



台灣藥物法規
資訊網法規公告



台灣藥品
臨床試驗資訊



TFDA藥物
食品安全週報



致力法規科學
守護生命健康

Regulatory Science, Service for Life

美國 FDA 於 2019 年 1 月發表「加速核准(Accelerated approval) 機制通過之化學藥品及生物製劑仿單」指引

發表單位：美國 FDA

摘要整理：邱鈺庭

發表時間：2019/01/22

內容歸類：仿單指引

類別：指引

關鍵字：Accelerated approval、
surrogate endpoint、
intermediate clinical endpoint

資料來源：[Labeling for Human Prescription Drug and Biological Products Approved Under the Accelerated Approval Regulatory Pathway: Guidance for Industry](#)

- 重點內容：
1. 加速核准機制(accelerated approval)為美國 FDA 縮短治療嚴重或威脅生命疾病之藥品(包括化學藥品及生物製劑)研發時程所發展出的一種審查機制，適用範圍包括使用下列臨床指標支持療效的藥品：可合理預測其臨床效益的替代性指標、或可於發生不可逆之發病或死亡前測得之臨床指標，且此臨床指標可合理預測藥品在上述情況或在其他臨床效益上的療效。這些臨床指標又稱為替代性指標(surrogate endpoints)和中間療效指標(intermediate clinical endpoints)。
 2. 經由加速核准機制核准上市的藥品，在不確定替代性指標或中間療效指標與最終臨床效益的關聯性下，原則上必須進行確認性試驗(confirmatory trials)以證實確實達到臨床上的效益。
 3. 本指引重點為如何將依據替代性指標或中間療效指標加速核准的藥品資訊於藥品仿單之「適應症及用法」段落呈現。以下整理美國 FDA 對仿單內容的考量：
 - (1) 基於加速核准機制核准的適應症：
仿單「適應症及用法」段落除了適應症描述(如藥品可治療、預防、減輕、治癒或診斷之疾病或症狀)外，另外須刊載加速核准相關資訊，包括療效證據的侷限性與不確定性(如哪些臨床指標的效果尚



台灣藥物法規
資訊網法規公告



台灣藥品
臨床試驗資訊



TFDA 藥物
食品安全週報



致力法規科學
守護生命健康

Regulatory Science, Service for Life

未建立)，以及上市後的療效確認性試驗，舉例如下：

藥品 X 為治療[某適應症]的藥品。此適應症係依據[某替代性指標或中間療效指標]加速核准[詳見臨床試驗段落(14.X)]。該適應症的持續核准須取決於確認性試驗中對於臨床效益的驗證及描述 (verification and description)。

(2) 該適應症的臨床效益已被驗證：

若上市後的確認性試驗能成功驗證藥品的臨床效益，則應依據試驗結果修改或刪除仿單適應症段落關於加速核准的敘述。此外，仿單其他段落如不良反應 (adverse reactions) 和臨床試驗 (clinical studies) 資訊應一併更新。

(3) 撤銷 (withdrawn) 加速核准之適應症：

經加速核准機制核准之適應症可能會因為以下理由而遭到撤銷：

- A. 申請者未依要求執行上市後臨床試驗。
- B. 上市後臨床試驗未能驗證及描述預期的臨床效益。
- C. 有其他證據顯示藥品不安全或沒有療效。

若加速核准之適應症遭撤銷，但該藥品有其他已核准之適應症，則須刪除仿單內被撤銷之適應症相關的敘述。另外，以下資訊亦可新增於仿單上：

A. 缺乏療效證據：

為了強調藥品在該適應症無療效或臨床效益未能超過風險，美國 FDA 得要求申請者將相關資訊新增於「適應症及用法」段落。

B. 安全性資訊：

為了防止醫療人員在未留意適應症已撤銷之下使用藥品而導致不良反應或風險，美國 FDA 得要求申請者將相關安全性資訊列於「警語及注意事項」及/或「不良反應」段落，但須註明藥品並未核准用於該適應症。