





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

床情境 ( 例如：具有醫療迫切需求 )。

4. 評估不定組織類型之腫瘤藥品研發是否適當，可由三方面考量：

(1) 生物學：對各種癌症類型的生物學有堅實的 ( robust ) 瞭解是基本要件，例如：癌症的分子病理生理學、分子變異、藥品的作用機轉，以及對藥品的反應。

(2) 受試者族群：如果某一分子變異在各腫瘤類型中極為罕見 ( 例如：NTRK 融合 )，則不定組織類型腫瘤藥品研發可能是較可行的發展策略。在一些情況中，若一特定的分子變異較頻繁的存在於某類常見的癌症類型 ( 例如，RET 陽性肺癌或甲狀腺癌 )，試驗委託者 ( sponsor ) 應先行評估是否此藥品可較有效率地以該癌症類型來進行研發，而非以不定組織類型的方式。試驗委託者在藥品以一種或多種特定癌症類別先獲得初始核准後，接下來以附加申請 ( supplemental application ) 的方式尋求不定組織類型之適應症，可能是可接受的方式。

(3) 臨床藥理學、臨床安全性及療效：

A. 試驗委託者應評估不同癌症類型是否存在有意義的藥動學 ( PK ) 及藥效學 ( PD ) 差異，以及是否適合使用相同劑量。

B. 早期臨床數據是否顯示不同的癌症類型有大致相似的反應。

C. 在決定是否應尋求不定組織類型適應症之前，應基於上述生物學因子針對必須先行研究的癌症種類，及癌症數目提出合理性論述，且應與適當的審查部門進行討論。

D. 建議臨床試驗納入的受試者宜尋求多樣性。

E. 是否有任何特殊的安全性考量，可能會限制此藥品在特定病人族群的使用。



- F. 在開始執行擬用來支持不定組織類型適應症之試驗前，試驗委託者須針對先前治療( prior therapies )，以及擬宣稱適應症之病人族群提出合理性論述。
5. 本指引草案亦涵蓋不定組織類型腫瘤藥品研發時之重要議題，包括非臨床評估、試驗設計、整體樣本數及特定癌症種類之次族群樣本數之合理性，以及核准路徑（傳統核准，或加速核准）……等，並建議試驗委託者應盡早且經常與美國 FDA 進行討論。