

3.3.8. Idursulfase(如 Elaprase)：(96/7/1、99/8/1、106/10/1)

1. 病患須符合以下診斷條件：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 酶素活性缺乏，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第 II 型 (MPS II) 之突變。(106/10/1)
2. 限兒科專科經醫學遺傳學次專科訓練取得證書之醫師使用。(106/10/1)
3. 排除使用於：(106/10/1)
 - (1) 因 idursulfase 無法通過血腦屏障(blood-brain barrier)，靜脈注射 idursulfase 無法有效治療 MPS II A，若有明顯中樞神經症狀且持續惡化，應不予治療。
 - (2) 未經治療之患者沒有任何會影響健康之症狀時。
 - (3) 重型病患：完全臥床且無行動能力，或是無法自行呼吸且完全仰賴呼吸器維生者。
4. 黏多醣症第二型患者之器官傷害多屬不可逆性，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：
(106/10/1)
 - (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。
5. 應定期追蹤評估治療效果及下列事項：(106/10/1)
 - (1) 至少每半年追蹤一次：
 - I. 身高體重；
 - II. 尿液黏多醣量；
 - III. 依 Hunter Outcome Survey (HOS) Registry 所建議之評估事項評估。
 - (2) 至少每一年追蹤一次：
 - I. 腹部超音波、肝臟大小、脾臟大小；
 - II. 心電圖；
 - III. 心臟超音波
 - IV. 六分鐘步行測驗 (6-minute walk test) 或於 5 歲以下幼童以 DDST (Denver Developmental Screening Test) 粗動作及精細動作 (Gross Motor and Fine Motor) 檢測；
 - V. 肺功能；
 - VI. 藥物抗體
6. 需經事前審查核准後使用，每次申請之療程以 1 年為限。重新申請時，若有下列任一情況，則不再給予 idursulfase 治療：(106/10/1)
 - (1) 尿中葡萄糖胺聚糖與肌酸酐比值：於接受治療的第一年之後評估，較前一年有 50% 以上的增加；第二年之後評估，較之前一年有 100% 以上的增加。
 - (2) 六分鐘步行測驗：較之前一年退步 50% 以上或連續 2 年有退步現象；5 歲以下幼童以 DDST 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。
 - (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%。

(4)病人有認知功能退化，或有明顯中樞神經系統退化之臨床表徵。

7.須立即停止 idusulfase 治療的情形：(106/10/1)

(1)有證據顯示病人開始呈現明顯的中樞神經系統退化之臨床表徵。

(2)病人在接受治療時發生其它致命的疾病，這表示病人無法獲得 idursulfase 的療效。

(3)病人發生嚴重不良反應。

(4)病人無法配合最適療程所需的注射規定或無法配合療效的評估。