

新藥查驗登記加速核准機制(草案)

108 年 8 月 26 日修正

一、目的

為滿足國人醫療迫切需求，在科學證據的支持下，以選擇替代療效指標（surrogate endpoint）之方式，縮短藥品研發之時程，使得藥品可提早上市，特訂定新藥查驗登記加速核准（accelerated approval）機制（以下簡稱本機制）。

二、適用對象

符合下列兩點之藥品，申請者得向食藥署提出適用認定申請，經評估准予適用且同時申請「新藥查驗登記優先審查機制」並經評估適用者，審查天數為 240 天。本機制不適用於治療嚴重疾病之非嚴重症狀。

(一) 屬藥事法第七條定義之新藥。

(二) 該藥品宣稱之適應症，應符合下列情形之一：

- 1、適應症為我國的嚴重疾病並能滿足我國醫療迫切需求（unmet medical need）。嚴重疾病係指：若未經治療疾病過程將隨時間更趨嚴重，且嚴重威脅生命或顯著影響病人長期日常生活功能，或其他經評估認定之重大疾病。滿足我國醫療迫切需求（unmet

medical need) ，係指具有醫療主要優勢 (major advance) ，例如：

- (1) 新藥療效顯著優於現行方法。
- (2) 目前未有其他經證實安全有效之治療、預防或診斷方法者。
- (3) 新藥療效與現行治療方法相似，但安全性顯著優於現行治療方法，包括但不限於：可降低副作用。
- (4) 充分證據顯示新藥可增進病人的用藥順從度，且預期可改善嚴重的預後。
- (5) 新藥預期有助於重要的公共衛生需求。

2、適應症具醫療迫切需求，且在十大醫藥先進國之任一國已取得罕藥認定 (Orphan drug designation) 。

3、適應症具醫療迫切需求，且於國內非屬罕見疾病藥物，製造或輸入我國確有困難者。

三、申請程序：

- (一) 申請人應事先提出申請適用本機制之認定，並應檢附相關說明及資料，事先向食藥署提出適用認定申請，同時繳交該申請案之規費。
- (二) 由食藥署根據廠商提出之資料進行評估，並於 30 天內函復廠商認定結果。適用本機制者，應於申請查驗登記案時檢附適用通知函，始得採用加速核准機制。

四、審查原則

- (一) 為使用於治療嚴重疾病及滿足醫療迫切需求之新藥加速上市，在科學證據支持下，可選擇替代療效指標，在不違背倫理規範的條件下，原則上以適當且具良好對照組的臨床試驗證實藥品的療效。替代療效指標在臨床試驗中可做為一間接或取代的評估方法，來代表具有臨床上的改善成果，以縮短研發上市時間。根據流行病學、治療上、病理生理上或其他證據，此替代療效指標被認為有合理的可能性可預測臨床上的效益。替代療效指標選擇的合理性，建議申請人可事先諮詢法規單位意見。
- (二) 經由本機制核准上市之藥品，原則上必須進行確認性試驗(confirmatory trials)以證明確實達到臨床上的效益，

此確認性試驗得在藥品上市後執行；必要時須提供風險管理計畫。

- (三) 申請人應於申請新藥查驗登記時提出前述確認性試驗的試驗設計與完成試驗及報告時間。若所擬之確認性試驗不可行或困難度高，則該藥品不適用本機制。

五、終止適用

新藥查驗登記審查過程中，有下列情形之一者，食藥署得通知申請人停止適用本機制，改以一般藥品查驗登記審查程序：

- (一) 申請人主動要求終止。
- (二) 申請人未於規定期間內提供審查資料。
- (三) 若有科學實證或文獻證明原經認定適用本機制辦理查驗登記之新藥，其療效或安全性有疑慮者。
- (四) 其他經食藥署認定有具體理由，不宜適用本機制進行審查者。

六、其他事項

- (一) 適用本機制核准之藥品，中文仿單適應症段落需加入下列文字敘述：此適應症係依據(…[填寫替代療效指標，

例如：腫瘤反應率]]加速核准，此適應症仍需執行確認性試驗以證明其臨床效益。

- (二) 適用本機制取得藥品許可證之藥品，應於規定時間內提供確認性試驗結果。若未依要求確實執行確認性試驗、未於規定時間內提供確認性試驗結果、或確認性試驗未能顯現具有臨床上之效益或有安全性疑慮者，廢止該藥品許可證或該項適應症，並修正中文仿單相關內容與敘述。

附表

新藥查驗登記加速核准機制自評表

申請商		填表日期	
中/英文品名			
主成分及含量			
宣稱適應症			
宣稱用法用量			
劑型		廠商聯絡人	
E-MAIL		電話/傳真	

確認項目		業者 審視情形		審核結果 <small>(廠商勿自行填寫)</small>	
		是	否	是	否
1	是否為藥事法第七條定義之新藥？	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2	適應症是否為我國的嚴重疾病？	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2-1	是否為我國的嚴重威脅生命或顯著影響病人長期日常生活功能的疾病？	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2-2	是否為疾病過程不可逆，若未經治療將隨時間更趨嚴重的疾病？	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2-3	是否為其他重大疾病？	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3	是否能滿足我國醫療迫切需求(unmet medical need)，並具有醫療主要優勢(major advance)？	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

3-1	新藥療效顯著優於現行方法。	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3-2	目前未有其他經證實安全有效之治療、預防或診斷方法者。	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3-3	新藥療效與現行治療方法相似，但安全性顯著優於現行治療方法。	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3-4	充分證據顯示新藥可增進病人的用藥順從度，且預期可改善嚴重的預後。	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3-5	新藥預期有助於重要的公共衛生需求。	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4	適應症具醫療迫切需求，且在十大醫藥先進國之任一國已取得罕藥認定（Orphan drug designation）。	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5	適應症具醫療迫切需求，且於國內非屬罕見疾病藥物，製造或輸入我國確有困難者。	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
6	是否在其他國家已核准上市？ 核准國家：_____	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>