

藥品突破性治療認定要點

108 年 11 月 18 日修正

一、前言

衛生福利部食品藥物管理署（以下簡稱食藥署）為提升民眾用藥可近性，加速新藥審查上市，針對治療我國嚴重疾病或罕見疾病且經早期臨床證據顯示相較現行療法具重大突破性改善之藥品，予以認定並提供臨床試驗及查驗登記雙向溝通管道，及申請查驗或變更登記前之模組批次審查，特制定本要點。

二、適用對象

需同時符合下列條件：

- (一) 屬藥事法之新成分新藥或已取得藥品許可證，且宣稱之適應症為我國嚴重疾病或罕見疾病。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) 早期臨床證據顯示其臨床療效指標比現行療法具重大突破性改善。重大突破性改善（Substantial Improvement）係指療效優於現行療法、能延緩或抑制疾病病程而現行療法只能改善症狀、安全性顯著優於現行療法且其療效相似等；臨床療效指標係指：
 - 1、 在一個已知的替代療效指標上具有療效。
 - 2、 在替代療效指標或中間療效指標可合理地預測臨床療效。
 - 3、 與現行治療相比在安全性資料上有顯著地改善，且兩者有相似的療效證據。
- (三) 於我國執行有臨床意義之臨床試驗，如為早期臨床試驗尤佳。

三、申請程序

- (一) 廠商應填妥申請文件如附表，並檢附早期臨床證據資料，向食藥署提出認定申請。
- (二) 廠商提出申請時間，建議不得晚於第二期臨床試驗結案報告前。

- (三) 由食藥署根據廠商提出之資料進行案件評估，並於 30 天內函復廠商認定結果，送件資料任一項不全者，不予認定。

四、 雙向溝通機制

- (一) 廠商應於通過認定後至少每 3 個月向食藥署報告該案執行進度及產品未來研發規劃。
- (二) 經認定適用本要點之藥品，其案件研發期間，如廠商有待協助解決之法規相關議題，得向食藥署提出諮詢，食藥署得視情況邀請外部專家及財團法人醫藥品查驗中心召開會議討論，召開會議之費用，由食藥署另行公告之。

五、 模組批次審查 (Module-Based Rolling Review)

經認定通過品項，廠商得於申請藥品查驗登記前，依據通用技術文件格式 (Common Technical Document; CTD)，向醫藥品查驗中心申請模組批次審查。另，安定性試驗資料應於領證前補齊，如未能提供應提出合理說明。

- 六、 經認定適用本要點後，食藥署所提供之雙向溝通建議，原則上可做為日後案件審查之參據。
- 七、 經認定適用本要點之藥品，於申請藥品查驗登記時，宣稱之適應症與認定時相符者得適用新藥優先審查機制，毋須另行申請優先審查機制認定。

八、 停止適用

在科學上及臨床上的審查標準以及對試驗期間與數據品質之要求，均不因該個案經認定適用本要點而予以改變；新藥仍須符合安全、療效與品質之要求，始准予上市。食藥署得依據實際審查人力量能，定期評估檢討認定品項之案件數目；有以下情形者，得停止適用本認定要點：

- (一) 經認定適用本要點後，未依承諾於我國執行有臨床意義之臨床試驗。
- (二) 產品後期臨床證據未達預估成效。
- (三) 廠商暫停或終止研發。

- (四) 未依規定至少每 3 個月向食藥署報告執行進度及產品未來研發規劃。
- (五) 其他經食藥署評估有重大疑慮。

突破性治療認定案件申請表

108 年 11 月 18 日制定

一	申請單位			
	負責人		統一編號	
	地址			
二	聯絡人		職稱	
	電話		傳真	
	E-mail			
三	案件名稱			
	成分			
	宣稱適應症	*須為我國嚴重疾病		
	目前研發階段	☐ 第一期臨床試驗 ☐ 第二期臨床試驗 ☐ 第三期臨床試驗 *建議最遲不得晚於第二期結案報告前		
	資格認定	1. ☐ 新成分新藥且宣稱適應症為我國 ☐ 嚴重疾病 ☐ 罕見疾病 2. ☐ 已取得藥品許可證(許可證字號)且宣稱適應症為我國 ☐ 嚴重疾病 ☐ 罕見疾病 早期臨床證據顯示臨床療效指標比現行療法具重大突破性改善 *請附上臨床證據簡述，簡要說明現行療法及其有效性；說明選擇用於臨床試驗的對照組、研究設計、研究族群和所用的療效指標；並簡要說明研究結果和統計分析方式 ☐ 於我國執行有意義之臨床試驗(☐ 早期臨床試驗)		
	其他	例如以取得先進國家之藥品突破性治療相關認定資格之證明文件或其他有利審查之資料		
四	研發規劃	*請附上產品未來研發之期程規劃		
五	曾有之諮詢或審查經驗	1.國內法規單位		
		日期	案名	案號
		2.國外法規單位		
		日期	案名	案號
		*得依個案實際需求自行增加欄位		
六	其他說明	*得依個案實際需求自行補充說明		