

附表三十之四陣發性夜間血紅素尿症患者第二線治療藥品特殊專案審查申請
 Voydeya(Danicopan)+Soliris(eculizumab)/Ultomiris(ravulizumab)用藥檢附資料查檢表
 115年3月1日修訂

新個案初次申請		
給付規定	送審應檢附資料	資料確認
一、限用於經衛生福利部國民健康署認定之陣發性夜間血紅素尿症病人，且曾經接受一種 C5補體抑制劑治療：	診斷依據(必備)：	
	(1)病史摘要說明。	
	(2)年齡18歲以上。	
	(3)若為申請使用 Voydeya (danicopan)，則須同時申請 ravulizumab 或 eculizumab。 若 Voydeya 獲同意使用則 ravulizumab 或 eculizumab 也可同時使用。	
	(4)治療計畫，必須包含莢膜細菌（腦膜炎雙球菌、肺炎鏈球菌和 B 型流感嗜血桿菌）之疫苗施打計畫。	
	(5)曾經接受 C5補體抑制劑治療之紀錄。 若為申請使用 Voydeya (danicopan)，則須檢附使用 ravulizumab 或 eculizumab 的使用紀錄。	
	(6)近三個月內之 CBC、WBC 分類及 reticulocyte 至少兩次。 在使用 C5 抑制劑下，血紅素需仍小於或等於 9.5g/dL，並排除其他可能造成貧血的原因。 同時需有絕對網狀紅血球計數大於或等於 $120 \times 10^9/L$ ，或是網狀紅血球比例大於或等於 3%。	
	(7)近三個月內有關溶血性貧血活性之評估檢驗報告。 需排除血管內溶血持續存在之情形。	
	(8)六個月內之骨髓檢查報告。	
(9)六個月內之流式細胞儀的診斷報告，須包含細胞圈選(gating)圖及細胞表面抗原-抗體作用強度圖(即 histogram 或 dotplots 圖)：須符合經兩種以上抗體確認PNH之 granulocyte clone size 均大於50%		
二、排除有高危險之骨髓化生不良症候群(RAEB-1或RAEB-2)的病患。	六個月內骨髓檢查報告(新申請案必備)	
三、需經特殊專案審查核准後使用，每次申請期限為6個月。		
續用申請		

給付規定	送審應檢附資料	資料確認
<p>一、每6個月須重新評估治療結果。</p> <p>二、若符合下列條件之一，則不予同意使用。</p> <p>(一)接受治療的患者用藥後病情沒有改善者(LDH超過正常值上限的1.5倍或最近3個月內輸血多於2個單位)。</p> <p>(二)PNH granulocyte clone size $\leq 50\%$。</p> <p>(三)發生嚴重再生不良性貧血，其檢查結果符合下列兩項或兩項以上者：</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 中性白血球數目 (neutrophil count) $< 0.5 \times 10^9/L$。 2. 血小板數目 (platelet count) $< 20 \times 10^9/L$。 3. 網狀細胞 (reticulocytes) $< 25 \times 10^9/L$。 4. 骨髓內造血細胞密度 $< 30\%$。 	<p>必備：</p>	
	<p>(1)病史摘要說明及治療後療效評估說明。</p>	
	<p>(2)若為申請續使用 Voydeya (danicopan)，則須同時申請 ravulizumab 或 eculizumab。若 Voydeya 獲同意使用則 ravulizumab 或 eculizumab 也可同時使用。</p>	
	<p>(3)治療計畫書，須說明申請續治療期間仍在過往施打莢膜細菌（腦膜炎雙球菌、肺炎鏈球菌和 B 型流感嗜血桿菌）之疫苗有效期間，或是有再次施打之計畫。</p>	
	<p>(4)近三個月內之 CBC、WBC 分類、LDH 及 reticulocyte 至少兩次。</p>	
	<p>(5)近三個月內之溶血性貧血活性評估，必須包含 LDH。若 LDH 仍超過正常值上限的1.5倍且排除因其他疾病因素所致之 LDH 上升(如感染等)，則不再核准，但病人呈現 Coomb' stest 為陽性(須檢附 Coomb' stest 陽性之檢驗報告)且輸血量及頻率未超過用藥前者除外。</p>	
	<p>(6)第一次送審時所附之 CBC 及 WBC 分類</p>	
	<p>(7)六個月內之流式細胞儀的診斷報告及細胞圈選(gating)圖：仍須符合經兩種以上抗體確認 PNH 之 granulocyte clone size 均大於50%</p>	
	<p>其他應備項目：</p>	
<p>若再次申請之 CBC、WBC 分類及 reticulocyte 和第一次送審之報告有除血紅素上升外之明顯惡化，建議再次申請時加附六個月內之骨髓檢查報告。</p>		