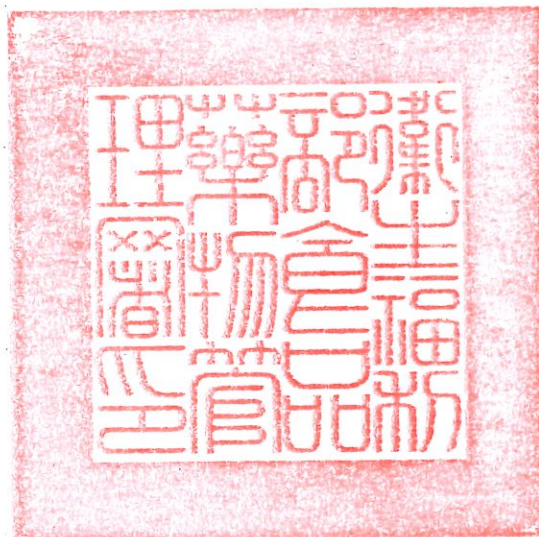


衛生福利部食品藥物管理署 公告

發文日期：中華民國107年3月26日
發文字號：FDA藥字第1071402402號
附件：研發中罕見疾病藥物認可申請要點



主旨：公告「研發中罕見疾病藥物認可申請要點」，並自即日起生效。

公告事項：

- 一、為鼓勵罕見疾病藥物之研發，使研發業者可及早釐清所研發藥品之定位，以利規劃日後產品研發方向，特訂定「研發中罕見疾病藥物認可申請要點」，受理研發中罕見疾病藥物認可之申請。
- 二、旨揭公告另載於本署網站「公告資訊」下「本署公告」網頁。

副本：

署長吳秀梅

衛生福利部食品藥物管理署 研發中罕見疾病藥物認可申請要點

- 一、衛生福利部食品藥物管理署（以下簡稱本署）為鼓勵罕見疾病藥物之研發，受理研發中罕見疾病藥物認可之申請，特訂定本要點。
- 二、本要點適用於尚未在人體完成可供確認療效之臨床試驗的研發中藥品，所宣稱適應症應為衛生福利部公告之罕見疾病，或依「罕見疾病防治及藥物法」第二十二條規定，製造或輸入我國確有困難且經審議會審議認定有助於特定疾病之醫療者。
- 三、申請研發中罕見疾病藥物認可者，應檢附下列資料，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）研發中罕見疾病藥物認可申請書（附件），並依申請書檢附相關藥品技術性資料（一式二份）。
 - （三）研發中之藥品，於申請認可時尚無法提供完整臨床試驗報告資料，於此狀況下仍應至少檢附具相應動物模式（relevant & appropriate animal model）之臨床前資料佐證，並應提出合理之科學性推論（包括藥理作用機轉及臨床可應用性），必要時本署得要求檢附初步人體使用經驗相關資料；如所宣稱之適應症已有其他治療方法，應另檢附資料佐證此藥品相較於現行治療方式能提供病人更佳或重大的治療效益。
- 四、依本要點提出之申請案，若經審議後同意其認可申請，將予核發研發中罕藥認可函，認可函有效期限為三年，期滿後需重新提出認可申請，且於此期間不得申請全民健康保險給付及罕見疾病醫療補助。
- 五、經認可之研發中罕見疾病藥物名單，將公布於本署網頁。

研發中罕見疾病藥物認可申請書

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	☐ 新成分 ☐ 新使用途徑 ☐ 新複方 ☐ 新療效

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	☐	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研發現況	☐	說明本品是否經其他國家認定為罕藥及研發情形等。
III. 藥品技術性文件		
1. 非臨床之安全性試驗報告	☐	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	☐	檢附相關試驗報告或文獻資料。
3. 臨床試驗資料 - 臨床試驗報告或醫學期刊	☐ ☐ ☐	檢附相關試驗報告，但無法提供完整臨床試驗報告之研發階段藥品，應至少檢具下列資料及文獻佐證： 1. 具相應動物模式（relevant & appropriate animal model）之臨床前試驗之數據。 2. 合理之科學性推論（包括藥理作用機轉及臨床可應用性）。
IV. 其他	☐ ☐ ☐	1. 藥品研發期程規劃。 2. 如所宣稱之適應症已有其他治療方法，應另檢附資料佐證此藥品相較於現行治療方式能提供病人更佳或重大的治療效益。 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。