簽名，正本留存病歷。</u> <u>(4)檢附病人(或法定代理人)簽署「全民健康保險保險對象使用 eladocagene exuparvovec 基因</u>	無

修訂後給付規定	原給付規定
<u>療法製劑協議書」影本，正本留存病歷。</u> <u>3. 醫院及執行治療之醫師資格須先經保險人審核同意後，後續始得依個案申請特殊專案審查，另醫院及執行治療之醫師變更時應重新向保險人申請。</u> <u>4. 執行治療之醫院須符合下列所有資格：</u> <u>(1)須為台灣神經外科醫學會所認定之專科醫師訓練的醫學中心。</u> <u>(2)應有專任具兒童麻醉、兒童重症加護專長之醫師。</u> <u>(3)需有腦瘤立體定位手術(但不包括放射治療手術)每年 30 例以上經驗。</u> <u>(4)須具備兒童加護病房及基因治療調劑室，並有基因治療調劑經驗之醫學中心。</u> <u>(5)備有完善腦部精準定位手術導航系統，深層腦部刺激器之立體定位套組。</u> <u>5. 執行治療之醫師須符合下列資格：</u> <u>(1)手術主持醫師：須為神經外科專科醫師，曾參與完成 30 例以上之立體定位手術經驗，其中至少 5 例為兒童(包括 1 例為未滿 3 歲)之立體定位手術，並有「AADC 基因療法」(含病毒注射)經驗者。</u> <u>(2)處方醫師：須為小兒專科醫師 5 年以上經驗，並具小兒遺傳或小兒神經次專科證書者，且具有參與 AADC 基因治療人體試驗之試驗主持人或該團隊中具處方本藥品之經歷。</u> <u>6. 排除條件：</u>	

修訂後給付規定	原給付規定
<u>(1)病人存在其他重大的醫學或神經狀況，導致有無法接受手術或麻醉的風險。</u> <u>(2)對影像檢查（電腦斷層掃描或磁共振造影）有禁忌症，包括對鎮靜的限制或可能干擾腦部磁共振造影的金屬植入物。</u> <u>(3)病人存在其他危及生命的疾病，預期無法從此基因治療中獲益。</u> <u>7.療效評估時機、判定及執行者：</u> <u>(1)評估時機：</u> <u>I.治療前。</u> <u>II.治療後第一年每3個月評估1次，之後為每6個月評估一次。</u> <u>(2)評估方式，必須包括以下兩大項：</u> <u>I.標準運動功能：必須完成下列評估：</u> <u>i.PDMS-2。</u> <u>ii.WHO motor milestones。</u> <u>II.理學與神經學檢查：發展里程碑、生長發育(身高、體重)、肌肉張力、肌張力失調、肌肉力量，和深層肌腱反射反應。</u> <u>(3)標準運動功能評估執行者：需由受過訓練之兒童遺傳科或兒童神經科專科醫師或物理治療師執行。</u> <u>8.使用本類藥品須評估追蹤療效，且每年均需符合下列各條件：</u> <u>(1)存活。</u> <u>(2)用藥後追蹤標準運動功能評估分數皆不低於起始治療前該項標準運動功能第1次評估分數。</u> <u>(3)用藥後發展里程碑不低於起始治</u>	

修訂後給付規定	原給付規定
<u>療前之評估結果。</u>	

備註：劃線部分為新修訂規定

附表三十八-全民健康保險保險對象使用eladocagene exuparvovec基因療法製劑協議書

衛生福利部中央健康保險署（以下簡稱甲方）為辦理全民健康保險（以下稱本保險）業務與保險對象（姓名）（以下簡稱乙方）就含 eladocagene exuparvovec 基因療法製劑（商品名稱為「Upstaza」，以下簡稱本協議藥品）之給付事宜簽訂本協議書，內容如下：

壹、 甲方同意乙方申請使用 eladocagene exuparvovec 基因療法製劑，於符合本協議藥品給付規定並經特殊專案審查核准時，委由本保險特約醫事服務機構（機構名稱）施打本協議藥品及相關作業事宜。

貳、 甲方授權（特約醫事服務機構名稱）（○○○醫師）代表告知乙方下列事項與應負擔義務，並經乙方同意如下：

- 一、 乙方使用 eladocagene exuparvovec 基因療法製劑，需依照本協議藥品給付規定內容（包括且不限於施打劑量、次數、方式、地點），並於使用該基因療法製劑之日起第一年每3個月，之後為每6個月主動回到施打該藥品之醫院進行療效評估及復健訓練，且至少持續10年。
- 二、 乙方應配合並同意甲方蒐集運用相關醫療資訊，作為後續醫療給付核定依據及效益評估之參考。
- 三、 乙方或其法定代理人任一人，如發生聯絡方式(地址、電話…)變更、遷移他地或其他情事，致無法按時回院進行療效評估時，乙方及其法定代理人應於事由發生之日起30天內以書面通知甲方及施打藥品之特約醫事服務機構，並提供變更後可確實連絡之方式與地址，必要時應檢附證明資料。
- 四、 本協議書不因乙方之法定代理人變更或喪失資格而失其效力，但乙方之法定代理人變更時，原法定代理人應主動告知繼任者本協議書之存在與內容。
- 五、 本協議書簽訂後，如發生法規變更或政策調整或廠商不再提供本協議藥品，甲方得減、免提供乙方本協議藥品，但應依全民健康保險相關法規採取其他方法協助乙方之治療。
- 六、 乙方及其法定代理人有未遵守本條第一項至第四項任一規定時，經甲方或施打藥品之特約醫事服務機構通知限期改善而未改善，甲方不予給付後續治療芳香族 L-胺基酸類脫羧基酶缺乏症(Aromatic L-Amino

acid decarboxylase deficiency, AADC deficiency)相關用藥及費用。乙方不得異議，亦不得要求任何補償。

參、本協議書正本二份，副本一份。正本由甲方、乙雙方各執一份存照，副本一份由甲方存照。

肆、本協議書之成立、解釋及執行應以中華民國法律為準據法，任何因本協議書有關之爭議，應以臺北高等行政法院為第一審管轄法院。

伍、本協議書未盡事宜，概以全民健康保險法暨相關法規、行政程序法第三章行政契約及民法等辦理或補充之。

甲方：衛生福利部中央健康保險署

代表人：

地址：臺北市大安區信義路3段140號

電話：

乙方：

出生日期： 年 月 日

身分證號：

地址：

法定代理人（未成年人需經法定代理人之同意）：

與乙方之關係：

法定代理人之身分證號：

地址：

電話：

中華民國 年 月 日