



藥訊

Ten-ChanMedicalgroup

出版單位：藥劑科

聯絡電話：

4629292-22525

健康、真愛、天成心

期別 No. 11307

新藥介紹

服脊立口服溶液用粉劑 0.75 毫克/毫升

Evrysdi Powder for Oral Solution 0.75mg/mL (Risdiplam)

莊再林 藥師

前言

脊髓性肌肉萎縮症 (Spinal muscular atrophy, SMA) 是一種體染色體隱性遺傳疾病，也是最常見的致死性遺傳疾病，並因為脊髓前角運動神經元發生漸進性退化，導致無法接收中樞傳遞的訊息，造成肌肉逐漸軟弱無力與萎縮，但智力完全正常。

患者依發病年齡及疾病嚴重度可分為四型：

第一型	出生 6 個月內發病，四肢及軀幹嚴重的軟弱無力，大多數患者在兩歲前就會因呼吸衰竭而死亡。
第二型	出生後 6~18 個月發病，可獨自坐立，無法獨自站立。
第三型	兒童時期會行走後才發病，四肢運動功能受損。
第四型	成年以後才發病，症狀較輕。

因為此疾病為體染色體隱性遺傳，故可藉由基因檢測技術，快速且準確的篩檢出帶因者，敏感度高達 95 %。建議每一對有計劃生育的夫婦，於結婚或懷孕後，都接受 SMA 帶因者的基因檢測

目前尚無有效根治的治療策略，主要僅能以支持性療法減緩併發症出現，並延長患者的壽命與提升生活品質，故容易造成家屬及社會沈重的經濟負擔，但在世界各國有許多藥物進入臨床人體試驗階段，期許未來會出現突破性的發展積極治療或能減緩疾病的進行，為脊髓性肌肉萎縮症患者及家屬帶來一線曙光。

適應症與用途

➤ 適用於治療年齡兩個月以上、經基因確診之 SMA 脊髓性肌肉萎縮症，且已出現症

狀之 SMA 第一、二、三型病人，但不適用於已使用呼吸器每天 12 小時以上且連續超過 30 天者。

劑型與含量規格

- 每個黃褐色瓶內裝有 2.0 克乾粉，內含 60 毫克的 risdiplam。

用法用量

使用途徑：口服或腸道給藥

- 每天口服 EVRYSDI 一次，每天大約在同一時間投予，使用所附之口服餵藥器投予藥物。每日建議劑量取決於 SMA 病人的年齡和體重（如表 1）。

表 1: 按年齡和體重的每日建議劑量

年齡與體重	每日建議劑量
2 個月到 < 2 歲	0.20 mg/kg
≥ 2 歲 (體重 < 20 kg)	0.25 mg/kg
≥ 2 歲 (體重 ≥ 20 kg)	5 mg

延遲或錯過劑量：

- 每天大約在同一時間口服 EVRYSDI 一次。如果錯過了預計給藥的時間，但仍在預定給藥時間的 6 小時內，應盡快給藥。若超過 6 小時，應略過此次劑量，在第二天的預定投藥時間服用下一劑。如果在服用一劑 EVRYSDI 後，藥物未被完全吞服或發生嘔吐，則不要為了彌補不完整的劑量而額外給予藥物。應等到第二天，在預定的投藥時間給予下一劑。

副作用：

- 嬰兒發病型 SMA 受試者觀察到的最常見不良反應是發熱(48.4%)、皮疹(27.4%) 和腹瀉 16.1%)。
- 晚發型 SMA 受試者觀察到的最常見不良反應是發熱(21.7%)、頭痛 (20.0%)、腹瀉 (16.7%) 和皮疹(16.7%)。
- 上述不良反應的發生並沒有確切的時間或特定的臨床表現，且在持續接受 EVRYSDI 治療的情況之下，這些不良反應的症狀通常仍逐漸緩解。

腎功能不全：

- 尚未在腎功能不全病人進行任何 risdiplam 的藥物動力學研究。只有很少數(8%)

通過腎臟排除的 risdiplam 是未改變的藥物原型。

肝功能不全：

- 輕度和中度肝功能不全對 risdiplam 的藥物動力學沒有影響。
- 針對重度肝功能不全病人的安全性和藥物動力學尚未被研究。

藥物交互作用：

- 合併投予每日兩次 200mg itraconazole（一種強效 CYP3A 抑制劑），以及單劑量口服投予 6 mg risdiplam，結果顯示對 risdiplam 的藥物動力學沒有臨床上的顯著影響。

保存方法

- 乾粉於室溫(25°C)下保存，將藥品保存在原黃褐色瓶內。
- 乾粉回溶後，口服溶液應儲存在冰箱(2-8°C)中可達 64 天。如有必要，病人或其照護者可將口服溶液儲存在室溫(低於 40°C)，總時間不得超過 5 天。不可冷凍。不可將口服溶液儲存在 40°C 以上。將口服溶液保存在原瓶中，並保持瓶子始終處於直立狀態，且瓶蓋緊閉。將藥品置於孩童無法取得之處。
- 藥品在以下任一情況發生時不得使用且應丟棄：
 - 超過包裝上或瓶上所載明的有效期限。
 - 口服溶液在冰箱外、室溫下(低於 40°C)放置總時間超過 5 天。
 - 或者口服溶液存放在 40°C 以上。

病人使用須知

- EVRYSDI 必須在給藥前由醫療照護人員回溶成口服溶液。以 60 mg risdiplam 乾粉配製成 0.75 mg/mL 的 EVRYSDI 口服溶液。依據處方開立的每日給藥劑量選擇口服餵藥器。

劑量	餵藥器尺寸	投藥體積	餵藥器標示刻度
0.75 mg/mL (100 mL bottle)	6 mL	1.0 mL to 6.0 mL	0.1 mL
	12 mL	6.2 mL to 6.6 mL	0.2 mL

- 為了計算給藥量，須考慮口服餵藥器的標示刻度。將給藥量四捨五入到口服餵藥器上最接近的標示刻度。病人應立即服用由口服餵藥器吸取的 EVRYSDI。如果在 5 分鐘內未服用，應將此劑量丟棄，並準備新的劑量。
- 未使用/已過期之藥品處置方式必須盡量減少將藥品釋放到環境中。不可將藥品經由廢水系統丟棄，也應避免當作家庭廢棄物處理。未使用/已過期藥品的處置過程

應遵循當地法規要求。

參考資料：仿單、衛福部國民健康署、財團法人罕見疾病基金會