

## 衛生福利部食品藥物管理署 公告

受文者：藥品組

發文日期：中華民國104年9月23日

發文字號：FDA藥字第1041409042號

附件：罕見疾病藥物認定申請要點

裝

主旨：公告修訂「罕見疾病藥物認定申請要點」。

公告事項：

- 一、本署於101年1月28日FDA藥字第1001409601號公告「罕見疾病藥物認定申請要點」，提供申請者準備資料及本署審查之依據。
- 二、為加強罕見疾病藥物認定後之安全療效追蹤，特修訂「罕見疾病藥物認定申請要點」如附件。
- 三、嗣後罕見疾病藥物認定申請案，應依新版「罕見疾病藥物認定申請書」檢附相關資料提出申請。

訂

線

副本：台灣研發型生技新藥發展協會、衛生福利部國民健康署、衛生福利部中央健康保險署、財團法人罕見疾病基金會、財團法人生物技術開發中心、財團法人醫藥品查驗中心、財團法人製藥工業技術發展中心、台灣醫院協會、台灣製藥工業同業公會、中華民國開發性製藥研究協會、中華民國西藥代理商業同業公會、中華民國西藥商業同業公會全國聯合會、中華民國製藥發展協會、台北市西藥代理商業同業公會、高雄市西藥商業同業公會、國立臺灣大學醫學院附設醫院、國立成功大學醫學院附設醫院、臺北榮民總醫院、國防醫學院三軍總醫院、長庚醫療財團法人林口長庚紀念醫院、國泰醫療財團法人國泰綜合醫院、

新光醫療財團法人新光吳火獅紀念醫院、秀傳醫療財團法人秀傳紀念醫院、中國醫藥大學附設醫院、奇美醫療財團法人奇美醫院、中山醫學大學附設醫院、全國藥物不良反應通報中心、社團法人台灣臨床藥學會、臺中榮民總醫院、高雄榮民總醫院、財團法人馬偕紀念醫院、財團法人佛教慈濟綜合醫院、彰化基督教醫療財團法人彰化基督教醫院、私立高雄醫學大學附設中和紀念醫院、社團法人中華民國學名藥協會

署長 姜郁美

## 衛生福利部食品藥物管理署 罕見疾病藥物認定申請要點

- 一、衛生福利部食品藥物管理署（以下簡稱本署）為受理罕見疾病藥物認定之申請，特訂定本要點。
- 二、申請罕見疾病藥物認定，應具備下列資格：
  - （一）藥商
  - （二）醫療院所
  - （三）其他經本署認定者
- 三、申請罕見疾病藥物認定者，應檢附下列資料，以郵寄方式向本署提出申請：
  - （一）申請者之申請公文、設立登記與營業資料影本及負責人身分證明文件影本。
  - （二）罕見疾病藥物認定申請書（附件），並依申請書檢附相關藥品技術性資料（一式二份）。

## 罕見疾病藥物認定申請書

申請日期： 年 月 日

申請機構名稱：

申請機構商號/代號：

地址：

電話：

負責人姓名：

機構章戳：

## 一、藥品基本資料：

藥品商品名 (或擬定名稱)	
主成分名稱	
劑型	
劑量(單位含量)	
製造廠名稱	
製造廠址	
宣稱適應症	
用法用量	
類別	<input type="checkbox"/> 新成分 <input type="checkbox"/> 新使用途徑 <input type="checkbox"/> 新複方 <input type="checkbox"/> 新療效 <input type="checkbox"/> 新劑型 <input type="checkbox"/> 新使用劑量 <input type="checkbox"/> 新單位含量

二、藥品技術性資料(一式二份)：

應檢附資料項目	自行 審核	說明
I. 藥品綜合描述摘要	<input type="checkbox"/>	應包含本品基本描述、藥理作用機轉、宣稱之適應症、用於該適應症之療效及安全性、目前是否有其他治療方法可治療該適應症、及本品之優點。
II. 藥品於其他國家認定及查驗登記現況	<input type="checkbox"/>	說明本品是否經其他國家認定為罕藥、申請查驗登記情形、是否已核准上市、核准適應症為何及是否有任何負面的決定等。
III. 藥品技術性文件		
1. 非臨床之安全性試驗報告	<input type="checkbox"/>	檢附相關試驗報告或文獻資料
2. 藥理作用 - 有效性證明 - 一般藥理	<input type="checkbox"/>	檢附相關試驗報告或文獻資料
3. 臨床試驗報告 - 臨床試驗報告或醫學期刊	<input type="checkbox"/>	檢附相關試驗報告或文獻資料
4. 中、外文仿單	<input type="checkbox"/>	
IV. 其他	<input type="checkbox"/>   <input type="checkbox"/>  <input type="checkbox"/>	1.罕見疾病藥物安全療效追蹤計畫書：應包含欲追蹤項目、欲評估之療效指標(endpoint)，評估計畫書格式及內容經審核通過後應確實執行，廠商應定期檢送報告至本署審查，直至完成查驗登記為止。 2.申請罕見疾病藥物查驗登記之時程規劃。 3.依「罕見疾病及藥物審議會-藥物小組」審議結果所要求之資料。