

「藥品給付規定」修訂對照表(草案)

第 1 節 神經系統藥物 Drugs acting on the nervous system

(自112年8月1日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
<u>1. 6. 7. Onasemnogene</u> <u>abeparvovec (如 Zolgensma</u> <u>suspension for</u> <u>Intravenous Infusion):</u> <u>(112/8/1)</u> <u>1. 限用於治療年齡 6 個月以</u> <u>下，經標準檢測方法</u> <u>MLPA(Multiplex Ligation-</u> <u>Dependent Probe</u> <u>Amplification)或 NGS(Next</u> <u>Generation Sequencing)檢</u> <u>測基因確診，及 SMN2 基因檢</u> <u>驗報告，且經衛生福利部國</u> <u>民健康署認定之脊髓性肌肉</u> <u>萎縮症(Spinal muscular</u> <u>atrophy, SMA)病人，但不適</u> <u>用於已使用呼吸器每天 12 小</u> <u>時以上，且連續 30 天以上</u> <u>者。</u> <u>2. 需檢附下列資料，經 2 位以</u> <u>上專家之專家小組特殊專案</u> <u>審查核准後使用：</u> <u>(1)經衛生福利部國民健康署</u> <u>認定 SMA 罕見疾病個案之</u> <u>臨床症狀影片：</u>	無

修訂後給付規定	原給付規定
<u>I. 經新生兒篩檢(含產前診斷), SMN2 基因拷貝數≤ 2, 內容需至少出現1項肌肉相關異常:</u> <u>i. 新生兒姿態異常。</u> <u>ii. 新生兒哭聲弱。</u> <u>iii. 新生兒肌張力低下。</u> <u>II. 非經新生兒篩檢(含產前診斷), SMN2 基因拷貝數≤ 3, 內容需包含下列各項:</u> <u>i. 全身性低張力及對稱性近側端為主的肌無力。</u> <u>ii. 深部肌腱反射減低或消失, 如:膝反射、踝反射、二頭肌反射。</u> <u>(2)病歷摘要。</u> <u>(3)標準運動功能評估(CHOP INTEND、HINE Section 2、WHO motor milestones)之影片, 倘上述評估項目任一項已達滿分, 應繼續評估下列任一項目</u> <u>I. BAYLEY-III(gross motor skills)。</u> <u>II. 若以 HFMSE 評估須滿兩歲。</u> <u>III. 若以 RULM 評估須滿兩歲六個月。</u>	

修訂後給付規定	原給付規定
<u>3. 排除條件：</u> <u>(1) 需使用侵入性呼吸器或血氧飽和度<95%。</u> <u>(2) 經酵素免疫分析法檢測，血液中 Anti-AAV9 抗體效價>1:50。</u> <u>(3) 已使用過 Nusinersen 或 Risdiplam。</u> <u>4. 療效評估時機、判定及執行者：</u> <u>(1) 標準運動功能評估時機：</u> <u>I. Onasemnogene abeparvovec 治療前。</u> <u>II. Onasemnogene abeparvovec 治療後，每 4 個月評估 1 次，倘 CHOP INTEND 或 HINE Section 2 或 WHO motor milestones 任一項評估已達滿分，應繼續評估下列任一項目：</u> <u>i. BAYLEY-III (gross motor skills)。</u> <u>ii. 若以 HFMSE 評估須滿兩歲。</u> <u>iii. 若以 RULM 評估須滿兩歲六個月。</u> <u>(2) 標準運動功能評估判定者：</u>	

修訂後給付規定	原給付規定
<u>I. 需由提供 Onasemnogene abeparvovec 治療之兒科專科醫師選擇下列各項適合療效評估工具，並判定評估結果：</u> <u>i. CHOP INTEND。</u> <u>ii. HINE Section 2。</u> <u>iii. WHO motor milestones。</u> <u>II. 倘上述任一項目評估已達滿分，則以下列任一項目繼續評估：</u> <u>i. BAYLEY-III (gross motor skills)。</u> <u>ii. 若以 HFMSE 評估須滿兩歲。</u> <u>iii. 若以 RULM 評估須滿兩歲六個月。</u> <u>(3)標準運動功能評估執行者：</u> <u>需由受過訓練之兒科專科醫師或物理治療師執行。</u> <u>5. 使用本類藥品治療每年應檢附年度追蹤報告書，包括每4個月評估1次之標準運動功能、發展里程碑之錄影影片，並評估追蹤療效(下列評估需在 SMA 病人非急性住院期間執行，且病人需遵從標準支持治療)，且每年均需符</u>	

修訂後給付規定	原給付規定
<u>合下列各條件：</u> <u>(1)存活。</u> <u>(2)在非急性住院期間，不得使用呼吸器每天 12 小時以上，且連續 30 天以上。醫師須提交第 1、5、10、30 天之錄影影片。</u> <u>(3)用藥後追蹤 CHOP INTEND、HINE Section 2、WHO motor milestones 評估分數至少有一次不低於起始治療前該項標準運動功能第 1 次評估分數。如上述評估項目之評估分數每次均低於起始治療前該項標準運動功能之第 1 次評估分數，則表示未達療效。</u> <u>(4)倘 CHOP INTEND 或 HINE Section 或 WHO motor milestones 任一評估分數已達滿分，應繼續評估下列任一項目，且評估分數至少有一次不低於開始該項標準運動功能第 1 次評估分數。若評估項目之評估分數每次均低於開始該項標準運動功能之第 1 次評估分數，則表示未達療效。</u>	

修訂後給付規定	原給付規定
<u>i .BAYLEY-III(gross motor skills)。</u> <u>ii. 若以 HFMSE 評估須滿兩歲。</u> <u>iii. 若以 RULM 評估須滿兩歲六個月。</u> <u>(5)用藥後追蹤發展里程碑(獨自坐立≥ 30 秒或獨自站立≥ 10 秒或獨自行走≥ 5 步),不得有退化。</u> <u>6. 使用本藥品需完成個案系統登錄, 亦需登錄每次評估療效或停止評估後, 於此系統登錄結案。</u> <u>7. Onasemnogene abeparvovec 或 nusinersen 或 risdiplam 限擇一使用, 且不得互換。</u>	
1.6. 其他 Miscellaneous 1.6.4. Nusinersen(如 Spinraza)、risdiplam (如 Evrysdi) : (109/7/1、109/10/1、112/4/1、112/6/1、<u>112/8/1</u>) 1. 限用經標準檢測方法 MLPA(Multiplex Ligation Dependent Probe Amplification) 或 NGS 檢測	1.6. 其他 Miscellaneous 1.6.4. Nusinersen(如 Spinraza)、risdiplam (如 Evrysdi) : (109/7/1、109/10/1、112/4/1、112/6/1) 1. 限用經標準檢測方法 MLPA(Multiplex Ligation Dependent Probe Amplification) 或 NGS 檢測

修訂後給付規定	原給付規定
SMN1 基因變異之個案，<u>且經衛生福利部國民健康署認定之脊髓性肌肉萎縮症(Spinal muscular atrophy, SMA)病人</u>，並具以下(1)、(2)、(3)、(4)、(5)、(6)任何一個條件：(112/4/1、112/6/1、112/8/1) (1)具3個(含)以下 SMN2 基因拷貝數，經新生兒篩檢即將發病之個案，限使用 nusinersen。(109/10/1、112/4/1) (2)Nusinersen 限使用於3歲內發病確診，且開始治療年齡未滿7歲者。(112/4/1) (3)Risdiplam 限使用於治療年齡兩個月以上，3歲內發病確診，且開始治療年齡未滿7歲者。(112/4/1) (4)Nusinersen 限使用3歲內發病確診且開始治療年齡滿7歲者，且臨床評估運動功能指標 RULM$\geq$15 之 SMA 個案。(112/4/1) (5)Risdiplam 限使用3歲內發病確診且開始治療年齡滿7歲至未滿18歲，且臨床評估運	SMN1 基因變異之個案，並具以下(1)、(2)、(3)、(4)、(5)、(6)任何一個條件：(112/4/1、112/6/1) (1)具3個(含)以下 SMN2 基因拷貝數，經新生兒篩檢即將發病之個案，限使用 nusinersen。(109/10/1、112/4/1) (2)Nusinersen 限使用於3歲內發病確診，且開始治療年齡未滿7歲者。(112/4/1) (3)Risdiplam 限使用於治療年齡兩個月以上，3歲內發病確診，且開始治療年齡未滿7歲者。(112/4/1) (4)Nusinersen 限使用3歲內發病確診且開始治療年齡滿7歲者，且臨床評估運動功能指標 RULM$\geq$15 之 SMA 個案。(112/4/1) (5)Risdiplam 限使用3歲內發病確診且開始治療年齡滿7歲至未滿18歲，且臨床評估運

修訂後給付規定	原給付規定
動功能指標 RULM$\geq$15。 (112/4/1、112/6/1) (6)Risdiplam 限使用於 3 歲內發病確診，且開始治療年齡滿 18 歲以上，且臨床評估運動功能指標 RULM$\geq$15，並經小兒神經專科、神經科醫師判定下列任一情形，致無法使用 nusinersen 藥品： (112/6/1) I. 施行過脊椎融合術 II. 脊椎側彎嚴重(Cobb Angle $\geq$50 度) III. 對於施行麻醉有困難 2. 需檢附下列資料，經二位以上專家之專家小組特殊專案審核核准後使用，每年檢附療效評估資料重新申請。 (1)符合衛生福利部國民健康署 SMA 罕見疾病個案通報審查標準之臨床症狀錄影之影片（內容必須包含： a. 全身肌張力低下， b. 全身四肢無力，近端比遠端嚴重且下肢比上肢嚴重， c. 深部肌腱反射，如：膝反射、踝反射、二頭肌反射等消失）。	動功能指標 RULM$\geq$15。 (112/4/1、112/6/1) (6)Risdiplam 限使用於 3 歲內發病確診，且開始治療年齡滿 18 歲以上，且臨床評估運動功能指標 RULM$\geq$15，並經小兒神經專科、神經科醫師判定下列任一情形，致無法使用 nusinersen 藥品： (112/6/1) I. 施行過脊椎融合術 II. 脊椎側彎嚴重(Cobb Angle $\geq$50 度) III. 對於施行麻醉有困難 2. 需檢附下列資料，經二位以上專家之專家小組特殊專案審核核准後使用，每年檢附療效評估資料重新申請。 (1)符合衛生福利部國民健康署 SMA 罕見疾病個案通報審查標準之臨床症狀錄影之影片（內容必須包含： a. 全身肌張力低下， b. 全身四肢無力，近端比遠端嚴重且下肢比上肢嚴重， c. 深部肌腱反射，如：膝反射、踝反射、二頭肌反射等消失）。

修訂後給付規定	原給付規定
(2)3 個 (含) 以下 SMN2 基因拷貝數之即將發病之個案，須附經標準檢測方法 MLPA 或 NGS 基因診斷技術報告。 (112/4/1) (3)臨床病歷摘要。 (4)標準運動功能評估 (CHOP INTEND、HINE section 2、HFMSE、RULM、WHO motor milestones、MFM32、6MWT) 錄影之影片。(112/4/1) 3. 排除條件：SMA 病友在非急性住院期間，連續 30 天 (含) 以上呼吸器的使用且每天超過 12 小時。 4. 療效評估方式及時機： (1)標準運動功能評估時機： I. Nusinersen 或 risdiplam 治療前。(112/4/1) II. 在 4 劑 loading doses 0、14、28、63 天) 後，每 4 個月給與 nusinersen maintain dose 治療前，若使用 risdiplam 則每 4 個月評估一次。(112/4/1) (2)標準運動功能評估：需由提供 nusinersen 或 risdiplam 治療之小兒神經專科、神經內	(2)3 個 (含) 以下 SMN2 基因拷貝數之即將發病之個案，須附經標準檢測方法 MLPA 或 NGS 基因診斷技術報告。 (112/4/1) (3)臨床病歷摘要。 (4)標準運動功能評估 (CHOP INTEND、HINE section 2、HFMSE、RULM、WHO motor milestones、MFM32、6MWT) 錄影之影片。(112/4/1) 3. 排除條件：SMA 病友在非急性住院期間，連續 30 天 (含) 以上呼吸器的使用且每天超過 12 小時。 4. 療效評估方式及時機： (1)標準運動功能評估時機： I. Nusinersen 或 risdiplam 治療前。(112/4/1) II. 在 4 劑 loading doses 0、14、28、63 天) 後，每 4 個月給與 nusinersen maintain dose 治療前，若使用 risdiplam 則每 4 個月評估一次。(112/4/1) (2)標準運動功能評估：需由提供 nusinersen 或 risdiplam 治療之小兒神經專科、神經內

修訂後給付規定	原給付規定
科醫師選擇下列適合療效評估工具並判定評估結果 (112/4/1) I .CHOP INTEND II .HINE section 2 III .HFMSE IV .RULM(起始治療年紀滿 7 歲以上病患必選) (112/6/1) V .WHO motor milestones VI . MFM32 (112/4/1) VII .6MWT(限使用於可行走之病患)(112/4/1) (3)醫師提交接受 nusinersen 或 risdiplam 治療之標準運動功能評估錄影之影片。 (112/4/1) (4)醫師提交接受 nusinersen 或 risdiplam 治療之 SMA 病友，每年的年度治療報告書包括標準運動功能評估項目、內容及錄影之影片。(112/4/1) (5)標準運動功能評估應由受過訓練之專科醫師，包含：小兒神經科、神經內科醫師、復健科醫師或物理治療師執行。 5. 停藥時機（下列評估需在 SMA 病友非急性住院期間執行）： 用藥後追蹤至少 2 項標準運動	科醫師選擇下列適合療效評估工具並判定評估結果 (112/4/1) I .CHOP INTEND II .HINE section 2 III .HFMSE IV .RULM(起始治療年紀滿 7 歲以上病患必選) (112/6/1) V .WHO motor milestones VI . MFM32 (112/4/1) VII .6MWT(限使用於可行走之病患)(112/4/1) (3)醫師提交接受 nusinersen 或 risdiplam 治療之標準運動功能評估錄影之影片。 (112/4/1) (4)醫師提交接受 nusinersen 或 risdiplam 治療之 SMA 病友，每年的年度治療報告書包括標準運動功能評估項目、內容及錄影之影片。(112/4/1) (5)標準運動功能評估應由受過訓練之專科醫師，包含：小兒神經科、神經內科醫師、復健科醫師或物理治療師執行。 5. 停藥時機（下列評估需在 SMA 病友非急性住院期間執行）： 用藥後追蹤至少 2 項標準運動

修訂後給付規定	原給付規定
功能評估(CHOP INTEND、HINE section 2、HFMSE、RULM、WHO motor milestones、MFM32、6MWT)，兩項評估分數每次均低於起始治療前該項標準運動功能之第1次評估分數。(112/4/1) 6. 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。 7. Nusinersen 或 risdiplam 或 <u>onasemnogene abeparvovec</u> 限擇一使用，且不得互換。 (112/4/1、112/8/1)	功能評估(CHOP INTEND、HINE section 2、HFMSE、RULM、WHO motor milestones、MFM32、6MWT)，兩項評估分數每次均低於起始治療前該項標準運動功能之第1次評估分數。(112/4/1) 6. 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。 7. Nusinersen 或 risdiplam 限擇一使用，且不得互換。 (112/4/1)

備註：劃線部分為新修訂規定