

「藥品給付規定」修訂對照表

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

(自115年10月1日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
3. 3. 28. Migalastat hydrochloride (如 Galafold)：(112/8/1、114/2/1、<u>115/10/1</u>) 1. 本品不適用於治療法布瑞氏症 IVS4+919G>A(c. 639+919G>A) 基因型病人。 2. 須為 <u>12 歲</u> 以上，經衛生福利部國民健康署認定之法布瑞氏症病人且體外試驗確定為可符合性基因突變 (amenable mutation) 【請參照 https://www.galafoldamenabilitytable.com.tw/】 (<u>112/8/1、115/10/1</u>) 3. 病人須符合以下診斷條件： (1)確定診斷為法布瑞氏症典型患者，須符合下列條件之一： I. 出現肢端疼痛排汗障礙，或中風 II. 蛋白尿、微量白蛋白尿 (Microalbuminuria) III. 不整脈(附表心電圖 [ECG] 第 2 項)或心室肥大 (2)確定診斷為法布瑞氏症非典型患者，須符合下列條件之一： I. 經腎臟切片證實與法布瑞氏症相關之法布瑞氏症腎臟型	3. 3. 28. Migalastat hydrochloride (如 Galafold)：(112/8/1、114/2/1) 1. 本品不適用於治療法布瑞氏症 IVS4+919G>A(c. 639+919G>A) 基因型患者。 2. <u>病患須符合 16 歲</u> 以上，確定診斷為法布瑞氏症之患者且體外試驗確定為可符合性基因突變 (amenable mutation) 【請參照 https://www.galafoldamenabilitytable.com.tw/】 3. 病患須符合以下診斷條件： (1)確定診斷為法布瑞氏症典型患者，須符合下列條件之一： I. 出現肢端疼痛排汗障礙，或中風 II. 蛋白尿、微量白蛋白尿 (Microalbuminuria) III. 不整脈(附表心電圖 [ECG] 第 2 項)或心室肥大 (2)確定診斷為法布瑞氏症非典型患者，須符合下列條件之一： I. 經腎臟切片證實與法布瑞氏症相關之法布瑞氏症腎臟型

修訂後給付規定	原給付規定
患者，需檢附蛋白尿、微量白蛋白尿 (Microalbuminuria) 相關資料。 II. 法布瑞氏症 IVS4+919G>A 基因型以外之心臟型患者，於「法布瑞氏症心臟變異型心臟功能評估指標表」(詳罕見疾病通報審查基準表)之「心電圖」、「心臟超音波」、「心臟核磁共振檢查報告」及「實驗室檢查報告」4 個部分中，每個部份需符合至少 1 項指標並提具該指標檢測報告，且心臟組織切片檢查 (cardiac biopsy) 證實有 GL3 或 lyso-Gb3 脂質堆積者；且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。糖尿病經過治療且 HbA1c(糖化血色素)<7 者，始可接受酵素補充治療。(103/9/1、108/5/1、114/2/1)。 4. 排除使用於無法接受換腎之末期腎臟疾病合併有嚴重心臟衰竭(NYHA class IV) 5. 使用劑量：每間隔 1 日 1 次，每次服用 1 粒。 6. 本藥品不能與 pegunigalsidase alfa、agalsidase alfa 或	患者，需檢附蛋白尿、微量白蛋白尿 (Microalbuminuria) 相關資料。 II. 法布瑞氏症 IVS4+919G>A 基因型以外之心臟型患者，於「法布瑞氏症心臟變異型心臟功能評估指標表」(詳罕見疾病通報審查基準表)之「心電圖」、「心臟超音波」、「心臟核磁共振檢查報告」及「實驗室檢查報告」4 個部分中，每個部份需符合至少 1 項指標並提具該指標檢測報告，且心臟組織切片檢查 (cardiac biopsy) 證實有 GL3 或 lyso-Gb3 脂質堆積者；且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。糖尿病經過治療且 HbA1c(糖化血色素)<7 者，始可接受酵素補充治療。(103/9/1、108/5/1、114/2/1)。 4. 排除使用於無法接受換腎之末期腎臟疾病合併有嚴重心臟衰竭(NYHA class IV) 5. 使用劑量：每間隔 1 日 1 次，每次服用 1 粒。 6. 本藥品不能與 pegunigalsidase alfa、agalsidase alfa 或

修訂後給付規定	原給付規定
agalsidase beta 合併使用。 7. 需經事前審查核准後使用，每次申請之療程以1年為限，申請續用時需檢送療效評估資料，若符合下列條件之一，則不予同意使用： (1)~(9)略。 8. 治療前應與患者及家屬充分溝通知下列事項，並請其簽名確認已被告知，留存病歷備查： (1)~(3)略。 9. 每一年須重新評估一次，追蹤檢查項目如下：(114/2/1) (1)~(9)略。 10. 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。逾期未登錄結案者，系統自動結案，且不予支付該個案自前次事前審查核定日後申報之藥費。(114/2/1)	agalsidase beta 合併使用。 7. 需經事前審查核准後使用，每次申請之療程以1年為限，申請續用時需檢送療效評估資料，若符合下列條件之一，則不予同意使用： (1)~(9)略。 8. 治療前應與患者及家屬充分溝通知下列事項，並請其簽名確認已被告知，留存病歷備查： (1)~(3)略。 9. 每一年須重新評估一次，追蹤檢查項目如下：(114/2/1) (1)~(9)略。 10. 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。逾期未登錄結案者，系統自動結案，且不予支付該個案自前次事前審查核定日後申報之藥費。(114/2/1)

備註：劃線部分為新修訂規定