

## 藥品給付規定」修訂對照表

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

(自 108 年 5 月 1 日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
<p>3.3.13.Agalsidase alfa 及 agalsidase beta (如 Replagal Infusion 及 Fabrazyme Injection) (102/1/1、103/9/1、108/5/1)：</p> <p>1.限用於</p> <p><u>(1)確定診斷為典型法布瑞氏症之患者且符合下列條件之一者使用：(108/5/1)</u></p> <p>I.<u>肢端疼痛，排汗障礙，或中風</u></p> <p>II.蛋白尿、微量白蛋白尿 (Microalbuminuria)</p> <p>III.<u>不整脈(附表第 7 項)或心室肥大</u></p> <p><u>(2)對於法布瑞氏症非典型患者，符合下列條件之一者：(108/5/1)</u></p> <p>I.<u>經腎臟或心臟切片證實與法布瑞氏症相關。(108/5/1)</u></p>	<p>3.3.13.Agalsidase alfa 及 agalsidase beta (如 Replagal Infusion 及 Fabrazyme Injection) (102/1/1、103/9/1)：</p> <p>1.限用於</p> <p>(1)患者白血球或血漿 alpha-galactosidase A 活性缺乏，或是患者之 alpha- galactosidase A 基因上存在有已知或必然會引起法布瑞氏症之突變且符合下列條件之一者使用：</p> <p>I.<u>出現肢端疼痛或排汗障礙症狀；</u></p> <p>II.<u>出現蛋白尿、微量白蛋白尿 (Microalbuminuria)、不整脈或心室肥大等表徵；</u></p> <p>(2)法布瑞氏症心臟變異型(Cardiac Variant)患者且符合下列條件之一者使用：</p> <p>I.<u>除了心臟病變外，且已合併出現法布瑞氏症神經、皮膚、腦部之病徵(例如肢端疼痛、排汗障礙症狀、或中風等)或腎臟病變(例如蛋白尿或微蛋白尿並經切片證實與法布瑞氏症相關)；</u></p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p>II. <u>法布瑞氏症 IVS4 +919G&gt;A 基因型患者</u>，符合「<u>法布瑞氏症心臟變異型心臟功能評估指標表</u>」(附表)第 1 項至第 9 項中，至少兩項指標，<u>且心臟組織切片檢查(cardiac biopsy)證實有 GL3 或 lyso-Gb3 脂質堆積者 (103/9/1、108/5/1)</u>。</p> <p>具法布瑞氏症 Cardiac Variant 基因者，申請法布瑞氏症酵素補充治療時，需檢附相關檢查及檢驗資料，以及至少半年之高血壓或糖尿病心肌病變危險因子之治療紀錄。<u>糖尿病經過治療且 HbA1c(糖化血色素) &lt;7 者，始可接受酵素補充治療。(108/5/1)</u></p> <p>2.標準劑量 Fabrazyme 1 mg/Kg/every 2 weeks；Replagal 0.2mg/Kg/every 2 weeks。<u>針對症狀輕微病人，可以考慮減量治療，是否減量治療由主治醫師決定之。(108/5/1)</u></p> <p>3.需經事前審查核准後使用，每次申請之療程以 1 年為限，申請續用時需檢送酵素補充治療療效評估資料，若符合下列條件之一，則不予同意使用： <u>(1)嚴重心臟疾病或嚴重心肌纖維化</u></p>	<p>II.除了具法布瑞氏症 <u>Cardiac Variant</u> 基因者，<u>且符合「法布瑞氏症心臟變異型心臟功能評估指標表」(附表)第 1 項至第 9 項中，至少兩項指標，則可於接受心臟組織切片檢查 (cardiac biopsy)證實有 GL3 或 lyso-Gb3 脂質堆積者：(103/9/1)</u></p> <p><u>(I)除了具法布瑞氏症 Cardiac Variant 基因者，且同時具有明確的高血壓或糖尿病等心肌病變危險因子，應讓患者妥善控制此等危險因子半年後，如有需要，再進行是否需要法布瑞氏症酵素補充治療之評估。</u></p> <p><u>(II)申請時，需檢附相關檢查及檢驗資料，以及至少半年之高血壓或糖尿病心肌病變危險因子之治療紀錄。</u></p> <p>2.標準劑量 Fabryzyme 1 mg/Kg/every 2 weeks；Replagal 0.2mg/Kg/every 2 weeks。</p> <p>3.需經事前審查核准後使用，每次申請之療程以 1 年為限，申請續用時需檢送酵素補充治療療效評估資料，若符合下列條件之一，則不予同意使用。 <u>(1)心臟 MRI 檢查若心肌纖維化程度惡</u></p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p>(2)<u>腎臟變異型法布瑞氏症病人合併末期腎臟疾病 (108/5/1)</u></p> <p>(3)<u>嚴重認知退化經診斷為中、重度失智症 (108/5/1)</u></p> <p>(4)<u>由於末期法布瑞氏症或其他疾病，以致預期生存壽命少於一年 (108/5/1)</u></p> <p>4.治療前應與患者及家屬充分溝通告知下列事項，並請其簽名確認已被告知，留存病歷備查：</p> <p>(1)確定其了解治療的預期效果。</p> <p>(2)患者有義務接受定期追蹤評估，如無明顯療效 (<u>如上述 3 所列</u>)，主治醫師在向患者及家屬清楚解釋後，應停止 agalsidase alfa 或 agalsidase beta 之治療。(108/5/1)</p> <p>(3)女性患者之角膜病變 Cornea Verticillata 為良性症狀。</p> <p>5.每一年須重新評估一次，追蹤檢查項目如下：</p> <p>(1)腎功能(EGFR)；</p> <p>(2)尿蛋白(尿蛋白或微尿蛋白)；</p> <p>(3)血漿或尿液 GL3；</p> <p>(4)血漿或尿液 lyso-Gb3；</p> <p>(5)疼痛狀態；</p> <p>(6)中風次數；</p>	<p>化為重度嚴重程度時；</p> <p>(2)以心臟 MRI 檢查左心室質量指數增加大於 10% 以上或以心臟超音波檢查左心室質量指數增加大於 20% 以上；</p> <p>(3)因心衰竭及心律不整住院治療；</p> <p>(4)因心律不整需接受去顫器或心律調節器植入治療。</p> <p>4.治療前應與患者及家屬充分溝通告知下列事項，並請其簽名確認已被告知，留存病歷備查：</p> <p>(1)確定其了解治療的預期效果。</p> <p>(2)患者有義務接受定期追蹤評估，如無明顯療效，主治醫師在向患者及家屬清楚解釋後，應停止 agalsidase alfa 或 agalsidase beta 之治療。</p> <p>(3)女性患者之角膜病變 Cornea Verticillata 為良性症狀。</p> <p>5.每一年須重新評估一次，追蹤檢查項目如下：</p> <p>(1)腎功能(EGFR)；</p> <p>(2)尿蛋白(尿蛋白或微尿蛋白)；</p> <p>(3)血漿或尿液 GL3；</p> <p>(4)血漿或尿液 lyso-Gb3；</p> <p>(5)疼痛狀態；</p> <p>(6)中風次數；</p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p>(7)病患是否有出現新的心臟病或原心臟病是否有惡化情形(出現新的心肌梗塞、心律不整需心臟電擊整流或藥物治療、心跳過緩、房室傳導阻斷或其他心律疾病需心律調節器的植入治療，心臟衰竭需住院治療)。</p> <p>(8)心肺功能狀態 (紐約心臟學會心功能分級 NYHA functional class 及 6 分鐘走路測驗或運動心電圖測驗)。</p> <p>(9)靜態心電圖、24 小時 Holter 心電圖與心臟超音波。心臟超音波檢查時之基本項目： 左心室舒張期直徑、左心室後壁厚度、左心室前壁厚度、左心室質量與質量身高比、心房大小測量、左心室舒張功能測量(包含組織超音波)、心室後壁輻射向應變率、心中膈縱向應變率與心側壁縱向應變率、心臟瓣膜功能。超音波左心室質量與質量身高比、心室後壁輻射向應變率、心側壁縱向應變率。</p> <p>(10)若初次心臟磁振造影(MRI)檢查時有心肌纖維化的病患，追蹤時應做心臟磁振造影；其他患者建議每兩年做心臟磁振造影追蹤檢查。</p>	<p>(7)病患是否有出現新的心臟病或原心臟病是否有惡化情形(出現新的心肌梗塞、心律不整需心臟電擊整流或藥物治療、心跳過緩、房室傳導阻斷或其他心律疾病需心律調節器的植入治療，心臟衰竭需住院治療)。</p> <p>(8)心肺功能狀態 (紐約心臟學會心功能分級 NYHA functional class 及 6 分鐘走路測驗或運動心電圖測驗)。</p> <p>(9)靜態心電圖、24 小時 Holter 心電圖與心臟超音波。心臟超音波檢查時之基本項目： 左心室舒張期直徑、左心室後壁厚度、左心室前壁厚度、左心室質量與質量身高比、心房大小測量、左心室舒張功能測量(包含組織超音波)、心室後壁輻射向應變率、心中膈縱向應變率與心側壁縱向應變率、心臟瓣膜功能。超音波左心室質量與質量身高比、心室後壁輻射向應變率、心側壁縱向應變率。</p> <p>(10)若初次心臟磁振造影(MRI)檢查時有心肌纖維化的病患，追蹤時應做心臟磁振造影；其他患者建議每兩年做心臟磁振造影追蹤檢查。</p>
法布瑞氏症心臟變異型心臟功能評估指	法布瑞氏症心臟變異型心臟功能評估指

修訂後給付規定		原給付規定	
標表 (修訂規定)		標表 (原規定)	
1	左心室厚度>12mm。	1	左心室厚度>12mm。
2	心電圖左心室肥厚 (ECG LVH Romhilt-Estes score>5 或符合 Cornell's criteria)	2	心電圖左心室肥厚 (ECG LVH Romhilt-Estes score>5 或符合 Cornell's criteria)
3	<u>心臟超音波左心室質量指數 (LVMI) 男性大於 51 gm/m<sup>2.7</sup>, 女性大於 48 gm/m<sup>2.7</sup>, LVMI。(108/5/1)</u>	3	心臟超音波左心室質量指數 (LVMI) 男性大於 134 gm/m <sup>2</sup> , 女性大於 110gm/m <sup>2</sup> LVMI。
4	心臟超音波左心室舒張功能異常 E/A ratio>2.0 及 deceleration time<150 msec 或組織超音波顯示舒張功能異常(二尖瓣環部中膈 E/E' >15 或側壁 E/E'>12).	4	心臟超音波左心室舒張功能異常 E/A ratio>2.0 及 deceleration time<150 msec 或組織超音波顯示舒張功能異常(二尖瓣環部中膈 E/E' >15 或側壁 E/E'>12).
5	間隔至少超過 12 個月測量左心室質量 (LVM) 增加>5g/m <sup>2</sup>	5	間隔至少超過 12 個月測量左心室質量 (LVM) 增加>5g/m <sup>2</sup>
6	<u>心臟超音波左心房體積增加&gt;34 mL/m<sup>2</sup> body surface area (BSA) (108/5/1)</u>	6	心臟超音波左心房體積增加，parasternal long axis view(PLAX)>33 mm, in four chamber view>42 mm.
7	心肌與節律出現異常：AV block, short PR interval, LBBB, ventricular or atrial tachyarrhythmias, sinus bradycardia(在沒有使用抑制心律的藥物下)	7	心肌與節律出現異常：AV block, short PR interval, LBBB, ventricular or atrial tachyarrhythmias, sinus bradycardia(在沒有使用抑制心律的藥物下)
8	中度到重度的二尖瓣與主動瓣膜	8	中度到重度的二尖瓣與主動瓣膜

修訂後給付規定		原給付規定	
	閉鎖不全		閉鎖不全
9	心臟磁振造影心肌延遲顯影 (delayed enhancement) 出現左心室的輕度到中度纖維化。	9	心臟磁振造影心肌延遲顯影 (delayed enhancement) 出現左心室的輕度到中度纖維化。

備註：劃線部份為新修訂之規定。