

### 1. 6. 6. Patisiran(如 Onpattro)：(112/5/1)

1. 限用於確定診斷為 TTR (transthyretin)家族性澱粉樣多發性神經病變(Familial Amyloidotic Polyneuropathy)之成人患者且領有罕病疾病之重大傷病卡，並需同時符合下列條件者使用：

(1)神經病變的疾病嚴重度限於第二期的病人：

I. polyneuropathy disability [PND] stage IIIa~IIIb，或

II. familial amyloidotic polyneuropathy [FAP] stage II。

(2)無嚴重心衰竭症狀(定義依紐約心臟協會衰竭功能分級為第 3 級或第 4 級)。

(3)未曾接受過肝移植。

(4)不得與其他 RNAi 及 TTR 穩定劑合併使用於治療 hATTR。

(5)開始治療年齡未滿 76 歲者。

2. 排除條件：以腕隧道症候群為病徵表現之 TTR 基因突變攜帶者。

3. 需檢附下列資料，經專家小組特殊專案審查核准後使用：

(1)符合衛生福利部國民健康署 FAP 罕見疾病個案通報審查標準之神經傳導/肌電圖/自律神經功能檢查報告。

(2)臨床症狀及徵兆的病歷紀錄。

(3)運動功能評估：10 公尺行走測試 (10MWT) 錄影之影片。

4. 首次申請得核准使用 9 個月，後續每 6 個月申請核准後得使用。

療效評估方式及時機：

(1)神經病變疾病嚴重度評估時機：

I. Patisiran 治療前。

II. 治療反應的初步評估應在治療開始後 9 個月進行。

III. 隨後每 6 個月下一劑治療前。

(2)神經病變疾病嚴重度評估(需由提供 patisiran 治療之醫師判定評估結果)：

I. polyneuropathy disability [PND] stage，或

II. familial amyloidotic polyneuropathy [FAP] stage。

(3)後續每 6 個月申請使用需檢附：

I. 臨床症狀及徵兆的病歷紀錄。

II. 運動功能評估：10 公尺行走測試 (10MWT) 錄影之影片。

5. 停藥時機：

若有下列任一情況，則不再給予 patisiran 治療：

- (1)若病人在使用雙側輔具下，於 5 分鐘內不休息，無法獨力完成 10 公尺以上步行者。
- (2)需接受臨終照護(end-of-life care)者。