

臺灣再生醫療製劑輔導專案

Taiwan Regenerative Medicine Advanced Therapy Pilot (T-RMAT)

115.03.04

一、專案目的

隨著再生醫療雙法正式施行、國內再生醫療技術持續精進及胞外體(Extracellular vehicles)研究快速發展，為強化我國再生醫療製劑於研發製造、上市核准及臨床應用各階段之法規銜接與審查效能，特規劃推動「臺灣再生醫療製劑輔導專案(Taiwan Regenerative Medicine Advanced Therapy Pilot, T-RMAT)」。本專案整合食品藥物管理署(TFDA)與財團法人醫藥品查驗中心(CDE)於法規政策、科學審查、分析方法、製程與品質管理等專業量能，透過高密度的雙向溝通機制，提供具一致性與可預期性之法規科學建議。經本專案形成並經確認之輔導結論，於法規未變更且申請內容與輔導內容一致之前提下，可作為後續臨床試驗或查驗登記申請之拘束性依據(binding)，以有效提升國內再生醫療製劑研發效率、製造能力與整體產業競爭力，推動我國再生醫療邁向新里程碑。

二、輔導對象

- (一) 原則以納入「衛生福利部食品藥物管理署藥品專案諮詢輔導要點」，且屬「財團法人醫藥品查驗中心藥物法規科學諮詢輔導指標案件」之再生醫療製劑為限；並以申請者規劃將於2026至2027年間申請再生醫療製劑查驗登記(含有附款許可)，或胞外體First-in-Human臨床試驗者為優先。
- (二) 適應症需符合公衛價值及臨床急迫需求之再生醫療製劑。

三、輔導小組

本專案將組成輔導小組，由TFDA(藥品組、研檢組、監管組)、CDE具備再生醫療法規政策、分析方法開發、GMP查廠及科學審查等實務

經驗之專業人員共同組成；並得視專案需求，邀請食品藥物管理署再生醫療諮議小組委員或相關領域專家學者參與。

四、輔導任務

輔導小組主要任務如下：

(一) 法規與政策輔導

1. 協助申請者理解再生醫療相關法規、基準及指引。
2. 提供再生醫療製劑之法規政策諮詢。

(二) 研發與技術評估

1. 輔導細胞(含細胞衍生物)、基因或組織工程製劑之研發策略規劃。
2. 協助製程設計、批量放大，並界定關鍵品質屬性(Critical Quality Attributes, CQA)，涵蓋鑑別(Identity)、純度(Purity)、活性(Potency)、安全性(Safety)、一致性(Consistency)與穩定性(Stability)等核心項目
3. 提供藥理學、藥動學及毒理學相關之專業諮詢與評估建議。
4. 協助分析方法之建立、確效與適用性評估。
5. 協助臨床試驗設計、適應症選擇及療效評估。
6. 提供生物統計分析之專業建議。

(三) 製造與品質管理(GMP)

1. 提供再生醫療製劑 GMP 建置及符合性之專業建議。
2. 協助品質系統、文件架構與查核準備。

(四) 專案整合與進度追蹤

1. 協助雙向溝通與跨單位資源整合。
2. 定期檢視專案里程碑及執行成效。

五、申請資格

須符合以下條件之一：

- (一) 國內研發及製造之再生醫療製劑，於國內執行臨床試驗且臨床試驗之受試族群與宣稱適應症一致，其試驗階段符合以下條件之一者優先：
 1. 已取得 phase II 初步結果，且該結果顯示具重大突破性改善 (Substantial Improvement)。
 2. 已有正在進行之 phase III 試驗。
- (二) 國內研發及製造之胞外體，已完成 GLP 毒理試驗者優先。

六、輔導方式與流程

- (一) 申請者正式公文向 TFDA 提出 T-RMAT 專案輔導申請，並檢附再生醫療製劑查驗登記(含有附款許可)或胞外體 First-in-human 臨床試驗之期程規劃。
- (二) TFDA 收案後，由專家委員組成評選小組，針對專案可行性、臨床需求、藥品開發期程規劃及技術性資料完整性等進行評審，通過評選符合潛力案件者，始得正式納入 T-RMAT 專案輔導。
- (三) 對於納入之專案輔導案件，輔導小組將提供客製化之雙向溝通服務，並就法規、製造、臨床前及臨床等面向，協助申請者釐清決策或技術面之關鍵議題。
- (四) 專案輔導案件原則上每 2 週召開 1 次會議，並視個案執行進程調整；申請者須依會議需求提供完整資料，並與輔導小組充分溝通，以形成具體且可執行之輔導建議。
- (五) 視專案推動進度及實際需求，必要時提供滾動式審查(rolling review)及書面審查意見。
- (六) 申請者應依專案輔導結論，正式提出臨床試驗或查驗登記(含有附款許可)之申請。
- (七) 經本專案輔導之案件，並取得完成輔導證明文件者，應檢附聲明技術性資料與專案輔導審查資料版本內容完全相同之切結

書，提出臨床試驗或查驗登記(含有附款許可)申請，其審查天數原則如下：

1. 臨床試驗申請：15 日
2. 查驗登記(含有附款許可)申請：120 日

七、追蹤管理

- (一) 申請者應配合專案輔導小組之運作，並切結所提供資訊之真實性，且未刻意隱瞞關鍵資訊。如經查證有提供不實資訊或隱匿重要事實之情事，將終止專案輔導。
- (二) 申請者應指派專人負責專案推動，並擔任主要聯繫窗口，於專案執行期間配合說明專案進度、預定工作、待解決事項、徵詢議題等。若未依專案管理機制配合，或連續六個月未具實質進度，經輔導小組認定無繼續輔導之必要時，將終止專案輔導。

八、預期效益

- (一) 透過具拘束力 (binding) 之輔導結論，提升再生醫療製劑申請資料準備品質與後續審查效率，降低反覆補件與審查不確定性。
- (二) 藉由前端具一致性與可預期性之法規科學建議，降低法規、製程、分析方法開發及臨床試驗相關風險。
- (三) 建立具滾動式審查(rolling review)為基礎之研發與審查銜接機制，促進創新再生醫療製劑於確保安全性與有效性之前提下，順利應用於臨床並推動產業發展。