

病友意見分享

- 截至2022年4月6日止，共收集到7筆病友意見，分別來自2位病人^a及4位照顧者^b，其中1位病友有teduglutide之使用經驗。
- 本品使用經驗：
 - 病友經由廠商贊助而接受本品治療，該位病友透過網路查詢取得本品相關資料並對給予正面評價，表示使用本品可改善日常活動，增加社交時間。

a 其中1位病人在不同時間填寫兩筆病友意見，分別為蒐集自20位病童及照顧者以及訪談國外病童家長蒐集相關意見

b 其中1位照顧者透過訪談及截圖見證分享5至10位病友相關意見

1

病友意見分享

- 醫療現況：
 - 目前健保並未給付短腸症之藥物及手術，治療方式僅有每日輸注時間長達12小時以上之全靜脈營養（TPN）輸注。
 - 施打TPN副作用主要為血液感染及肝功能損傷。
 - 靜脈營養裝置因照護不易，常出現管路破損及感染導致病人頻繁住院及開刀，而長時間住院使用抗生素也容易引起其他併發症。有一位病友表示由於靜脈血管硬化及萎縮，將面臨無合適血管可施打TPN之困境。
 - 長期使用TPN可能引發黃疸及肝衰竭，除定期追蹤及使用藥品控制外，可能需要降低TPN使用量來緩解症狀，但會使得病人無法攝取足夠營養，造成生長遲緩。

2

病友意見分享

● 生活品質面（病人）：

- 飲食方面由於病人容易有腸胃道不適、血糖及營養不均衡、酸中毒及嘔吐等問題，對於攝取食物及水分時需額外注意，而時常腹瀉致使病友不敢搭乘大眾運輸及出門。飲食與TPN之限制導致生長發育受限。另有病友提到貧血及容易出血之狀況。
- 在行動能力方面，病人受限於管線無法自由活動，連帶影響肢體協調及生活自理能力，長期輸注亦使得管線固定處搔癢。此外，病人多於晚上施打TPN，無法出門過夜，睡眠也因為點滴幫浦聲響及管線纏繞而受到干擾。
- 由於TPN輸注與反覆感染住院，不易外出，導致病童社交參與機會減少，無法正常上學；對於嬰幼兒，抽血和注射治療也使得病人心生恐懼，容易沒有安全感及情緒不穩定。

3

病友意見分享

● 生活品質面（照顧者）：

- 每日需花費大量時間與精力照顧病人，包含清潔替換的衣物床單及點滴管路之照護等，有病友提及每日需花費一個半小時更換管線與傷口之藥品。同時也因為TPN輸注時間長，照顧者難以參與社交。而夜間也因為擔心管線纏繞或凹折、管內氣泡、病人自拔管線等問題，影響睡眠品質。
- 由於托嬰中心或保母皆不接受裝有人工血管之嬰幼兒，照顧者需全職照顧，影響家庭經濟。其中一位病友表示因為病人感染風險高，需盡量減少接觸者，最多只有托家中長輩照顧數小時。
- 照顧者因為害怕病人感染及其他風險，致使心理壓力大，精神長期處於高壓狀態，有病友自述時常感覺全身肌肉緊繃，且無法顧及家中其他孩童。

4

病友意見分享

● 對新治療的期待：

- 病友期待新藥能增強自體營養吸收能力，恢復腸道自主，減少TPN使用量及施打時間，增進生活品質；甚至可以脫離TPN，杜絕感染及肝衰竭的風險並減少住院機率，不需隨時擔心病人狀況及請假，並可提升病童動作發展，可以正常過生活。

病友意見分享

- 截至2022年3月15日止，共收集到5筆病友意見，由1個病友團體、1位病人及2位照顧者^a提供。其中癌症希望基金會透過問卷共蒐集到3位病友的意見，2位有avapritinib之使用經驗。
- 本品使用經驗：
 - 2位病人皆由家屬代填使用經驗，照顧者認為新藥可以控制癌症及症狀，並提升生活品質，對於照顧病人有幫助，但醫療費用造成家庭經濟沉重負擔。
 - 其中1位病友為第一期且具有D842V突變，曾使用新藥5天後停藥，未說明停藥原因。
 - 另1位病友提及使用時因出現新症狀而腹脹無法進食，但使用上很方便

a 其中1位照顧者在不同時間填寫兩筆病友意見

1

病友意見分享

- 醫療現況：
 - 病友曾接受過的治療方式為手術及標靶藥品治療，亦有一位病友接受過化療。
 - 具D842V突變的病友提及健保目前未有合適的標靶藥品；其中一位經檢測為PDGFRA外顯子18突變之病友，於一線使用imatinib（基利克）治療效果不佳，於後續療程未進行服藥，僅定期以超音波及斷層掃描檢查病況。

病友意見分享

● 生活品質面：

- 多位病友皆提到有腸胃道問題（包含腹脹、便秘、腹瀉、胃食道逆流）、虛弱無力和疲倦、疼痛及水腫；在飲食方面，病人有食慾不振、吞嚥時有窒礙感及噁心嘔吐等症狀。
- 另有病人表示血球數不足、暈眩、容易受傷和失眠等問題，以及患處潰爛失血導致吐血、血便及貧血之現象。
- 照顧者之工作也由於需定期陪同病人進行檢驗檢查而受影響，且後續醫療費用也對心理造成很大負擔，無心從事社交活動。
- 具D842V突變的病友提及無藥可用造成極大的心理壓力及情緒低落，而若需自費使用本品，其高昂的費用也引起病友極大的心理壓力。

3

病友意見分享

● 對新治療的期待：

- 病友期待新藥能改善虛弱無力的問題，緩解患部潰爛致使之飲食障礙，並抑制腫瘤成長，甚至縮小腫瘤，讓生活得以正常。
- 期望本品可納入健保，減少罹癌家庭經濟負擔。

4