

「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 6 月 1 日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
1.6. 其他 Miscellaneous 1.6.4. Nusinersen(如 Spinraza)、risdiplam (如 Evrysdi) : (109/7/1、109/10/1、112/4/1、<u>112/6/1</u>) 1. 限用經標準檢測方法 MLPA(Multiplex Ligation Dependent Probe Amplification) 或 NGS 檢測 SMN1 基因變異之個案，並具以下(1)、(2)、(3)、(4)、(5)、<u>(6)</u>任何一個條件：(112/4/1、<u>112/6/1</u>) (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	1.6. 其他 Miscellaneous 1.6.4. Nusinersen(如 Spinraza)、risdiplam (如 Evrysdi) : (109/7/1、109/10/1、112/4/1) 1. 限用經標準檢測方法 MLPA(Multiplex Ligation Dependent Probe Amplification) 或 NGS 檢測 SMN1 基因變異之個案，並具以下(1)、(2)、(3)、(4)、(5)任何一個條件：(112/4/1) (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

修訂後給付規定	原給付規定
估運動功能指標 RULM$\geq$15 之 SMA 個案。(112/4/1) (5)<u>Risdiplam 限使用 3 歲內發病確診且開始治療年齡滿 7 歲至未滿 18 歲，且臨床評估運動功能指標 RULM$\geq$15。</u> (112/4/1、112/6/1) (6)<u>Risdiplam 限使用於 3 歲內發病確診，且開始治療年齡滿 18 歲以上，且臨床評估運動功能指標 RULM$\geq$15，並經小兒神經專科、神經科醫師判定下列任一情形，致無法使用 nusinersen 藥品：(112/6/1)</u> <u>I. 施行過脊椎融合術</u> <u>II. 脊椎側彎嚴重(Cobb Angle$\geq$50 度)</u> <u>III. 對於施行麻醉有困難</u> 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查核准後使用，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）。	估運動功能指標 RULM $\geq$ 15 之 SMA 個案。(112/4/1) (5)Risdiplam 限使用於起始治療年齡兩個月以上，未滿 18 歲之病患，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) 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查核准後使用，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 milestone、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	(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 milestone、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

修訂後給付規定	原給付規定
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 milestone 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 項標準運動功能評估(CHOP INTEND、HINE section 2、HFMSE、RULM、WHO motor milestone、MFM32、6MWT)，兩項評估分數每次均	II. HINE section 2 III. HFMSE IV. RULM V. WHO motor milestone 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 項標準運動功能評估(CHOP INTEND、HINE section 2、HFMSE、RULM、WHO motor milestone、MFM32、6MWT)，兩項評估分數每次均

修訂後給付規定	原給付規定
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)	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