

國際醫藥法規新知

- ◆ [名家專欄]國際法規信賴審查機制簡介及業界經驗分享 p.1-11
- ◆ 英國 NICE 成本效益閾值之演進 p.12-20

國際醫藥聞新知

- ◆ 美國 FDA 公告《利用次世代定序評估人類基因治療產品基因體編輯的安全性評估》指引草案 p.21-24
- ◆ 美國 FDA 公告《藥品開發中應用新穎方法學之一般性考量》指引 p.25-27
- ◆ 美國 FDA 發布《無壓脈帶非侵入性血壓測量系統—臨床性能測試與評估》指引草案 p.28-29

國內醫藥法規重要政策

- ◆ 衛生福利部食品藥物管理署公告「人類胞外體製劑臨床試驗申請指引」 p.30-31
- ◆ 衛生福利部函知「藥品查驗登記國產加速審查試辦方案」 p.32-33

[名家專欄]

國際法規信賴審查機制簡介及業界經驗分享

李珮瑜¹

前言

醫藥研發技術的日新月異與疾病型態的複雜化，加上後疫情時代的衝擊，正加速推動全球藥品監管模式的轉型。傳統各自獨立的全案技術評估審查模式，雖能維持主管機關的監管權責，卻已難以應對案件量急遽激增、審查資源與專業人力侷限，以及全球供應鏈同步上市與突發緊急公衛的迫切用藥需求。在此窘境下，轉向高效的國際協作已成為必然趨勢。

為因應全球醫療物資需求，並且在「審查時效」與「科學嚴謹」間取得平衡，「**信賴審查(Regulatory Reliance)**」機制已躍升為近年國際法規管理變革的核心。該機制打破地域藩籬，透過跨國衛生主管機關間的信賴協作、資訊共享與審查標準化，優化資源配置，大幅降低重複審查之行政成本。此以互信為基礎的合作模式與資源互惠機制，將能提升醫藥品之可近性，以滿足全球日益多元且動態演變的健康需求。本文旨在梳理國際間法規信賴審查機制之指標性合作框架，並結合藥業實務經驗，探討我國在實務導入所面臨之挑戰與未來發展前景。

國際法規信賴審查(Regulatory Reliance)機制

一、Regulatory Reliance 概念與核心精神

Good reliance practices 定義「信賴」為：一個國家的衛生主管機構(Relying Authority)在做出決策時，考慮並利用另一個受信賴參考機構(Reference Authority)的評估報告。惟「信賴」不等於「自動核准」，各國衛生主管機構仍保有最終決定權。

¹瑞士商艾伯維藥品有限公司台灣分公司 法規事務處長

參考世界衛生組織(WHO) 2021 年發布的「Good reliance practices (下稱 GRelP)」指導原則，其核心概念在於確保科學性與法規主權之前提下，各國衛生主管機構可適度參考其他受信賴權威機構(如美國 FDA、歐盟 EMA)之審查結果，以減少重複審查並提升資源運用效率。此機制不僅有助於強化監管能力，更可加速安全、有效且具品質之醫療產品進入市場，進而提升病人用藥可近性。同時強調信賴機制適用於所有國家衛生主管機構，無論其成熟度或資源多寡；各衛生主管機關可因應各自需求，以 GRelP 原則訂定相關機制補足各自審查之不足，如：已具備專業素養但人力受限國家，可藉此提升內部審查量能，優化審查效率，或透過信賴機制補足本地尚未具備之審查量能。簡言之，信賴機制之於各類資源環境下之監管運作，皆具備關鍵重要價值^[1]。

GRelP 的運作模式，根據指導原則，各國可依據自身資源選擇不同程度的信賴，由淺入深分為四個層次：

1. 資訊共享(Information Sharing)：僅交換臨床數據摘要、上市後安全性警訊或不良反應監測紀錄，作為本地衛生主管單位判斷的輔助參考。
2. 簡化審查(Abridged Review)：針對已在他國核准的產品，只審查「在地化差異」，如：亞洲人種的劑量反應、特定族群的藥動學差異、本地流行病學數據或產品標籤需求；其餘技術性資料則採認他國之審查報告，以節省重複評估之資源。
3. 工作分享(Work Sharing)：兩國或多國針對一個新藥申請，各自分攤不同章節進行分工協同審查，最後共享審核成果。如由澳洲、加拿大、新加坡、瑞士與英國組成的「ACCESS 聯盟」。
4. 全面認可(Recognition)：屬於信賴的最高層級，一個衛生主管機構直接採納另一機構或法規體系的審查決策，進而全面免除額外的技術性資料審查作業。如歐盟 EMA 的集中審查機制 Centralized Procedure (CP)，一旦透過歐盟 EMA 的審查核准，即能獲得歐盟所有成員國的上市許可。

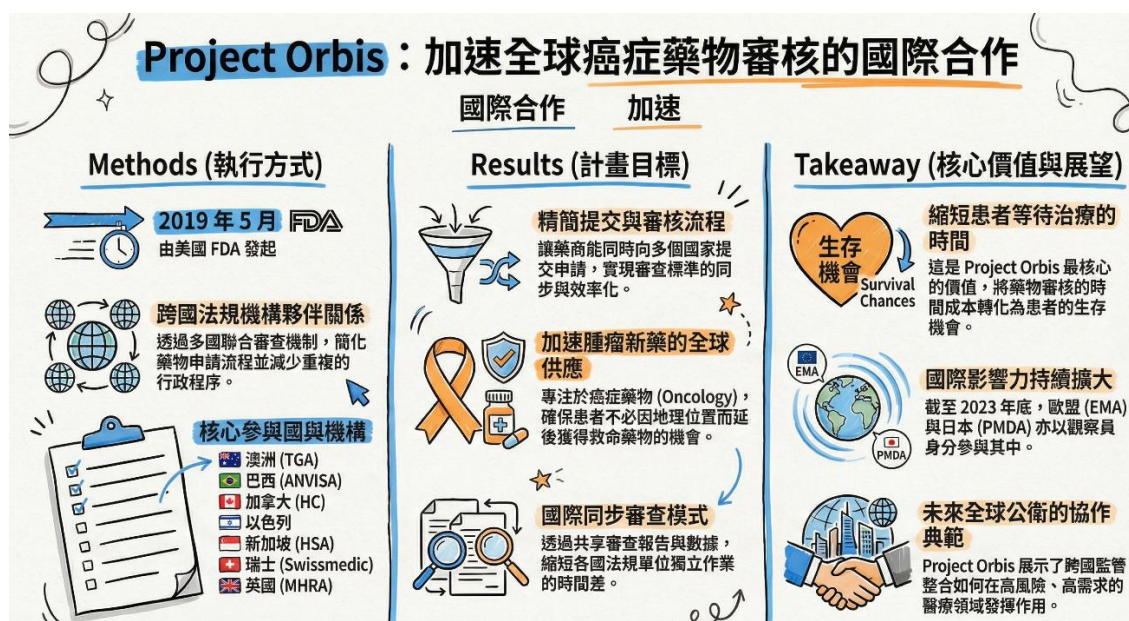
國際 GRelP 建立，主要由三大核心精神支撐：(一)對彼此審查標準與科學專業認可的「互信基礎」；(二)確保審查過程公開並落實數據共享的「資訊透明」；(三)則是透過資源整合，實質推動決策進展的「跨國協作」。近年為突破地域性及法規限制，解決時效與

資源挑戰，國際間推動更具主動性的國際三大 Reliance 協作專案，(一)由美國 FDA 主導提出之 Project Orbis，其允許各國同步提交與即時審查，加速新藥之市場准入與可及性；(二)由歐盟 EMA 主導 Project OPEN，為針對全球突發性緊急公衛需求所設立之具備高度法規韌性與機動性的跨區域協作機制；(三)為 ACCESS 聯盟由多國中型衛生主管機構組成，透過工作分享提升審查效率。

二、國際三大 Reliance 協作機制介紹

(一) Project Orbis：聚焦腫瘤新藥之即時協作平台

美國 FDA 卓越腫瘤中心(Oncology Center of Excellence)於 2019 年 5 月正式發起，讓申請者同時向多個國家提交申請，並透過多國聯合審查機制，簡化藥品申請審查流程並減少重複的行政程序，以加速癌症藥品於全球市場准入與可近性^[2]。成立時之核心參與單位涵蓋澳洲、加拿大、英國、新加坡、瑞士、巴西及以色列之法規機關，隨後歐盟 EMA 與日本 PMDA 於 2023 年底以觀察員身分加入，持續擴大其國際影響力(如圖一)。



圖一、Project Orbis 審查合作

Project Orbis 依據審查深度與時程，規劃了 Type A、B、C 三種協作模式，提供各

國衛生主管機關夥伴(Project Orbis Partners, POPs)彈性的參與路徑(詳見表一)。其核心價值在於，申請者可向美國及 POPs 同步遞交並啟動查驗登記流程，POPs 不僅能即時分享審查意見，更透過跨國線上會議進行深度的技術交流，達成法規科學共識。2019 年首宗透過 Project Orbis 機制案例 pembrolizumab plus lenvatinib，顯示美國、澳洲與加拿大幾乎同步完成新藥評估^[3]，突破了傳統藥品審查的地域時差。統計在 2019-2023 年間，美國 FDA 批准的 244 項腫瘤新藥中，高達 81 項(約 33%)透過此計畫完成，充分展現其在提升全球腫瘤新藥可近性成效^[4]。

表一、Project Orbis 國際協作模式

Project Orbis Type	Submission and/or approval gap between FDA and POPs	Sharing of FDA reviews	Multicountry meetings	Concurrent review with FDA	Plan for concurrent action with FDA
Type A Regular	< 30 days	Yes	Yes	Yes	Possible
Type B Modified	> 3 months	Yes	Yes	Possible	No
Type C Written Report Only	FDA already took regulatory action	Yes	No	No	No

(二) ACCESS Consortium：模組化分工之制度化協作

ACCESS Consortium 於 2007 年由澳洲(Australia)、加拿大(Canada)、新加坡(Singapore)、瑞士(Switzerland)共同組成，隨後英國於 2020 年正式加入，進一步擴張強化其國際協作量能。該聯盟的核心精神在於透過法規與政策高度整合，推動跨國藥品審查分工(Work-sharing)，藉由優化審查流程，減少資源之重複投入^{[5][6]}。

ACCESS 協作審查之四個關鍵階段：

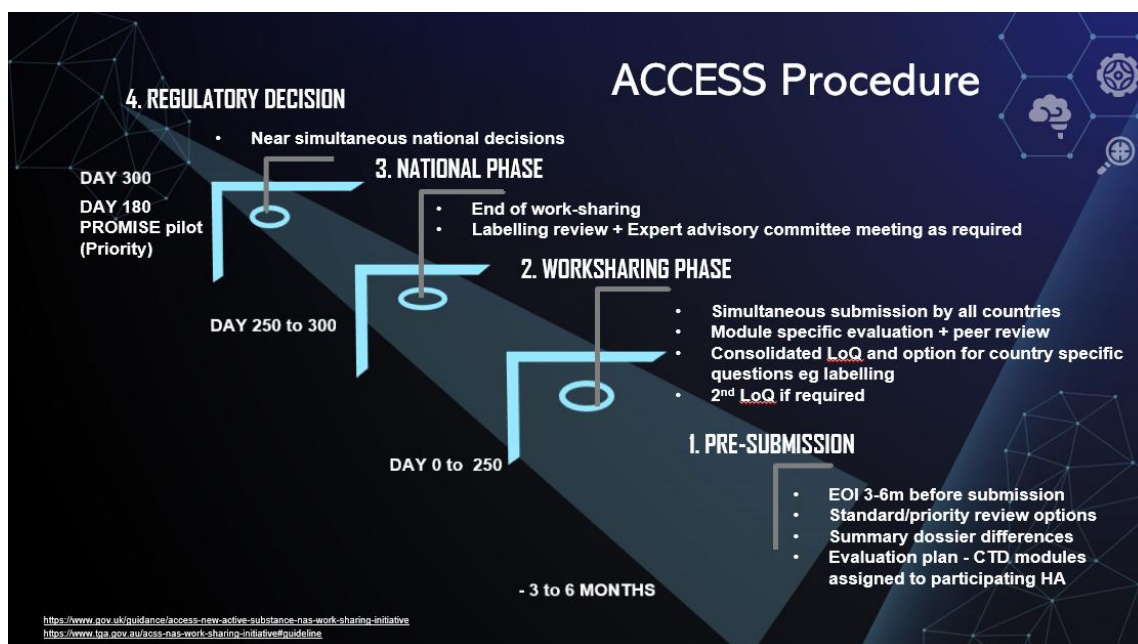
1. 申請前協調(Pre-submission alignment)：申請者先行提交意向書(Expression of Interest, EOI)，由聯盟成員共同協議選定主審機構(Reference Regulatory Agencies, RRAs)與協審機構(Concerned Regulatory Agencies, CRAs)，並確立各機關負責的審查模組及整體時程表。
2. 分工審查階段(Work-sharing phase)：申請者於多國同步遞件後，由 RRAs 各自進行

分工模組審查(Module-specific review)·如A國專責「化學製造與管制(CMC)模組」, B國負責「臨床數據評估」等。CRAs則進行同儕審查(Peer review), 最終彙整一份補件清單(Consolidated List of Questions, LoQs)。申請者僅須就LoQs提交一份整合性回覆(Consolidated Q&A)後, 由RRAs產出最終評估報告。

3. 國家階段(National phase): 在原則上採認上述評估報告的前提下, 各國回歸審視其國內特定法規要求, 如藥品標籤、包裝、仿單內容等在地化需求。

4. 最終決策(Regulatory decision): 在維持各國獨立法規主權與決策權的前提下, 達成近乎同步的核准(如圖二)。

2021年成功透過此機制核准多項新藥(如降血脂新藥 inclisiran 等)^[7]及 COVID-19 疫苗^[8], 充分展現了其應對重大公衛需求與創新療法的效能。更具意義的是, 其適用範疇已由新藥核准延伸至藥品全生命週期管理, 涵蓋研發端的臨床試驗申請的協調、准入端的學名藥與生物相似藥的審查分工, 和上市後的藥品上市後變更的同步核准, 足以證明 ACCESS 模組化分工協作模式已具備成熟的規模化運作能力, 成為各國優化監管資源、加速病人用藥可近性的最佳實務。



圖二、ACCESS Consortium 協作審查流程

(三) Project OPEN：因應全球公衛緊急事件之快捷協作機制

由歐盟 EMA 主導的 Project OPEN (Opening our Procedure at EMA to Non-EU authorities)最初於 2020 年 COVID-19 疫情期間以試辦形式啟動，並突破歐盟成員國限制，主動邀請加拿大、日本、澳洲、瑞士及 WHO 法規單位參與。對於新冠藥品透過即時會議、共享評估報告、問題清單、產品資訊及申請者回覆資料，快速交換安全性疑慮與應變策略，達到審查資訊的全面對等與透明，得以在近乎同步時程下進行評估，而申請者亦能進行同步回覆。各國衛生主管機構在同一平台交流審查結果與觀點，且保有其最終決策權。

Project OPEN 由疫情緊急應變工具，逐步發展為常態性之國際合作模式，適用範疇已擴展至抗菌抗藥性(antimicrobial resistance, AMR)相關治療、歐盟 PRIME 計畫所指定之優先藥品、用於重大疾病或未滿足醫療需求之創新醫療產品、疫苗及其他因應公共衛生威脅之藥品^{[10][11]}。

彙整國際三大 Reliance 協作機制之差異、優勢與潛在挑戰，如表二。

表二、Project Orbis、ACCESS 及 Project OPEN 三大協作機制比較表

	Project Orbis	ACCESS Consortium	Project OPEN
主導機構	美國 FDA 卓越腫瘤中心	澳洲、加拿大、新加坡、瑞士及英國	歐盟 EMA
核心概念	全球同步提交與即時審查	模組化專業分工，資源最大化	針對特定需求進行快捷國際協作
協作模式	以美國為中心，各國以 Project Orbis Partners 身份參與	跨國同步與即時協作	以 EMA 為中心，非歐盟區域以 OPEN partners 身份參與
審查方式	依各國遞交時程差異，主要分為三種審查機制： • Type A：各國近乎同步遞交，透過跨國會議即時分享資訊並聯合參與 FDA 審查。	模組化分工審查及同儕審查	跨國會議、分享及參與 EMA 審查

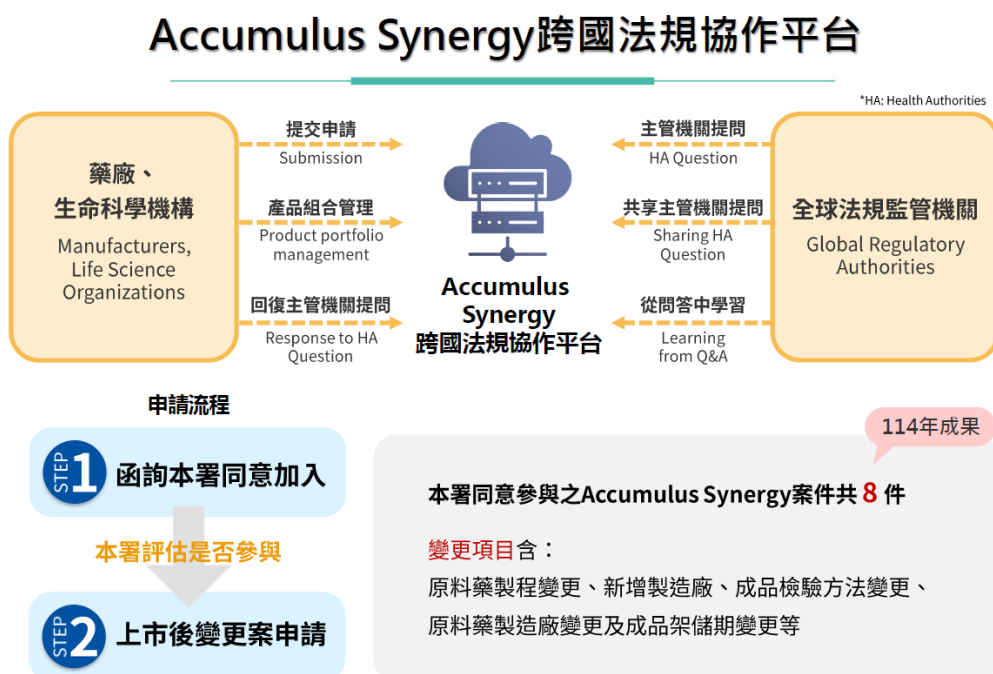
	• Type B: FDA 審查中，他國後續遞交並加入聯合審查與跨國會議。 • Type C: FDA 已完成審查，僅單向分享評估報告供後續遞交之參與國參考，無參與跨國會議。		
適用產品	僅限腫瘤領域之新藥與新適應症	一般新藥、學名藥、生物相似藥、COVID-19 疫苗及上市後變更等	公衛緊急事件、罕見疾病、抗菌抗藥性相關治療及歐盟 PRIME 計畫所指定之優先藥品
資料交流	即時資訊共享	集中化問題與回覆平台，落實法規協和	即時資訊共享
決策主權	各國獨立自主	各國獨立自主	各國獨立自主
優勢	透過即時資訊互換，互動交流審查意見	優化審查流程、減少資源之重複投入；透過同儕審查，確保審查品質	不受限於固定成員，可視事件規模彈性擴充迅速集結審查量能
挑戰	1. 溝通成本極高：需要各國審查專家投入高度密集的即時會議量能(Type C 除外) 2. 送件門檻高：藥廠須具備於多國「同步」遞交高品質 eCTD 檔案之能力	1. 前期磨合期長：標準化流程較繁瑣，須耗時對齊各國法規與指引 2. 進度連動性強：某一模組若因故延宕，易牽動並影響其他參與國之整體核准進度	1. 非常態性限制：主要針對特定公衛危機或專案，較難全面適用於所有常規藥品 2. 約束力較弱：參與國多屬臨時性，缺乏如同 ACCESS 般高度制度化之常態約束力

藥業發起Post Approval Change Vaccine Reliance Pilot實例分享

隨著法規科學的演進，由藥業發起的信賴試辦計畫(Reliance Pilot Programs)，正引領上市後變更登記的變革，尤以在藥品上市後之化學製造與管制(CMC)變更登記最為顯著。2023 年某跨國疫苗大廠台灣分公司首度參與並成功執行一項涵蓋全球 21 國之 CMC 變更同步審查專案，其試辦方案透過導入信賴機制(Reliance)，以 Health Canada 之評估報告作為核心參考，並結合標準化申請資料(Standard dossier)、一致性審查要

求及統一問答工具(Q&A tool)，建立透明且高效率的審查流程。透過單一報告共享及同步時程管理，不僅促進各國衛生主管機關間之協作與一致性，更大幅縮短審查時程，其時程目標為原本約 4 年加速至 6 個月，顯著提升藥品核准效率並確保產品持續供應。實證數據顯示，55%參與國於六個月內核准變更，於十個月內完成決策者達 95%，相較於傳統逐國遞交，可能耗時逾四年之冗長歷程，大幅提升疫苗供應的時效與靈活性。

我國食藥署後續亦透過個案試辦方式，正式加入 Accumulus Synergy^註 跨國法規協作平台，申請者可事前提出執行方式與時程規劃等相關內容，經食藥署同意後，啟動變更登記申請，同時協助將食藥署納入 Accumulus Synergy 共同審查平台。透過該平台協作機制，食藥署能即時獲得各國衛生主管單位審查意見、補件議題及回應內容。統計 2025 年，TFDA 參與該平台共 8 件^[12]，涵蓋類型包含原料藥製程變更、新增製造廠、成品檢驗方法變更、原料藥製造廠變更及成品架儲期變更等。(見圖三)



圖三、Accumulus Synergy 跨國法規協作平台之運作架構與我國實務成果

註: Accumulus Synergy 係由全球數家大型跨國製藥企業於 2020 年共同發起成立之非營利組織，旨在建構安全之雲端法規資訊共享平台。

產業建議與前瞻展望

透過國際法規信賴審查等國際指標性框架，以及我國推動台日共同審查協作模式，加上近期參與跨國法規協作平台「上市後CMC變更試辦專案」之經驗，法規信賴審查機制能優化行政審查時效，並實質加速病人取得先進醫藥之可近性。

然而，面對全球藥政體系之演進發展，我國在跨國法規對齊、跨境數據流通限制，以及審查資源調度上仍面臨實務考驗。為引領台灣醫藥產業鏈全面融入全球法規互信模式，產業界特提出以下三大核心建言：

(一)加速法規協和化(Harmonization)，消弭我國行政壁壘

儘量將國別差異性要求降至最低，建議主管機關應加速對齊 ICH 規範與通用技術文件(eCTD)標準，並滾動式檢討國內特有之查驗要件(如 PMF 登記規範等)。期能透過擴大國際 GMP 認證採認與資料格式標準化，實質消滅跨國資料互認之障礙，減少產業界逐案補件之行政耗損，為「跨國同步上市」奠定堅實的互信基礎。

(二)升級跨國溝通橋樑，完備資安與專案協作量能

針對跨國協作中龐大的溝通成本與機密保護需求，亟需依法建立明確之跨境資料流通安全協定，並鼓勵產官雙方共組「法規專案管理任務編組(RA Task Force)」，以建立跨國法規溝通協座橋樑，確保審查進度之高效與可預期性。

(三)倡議產官深度協力，擴展國際協作版圖

期盼進一步擴大實質合作的深度與廣度，以更具主動性之格局，產官雙方擴大共組 Reliance 試辦專案(Pilot Programs)，以先行驗證(Proof of Concept)之模式累積實務經驗，為後續全面性之法規修訂提供最堅實之實證基礎(Evidence-based policymaking)。將信賴審查之應用範疇由上市後變更，積極推進至新適應症，乃至新藥查驗登記之創新醫療科技領域，共創產業發展之雙贏新局。

展望未來，期許我國能持續以「法規科學創新」與「數位協作技術整合」為雙引擎，



引領醫藥品審查邁向「高效率、高透明度、高信任度」的新時代。藉由深化多邊實質協作，進一步奠定我國作為亞太區法規科學樞紐的核心地位，最終落實加速先進醫療科技上市、造福全體病人健康福祉之最高願景。

參考文獻

1. World Health Organization. Good reliance practices in the regulation of medical products: high level principles and considerations. WHO Technical Report Series, No. 1033, Annex 10, 2021.
2. U.S. Food and Drug Administration. Project Orbis. (<https://www.fda.gov/about-fda/oncology-center-excellence/project-orbis>)
3. Arora, S., Balasubramaniam, S., Zhang, W., et al. FDA Approval Summary: Pembrolizumab plus Lenvatinib for Endometrial Carcinoma, a Collaborative International Review under Project Orbis. Clinical Cancer Research, 2020, 26 (19), 5062-5067.
4. Jenei, K., Gentilini, A., Haslam, A., & Prasad, V. Clinical benefit, reimbursement outcomes, and prices of FDA-approved cancer drugs reviewed through Project Orbis in the USA, Canada, England, and Scotland: a retrospective, comparative analysis. The Lancet Oncology, 2024, 25(8), 1026-1033.
5. Access Consortium. New Active Substance and Generic Medicine approvals. Access Consortium Official Website, 2021. (<https://accessconsortium.info/new-active-substance-and-generic-medicine-approvals/>)
6. Therapeutic Goods Administration. Access Consortium regulators pledge support to tackle COVID-19. Australian Government Department of Health and Aged Care, 2020. (<https://www.tga.gov.au/news/news-articles/access-consortium-regulators-pledge-support-tackle-covid-19>)



7. Australia Therapeutic Goods Administration. Australia-Canada-Singapore-Switzerland-United Kingdom (Access) Consortium.
(<https://www.tga.gov.au/about-us/international-engagements/australia-canada-singapore-switzerland-united-kingdom-access-consortium>)
8. Access Consortium (<https://accessconsortium.info/>)
9. Health Sciences Authority. Access Consortium. Singapore Government Agency Website. (<https://www.hsa.gov.sg/therapeutic-products/register/access-consortium>)
10. European Medicines Agency. Questions and Answers on the 'OPEN' Framework - Opening our Procedures at EMA to Non-EU authorities. EMA Official Website, 2026. (https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/questions-answers-open-framework_en.pdf)
11. European Medicines Agency. Opening procedures at EMA to non-EU authorities (OPEN) initiative. (<https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/international-activities/multilateral-coalitions-initiatives/opening-procedures-ema-non-eu-authorities-open-initiative>)
12. 衛生福利部食品藥物管理署. 114 年度藥品管理革新成果

英國 NICE 成本效益閾值之演進

劉育汝¹

前言

隨著高價創新療法、細胞治療、基因治療及精準醫療持續發展，各國醫療體系皆面臨醫療需求增加與財政資源有限的挑戰。在有限資源下如何進行合理配置，以達成健康效益最大化，為各國醫療政策的重要課題。自 1970 年代逐步開展，已發展約半世紀的醫療科技評估(Health Technology Assessment, HTA)，在世界衛生組織(World Health Organization, WHO)推動全民健康覆蓋(Universal Health Coverage, UHC)的政策倡議下，近年更因而逐漸成為各國醫療資源配置的重要決策工具^[1, 2]。除評估醫療科技的療效與安全性外，新醫療科技的成本效益及對醫療體系資源配置的影響，亦是 HTA 的另一重點。

在眾多 HTA 制度中，英國國家健康暨照護卓越研究院(National Institute for Health and Care Excellence, NICE)所建立的成本效益評估制度，長期被視為國際醫療科技評估的重要典範。NICE 透過增額成本效益比(Incremental Cost-Effectiveness Ratio, ICER)與品質調整生命年(Quality-Adjusted Life Year, QALY)等指標，評估新醫療科技是否具有成本效益，並作為國家醫療服務體系(National Health Service, NHS)給付決策的重要依據。其所採用之成本效益閾值(cost-effectiveness threshold)，更成為全球衛生經濟學與醫療政策研究的重要參考。

NICE 成本效益閾值之演進

第一階段(1999–2008 年)：成本效益評估制度之建立^[3]

NICE 於 1999 年成立後，即將成本效益分析納入醫療科技評估的核心決策架構。然而，NICE 成立初期並未明確訂定固定的成本效益閾值，而是在技術評估案件逐步累

¹財團法人醫藥品查驗中心 醫藥科技評估組

積的過程中，逐漸形成每增加一個品質調整生命年約 20,000 至 30,000 英鎊的參考區間。其後於 2004 年發佈的《Guide to the Methods of Technology Appraisal》中，將此一區間制度化，並成為評估新醫療科技是否具有成本效益的重要依據。

在此階段，NICE 主要以經濟效率(efficiency)為決策核心，強調有限醫療資源應優先投入能產生最大健康效益的醫療科技，以提升整體人口健康水準。

第二階段(2009–2021 年)：特殊情況之例外考量^[4]

2009 年後，NICE 逐步由單一成本效益閾值模式轉向較具彈性的決策架構。首先，NICE 導入末期疾病(End-of-Life, EoL)評估標準，允許對預期壽命通常少於 24 個月，且治療可額外延長生命至少 3 個月的病人，採取較高的成本效益容忍範圍。實務上，相關技術所能接受的 ICER 可高於一般標準，部分案例甚至接近 50,000 英鎊/QALY gained。

隨著罕見疾病治療、癌症新藥及基因治療等高價創新療法陸續上市，NICE 於 2013 年進一步建立高度專門技術(Highly Specialized Technologies, HST)評估機制，專門處理超罕見疾病(ultra-rare diseases)之治療技術。相較於一般技術評估，HST 制度考量疾病嚴重度、病人數稀少、臨床證據取得困難、治療成本高昂、未被滿足的醫療需求及社會公平性等因素，採用較高的可接受成本效益範圍。

在 HST 架構下，基準成本效益閾值約為 100,000 英鎊/QALY gained；若治療能帶來顯著健康增益，則可透過額外加權機制提高其可接受的 ICER 範圍，實質上使成本效益門檻進一步提高。

第三階段(2022 年至今)：納入疾病嚴重度與公平性考量^[5]

2022 年起，NICE 更新其技術評估方法學架構，以嚴重程度修飾因子(Severity Modifier)取代部分末期疾病(EoL)標準之功能。該制度透過衡量病人的絕對 QALY 損失

(absolute QALY shortfall)³及比例 QALY 損失(proportional QALY shortfall)⁴，對不同疾病嚴重程度賦予不同權重，以反映社會對重症病人的優先關懷。

相較於過去主要適用於末期癌症病人的末期疾病(EoL)標準，Severity Modifier 將疾病嚴重度納入更廣泛的評估架構，不再侷限於預期存活時間有限且符合末期條件之病人，而是以疾病所造成的健康損失程度(包括絕對 QALY 損失與比例 QALY 損失)作為評估基礎，使各類嚴重疾病病人，只要符合嚴重程度門檻，均有機會獲得較高的價值權重。此一評估方法學調整被視為是 NICE 由單純追求經濟效率，逐步轉向兼顧公平性(equity)與社會價值的重要制度轉折。

為促進生命科學產業發展並提升病人取得創新療法的可近性，自 2026 年 4 月起，NICE 正式將新藥成本效益評估的標準閾值，由過去長期採用的 20,000 至 30,000 英鎊/QALY gained，調整為以 25,000 至 35,000 英鎊/QALY gained 為核心的分層決策框架^[6, 7]。此項調整為 NICE 自 1999 年成立以來，首次正式調高標準成本效益閾值，亦引發學界與政策界對成本效益閾值定位與功能的廣泛討論^[8, 9]，包括：成本效益閾值究竟應反映社會支付意願(willingness-to-pay)或醫療資源配置之健康機會成本(health opportunity cost)；是否應隨經濟發展、醫療成本及通貨膨脹適度調整；是否應依疾病嚴重度、未滿足醫療需求及社會價值採取分層或彈性閾值；以及成本效益閾值是否除作為醫療資源配置工具外，亦應兼具提升病人可近性、促進創新及支持生命科學產業發展等政策功能。另一方面，亦有學者憂心提高閾值可能削弱醫療資源配置效率，增加醫療財政負擔，甚至產生排擠既有高成本效益醫療服務之機會成本，進而影響整體健康效益。

² 絕對 QALY 損失(absolute QALY shortfall)：指患有特定疾病的人，在其餘生中與同年齡、同性別的健康一般人群相比，所損失的未來健康(包括健康相關生活品質與壽命)。可用以衡量疾病所造成的未來健康損失程度。計算方式如下：絕對 QALY 損失 = (同年齡、性別一般人群在剩餘壽命中的預期總 QALY) - (患病者於接受現行標準治療下在剩餘壽命中的預期總 QALY)。

³ 比例 QALY 損失(proportional QALY shortfall)：指患有特定疾病的人，因疾病所損失的未來健康(即絕對 QALY 損失)占同年齡、同性別一般人群於剩餘生命中預期可獲得健康的比例。可用以衡量疾病對病人剩餘健康預期的相對影響。計算方式如下：比例 QALY 損失 = 絕對 QALY 損失 ÷ (同年齡、性別一般人群在剩餘壽命中的預期總 QALY)。

NICE 現行成本效益閾值架構

根據 2026 年 3 月修訂之 NICE 技術評估方法指引^[5]，現行成本效益閾值主要包含以下三項機制：

(一) 標準成本效益閾值

針對一般技術評估(Technology Appraisal, TA)與高度專門技術(HST)，NICE 之決策並非僅依單一 ICER 門檻進行二分式判定，而是採取分層且具彈性的成本效益參考區間，依不同 ICER 標準及證據情境進行綜合判斷，以反映不同情境下的價值權衡。NICE 將標準成本效益閾值劃分為不同區間，隨著 ICER 愈接近或超過參考區間上限，委員會對申請者所提出的臨床及經濟證據，亦要求更充分的論證，以支持其具成本效益的主張。

1. **低於 25,000 英鎊/QALY gained (HST : 100,000 英鎊/QALY gained)**：在此區間內，該技術通常被視為 NHS 資源的有效利用而獲得建議(recommended)。若委員會決定不建議(not recommended)，必須明確說明對於經濟模型數據合理性或 ICER 確定性的質疑。
2. **介於 25,000 至 35,000 英鎊/QALY gained 之間**：在此區間內，委員會將進一步審視 ICER 的確定性程度、未被模型捕捉到的效益或非健康因素，以及對健康不平等(health inequalities)的影響，並依整體證據作成建議、最佳化建議(optimised recommendation)或不建議之決策。其中，最佳化建議係指建議於特定病人族群、適應症或使用條件下使用該醫療科技；若證據仍具高度不確定性，或未能證明其具足夠成本效益，則可能不予建議。
3. **高於 35,000 英鎊/QALY gained (HST : 100,000 英鎊/QALY gained)**：在此區間內，委員會須要申請者提出更強而有力的理由(increasingly stronger case)，支持其作為 NHS 資源利用的合理性，且會綜合考量疾病嚴重度、未被 QALY 充分反映的健康效益、健康不平等的影響、證據不確定性及其他相關因素。隨著 ICER 持續提高，支持建議納入所需的論證強度亦相應增加；若未能提出足以支持其成本效益

的充分證據，委員會通常將不建議該技術納入 NHS 常規使用。

(二) 嚴重程度修飾因子(Severity Modifier)

嚴重程度修飾因子(Severity Modifier)的導入，主要回應過去末期疾病(EoL)標準適用範圍相對有限，主要集中於預期存活僅餘數月或數年之末期癌症病人；相較之下，Severity Modifier 則可適用於更廣泛的重症病人。傳統 EoL 標準較側重於延長生命年數的評估，對於長期健康損失、生活品質下降及非末期但高度嚴重疾病的健康需求，反映仍有限。研究證據顯示，英國社會普遍高度重視治療極嚴重疾病所帶來的健康效益，NICE 遂導入 Severity Modifier 制度，透過計算「絕對 QALY 損失(absolute QALY shortfall)」與「比例 QALY 損失(proportional QALY shortfall)」來衡量疾病所造成的健康損失程度^[10]。若疾病達特定嚴重程度，可對 QALY 賦予額外權重：

1. 加權 1.2 倍：比例 QALY 損失達 0.85 至 0.95，或絕對 QALY 損失達 12 至 18。
2. 加權 1.7 倍：比例 QALY 損失大於等於 0.95，或絕對 QALY 損失大於等於 18。

此機制實質上提高了重症疾病治療技術所能接受的 ICER 範圍，增加其獲得正向建議的可能性。

(三) 高度專門技術(Highly Specialized Technologies, HST)

針對超罕見疾病之高度專門技術，NICE 採取較高的成本效益容忍範圍。其基本可接受成本效益閾值約為 100,000 英鎊/QALY gained。此外，若該技術可帶來顯著的終身健康效益，則可適用效益規模修正機制(benefit modifier)，依終身 QALY 增益(lifetime incremental QALYs gained)⁵進行額外加權調整。

當終身 QALY 增益超過 10 QALYs 時，QALY 權重可介於 1 倍至 3 倍；若終身 QALY 增益超過 30 QALYs 時，權重最高可達 3 倍，其等效可接受之 ICER 上限可提高至約

⁴ 終身 QALY 增益(lifetime incremental QALYs gained)：指新醫療技術相較於相關對照組，在病人剩餘壽命中所產生的增額 QALY 獲益(incremental QALYs gained)，即病人因接受該醫療技術而額外獲得之健康(包括健康相關生活品質與壽命)。可用以衡量新醫療技術於病人終身所帶來之整體健康效益。

300,000 英鎊/QALY gained。

NICE 提高成本效益閾值之爭議

NICE 過去長期採用每 QALY 約 20,000 至 30,000 英鎊之成本效益參考區間，該標準自 2000 年代初期形成後，歷經二十餘年未有重大調整。傳統經濟評估觀點多將成本效益閾值視為社會支付意願的貨幣化表徵，用以界定每增加一單位健康效果(QALY)所可接受的最高資源投入。支持提高成本效益閾值者認為，現行標準未充分反映通貨膨脹及醫療成本上升之現實情況。若閾值長期維持不變，實質上等同於逐年提高新醫療科技進入 NHS 之門檻，不利於高價創新藥物、罕見疾病治療及基因治療之發展，亦可能降低製藥產業之研發誘因，延後病人取得創新療法之時程，進而影響國家生命科學產業之國際競爭力。

然而，反對者指出，成本效益閾值之本質不應僅被視為支付意願的反映，而應建立於醫療體系的健康機會成本及邊際生產力(marginal productivity)之實證基礎上^[9]。NICE 成本效益分析的核心目的，在於確保新技術所創造的健康效益，至少不低於因資源重新配置所產生的健康損失。部分研究指出，NHS 的邊際生產力可能約為每 QALY 12,000 至 15,000 英鎊，顯著低於 NICE 長期採用的成本效益參考區間^[11]。

從此觀點而言，若成本效益閾值高於實際機會成本，則可能導致新技術所創造的健康效益低於被排擠服務所損失的健康效益，進而對整體人口健康造成負面影響。因此，若 NICE 原有每 QALY 20,000 至 30,000 英鎊之參考區間已高於或接近真實機會成本，則進一步調整至 25,000 至 35,000 英鎊，可能使兩者差距擴大，並增加資源配置效率不一致之風險。當閾值上調時，爭議已不限於是否有助於促進新藥上市或提升病人可近性，更涉及整體醫療資源配置是否可能降低系統性健康產出效率。此外，較高的成本效益閾值亦可能形成價格訊號，使製藥公司在訂價時傾向貼近可接受支付上限，而非完全反映研發成本或實際健康價值，進一步推升整體醫療支出壓力。

因此，NICE 成本效益閾值之調整，不僅涉及醫療創新與病人可近性之提升，更牽涉醫療資源配置效率、公平性及機會成本等核心權衡議題。如何在鼓勵創新、維持財務

永續及提升整體人口健康之間取得平衡，仍是未來 HTA 制度發展的重要挑戰。

結語

NICE 成本效益閾值之演進，反映出醫療科技評估制度由早期以經濟效率為核心，逐步轉向兼顧疾病嚴重度、社會公平性與創新誘因之多元政策導向。自早期以 20,000 至 30,000 英鎊/QALY gained 作為主要參考區間，到後續導入末期疾病(EoL)評估標準、高度專門技術(HST)制度、Severity Modifier 機制，以及 2026 年正式調整為以 25,000 至 35,000 英鎊/QALY gained 為核心之分層決策架構，均顯示 NICE 在成本效益判斷上已由單一閾值導向，逐步轉向結合不同疾病特性與技術類型之多準則決策設計，以回應高價創新療法快速發展所帶來的挑戰。

然而，提高成本效益閾值是否能真正提升整體社會福利，仍存在高度爭議。支持者強調病人可近性、創新誘因及產業競爭力；反對者則主張閾值應建立於健康機會成本之實證基礎，避免因資源錯置而降低整體人口健康。此一爭論實質上反映出醫療政策中「效率」與「公平」兩項核心價值之權衡不易。

整體而言，即使成本效益閾值因時代需求而有所調整，如何在促進創新、提升病人可近性、維護公平性、兼顧資源配置效率及確保健保財務永續之間取得適當平衡，將持續是 NICE 及各國 HTA 制度面臨的重要課題，亦值得後續研究持續關注與探討。

參考文獻

1. Banta D, Jonsson E. History of HTA: *Introduction*. *Int J Technol Assess Health Care* 2009; 25 Suppl 1: 1–6.
2. Health intervention and technology assessment in support of universal health coverage. World Health Organization.
<https://www.who.int/publications/i/item/WHA67.23>. Published 2014.

Accessed June 16, 2026.

3. Guide to the Methods of Technology Appraisal. National Institute for Clinical Excellence. Published 2004. Accessed June 10, 2026.
4. Guide to the methods of technology appraisal 2013. National Institute for Health and Care Excellence. Published 2013. Accessed June 10, 2026.
5. NICE technology appraisal and highly specialised technologies guidance: the manual (PMG36). National Institute for Health and Care Excellence. Published 2026. Accessed June, 8, 2026.
6. Changes to NICE' s cost-effectiveness thresholds confirmed. National Institute for Clinical Excellence.
<https://www.nice.org.uk/news/articles/changes-to-nice-s-cost-effectiveness-thresholds-confirmed>. Published 2025. Accessed June 9, 2026.
7. Changes to NICE' s cost-effectiveness thresholds take effect. National Institute for Clinical Excellence.
<https://www.nice.org.uk/news/articles/changes-to-nice-s-cost-effectiveness-thresholds-take-effect>. Published 2026. Accessed June 9, 2026.
8. NICE' s new cost-effectiveness threshold: Significance, consequences, and unanswered questions. Office of Health Economics.
<https://www.ohe.org/insights/nices-new-cost-effectiveness-threshold-significance-consequences-and-unanswered-questions/>. Published 2026.
Accessed June 17, 2026.
9. Vallejo-Torres L, Edney LC, Espinosa O, et al. Politicised Changes to the NICE Threshold Risk Making Cost-Effectiveness Analysis Performative, Not Informative. *Applied Health Economics and Health Policy* 2026; 24(2): 243–



246.

10. What is NICE' s severity modifier? National Institute for Health and Care Excellence. <https://indepth.nice.org.uk/what-is-nices-severity-modifier/index.html>. Accessed June 17, 2026.

11. Sampson C, Zamora B, Watson S, et al. Supply-Side Cost-Effectiveness Thresholds: Questions for Evidence-Based Policy. *Applied Health Economics and Health Policy* 2022; 20(5): 651–667.

美國 FDA 公告《利用次世代定序評估人類基因治療產品基因體編輯的安全性評估》指引草案

發表單位：美國 FDA

摘要整理：呂佳馨

發表時間：2026/04/15

內容歸類：生物製劑

類別：指引草案

關鍵字：Gene therapy、NGS、off-target、on-target

資料來源：[Safety Assessment of Genome Editing in Human Gene Therapy Products Using Next-Generation Sequencing](#)

- 重點內容：
1. 本指引草案為美國 FDA 於 2024 年發布之「基因體編輯技術用於人類基因治療製劑產品指引」(Human Gene Therapy Products Incorporating Human Genome Editing) 之補充文件，主要針對臨床試驗案上市許可申請之基因體編輯產品的非臨床研究，說明如何運用次世代定序 (Next Generation Sequencing, NGS) 和生物資訊技術等方法設計的非臨床研究，以評估脫靶編輯風險與基因體完整性。適用範圍涵蓋 DNA 編輯器、表觀遺傳 (epigenetic) 編輯器，及剪切 RNA 編輯器等基因體編輯技術。
 2. 靶向 (on-target) 編輯位點評估之考量：
 - (1) 依編輯片段序列大小，選擇合適長度之定序方法，並說明方法的合適性；同時應採用合適的定序深度與策略以減少偏差，以提升非預期基因體編輯之偵測能力，並以表格方式呈現結果。
 - (2) 評估靶向編輯位點之檢品，應與離體 (*ex vivo*) 基因體編輯產品中實際編輯之細胞相同；或選擇能代表體內 (*in vivo*) 基因體編輯產品所編輯之細胞類型。

3. 脫靶 (off-target) 編輯活性之評估研究的考量：

(1) 脫靶編輯位點之鑑別與確認，應進行多次生物學重複試驗 (multiple biological replicates)，並提供數據和科學性說明，以支持細胞檢品之代表性。

(2) 依據基因體編輯機制選擇合適的脫靶位點篩選方法，若採用特殊機制之篩選方法，須考量其作用機制，並提供已發表文獻或科學數據支持。若為既有方法之修改，或創新未發表方法，應提供方法合適性與靈敏度等支持性資料。此外，對於特殊篩選方法之建議如下：

- 生物化學與細胞分析法：應說明檢品來源與是否含編輯器的辨識序列、編輯元件濃度、靶向編輯率、定序總深度、標靶位點及所有脫靶編輯位點讀數 (read counts)。
- 在細胞分析法：檢品的靶向編輯率與最終製劑所預測或實際的靶向編輯率應具可比性；若不一致，應提供合理性說明。

(3) 常見脫靶編輯位點篩選方法

A. 電腦模擬預測 (In Silico) 方法：

- 對於 CRISPR-Cas 基因體編輯機制，應考量 DNA 與 gRNA 的錯誤配對和突起 (bulge)，以及前間隔序列鄰接基序 (Protospacer adjacent motif, PAM) 序列或其他篩選方法之特定序列等進行同源性 (homology) 脫靶編輯位點的搜尋。
- 其他基因體編輯之機制，可依據編輯器的 DNA 結合區塊 (binding domain) 所識別的標的序列，透過電腦模擬人類基因體進行序列同源性進行搜尋，並納入序列變異性考量，列出所有脫靶編輯位點。
- 所使用的搜尋參數應提供科學性說明，包含已發表之科學文獻或研究數據。

B. NGS 技術之脫靶編輯位點篩選方法：

應依據產品使用之編輯器的作用機制，採用相應的 NGS 技術評估編輯位點，相關建議如下：

- 應提供定序品質和深度之允收標準，及科學性說明。
- 依據鹼基品質或序列比對品質進行子集合 (subset) 讀數或變異位點的篩選步驟，應完整敘述其分析流程並提供科學性說明。
- 若有其他用於判定 (或篩選) 脫靶編輯位點之考量因素，應一併提供並闡明其科學合理性。

(4) 應使用適當的細胞類型進行脫靶編輯位點確認，並與未編輯對照組進行配對分析。位點選擇應有科學性依據，且篩選標準不宜過於嚴格。

(5) 分析參數

脫靶編輯位點之篩選與確認的分析參數，應依據實際實驗設計與 NGS 方法而定。無論選擇或排除何種序列，皆須引用公開文獻或科學數據說明合理性。對於 NGS 分析參數，應採用無偏差之定序 (如基因體、外顯子組、轉錄體或表觀基因體等方法)、標靶定序或其他特殊定序方法，並完整提供用於數據分析的篩選參數，並說明其科學合理性。

(6) 脫靶編輯位點之報告應提供讀數或編輯頻率，並說明位點於基因體之註解與資訊，包含：

- 基因體座標資訊
- 與 gRNA 或標靶序列之錯配 (mismatches) 與突起數量。
- CRISPR-Cas 編輯器的 PAM 資訊。
- 脫靶編輯位點在基因間區 (intergenic)、外顯子 (exon) 或內含子 (intron) 之相關資訊。

(7) 若編輯器涉及胺基酸修飾，應完整說明修飾流程，並提供數據或

文獻支持，且須以最終製劑的基因體編輯器進行脫靶編輯評估。此外，若遞送方式會造成編輯器於細胞內表現時間較長，須提供長期脫靶編輯風險評估。

4. 對於 CRISPR 或其他編輯技術等，基因體變異性可能會降低錯配，或增加 PAM 序列而產生新的脫靶位點，增加帶有特定基因體變異的個體有脫靶修飾之風險，故電腦模擬預測方法之建議與考量如下：
 - (1) 應選擇一個或多個人類遺傳變異資料庫，涵蓋健康族群和/或病人族群之資訊，並提供選用該資料庫之科學性依據。
 - (2) 若產品適用於盛行率明確的疾病，建議依遺傳背景與疾病盛行率進行族群分層，並結合各分層之等位基因頻率 (allele frequency) 進行基因變異位點分析，並提供其方法之科學性說明。
 - (3) 電腦模擬分析應盡可能納入完整基因體所有變異資訊，可使用資料庫的全變異位點資料，或設定合理篩選標準。篩選標準應具有充分的科學性依據，建議分析時應涵蓋所有基因間區域之變異。
 - (4) 電腦模擬預測方法之篩選參數設定，應提高序列同源性分析之敏感度。若為 CRISPR-Cas 基因體編輯產品，須納入因基因變異而形成的 PAM 序列之參數。
 - (5) 評估基因變異所導致脫靶編輯風險時，可利用實驗方法對一般檢體或帶有特定基因體變異的檢體，檢測編輯率；或者利用生物資訊技術所計算的分數或指標作為依據。
 - (6) 基因變異所導致的脫靶編輯位點，其報告應包括以下內容：
 - 所使用之資料庫、篩選門檻、族群分層，及科學性說明。
 - 用於因基因變異所造成的脫靶編輯位點之篩選標準。

美國 FDA 公告《藥品開發中應用新穎方法學之一般性考量》指引

發表單位：美國 FDA

摘要整理：呂岱樺

發表時間：2026/03/19

內容歸類：藥毒理

類別：指引

關鍵字：Pharmacology/Toxicology、
NAMs

資料來源：[General Considerations for the Use of New Approach Methodologies in Drug Development](#)

- 重點內容：
1. 美國 FDA 於 2026 年 3 月 19 日發布《藥品開發中應用新穎方法學之一般性考量》指引草案，旨在為藥品開發中使用的新穎方法學 (New Approach Methodologies, NAMs) 提供驗證 (validation) 框架，目的在於提升人體毒性預測能力 (predictive toxicology)，並逐步降低對動物試驗之依賴。NAMs 涵蓋 complex in vitro、2D in vitro、in chemico 與 in silico 等方法。
 2. FDA 指出，2022 年美國法規已明確允許以非動物替代方案支持試驗用新藥 (IND) 或生物相似性藥品上市許可 (BLA) 申請。本指引亦配合 FDA 「 *Roadmap to Reducing Animal Testing in Preclinical Safety Studies* 」政策方向，以推動人源性 (human-centric) 毒理評估方法之發展。
 3. NAM 即使尚未經過正式驗證，若其於特定用途下 (fit-for-purpose) 可充分回答特定毒理問題，即可能具有法規價值 (regulatory value)。然而，NAM 使用應納入證據權重 (Weight of Evidence, WoE) 於架構中作整體評估。

4. 驗證 (Validation) 與資格認定 (Qualification) 概念區分：

- ◆ 驗證(Validation)是指建立 NAM 於特定「使用情境」(context of use ,COU)下之準確性、可靠性與相關性；
- ◆ 資格認定 (Qualification) 則是確認某 NAM 於特定使用情境下，可於藥品開發與法規審查中作為具特定解釋與應用價值之工具。
- ◆ 無論 NAM 是否已完成資格認定(qualification)，仍須進行驗證(validation)，以確保其所產生資料具足夠之可信度，並可適當支持法規決策。驗證仍為建立 NAM 科學可信度之關鍵基礎。

5. 驗證考量因素 (Validation Considerations)：該指引提出四項關鍵的驗證考量，以提升 NAM 數據在法規審查中的可靠性與可解釋性。

- (1) 使用情境 (Context of Use, COU)：應明確定義 NAM 之預期用途與其法規目的，使其可支持特定藥品開發與法規決策。適當的 COU 範例包括：支持臨床試驗的受試者監測、協助劑量選擇、解釋於動物或人體觀察到的不良反應機轉，以及支持不使用特定動物物種的合理性。
- (2) 人體生物相關性 (Human Biological Relevance)：應說明 NAM 所產生的資訊與人體試驗及藥品安全性評估之關聯性，以及是否能預測臨床試驗中無法直接量測之毒性。
- (3) 技術特性評估 (Technical Characterization)：如同傳統動物試驗，NAM 亦應證明技術平台具備足夠之穩健性 (robustness)、可靠性 (reliability) 與再現性 (reproducibility)，以確保所得數據具有科學可信度。
- (4) 適用於特定目的 (Fit-for-Purpose)：若 NAM 能有效協助 FDA 進行法規決策，則可視為「適用於特定目的」。一個 fit-for-

purpose 的 NAM 可達成以下三個藥品開發目標之一：

- 替代傳統方法(例如用體外 NAM 取代動物試驗)、
- 填補數據缺口(例如當動物模型因物種差異而無法反映人體機制時，提供額外之機轉或安全性資訊)，或
- 確認或補充傳統方法之結果 (例如支持特定動物物種不具額外資訊價值之合理性)。

美國 FDA 發布《無壓脈帶非侵入性血壓測量系統—臨床性能測試與評估》指引草案

發表單位：美國 FDA

摘要整理：張薰蓉

發表時間：2026/01/23

內容歸類：醫療器材

類別：指引草案

關鍵字：Medical device、
Premarket、Cuffless、Non-
invasive Blood Pressure
Measuring Devices

資料來源：[Cuffless Non-invasive Blood Pressure Measuring Devices – Clinical Performance Testing and Evaluation Draft Guidance for Industry and Food and Drug Administration Staff](#)

- 重點內容：
1. 本指引草案為美國 FDA 對於無壓脈帶非侵入性血壓測量系統之上市前申請，提交臨床性能測試和評估所提供之建議。此類產品通常透過感測器提供訊號，計算收縮壓、舒張壓、平均動脈壓，而非透過充氣式壓脈帶量測。
 2. 本指引草案適用於 Regulation Number 21 CFR 870.1130 (非侵入式血壓量測系統)之分類碼(Product Code) DXN，但隸屬該分類碼之含壓脈帶非侵入性血壓測量系統，及新生兒加護病房連續非侵入性血壓監測系統(分類碼 QYF)，則不適用本指引草案。
 3. FDA 建議提交上市前申請應敘明產品的預期用途、技術特點。若產品具新的預期用途或新的技術特點，與已核准的類似品相比，其安全性和有效性衍生額外考量者，則須透過 De Novo 或 PMA 途徑申請上市。

4. 對於此類產品之預期用途及技術特點建議如下：
 - (1) 預期用途：含產品之用途、適用族群、使用方法、使用者對結果的解讀方式等，如用於間歇性測量或連續性測量，自動啟動或手動啟動，靜態、行走、運動中、特定的身體姿勢或部位要求，是否含睡眠期間測量等。
 - (2) 技術特點：應敘明感測器類型、位置及其使用方式，及如何產出訊號及計算測量值、是否需要初始化、校正及校正頻率，是否輸入個人資料校正等。對於演算法之資訊，應提供科學原理、輸入與輸出之計算方式、訊號品質檢查及修正方法。另應提供模型開發使用之訓練/調校方法及資料庫，及人工智慧/機器學習技術和評估方法。
5. 臨床性能評估則包含臨床驗證研究及功能性評估，相關建議如下：
 - (1) 臨床驗證研究：應依據產品的技術特性和預期用途，並考量患者人口統計學特徵，來評估樣本數與受試者分佈，考量因素可能涵蓋年齡、體型、性別比例、膚色分布、患者族群人口分布情形等。
 - (2) 功能性評估：應進行靜態、穩定性及變化測試，以驗證產品之靜態、校正效期內及使用者血壓波動變化後的準確度。若產品預期用途包括特殊姿勢、自動測量、可於行走、運動、睡眠、運輸狀態下量測等，則可能須要進行額外的測試。
 - (3) 允收規格：功能性試驗及受試者族群建議允收規格為平均誤差 (Mean Error) $\leq \pm 5.0\text{mmHg}$ ，標準差 (Standard Deviation) $< 8.0\text{mmHg}$ 。
 - (4) FDA 建議業者可提早透過 Q-Submission 進行溝通，以便在啟動研究之前獲得詳細回饋。

衛生福利部食品藥物管理署公告「人類胞外體製劑臨床試驗申請指引」

發表單位：衛生福利部食品藥物管理署 摘要整理：林美君
發表時間：2026/04/29 內容歸類：臨床試驗、再生醫療製劑
類 別：公告 關 鍵 字：人類胞外體製劑
文 號：FDA 藥字第 1151403418 號

資料來源：[公告「人類胞外體製劑臨床試驗申請指引」](#)

- 重點內容：
1. 為確保人類胞外體製劑臨床試驗符合科學性、安全性及倫理性，並保障受試者之權益，爰制訂「人類胞外體製劑臨床試驗申請指引」，作為試驗申請者準備申請資料之參考依據及中央主管機關之審查考量。申請者若有任何符合法規之替代方法或科學證據，可檢具資料向中央主管機關提出諮詢，中央主管機關亦保留額外要求技術性資料之權利，建議申請者可於正式申請臨床試驗前向中央主管機關提出諮詢。
 2. 指引內容摘要說明如下：
 - (1) 適用範圍：人類來源細胞所釋放之胞外體製備之製劑，亦適用於由細胞或經導入外源基因之轉基因細胞所分泌之胞外體製備之製劑。
 - (2) 申請程序：原則與申請藥品臨床試驗計畫程序相同，請參考「藥品臨床試驗申請須知」，並至 ExPRESS 平台線上申請及繳納規費。
 - (3) 應檢附文件：制定「人類胞外體製劑臨床試驗計畫申請應檢附資料查檢表」以供申請者檢核。申請案經初審如缺少必要送件

項目，將逕予不准執行，申請者得於發文日起 4 個月內提出申復，或另案重新申請。

(4) 試驗管理：

- a. 執行臨床試驗應注意事項，可參考「藥品臨床試驗申請須知」有關說明。
 - b. 試驗施行期間：受試者如發生嚴重不良事件，應依照「藥品優良臨床試驗作業準則」第 106 條規定，至藥品不良反應通報中心(<http://adr.fda.gov.tw/>)辦理通報。
 - c. 試驗完成後：提交試驗報告至中央主管機關備查，應檢附資料，可見本指引附件三。考量再生製劑臨床試驗風險性較高，原則將不分學術研究用或查驗登記用目的，依試驗報告備查申請，啟動國內 GCP 查核。
3. 另載於食藥署網站(網址：<http://www.fda.gov.tw/>)之「公告資訊」網頁。

衛生福利部函知「藥品查驗登記國產加速審查試辦方案」

發表單位：衛生福利部

摘要整理：林美君

發表時間：2026/05/11

內容歸類：藥品查驗登記、藥政管理

類別：函

關鍵字：國產、加速審查

文號：衛授食字第 1151404373 號

資料來源：[藥品查驗登記國產加速審查試辦方案](#)

重點內容：1. 為接軌國際及促進健康永續發展，提升藥品可近性並嘉惠國人用藥權益。衛生福利部特訂定「國產新藥（含生物相似性藥品）加速審查試辦方案」、「國產藥品查驗登記信賴審查試辦方案」、「國產原料藥及國產學名藥查驗登記加速審查試辦方案」及「國產原料藥與國產製劑垂直整合加速審查試辦方案」，以縮短藥品查驗登記審查時程。

2. 各試辦方案之適用對象如下：

(1) 「國產新藥（含生物相似性藥品）加速審查試辦方案」：國產研發製造之新藥（符合藥事法第 7 條新藥之定義）、生物相似性藥品或其他經食藥署認定適用之藥品，且非屬罕見疾病藥品；其有效成分、組合物配方或適應症不具有專利、資料保護、銷售專屬等議題。

(2) 「國產藥品查驗登記信賴審查試辦方案」：於我國已領有外銷專用許可證，欲申請一般國產學名藥、原料藥藥品許可證，具有其他國家核准證明，且藥品的包裝型態與核准上市國家相同。如為製劑者，藥品生體相等性試驗(BE)採用的對照藥品須符合我國生體相等性試驗作業準則第 11 條規定，另其有效成分、

組合物配方或適應症不具有專利、資料保護、銷售專屬等議題。

(3) 「國產原料藥及國產學名藥查驗登記加速審查試辦方案」:國產研發製造之原料藥或學名藥，並符合國家藥物韌性整備計畫之自製關鍵藥品清單品項。

(4) 「國產原料藥與國產製劑垂直整合加速審查試辦方案」:國產製劑新增國產原料藥來源。

3. 符合前述試辦方案之查驗登記案，其審查天數皆為 100 天。

4. 試辦期間至 116 年 12 月 31 日，屆時視試辦成效再決定修正或續辦。