

小兒或少數嚴重疾病藥品審查認定要點(草案)

108年8月26日制定

一、目的

為鼓勵藥商研發治療小兒或少數嚴重疾病之藥品，食品藥物管理署(以下稱食藥署)特制定本認定要點，使藥品審查流程可精簡且快速，及早上市，嘉惠病人使用。

二、適用對象

同時符合下列條件之藥品，申請者得依本認定要點提出申請，經食藥署評估准予適用認定者。本認定要點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) 適應症為我國的嚴重疾病。
- (三) 該疾病主要影響小兒族群或盛行率在萬分之一以下。
- (四) 滿足我國醫療迫切需求(unmet medical need)。

三、名詞解釋

- (一) 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。

(二) 主要影響小兒族群，係指該疾病之嚴重表現主要影響 0 到 18 歲之新生兒、嬰兒、兒童及青少年族群，且此族群在我國佔所有該罹病族群的 50% 以上。

(三) 疾病盛行率在萬分之一以下，係指該疾病在我國近 3 年內之疾病盛行率為萬分之一以下，倘無我國盛行率資料，得以亞洲人種之盛行率替代。若該疾病屬於病程短暫且非反覆發生者，得以疾病之年發生率替代。若為預防、診斷用途之藥品，得以我國預估年度使用人數所佔之比率替代。

(四) 滿足我國醫療迫切需求，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。

四、申請程序

- (一) 申請人應於藥品研發階段或查驗登記前填具申請書(附表)，並檢附相關適當說明及資料，包括但不限於：宣稱之適應症及用法用量、適應症符合小兒或少數嚴重疾病的說明、藥品綜合描述摘要(包含商品名或化學名、劑型及投予途徑、主成分及其物化性質、作用機轉)、藥品可滿足我國醫療迫切需求之說明、依通用技術文件(CTD)格式檢送 M 2.5 Clinical Summary、藥品於其他國家認定或上市情形等，向食藥署提出適用認定申請，同時繳交規費。
- (二) 由食藥署根據廠商提出之資料進行評估，並於 60 天內函復廠商認定結果。適用本認定要點者，應於申請查驗登記案時檢附適用通知函。
- (三) 倘食藥署已開始進行該藥品查驗登記案審查，則不再受理認定申請。

五、鼓勵措施

- (一) 經本要點認定之藥品，於藥品查驗登記申請時：
 - 1、 直接適用「新藥查驗登記優先審查機制」，審查天數為 240 天，毋須另行申請優先審查機制認定。

- 2、無須事先提出銜接性試驗評估(BSE)申請，族群差異將於查驗登記案一併評估。
- 3、該藥品於國內執行所申請適應症相關臨床試驗者，得免除出產國許可製售證明及採用證明。
- 4、該藥品未於國內執行所申請適應症相關臨床試驗者，參採「罕見疾病藥物查驗登記審查準則」之規定，核准前檢附出產國許可製售證明。惟仍須配合查驗登記審查準則之修訂，俟準則修訂完成前，仍應檢送出產國許可製售證明。
- 5、考量藥品為治療小兒或少數嚴重疾病，審查時臨床試驗之數目、受試者人數等方面得依個案適度放寬，建議於提出小兒或少數嚴重疾病藥品認定申請時，一併敘明。
- 6、有關安定性試驗報告，原則上應檢送3批安定性試驗結果，若有特殊情況，得說明相關原因，先檢附1批安定性試驗結果送審。
- 7、依通用技術文件(CTD)格式檢附製造管制標準書(包括批次紀錄中之下料量)，免附批次製造紀錄。

(二) 經本要點認定為小兒嚴重疾病之新成分新藥，且其用以確認小兒族群療效、安全及用法用量之小兒族群臨床試驗於國內執行者，於該藥品核准取得許可證時，食藥署得核發 1 次優先審查憑證(voucher)，其憑證使用條件如下：

- 1、 使用優先審查憑證於藥品查驗登記者，其所申請之適應症得不限於小兒嚴重疾病，亦無需符合優先審查認定機制之要求，惟應於提出查驗登記申請前至少 30 天通知食藥署。有關使用優先審查憑證辦理藥品查驗登記所應繳交之規費，由食藥署另定之。
- 2、 優先審查憑證得移轉其他公司，當發生移轉時，必須在移轉後 30 天內通知食藥署，並應由移轉雙方互相出具聲明函，說明雙方皆同意憑證移轉。移轉應於取得憑證 1 年後方可進行。
- 3、 倘被核准之小兒嚴重疾病藥品未於核准後 1 年內於我國上市販售，食藥署將註銷優先審查憑證及其憑證使用權利。

4、 食藥署於核發優先審查憑證後，將於官網同步更新取得優先審查憑證之持有者及其移轉紀錄。

六、 終止認定

若符合下列情形者，食藥署可終止適用本認定要點：

(一) 科學實證或文獻證明經認定適用之藥品，其療效或安全性有疑慮者。

(二) 其他經食藥署認定有具體理由，不宜適用者。

七、 對於適用本認定要點之小兒或少數嚴重疾病藥品，食藥署在品質安全療效的審查標準，以及對試驗期間與數據完整性的要求，均不因藥品適用本認定要點而改變。

八、 小兒或少數嚴重疾病藥品核准後，廠商應在許可證第 1 次展延時，檢送前 5 年國內罹病人數(包含小兒、全體族群)、國內實際用量及國內估計使用需求的報告。

附表

小兒或少數嚴重疾病藥品認定自評表

申請商		填表日期	
中/英文品名			
主成分及含量			
宣稱適應症			
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	該疾病是否主要影響小兒族群或盛行率在萬分之一以下？	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3-1	該疾病之嚴重表現是否主要影響 0 到 18 歲之新生兒、嬰兒、兒童及青少年族群，且此族群在我國佔所有該罹病族	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

	群的 50% 以上？				
3-2	是否已提供我國或亞洲人種之盛行率資料？	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4	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"/>
4-1	新藥療效顯著優於現行方法。 說明：_____	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4-2	目前未有其他經證實安全有效之治療、預防或診斷方法者。 說明：_____	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4-3	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。 說明：_____	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4-4	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。 說明：_____	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4-5	新藥預期有助於重要的公共衛生需求。 說明：_____	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5	是否為其他國家已認定的罕藥或孤兒藥？ 認定國家：_____	<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"/>