

「新藥查驗登記加速核准機制」(草案)

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，使得藥物可提早上市，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，需符合下列三點：

- (一)屬藥事法第七條定義之新成分新藥。
- (二)申請人應向中央主管機關提出申請適用本機制之認定，經評估認定列入適用者。
- (三)該藥品宣稱之適應症，應符合下列情形之一：
 1. 適應症為嚴重疾病之嚴重症狀。嚴重疾病係指嚴重威脅生命的疾病，若未經治療，疾病過程將隨時間更趨嚴重，且顯著影響病患日常生活功能的疾病，及其他經評估認定之重大疾病；且該適應症具有臨床上的優勢，可滿足醫療迫切需求，且為醫療上主要進展 (major advance)。醫療上主要進展係指新藥在於預防、診斷或治療的臨床功效顯著優於現行方法。如：
 - (1) 新藥療效優於現行方法。
 - (2) 新藥可避免嚴重不良反應，其療效相似，而安全性顯著優於現行治療方法，此嚴重副作用為公共衛生重視的議題。
 - (3) 目前未有其他經證實安全有效之治療方法、預防方法或診斷方法者。
 2. 該成分在十大醫藥先進國已取得罕藥認定 (Orphan drug designation)。
 3. 該成分於國內非罕見疾病藥物製造或輸入我國確有困難者。

三、 說明

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，並以適當的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。適用本機制的藥品，必要時須進行第四期確認試驗（phase IV confirmatory trials）以證明替代療效指標確實達到臨床上的效益。

四、 申請程序

申請人應填具中央衛生主管機關規定之申請書表，並檢附相關說明及資料，向行政院衛生署食品藥物管理局（以下簡稱食品藥物管理局）提出適用認定申請，並繳交該申請案之規費。

五、 評估結果之處理

食品藥物管理局受理申請後，應依評估結果，作出下列之一的處理：

- (一)不列入適用本機制者：經評估該藥品不列入適用本機制者，食品藥物管理局應通知申請人。
- (二)列入適用本機制者：經評估該藥品列入適用本機制者，食品藥物管理局應通知申請人，申請人於新藥查驗登記申請時，得提出該藥品已列入適用本機制。

六、 新藥查驗登記審查過程中，有下列情形之一者，食品藥物管理局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)其他經食品藥物管理局認定有具體理由，不宜適用本機制進行審查者。

七、 其他事項

已取得藥品許可證之藥品，若未依要求確實執行第四期確認試驗或第四期確認試驗未能顯現具有臨床上之效益者，廢止該藥品許可證。