

「新藥查驗登記優先審查機制」(修正草案)

一、目的:

針對國人生命及健康維護有迫切需求的藥物，制定新藥優先審查程序，使新藥早日上市，嘉惠病患使用。

二、適用對象，須符合下述三點中之二點：

(一) 屬藥事法第七條定義之新藥。

(二) 該藥品宣稱之適應症，應同時符合下列二條件：

1. 適應症為我國的嚴重疾病。係指嚴重威脅生命的疾病、若未經治療，疾病過程將隨時間更趨嚴重，且顯著影響病患日常生活功能的疾病，及其他經評估認定之重大疾病。

2. 具有優勢之臨床用途，能滿足我國醫療迫切需求 (unmet medical need)，且具醫療上主要優勢 (major advance)。係指新藥在預防、診斷或治療的臨床功效顯著優於現行方法。如：

(1) 新藥療效顯著優於現行方法。

(2) 新藥可避免嚴重不良反應，其療效相似，而安全性顯著優於現行治療方法，此嚴重副作用為公共衛生或醫療重視的議題。

(3) 目前未有其他經證實安全有效之治療方法、預防方法或診斷方法者。

(4) 本優先審查機制不適用於治療嚴重疾病的非嚴重症狀。

(三) 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。

三、申請程序：

申請人應於申請新藥查驗登記前 30 至 60 天，向中央衛生主管機關提出申請，以評估其所擬提送件之藥品是否適用優先審查程序。申請人應填具中央衛生主管機關規定之申請書表格式、新藥查驗登記優先審查機制自評表(附表)及檢附適當說明及應備資料，向中央衛生主管機關提出評估適用優先審查之申請，並繳交該申請案之規費。

四、評估程序：

評估時間約 30 天，審查之結果由中央衛生主管機關行文通知申請人是否准予適用優先審查機制。

五、符合下列情形者，中央衛生主管機關可通知申請人終止優先審查程序，改依一般藥品審查程序：

- (一) 申請人主動要求終止。
- (二) 申請人未於規定期間內提供審查資料。
- (三) 經主管機關認定有具體理由，不宜再按照優先審查進行審查者。

六、對於適用優先審查程序之新藥查驗登記案，中央衛生主管機關在科學上及臨床上的審查標準以及對試驗期間與數據品質的要求，均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。

附表

新藥查驗登記優先審查機制自評表

填表人：

新藥品名：

	是	否
一、擬申請之適應症是否為嚴重疾病：		
1. 是否為我國的嚴重威脅生命的疾病，如癌症、愛滋病？	☐	☐
2. 是否為疾病過程不可逆，顯著影響日常生活功能的疾病？	☐	☐
3. 是否為狹心症、心臟衰竭？	☐	☐
4. 是否為會導致嚴重臨床結果的慢性疾病，如氣喘、糖尿病、類風濕性關節炎、紅斑性狼瘡、發炎性腸疾病，且其疾病程度為嚴重者？	☐	☐
5. 是否為癲癇症、失智症、憂鬱症、精神病，且其疾病程度為嚴重者？	☐	☐
6. 是否為其他嚴重疾病？	☐	☐
二、擬申請之適應症是否具有臨床用途之優勢，能滿足我國醫療迫切需求，且為醫療上主要進展者：		
1. 是否目前尚未有其他經證實安全有效之治療、預防或診斷方法？	☐	☐
2. 是否療效顯著優於現行治療方法，且具醫療上主要優勢？	☐	☐
3. 是否安全性顯著優於現行治療方法，且為公共衛生或醫療重視的議題？	☐	☐
三、在其他國家適用優先審查		
1. 是否為美國 FDA 優先審查的新藥？	☐	☐
2. 是否為 EMA 優先審查的新藥？	☐	☐
3. 是否為日本優先審查的新藥？	☐	☐
四、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。		
1. 是否為我國政府核准優先輔導的新藥？	☐	☐
2. 是否為我國政府核准優先輔導的新藥？	☐	☐

(填表人應由藥品許可證申請人認定填寫)

新藥查驗登記優先審查機制

修正草案總說明

為使藥品提早上市，前行政院衛生署於 100 年 3 月 1 日署授食字第 0991416281 號公告「新藥查驗登記優先審查機制」，針對國人醫療迫切需求之新成分新藥，實施新藥優先審查程序，縮短審查時程。為因應國際法規管理趨勢，本次修正主要擬將適用對象涵蓋至新藥（即新成分、新療效複方、新使用途徑），以加速藥品研發上市，滿足國人醫療迫切需求，嘉惠國內病患。

新藥查驗登記優先審查機制 修正草案條文對照表

修正條文	現行條文	說明
二、適用對象，須符合下列三點中之二點： (一) 屬藥事法第七條定義之新藥。 (二) 該藥品宣稱之適應症，應同時符合下列二條件： 1. 適應症為我國的嚴重疾病。係指嚴重威脅生命的疾病、若未經治療，疾病過程將隨時間更趨嚴重，且顯著影響病患日常生活功能的疾病，及其他經評估認定之重大疾病。 2. 具有優勢之臨床用途，能滿足我國醫療迫切需求(unmet medical need)，且具醫療上主要優勢(major advance)。係指新藥在預防、診斷或治療的臨床功效顯著優於現行方法。如： (1) 新藥療效顯著優於現行方法。 (2) 新藥可避免嚴重不良反應，	二、適用對象，須符合下列三點： (一) 屬藥事法第七條定義之新成分新藥。 (二) <u>申請人應向中央衛生主管機關提出申請，以評估其所擬提送件之藥品是否適用優先審查程序。</u> (三) 該藥品宣稱之適應症，應同時符合下列二條件： 1. 適應症為嚴重疾病。係指嚴重威脅生命的疾病、若未經治療，疾病過程將隨時間更趨嚴重，且顯著影響病患日常生活功能的疾病，及其他經評估認定之重大疾病。 2. 具有優勢之臨床用途，能滿足醫療迫切需求(unmet medical need)，且為醫療上主要進展(major advance)。係指新藥在預防、診斷或治療的臨床功效顯著優於現行方法。	一、酌修文字。 二、為滿足國人醫療迫切需求，因應國際法規管理趨勢，本次修正將適用對象涵蓋至新藥(即新成分、新療效複方、新使用途徑)，以加速藥品上市，嘉惠我國病患。 三、原條文(二)非適用對象，僅為申請要件或程序，併入第三條。 四、原條文(三)序號修改為(二)。 五、新增條文(三)以適當輔導我國新藥研發產業。

其療效相似，而安全性顯著優於現行治療方法，此嚴重副作用為公共衛生或醫療重視的議題。 (3) 目前未有其他經證實安全有效之治療方法、預防方法或診斷方法者。 (4) 本優先審查機制不適用於治療嚴重疾病的非嚴重症狀。 (三)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。	如： (1) 新藥療效顯著優於現行方法。 (2) 新藥可避免嚴重不良反應，其療效相似，而安全性顯著優於現行治療方法，此嚴重副作用為公共衛生重視的議題。 (3) 目前未有其他經證實安全有效之治療方法、預防方法或診斷方法者。 (4) 本優先審查機制不適用於治療嚴重疾病的非嚴重症狀。	
三、申請程序： 申請人應於申請新藥查驗登記前 30 至 60 天，向中央衛生主管機關提出申請，以評估其所擬提送件之藥品是否適用優先審查程序。申請人應填具中央衛生主管機關規定之申請書表格式、新藥查驗登記優先審查機制自評表(附表)及檢附適當說明及應備資料，向中央衛生主管機關提出評估適用優先審查之申請，並繳交該申請案之規費。	三、申請程序： 申請人應於申請新藥查驗登記前 30 至 60 天，填具中央衛生主管機關規定之申請書表格式、新藥查驗登記優先審查機制自評表(附表)及檢附適當說明及應備資料，向中央衛生主管機關提出評估適用優先審查之申請，並繳付新臺幣 1500 元之規費。	一、原條文第二條(二)移至本條。 二、規費不敘明金額，依當時公告規費繳納金額辦理。 三、酌修文字。
	五、預期時效：	一、刪除條文

	<u>適用優先審查機制之新成分新藥預期較一般審查程序縮短 1/3 的審查時間。</u>	二、因優先審查機制不限新成分新藥審，故審查流程及時間將視人力及案件數彈性調整。
<u>五</u>、符合下列情形者，中央衛生主管機關可通知申請人終止優先審查程序，改依一般藥品審查程序： (一)申請人主動要求終止。 (二)申請人未於規定期間內提供審查資料。 (三)經主管機關認定有具體理由，不宜再按照優先審查進行審查者。	<u>六</u>、符合下列情形者，中央衛生主管機關可通知申請人終止優先審查程序，改依一般藥品審查程序： (一)申請人主動要求終止。 (二)申請人未於規定期間內提供審查資料。 (三)經主管機關認定有具體理由，不宜再按照優先審查進行審查者。	原條文六序號修改為五。
<u>六</u>、對於適用優先審查程序之新藥查驗登記案，中央衛生主管機關在科學上及臨床上的審查標準以及對試驗期間與數據品質的要求，均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。	<u>七</u>、對於適用優先審查程序之新藥查驗登記案，中央衛生主管機關在科學上及臨床上的審查標準以及對試驗期間與數據品質的要求，均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。	原條文七序號修改為六。

新藥查驗登記加速核准機制(修正草案)

一、 目的

為滿足國人醫療迫切需求，在科學證據的支持下，以選擇替代療效指標（surrogate endpoint）之方式，縮短藥品研發之時程，使得藥品可提早上市，特訂定新藥查驗登記加速核准（accelerated approval）機制（以下簡稱本機制）。

二、 適用對象，需符合下列二點：

(一)屬藥事法第七條定義之新成分新藥。

(二)該藥品宣稱之適應症，應符合下列情形之一：

1. 適應症為我國的嚴重疾病之嚴重症狀。嚴重疾病係指嚴重威脅生命的疾病，若未經治療，疾病過程將隨時間更趨嚴重，且顯著影響病患日常生活功能的疾病，及其他經評估認定之重大疾病；且該適應症具有臨床上的優勢，可滿足我國醫療迫切需求，且具醫療上主要優勢（major advance）。醫療上主要進展係指新藥在於預防、診斷或治療的臨床功效顯著優於現行方法。如：
 - (1) 新藥療效優於現行方法。
 - (2) 新藥可避免嚴重不良反應，其療效相似，而安全性顯著優於現行治療方法，此嚴重副作用為公共衛生或醫療重視的議題。
 - (3) 目前未有其他經證實安全有效之治療方法、預防方法或診斷方法者。
2. 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）。
3. 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。

三、 說明

- (一)為使用於治療嚴重疾病及滿足醫療迫切需求之新藥加速上市，在科學證據支持下，可選擇替代療效指標，在不違背倫理規範的條件下，原則上以適當且具良好對照組的臨床試驗證實藥品的療效。替代療效指標在臨

床試驗中可做為一間接或取代的評估方法，來代表具有臨床上的改善成果，以縮短研發上市時間。根據流行病學、治療上、病理生理上或其他證據，此替代療效指標被認為有合理的可能性可預測臨床上的效益。

(二)經由本機制核准上市之藥品，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。

(三)選擇之替代療效指標及確認性試驗，應考量其合理性及可行性。須進行確認性試驗者，若所擬之確認性試驗不可行或困難度高，則該藥品不適用本機制。

(四)申請適用認定本機制之藥品，可與優先審查機制同時申請辦理。

四、 申請程序

申請人應事先提出申請適用本機制之認定。申請人應填具中央衛生主管機關規定之申請書表，並檢附相關說明及資料，向衛生福利部食品藥物管理署（以下簡稱食品藥物管理署）提出適用認定申請，並繳交該申請案之規費。

五、 評估結果之處理

食品藥物管理署受理申請後，應依評估結果，作出下列之一的處理：

(一)不列入適用本機制者：經評估該藥品不列入適用本機制者，食品藥物管理署應通知申請人。

(二)列入適用本機制者：經評估該藥品列入適用本機制者，食品藥物管理署應通知申請人，申請人於新藥查驗登記申請時，得提出該藥品已列入適用本機制。

六、 新藥查驗登記審查過程中，有下列情形之一者，食品藥物管理署得通知申請人停止適用本機制，改以一般藥品查驗登記審查程序：

(一)申請人主動要求終止。

(二)申請人未於規定期間內提供審查資料。

(三)若有科學實證或文獻證明原經認定適用本機制辦理查驗登記之新藥，其

療效或安全性有疑慮者。

(四)其他經食品藥物管理署認定有具體理由，不宜適用本機制進行審查者。

七、 其他事項

已取得藥品許可證之藥品，如其屬須進行確認性試驗者，應於規定時間內提供確認性試驗結果，若未依要求確實執行確認性試驗、或未於規定時間內提供確認性試驗結果或確認性試驗未能顯現具有臨床上之效益者，廢止該藥品許可證。

新藥查驗登記加速核准機制 修正草案總說明

為使藥品提早上市，本部於 102 年 8 月 14 日部授食字第 1021404509 號公告「新藥查驗登記加速核准機制」，針對國人醫療迫切需求的新成分新藥，在科學證據之支持下，藥品臨床試驗得以選擇替代療效指標，來縮短藥品研發時程，使藥品提早上市。為因應國際法規管理趨勢，本次修正擬將適用對象涵蓋至新藥（即新成分、新療效複方、新使用途徑），以加速藥品研發上市，滿足國人醫療迫切需求，嘉惠國內病患。

新藥查驗登記加速核准機制 修正草案條文對照表

修正條文	現行條文	說明
二 適用對象，須符合下列二點： (一) 屬藥事法第七條定義之新藥。 (二) 該藥品宣稱之適應症，應符合下列情形之一： 1. 適應症為我國的嚴重疾病之嚴重症狀。嚴重疾病係指嚴重威脅生命的疾病，若未經治療，疾病過程將隨時間更趨嚴重，且顯著影響病患日常生活功能的疾病，及其他經評估認定之重大疾病；且該適應症具有臨床上的優勢，可滿足我國醫療迫切需求，且具醫療上主要優勢(major advance)。醫療上主要進展係指新藥在於預防、診斷或治療的臨床功效顯著優於現行方法。如： (1) 新藥療效優於現行方法。 (2) 新藥可避免嚴重不良反應，其療效相似，而安全性顯著	二 適用對象，須符合下列三點： (一) 屬藥事法第七條定義之新成分新藥。 (二) 申請人應向中央主管機關提出申請適用本機制之認定，經評估認定列入適用者。 (三) 該藥品宣稱之適應症，應符合下列情形之一： 1. 適應症為嚴重疾病之嚴重症狀。嚴重疾病係指嚴重威脅生命的疾病，若未經治療，疾病過程將隨時間更趨嚴重，且顯著影響病患日常生活功能的疾病，及其他經評估認定之重大疾病；且該適應症具有臨床上的優勢，可滿足醫療迫切需求，且為醫療上主要進展(major advance)。醫療上主要進展係指新藥在於預防、診斷或治療的臨床功效顯著優於現行方法。如： (1) 新藥療效優於現行方法。	一、為滿足國人醫療迫切需求，因應國際法規管理趨勢，本次修正擬將適用對象涵蓋至新藥（即新成分、新療效複方、新使用途徑），以加速藥品研發上市，以供治療嚴重或有生命威脅疾病使用。 二、原條文(二)非適用對象，僅為申請要件或程序，併入第四條。 三、原條文(三)序號修改為(二)。 四、酌修文字。

優於現行治療方法，此嚴重副作用為公共衛生或醫療重視的議題。 (3) 目前未有其他經證實安全有效之治療方法、預防方法或診斷方法者。 2. 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)。 3. 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) 新藥可避免嚴重不良反應，其療效相似，而安全性顯著優於現行治療方法，此嚴重副作用為公共衛生重視的議題。 (3) 目前未有其他經證實安全有效之治療方法、預防方法或診斷方法者。 2. 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)。 3. 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。	
四、申請程序: <u>申請人應事先提出申請適用本機制之認定。</u> 申請人應填具中央衛生主管機關規定之申請書表，並檢附相關說明及資料，向衛生福利部食品藥物管理署（以下簡稱食品藥物管理署）提出適用認定申請，並繳交該申請案之規費。	四、申請程序: 申請人應填具中央衛生主管機關規定之申請書表，並檢附相關說明及資料，向衛生福利部食品藥物管理署（以下簡稱食品藥物管理署）提出適用認定申請，並繳交該申請案之規費。	原條文第二條(二)併入本條。

