



致力法規科學  
守護生命健康

Regulatory Science, Service for Life

## 衛生福利部公告「小兒或少數嚴重疾病藥品審查認定要點」及修正「新藥查驗登記精簡審查機制」、「新藥查驗登記優先審查機制」、「新藥查驗登記加速核准機制」、「藥品突破性治療認定要點」

發表單位：衛生福利部

摘要整理：周彤

發表時間：2019/11/18

內容歸類：藥政管理

類別：公告

關鍵字：新藥查驗登記、小兒族群、少數嚴重疾病、突破性治療、精簡審查、優先審查、加速核准

文號：衛授食字第 1081410630 號

資料來源：[公告「小兒或少數嚴重疾病藥品審查認定要點」及修正「新藥查驗登記精簡審查機制」、「新藥查驗登記優先審查機制」、「新藥查驗登記加速核准機制」、「藥品突破性治療認定要點」](#)

- 重點內容：
1. 為增進民眾用藥可近性、提升新藥審查效率、加速新藥核准上市時程及有效利用審查資源，以期使新藥可及早上市，嘉惠國內病人，制定及修正新藥查驗登記相關審查機制及認定要點。
  2. 小兒或少數嚴重疾病藥品審查認定要點
    - (1) 適用對象(需同時符合下列條件)
      - A. 屬藥事法第七條定義之新藥。
      - B. 適應症為我國的嚴重疾病。
      - C. 該疾病主要影響小兒族群或盛行率在萬分之五以下。
      - D. 滿足我國醫療迫切需求(unmet medical need)。
    - (2) 認定申請程序
      - A. 申請人應事先檢附相關資料，向衛生福利部食品藥物管理署(以下簡稱食藥署)提出認定申請。倘食藥署已開始進行該藥品查驗登記之審查，則不再受理認定申請。



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

- B. 食藥署根據申請人提出之資料進行評估，並於 30 天內函復申請人認定結果。經本要點認定之藥品，應於申請查驗登記時檢附適用通知函。
- (3) 鼓勵措施
- A. 經本要點認定之藥品，以相同適應症申請查驗登記時，直接適用「新藥查驗登記優先審查機制」，審查天數為 240 天，毋須另行申請優先審查機制認定。
- B. 無須事先提出銜接性試驗評估(BSE)申請，族群差異將於查驗登記時一併評估。
- C. 配合藥品查登準則修訂後，得免除採用證明，於核准前檢出產國許可製售證明，倘於國內執行所申請適應症相關臨床試驗，得免除採用證明及出產國許可製售證明。
- D. 臨床試驗之數目、受試者人數等方面得依個案適度放寬，建議於提出認定申請時，一併敘明。
- E. 應於許可證第 1 次展延時，檢送前 5 年國內罹病人數(包含小兒、全體族群)、國內實際用量及國內估計使用需求的報告。
- (4) 優先審查憑證(voucher)
- A. 經本要點認定為小兒嚴重疾病之新成分新藥，且其用以確認小兒族群療效、安全及用法用量之小兒族群臨床試驗於國內執行者，於該藥品核准取得許可證時，食藥署得核發 1 次優先審查憑證。
- B. 使用優先審查憑證於藥品查驗登記者，其所申請之適應症得不限於小兒嚴重疾病，亦無需符合優先審查認定機制之要求，惟應於申請查驗登記前至少 30 天通知食藥署。
- C. 優先審查憑證於取得憑證之藥品上市販售後生效，尚未於核准後 1 年內於我國上市販售，食藥署將註銷優先審查憑證及其憑證使用權利。
- D. 優先審查憑證得移轉其他公司，當發生移轉時，須在移轉後



台灣藥物法規  
資訊網法規公告



台灣藥品  
臨床試驗資訊



FDA  
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

30 天內通知食藥署，並應由移轉雙方互相出具聲明函。移轉應於取得憑證之藥品上市販售後方可進行。

### 3. 藥品突破性治療認定要點

#### (1) 適用對象(需同時符合下列條件)

- A. 屬藥事法之新成分新藥或已取得藥品許可證，且宣稱之適應症為我國嚴重疾病或罕見疾病。
- B. 早期臨床證據顯示其臨床療效指標比現行療法具重大突破性改善(substantial improvement)。
- C. 於我國執行有臨床意義之臨床試驗，如為早期臨床試驗尤佳。

#### (2) 認定申請程序

- A. 申請人應檢附早期臨床證據資料，向食藥署提出認定申請。申請時間建議不得晚於第二期臨床試驗結案報告前。
- B. 食藥署根據申請人提出之資料進行評估，並於 30 天內函復申請人認定結果。

#### (3) 溝通機制與鼓勵措施(通過認定後)

- A. 申請人應於通過認定後至少每 3 個月向食藥署報告該案執行進度及產品未來研發規劃。
- B. 研發期間有待解決之法規相關議題，申請人得向食藥署提出法規相關議題諮詢，食藥署得視情況邀請專家與 CDE 召開會議討論。
- C. 申請人得於申請藥品查驗登記前，依據通用技術文件格式(CTD)，向 CDE 申請模組批次審查。
- D. 經本要點認定之藥品，於申請查驗登記時，宣稱之「適應症與認定時相符」者，得適用新藥查驗登記優先審查機制(審查天數為 240 天)，毋須另行申請優先審查機制認定。

### 4. 新藥查驗登記加速核准機制

- (1) 適用對象(需同時符合下列條件)，經評估准予適用者得直接適用「新藥查驗登記優先審查機制」，審查天數為 240 天。



台灣藥物法規  
資訊網法規公告



台灣藥品  
臨床試驗資訊



FDA  
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

- A. 屬藥事法第七條定義之新藥。
  - B. 該藥品宣稱之適應症，應符合下列情形之一：
    - a. 適應症為我國的嚴重疾病並能滿足我國醫療迫切需求。
    - b. 適應症具醫療迫切需求，且在十大醫藥先進國之任一國已取得罕藥認定(orphan drug designation)。
    - c. 適應症具醫療迫切需求，且於國內非屬罕見疾病藥物，製造或輸入我國確有困難者。
- (2) 認定申請程序
- A. 申請人應事先檢附相關資料，向食藥署提出認定申請。
  - B. 食藥署根據申請人提出之資料進行評估，並於 30 天內函復申請人認定結果。經本要點認定之藥品，應於申請查驗登記時檢附適用通知函。
- (3) 審查標準及上市後要求
- A. 在科學證據支持下，可接受合理替代療效指標(surrogate endpoint)。
  - B. 原則上必須進行確認性試驗 (confirmatory trials)，以證明確實達到臨床上的效益，此確認性試驗得在藥品上市後執行；必要時須提供風險管理計畫。
  - C. 應於申請新藥查驗登記時提出確認性試驗之試驗設計與完成試驗及報告時間。
  - D. 中文仿單適應症段落需加入下列文字敘述：此適應症係依據 (...[填寫替代療效指標，例如：腫瘤反應率])加速核准，此適應症仍需執行確認性試驗以證明其臨床效益。
5. 新藥查驗登記優先審查機制
- (1) 適用對象(符合下列條件三點中之二點)，審查天數為 240 天。
    - A. 屬藥事法第七條定義之新藥。
    - B. 該藥品應同時符合下列二條件：
      - a. 適應症為我國的嚴重疾病。
      - b. 滿足我國醫療迫切需求，係指具有醫療主要優勢(major



台灣藥物法規  
資訊網法規公告



台灣藥品  
臨床試驗資訊



FDA  
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

- advance)。
- C. 經我國政府核准優先輔導、補助研發，且具我國公共衛生或醫療迫切需求者。
- (2) 認定申請程序
- A. 申請人應檢附相關資料，事先向食藥署提出適用認定申請。
- B. 食藥署根據申請人提出之資料進行評估，並於 30 天內函復申請人認定結果。經本要點通過認定之藥品，應於申請查驗登記時檢附適用通知函。
- (3) 審查標準：不因優先審查而改變，新藥應符合安全、療效與品質之要求，始准予上市。
6. 新藥查驗登記精簡審查機制
- (1) 適用對象
- A. 第一類精簡審查：屬新成分新藥，具有美國 FDA、歐盟 EMA 或日本 MHLW 其中兩地區核准證明，經評估未具族群差異者。審查天數縮短為 180 天。
- B. 第二類精簡審查：屬新成分新藥，具有美國 FDA、歐盟 EMA 及日本 MHLW 核准證明且化學製造管制(CMC)資料皆相同，經評估未具族群差異者。審查天數縮短為 120 天。
- (2) 認定申請程序
- A. 申請人應檢附相關資料，事先向食藥署提出認定申請。倘食藥署已開始進行該藥品查驗登記之審查，則不再受理認定申請。
- B. 食藥署根據申請人提出之資料進行評估，並於 30 天內函復申請人認定結果。經本要點通過認定之藥品，應於申請查驗登記時檢附適用通知函。
- (3) 審查重點與提醒事項
- A. 審查重點
- a. 臨床部分：適應症及用法用量、藥品風險管理計畫 (RMP)、上市後承諾(post-marketing commitment)、



台灣藥物法規  
資訊網法規公告



台灣藥品  
臨床試驗資訊



FDA  
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

新增安全性議題。

- b. CMC 部分：原料藥之規格與包裝聲明與美國、歐盟或日本相同，可只審查規格與檢驗成績書(以下簡稱 CoA)；成品之製程、規格與 CoA、包裝與安定性，包裝與安定性如與核准上市國家不同，得視個案實際情形考量。
  - c. 藥動藥效部分：特殊族群、藥物交互作用。
- B. 查驗登記申請前無法檢送該品在美國、歐盟或日本核准上市之證明或檢送證明與申請所載全處方及工廠資訊不符時，食藥署得將此精簡審查案改為一般程序審查案件。
- C. 申請適用第一類精簡審查機制者，須在美歐日第二國核准的一年內向食藥署申請查驗登記。
- D. 申請適用第二類精簡審查機制者，須在美歐日第三國核准的一年內向食藥署申請查驗登記。
7. 相關公告及各類機制要點之詳細說明，公布於食藥署網頁：業務專區 > 藥品 > 新藥專區 > 新藥相關公告  
(<https://www.fda.gov.tw/TC/siteListContent.aspx?sid=2984&id=32228>)。