



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 2018 年 8 月發表「發展治療骨關節炎藥品、醫材和生物製劑的結構性終點指標」指引草案

發表單位：美國 FDA

摘要整理：張意苓

發表時間：2018/8/22

內容歸類：臨床研究

類別：指引草案

關鍵字：Osteoarthritis、Structural
Endpoint

資料來源：[Osteoarthritis: Structural Endpoints for the Development of Drugs, Devices, and Biological Products for Treatment - Guidance for Industry](#)

重點內容：1. 目前，治療骨關節炎(osteoarthritis, OA)都是基於病人報告結果(patient-reported outcome)來評估其疼痛與行動功能的改善，而獲得適應症的核准。然而，針對病生理學標靶、抑制關節結構傷害的治療仍然有限。因此，美國 FDA 於 2018 年 8 月發表指引草案，提出評估治療骨關節炎醫療產品(包含藥品、醫材和生物製劑)，試驗的結構指標(structural endpoint)應考量下列三點：

- (1) 骨關節炎可以是一種嚴重疾病，對於修飾(modify)疾病自然過程、以防止長期失能上具有醫療迫切需求。然而，關於此類產品的開發，有幾個持續存在的問題，包括多重複雜的疾病機轉、結構性改變，與徵象/症狀/功能之間關係的不一致性、缺乏疾病惡化的標準定義，和缺少可信賴的試驗指標，來評估產品改變骨關節炎惡化的能力。
- (2) 骨關節炎是經由複雜的病理改變，而使功能損害及導致長期失能，目前，尚不明確結構改變的幅度，是否能轉化成對病人的臨床效益(如疼痛減少，功能增加或延長達疾病末期的時間)。因此，法規目前未曾藉由結構性指標，用於核准(approval)骨關節炎的治療。
- (3) 如欲使用結構性指標作為加速核准的依據，申請者需比較多個隨



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

機對照臨床試驗取得經驗性證據(empirical evidence)，和(或)基於詳盡的病程了解與產品作用機轉，藉此確認這項結構指標，能可信地預測病人將來的臨床結果。最終的治療目標，是避免或顯著延遲關節衰竭(joint failure)的併發症和關節置換的需求，也要減少功能和疼痛的惡化。

2. 現今所常見結構惡化的試驗指標，尚無法可信且直接地預測病人的感受與功能表現。因此，美國 FDA 歡迎相關領域人士，針對上述考量進行溝通對話。