

副本

檔 號：
保存年限：

行政院衛生署中央健康保險局 書函

機關地址：台北市信義路3段140號
傳真：(02)27026324
聯絡人及電話：李芝蘭(02)27065866轉1557
電子信箱：A110665@mail.nhi.gov.tw

10478

台北市中山區建國北路2段87號10樓之1

擬定：

受文者：中華民國西藥代理商商業同業公會、醫療政策與藥價委員會

發文日期：中華民國99年7月13日

發文字號：健保審字第0990051253A號

速別：普通件

密等及解密條件或保密期限：

附件：發布令稿含「全民健康保險藥品給付規定—第3章代謝及營養劑Metabolic&nutrient agents 3.3.8. Idursulfase (如Elaprased solution for intravenous infusion)給付規定電子檔、發布令掃描檔、法規及行政規則刊登行政院公報資料提要表電子檔

主旨：全民健康保險藥品給付規定—第3章 代謝及營養劑 Metabolic & nutrient agents 3.3.8. Idursulfase (如Elaprased solution for intravenous infusion)給付規定」，業經本局於中華民國九十九年七月十三日以健保審字第0990051253號令修正發布，茲檢送發布令（含附件）1份，請 查照。

說明：併附法規及行政規則刊登行政院公報資料提要表1份。

正本：行政院公報編印中心（請刊登公報）

副本：行政院法規委員會、行政院衛生署法規委員會、行政院衛生署醫事處、行政院衛生署全民健康保險小組、行政院衛生署食品藥物管理局、全民健康保險監理委員會、全民健康保險爭議審議委員會、行政院衛生署醫院管理委員會、台北市政府衛生局、高雄市政府衛生局、行政院國軍退除役官兵輔導委員會、國防部軍醫局、福建省連江縣政府、福建省金門縣政府、台灣醫學資訊學會、台北市電腦商業同業公會、中華民國醫師公會全國聯合會、中華民國牙醫師公會全國聯合會、中華民國基層醫師協會、中華民國基層醫療協會、中華民國藥師公會全國聯合會、中華民國藥劑生公會全國聯合會、中華民國開發性製藥研究協會、中華民國藥品行銷暨管理協會、台灣區製藥工業同業公會、中華民國製藥發展協會、台北市西藥代理商商業同業公會、中華民國西藥商業同業公會全國聯合會、中華民國西藥代理商商業同業公會、中華民國學名藥協會、台灣醫院協會、台灣私立醫療院所協會、台灣教會醫療院所協會、本局資訊組、本局企劃組（請刊登健保電子報及本局全球資訊網）、本局醫務管理組、本局台北業務組（請轉知轄區醫事機構，以下同）、本局北區業務組、本局中區業務組、本局南區業務組、本局高屏業務組、本局東區業務組（以上均含附件）

行政院衛生署中央健康保險局

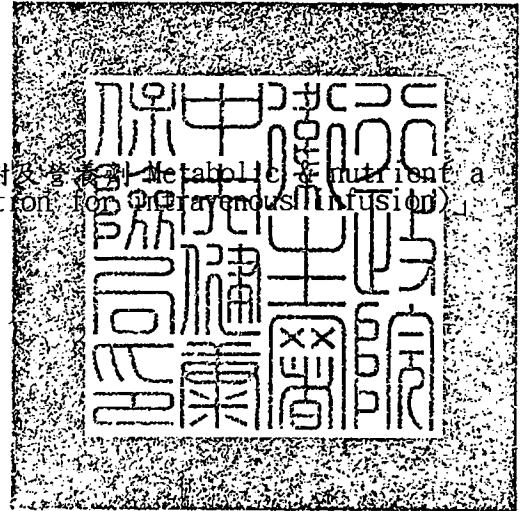
檔 號：
保存年限：

行政院衛生署中央健康保險局 令

發文日期：中華民國99年7月13日

發文字號：健保審字第0990051253號

附件：修正「全民健康保險藥品給付規定—第3章 代謝及營養劑 Metabolic & nutrient agents 3.3.8. Idursulfase (如Elaprased solution for intravenous infusion)」給付規定



修正「全民健康保險藥品給付規定—第3章 代謝及營養劑 Metabolic & nutrient agents 3.3.8. Idursulfase (如Elaprased solution for intravenous infusion)」部分規定，並自中華民國九十九年八月一日生效。

附修正「全民健康保險藥品給付規定—第3章 代謝及營養劑 Metabolic & nutrient agents 3.3.8. Idursulfase (如Elaprased solution for intravenous infusion)」給付規定

行政院衛生署中央
健康保險局核對章(印)

局長鄭守夏

「全民健康保險藥品給付規定」修正規定

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

(自 99 年 8 月 1 日生效)

修正後給付規定	原給付規定
3.3.8.Idursulfase (如 Elaprase solution for intravenous infusion) 給付規定：(96/7/1、99/8/1)： 1.需經事前審查核准後使用。 2.除了臨床表徵及尿液葡萄糖胺聚糖定性、定量檢驗的佐證外，須證明患者週邊血液白血球或血漿，或經培養之皮膚纖維芽細胞的 IDS 酵素活性缺乏，或者是患者位於 X 染色體 Xq27-28 位點上之 IDS 基因經分子生物學檢驗確認有一處已知或必然會引起黏多糖第 II 型 (MPS II) 之突變。 3.限小兒遺傳專科醫師使用。 4.每次回診時，應追蹤評估治療效果，以決定是否用續用，並於病歷詳細記錄。 5.治療前應與患者及家屬充分溝通告知下列事項，並請其簽名確認已被告知，留存病歷備查： (1) 確定其了解治療的預期效果。 (2) 患者有義務接受定期追蹤評估，在中樞神經症狀明顯退化情況下，主治醫師在向患者及家屬清楚解釋後，適時停止 idursulfase 之治療。 6.患者須符合下列 5 項條件，每一年須重新評估一次： (1) 需檢附尿中葡萄糖胺聚糖 (Urinary Glycosaminoglycans) 與肌酸酐比值 (GAG/Cr ratio)。 (2) 呼吸功能檢查：血液中氧氣飽和度 (SpO2) 在 2 小時內需持	3.3.8.Idursulfase (如 Elaprase solution for intravenous infusion) 給付規定：(96/7/1)： 限用於： 5 (足) 歲以上無智力受損徵狀之全智商 70 分以上 (含 70 分) 或語言智商 80 分 (含 80 分) 以上之 Long term enzyme replacement therapy for patients with MPS II (Hunter Syndrome) 患者，需要每年檢附智商測量證明。

<u>續維持 1 小時以上 $\geq 90\%$。</u>	
(3) <u>可執行 6 分鐘步行測驗</u> <u>(6-minute walk test) 或於 5 歲</u> <u>以下幼童以 DDST (Denver</u> <u>Developmental Screening Test)</u> <u>粗動作及精細動作 (Gross Motor</u> <u>and Fine Motor) 檢測，發展進</u> <u>程年齡與實際年齡商數不低於</u> <u>60%。</u>	
(4) <u>未經治療之患者沒有任何會影</u> <u>響健康之症狀。</u>	
(5) <u>患者無明顯之中樞神經症狀退</u> <u>化。</u>	
7. <u>須立即停止 idusulfase 治療的情形：</u>	
(1) <u>因 idursulfase 無法通過血腦屏</u> <u>障 (blood-brain barrier)，靜脈注</u> <u>射 idursulfase 無法有效治療</u> <u>MPS II A，若有明顯中樞神經</u> <u>系統退化之臨床表徵時，應判為</u> <u>MPS II A 且不予治療。</u>	
(2) <u>有證據顯示病人開始呈現明顯</u> <u>的中樞神經系統退化之臨床表</u> <u>徵。</u>	
(3) <u>病人在接受 ERT 時發生其它致</u> <u>命的疾病，這表示病人無法獲得</u> <u>idursulfase 的療效。</u>	
(4) <u>病人發生嚴重不良反應。</u>	
(5) <u>病人無法配合最適療程所需的</u> <u>注射規定或無法配合療效的評</u> <u>估。</u>	
8. <u>重新申請時，若有下列任一情況，</u> <u>即不再給予 idursulfase 之治療：</u>	
(1) <u>尿中葡萄糖胺聚醣與肌酸酐比</u> <u>值：於接受治療的第一年之後評</u> <u>估，較前一年有 50% 以上的增</u> <u>加；第二年之後評估，較之前一</u> <u>年有 100% 以上的增加。</u>	
(2) <u>6 分鐘步行測驗：較之前一年</u> <u>退步 50% 以上或連續 2 年有退</u> <u>步現象；5 歲以下幼童以 DDST</u>	

<u>粗動作及精細動作檢測，發展進程年齡與實際年齡商數低於60%，或比初次檢測時之發展進程年齡退步。</u> <u>(3) 呼吸功能檢查：血液中氧氣飽和度在2小時內無法持續維持1小時以上$\geq 90\%$。</u> <u>9.請參考「中華民國人類遺傳學會黏多醣第II型治療原則」(附表二十五)。</u>	
---	--

備註：劃線部份為新修訂之規定。

附表二十五 中華民國人類遺傳學會黏多醣症第Ⅱ型治療原則(第1頁)

定義：黏多醣症第Ⅱ型是由於患者體內缺乏艾杜糖醛酸鹽-2-硫酸酯酶 (iduronate-2-sulfatase, IDS) 活性所引起的溶小體儲積症，屬性聯隱性遺傳疾病。Elaprase 乃是以基因重組技術合成之人類 IDS 酵素純化物「idusulfase」的配方製劑，且經過美國 FDA 許可上市，為治療黏多醣症第Ⅱ型的有效藥物，但是依據至目前為止所累積的文獻及研究報告，Elaprase 無法通過血腦屏障 (blood-brain barrier)，靜脈注射 Elaprase 尚不確定能有效治療黏多醣症第Ⅱ型患者之腦部病變，尤其在三足歲之後才開始治療之嚴重型患者，其智能發展未被證明能明顯受惠於使用 Elaprase 之酵素替代療法。

治療原則：

1. 診斷：除了臨床表徵及尿液葡萄糖胺聚醣定性、定量檢驗的佐證外，須證明患者週邊血液白血球或血漿，或經培養之皮膚纖維芽細胞的 IDS 酵素活性缺乏，或者是患者位於 X 染色體 Xq27-28 位點上之 IDS 基因經分子生物學檢驗確認有一處已知或必然會引起黏多醣症第Ⅱ型之突變。
2. 排除條件：
 - 2.1 因 Elaprase 無法通過血腦屏障 (blood-brain barrier)，靜脈注射 Elaprase 無法有效治療 MPS ⅡA，若有明顯中樞神經症狀時，應判為 MPS ⅡA 且不予治療。
 - 2.2 未經治療之患者沒有任何會影響健康之症狀時。
 - 2.3 患者有明顯之中樞神經症狀退化時。
 - 2.3.1 未能確定患者是否有明顯之中樞神經症狀時，應先給予 Elaprase 治療，每半年再定期追蹤其中樞神經症狀，並請醫師檢具該病患無認知功能退化之證明，作為是否繼續給予治療的依據。
3. 劑量與治療相關事項：
 - 3.1 標準劑量為每週經靜脈注射給予 Elaprase 0.5 mg/Kg。
 - 3.2 目前尚無任何可靠資訊可供調整劑量之參考。
 - 3.3 黏多醣症第Ⅱ型患者之器官傷害多屬不可逆性，治療前應和患者及家長充分溝通，確定其了解治療的預期效果。
 - 3.4 治療前應告知患者及家長其有義務接受定期追蹤評估，在中樞神經症狀明顯惡化情況下，主責治療之專科醫師在向患者及家長清楚解釋後，有權決定適時停止 Elaprase 之治療。

附表二十五 中華民國人類遺傳學會黏多醣症第Ⅱ型治療原則(第2頁)

4. 醫師應定期追蹤評估患者治療之效果，以決定是否續用。

追蹤細則

1. 建議追蹤事項：

1.1 身高體重，尿液黏多醣量，至少六個月一次。

1.2 整體智能發展，肝臟大小，脾臟大小，心電圖，心臟超音波，六分鐘步行測驗。至少一年一次。

2 治療指標：

2.1 治療目標為尿液黏多醣量減少或正常，整體狀況進步或穩定。

2.2 如整體智能發展持續惡化時，應考慮停止治療。