

副本

檔 號：
保存年限：

衛生福利部中央健康保險署 公告

104



42

台北市中山區民權東路一段67號5樓

受文者：中華民國藥師公會全國聯合會

發文日期：中華民國112年7月14日

發文字號：健保審字第1120058646號

附件：「全民健康保險新收載品項明細表」及「藥品給付規定修訂對照表」各一份(請至本署全球資訊網擷取)



主旨：公告暫予支付含migalastat成分藥品Galafold暨其藥品給付規定。

依據：全民健康保險法第41條暨全民健康保險藥物給付項目及支付標準。

公告事項：

- 一、「全民健康保險藥品新收載品項明細表」如附件1。
- 二、修訂「全民健康保險藥物給付項目及支付標準—第六編第八十三條之藥品給付規定第3節 代謝及營養劑 Metabolic & nutrient agents 3.3.28.Migalastat (如 Galafold)」給付規定，給付規定修訂對照表如附件2。(附件電子檔已置於本署全球資訊網(<https://www.nhi.gov.tw>)，路徑為：首頁>健保法令>最新全民健保法規公告，請自行下載)。

副本：行政院法規會、衛生福利部法規會、衛生福利部醫事司、衛生福利部心理健康司、衛生福利部口腔健康司、衛生福利部社會保險司、衛生福利部食品藥物管理

署、衛生福利部全民健康保險會、衛生福利部全民健康保險爭議審議會、衛生福利部附屬醫療及社會福利機構管理會、地方政府衛生局、國防部軍醫局、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、社團法人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、中華民國診所協會全國聯合會、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、台灣藥品行銷暨管理協會、台灣製藥工業同業公會、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業同業公會、台灣研發型生技新藥發展協會、社團法人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、本署企劃組、本署醫務管理組、本署醫審及藥材組、本署各分區業務組、賽諾菲股份有限公司、台灣武田藥品工業股份有限公司、台灣大昌華嘉股份有限公司

署長 石崇良

全民健康保險藥品新收載品項明細表

項次	健保代碼	藥品名稱	成分及含量	規格量	藥商名稱	建議價	初核價格	初核說明	生效日期
1	VC00060100	Galafold 123mg	migalastat hydrochloride, 150mg	—	台灣大昌華嘉股份有限公司	30,749	30,749	1.本案藥品屬罕見疾病藥品。 2.依據藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議藥品部分第61次會議結論辦理。 3.給付規定：適用通則及3.3.28.規定。	112/08/01

「藥品給付規定」修訂對照表

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

(自112年8月1日生效)

修訂後給付規定	原給付規定
<p>3.3.28. Migalastat(如 Galafold)： (112/8/1)</p> <p>1. 本品不適用於治療法布瑞氏症 <u>IVS4+919G>A(c. 639+919G>A)基因型患者。</u></p> <p>2. 病患須符合16歲以上，確定診斷為法布瑞氏症之患者且體外試驗確定為可符合性基因突變 (amenable mutation)【請參照 https://www.galafoldamenability.com.tw/】</p> <p>3. 病患須符合以下診斷條件：</p> <p>(1)確定診斷為法布瑞氏症典型患者，須符合下列條件之一：</p> <p><u>I. 出現肢端疼痛排汗障礙，或中風</u></p> <p><u>II. 蛋白尿、微量白蛋白尿 (Microalbuminuria)</u></p> <p><u>III. 不整脈(附表第7項)或心室肥大</u></p> <p>(2)確定診斷為法布瑞氏症非典型患者，須符合下列條件之一：</p> <p><u>I. 經腎臟切片證實與法布瑞氏症相關之法布瑞氏症腎臟型患者，需檢附蛋白尿、微量白蛋白尿 (Microalbuminuria)相關資料。</u></p>	<p>無</p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p><u>II. 經心臟切片證實與法布瑞氏症相關之法布瑞氏症心臟型患者，符合「法布瑞氏症心臟變異型心臟功能評估指標表」(附表)第1項至第10項中，至少兩項指標，且心臟組織切片檢查(cardiac biopsy)證實有GL3或lyso-Gb3脂質堆積者。</u></p> <p><u>III. 具法布瑞氏症 Cardiac Variant 基因者，申請法布瑞氏症治療時，需檢附相關檢查及檢驗資料，以及至少半年之高血壓或糖尿病心肌病變危險因子之治療紀錄。糖尿病經過治療且HbA1c(糖化血色素)<7者，始可接受治療。</u></p> <p><u>4. 排除使用於無法接受換腎之末期腎臟疾病合併有嚴重心臟衰竭(NYHA class IV)</u></p> <p><u>5. 使用劑量：每間隔1日1次，每次服用1粒。</u></p> <p><u>6. 本藥品不能與 agalsidase alfa 或 agalsidase beta 合併使用。</u></p> <p><u>7. 需經事前審查核准後使用，每次申請之療程以1年為限，申請續用時需檢送療效評估資料，若符合下列條件之一，則不予同意使用：</u></p>	

修訂後給付規定	原給付規定
<p>(1)<u>嚴重心臟疾病(NYHA class IV)或嚴重心肌纖維化</u></p> <p>(2)<u>腎臟變異型法布瑞氏症病人合併末期腎臟疾病</u></p> <p>(3)<u>腎功能惡化</u> (<u>eGFR<30mL/min/1.73m²</u>)</p> <p>(4)<u>嚴重認知退化經診斷為中、重度失智症</u></p> <p>(5)<u>由於末期法布瑞氏症或其他疾病，以致預期生存壽命少於一年</u></p> <p>(6)<u>在已事先預防情況之下，仍持續發生危及生命或嚴重不良反應者，例如：全身性過敏反應</u></p> <p>(7)<u>病人的服藥順從性不佳，超過 50%未正常服用藥物。</u></p> <p>(8)<u>病患整年長期疼痛控制無法改善者或嚴重腸胃道症狀無法改善者，然典型男性患者不受此限。</u></p> <p>8. <u>治療前應與患者及家屬充分溝通告</u> <u>知下列事項，並請其簽名確認已被告知，留存病歷備查：</u></p> <p>(1)<u>確定其了解治療的預期效果。</u></p> <p>(2)<u>患者有義務接受定期追蹤評估，如無明顯療效（如上述 5 所列），主治醫師在向患者及家屬清楚解釋後，應停止治療。</u></p> <p>(3)<u>女性患者之角膜病變 Cornea</u></p>	

修訂後給付規定	原給付規定
<p><u>Verticillata 為良性症狀。</u></p> <p><u>9. 每一年須重新評估一次，追蹤檢查項目如下：</u></p> <p><u>(1)腎功能(eGFR)；</u></p> <p><u>(2)尿蛋白(尿蛋白或微尿蛋白)；</u></p> <p><u>(3)血漿或尿液 GL3；</u></p> <p><u>(4)血漿或尿液 lyso-Gb3；</u></p> <p><u>(5)疼痛狀態；</u></p> <p><u>(6)中風次數；</u></p> <p><u>(7)病患是否有出現新的心臟病或原心臟病是否有惡化情形(出現新的<u>心肌梗塞、心律不整需心臟電擊整流或藥物治療、心跳過緩、房室傳導阻斷或其他心律疾病需心律調節器的植入治療，心臟衰竭需住院治療</u>)。</u></p> <p><u>(8)心肺功能狀態 (紐約心臟學會心功能分級 NYHA functional class 及 6 分鐘走路測驗或運動心電圖測驗)。</u></p> <p><u>(9)靜態心電圖、24 小時 Holter 心電圖與心臟超音波。心臟超音波檢查時之基本項目：</u></p> <p><u>左心室舒張期直徑、左心室後壁厚、左心室前壁厚、左心室質量與質量身高比、心房大小測量、左心室舒張功能測量(包含組織超聲</u></p>	

修訂後給付規定	原給付規定
<p><u>波)、心室後壁輻射向應變率、心中膈縱向應變率與心側壁縱向應變率、心臟瓣膜功能。超音波左心室質量與質量身高比、心室後壁輻射向應變率、心側壁縱向應變率。</u></p> <p><u>(10)若初次心臟磁振造影(MRI)檢查時有心肌纖維化的病患，追蹤時應做心臟磁振造影；其他患者建議每兩年做心臟磁振造影追蹤檢查。</u></p>	
<p>3.3.13. Agalsidase alfa 及 agalsidase beta (如 Replagal Infusion 及 Fabrazyme Injection) (102/1/1、103/9/1、108/5/1、<u>112/8/1</u>)</p> <p>1. <u>病患須符合以下診斷條件：</u> (112/8/1)</p> <p>(1) <u>確定診斷為典型法布瑞氏症之患者，且符合下列條件之一：</u> (108/5/1、<u>112/8/1</u>)</p> <p>I. 出現肢端疼痛排汗障礙，或中風</p> <p>II. 蛋白尿、微量白蛋白尿 (Microalbuminuria)</p> <p>III. 不整脈(附表第 7 項)或心室肥大</p> <p>(2) <u>確定診斷為法布瑞氏症非典型患者，且符合下列條件之一：</u> (108/5/1、<u>112/8/1</u>)</p>	<p>3.3.13. Agalsidase alfa 及 agalsidase beta (如 Replagal Infusion 及 Fabrazyme Injection) (102/1/1、103/9/1、108/5/1)</p> <p>1. <u>限用於</u></p> <p>(1) <u>確定診斷為典型法布瑞氏症之患者且符合下列條件之一者使用：</u> (108/5/1)</p> <p>I. 出現肢端疼痛排汗障礙，或中風</p> <p>II. 蛋白尿、微量白蛋白尿 (Microalbuminuria)</p> <p>III. 不整脈(附表第 7 項)或心室肥大</p> <p>(2) <u>對於法布瑞氏症非典型患者，符合下列條件之一者：</u> (108/5/1)</p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p>I. 經腎臟或心臟切片證實與法布瑞氏症相關。(108/5/1)</p> <p>II. 法布瑞氏症 IVS4+919G>A 基因型患者，符合「法布瑞氏症心臟變異型心臟功能評估指標表」(附表)第 1 項至第 10 項中，至少兩項指標，且心臟組織切片檢查 (cardiac biopsy) 證實有 GL3 或 lyso-Gb3 脂質堆積者 (103/9/1、108/5/1)。</p> <p><u>III. 具法布瑞氏症 Cardiac Variant 基因者，申請法布瑞氏症酵素補充治療時，需檢附相關檢查及檢驗資料，以及至少半年之高血壓或糖尿病心肌病變危險因子之治療紀錄。糖尿病經過治療且 HbA1c(糖化血色素)<7 者，始可接受酵素補充治療。(108/5/1、112/8/1))</u></p> <p><u>2. 符合 migalastat 藥品給付條件者，須先經 migalastat 治療無效或腎功能惡化 (eGFR<30mL/min/1.73m²) 方可使用本類藥品。(112/8/1)</u></p> <p><u>3. 排除使用於無法接受換腎之末期腎臟疾病合併有嚴重心臟衰竭(NYHA class IV)。(112/8/1)</u></p> <p><u>4. 標準劑量 Fabrazyme 1 mg/Kg/every</u></p>	<p>I. 經腎臟或心臟切片證實與法布瑞氏症相關。(108/5/1)</p> <p>II. 法布瑞氏症 IVS4+919G>A 基因型患者，符合「法布瑞氏症心臟變異型心臟功能評估指標表」(附表)第 1 項至第 9 項中，至少兩項指標，且心臟組織切片檢查 (cardiac biopsy) 證實有 GL3 或 lyso-Gb3 脂質堆積者 (103/9/1、108/5/1)。</p> <p>具法布瑞氏症 Cardiac Variant 基因者，申請法布瑞氏症酵素補充治療時，需檢附相關檢查及檢驗資料，以及至少半年之高血壓或糖尿病心肌病變危險因子之治療紀錄。糖尿病經過治療且 HbA1c(糖化血色素)<7 者，始可接受酵素補充治療。(108/5/1)</p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p>2 weeks ; Replagal 0.2mg/Kg/every 2 weeks。針對<u>副作用嚴重或症狀輕微病人</u>，可以考慮減量治療，是否減量治療由主治醫師決定之。 (108/5/1、112/8/1)</p> <p>5. 需經事前審查核准後使用，每次申請之療程以1年為限，申請續用時需檢送酵素補充治療療效評估資料，若符合下列條件之一，則不同意使用：<u>(112/8/1)</u></p> <p>(1)嚴重心臟疾病(NYHA class IV)或嚴重心肌纖維化 (112/8/1)</p> <p>(2)腎臟變異型法布瑞氏症病人合併末期腎臟疾病 (108/5/1)</p> <p>(3)嚴重認知退化經診斷為中、重度失智症 (108/5/1)</p> <p>(4)由於末期法布瑞氏症或其他疾病，以致預期生存壽命少於一年 (108/5/1)</p> <p>(5)在已事先預防情況之下，仍持續發生危及生命或嚴重輸注相關不良反應者，例如：<u>全身性過敏反應</u> (112/8/1)</p> <p>(6)病人的服藥順從性不佳，超過50%未正常施打藥物 (112/8/1)</p> <p>(7)病人整年長期疼痛控制無法改善者或嚴重腸胃道症狀無法改善者，</p>	<p>2. 標準劑量 Fabrazyme 1 mg/Kg/every 2 weeks ; Replagal 0.2mg/Kg/every 2 weeks。針對症狀輕微病人，可以考慮減量治療，是否減量治療由主治醫師決定之。 (108/5/1)</p> <p>3. 需經事前審查核准後使用，每次申請之療程以1年為限，申請續用時需檢送酵素補充治療療效評估資料，若符合下列條件之一，則不同意使用：</p> <p>(1)嚴重心臟疾病或嚴重心肌纖維化</p> <p>(2)腎臟變異型法布瑞氏症病人合併末期腎臟疾病 (108/5/1)</p> <p>(3)嚴重認知退化經診斷為中、重度失智症 (108/5/1)</p> <p>(4)由於末期法布瑞氏症或其他疾病，以致預期生存壽命少於一年 (108/5/1)</p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p data-bbox="229 286 641 327"><u>然典型男性患者不受此限</u></p> <p data-bbox="240 347 421 387"><u>(112/8/1)</u></p> <p data-bbox="156 414 758 580">6. 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：</p> <p data-bbox="177 602 794 963">(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， 如無明顯療效（如上述 3 所列）， 主治醫師在向患者及家屬清楚解釋 後，應停止 agalsidase alfa 或 agalsidase beta 之治療。</p> <p data-bbox="240 985 421 1025">(108/5/1)</p> <p data-bbox="177 1048 694 1153">(3) 女性患者之角膜病變 Cornea Verticillata 為良性症狀。</p> <p data-bbox="156 1176 758 1281">7. 每一年須重新評估一次，追蹤檢查 項目如下：</p> <p data-bbox="177 1303 794 1977">(1) 腎功能(EGFR)； (2) 尿蛋白(尿蛋白或微尿蛋白)； (3) 血漿或尿液 GL3； (4) 血漿或尿液 lyso-Gb3； (5) 疼痛狀態； (6) 中風次數； (7) 病患是否有出現新的心臟病或原 心臟病是否有惡化情形(出現新的 心肌梗塞、心律不整需心臟電擊整 流或藥物治療、心跳過緩、房室傳 導阻斷或其他心律疾病需心律調節</p>	<p data-bbox="810 477 1412 642">4. 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：</p> <p data-bbox="831 665 1449 1025">(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， 如無明顯療效（如上述 3 所列）， 主治醫師在向患者及家屬清楚解釋 後，應停止 agalsidase alfa 或 agalsidase beta 之治療。</p> <p data-bbox="895 1048 1075 1088">(108/5/1)</p> <p data-bbox="831 1111 1348 1216">(3) 女性患者之角膜病變 Cornea Verticillata 為良性症狀。</p> <p data-bbox="810 1238 1412 1344">5. 每一年須重新評估一次，追蹤檢查 項目如下：</p> <p data-bbox="831 1366 1449 1977">(1) 腎功能(EGFR)； (2) 尿蛋白(尿蛋白或微尿蛋白)； (3) 血漿或尿液 GL3； (4) 血漿或尿液 lyso-Gb3； (5) 疼痛狀態； (6) 中風次數； (7) 病患是否有出現新的心臟病或原 心臟病是否有惡化情形(出現新的 心肌梗塞、心律不整需心臟電擊整 流或藥物治療、心跳過緩、房室傳</p>

修訂後給付規定	原給付規定
<p>器的植入治療，心臟衰竭需住院治療)。</p> <p>(8)心肺功能狀態 (紐約心臟學會心功能分級 NYHA functional class 及 6 分鐘走路測驗或運動心電圖測驗)。</p> <p>(9)靜態心電圖、24 小時 Holter 心電圖與心臟超音波。心臟超音波檢查時之基本項目： 左心室舒張期直徑、左心室後壁厚度、左心室前壁厚度、左心室質量與質量身高比、心房大小測量、左心室舒張功能測量(包含組織超音波)、心室後壁輻射向應變率、心中膈縱向應變率與心側壁縱向應變率、心臟瓣膜功能。超音波左心室質量與質量身高比、心室後壁輻射向應變率、心側壁縱向應變率。</p> <p>(10)若初次心臟磁振造影(MRI)檢查時有心肌纖維化的病患，追蹤時應做心臟磁振造影；其他患者建議每兩年做心臟磁振造影追蹤檢查。</p>	<p>導阻斷或其他心律疾病需心律調節器的植入治療，心臟衰竭需住院治療)。</p> <p>(8)心肺功能狀態 (紐約心臟學會心功能分級 NYHA functional class 及 6 分鐘走路測驗或運動心電圖測驗)。</p> <p>(9)靜態心電圖、24 小時 Holter 心電圖與心臟超音波。心臟超音波檢查時之基本項目： 左心室舒張期直徑、左心室後壁厚度、左心室前壁厚度、左心室質量與質量身高比、心房大小測量、左心室舒張功能測量(包含組織超音波)、心室後壁輻射向應變率、心中膈縱向應變率與心側壁縱向應變率、心臟瓣膜功能。超音波左心室質量與質量身高比、心室後壁輻射向應變率、心側壁縱向應變率。</p> <p>(10)若初次心臟磁振造影(MRI)檢查時有心肌纖維化的病患，追蹤時應做心臟磁振造影；其他患者建議每兩年做心臟磁振造影追蹤檢查。</p>

備註：劃線部分為新修訂規定

法布瑞氏症心臟變異型心臟功能評估指標表

1	左心室厚度>12mm。
2	心電圖左心室肥厚 (ECG LVH Romhilt-Estes score>5 或符合 Cornell's criteria)
3	心臟超音波左心室質量指數 (LVMI) 男性大於 51 gm/m ^{2.7} , 女性大於 48 gm/m ^{2.7} , LVMI。(108/5/1)
4	心臟超音波左心室舒張功能異常 E/A ratio>2.0 及 deceleration time<150 msec 或組織超音波顯示舒張功能異常(二尖瓣環部中膈 E/E' >15 或側壁 E/E' >12).
5	間隔至少超過 12 個月測量左心室質量 (LVM) 增加>5g/m ²
6	心臟超音波左心房體積增加>34 mL/m ² body surface area (BSA) (108/5/1)
7	心肌與節律出現異常: AV block, short PR interval, LBBB, ventricular or atrial tachyarrhythmias, sinus bradycardia(在沒有使用抑制心律的藥物下)
8	中度到重度的二尖瓣與主動瓣膜閉鎖不全
9	心臟磁振造影心肌延遲顯影(delayed enhancement)出現左心室的輕度到中度纖維化。
10	NT-proBNP/BNP 或 high sensitivity troponin 升高 (112/8/1)