

衛生福利部食品藥物管理署藥品突破性治療認定要點（草案）
（Breakthrough Therapy Designation）（draft）

(106.7.7)

一、目的

衛生福利部食品藥物管理署（以下簡稱食藥署）為提升民眾用藥可近性，加速新藥審查上市，針對治療我國嚴重疾病且經早期臨床證據顯示相較現行療法具重大突破性改善之藥品，予以認定並提供臨床試驗及查驗登記相關諮詢輔導，及申請查驗或變更登記前之模組批次審查，特制定本要點。

二、適用對象，需同時符合下列條件：

（一）屬藥事法第七條定義之新藥或屬新藥許可證之新適應症，且該藥品宣稱之適應症為我國嚴重疾病。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。

（二）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。重大突破性改善(Substantial Improvement)係指新藥療效優於現行療法、新藥能延緩或抑制疾病病程而現行療法只能改善症狀、新藥安全性顯著優於現行療法且其療效相似等；臨床療效指標係指：

1. 在一個已知的替代療效指標上具有療效。
2. 在替代療效指標或中間療效指標可合理地預測臨床療效。
3. 與現行治療相比在安全性資料上有顯著地改善，且兩者有相似的療效證據。

（三）於我國執行早期臨床試驗者。

三、申請認定程序

（一）廠商應填妥申請文件如附表，並檢附早期臨床證據資料，向

食藥署提出認定申請。

(二)廠商提出申請時間，建議最遲不得晚於第二期臨床試驗結案報告前。

(三)食藥署進行案件評估，必要時得請廠商提供補充說明，並函復廠商認定結果。

四、諮詢輔導

(一)經認定適用本要點之藥品，食藥署得組成諮詢輔導團隊，於臨床研發階段召開廠商會議。

(二)輔導團隊及方式：成員包含食藥署、醫藥品查驗中心人員，必要時邀請相關醫藥專業領域委員及專家學者加入。

(三)廠商會議(Sponsor Meeting)

1. 案件研發期間，廠商有待協助解決之法規相關議題，得向醫藥品查驗中心提出諮詢，必要時，輔導團隊得視情況召開會議討論。
2. 廠商對於案件審查文件有疑義時，輔導團隊得視情況召開會議，說明與釐清審查案要求補件或修正之內容。
3. 上述輔導會議決議，原則上可作為日後案件審查之參考。

五、模組批次審查(Module-Based Rolling Review)

經認定通過品項，廠商得於申請藥品查驗登記前，依據通用技術文件格式(Common Technical Document; CTD)完成模組三-品質(Module 3-Quality)、模組四-非臨床試驗報告(Module 4-Nonclinical Study Reports)或模組五-臨床試驗報告(Module 5-Clinical Study Reports)之任一模組，向醫藥品查驗中心申請批次審查，並依廠商所送資料，每個模組至多提供二次審查意見。

六、有關醫藥品查驗中心執行之模組批次審查及通過認定後之相關諮詢輔導，其費用由醫藥品查驗中心另行公告之。

七、廠商得依其藥品研發上市各階段之實際需求，同時申請適用新藥

優先審查、加速核准機制。

八、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之要求，均不因該個案經認定適用本要點而予以改變；新藥仍須符合安全、療效與品質之要求，始准予上市。食藥署得依據實際審查人力量能，定期評估檢討認定品項；另倘該產品後期臨床證據未達預估成效、或因廠商研發暫停或終止，亦得停止適用。

藥品突破性治療認定案件申請表

一、	申請單位			
	負責人		統一編號	
	地址			
二、	聯絡人		職稱	
	電話		傳真	
	E-mail			
三、	案件名稱			
	成分			
	適應症			
	目前研發階段	☐ 第一期臨床試驗 ☐ 第二期臨床試驗 ☐ 其他_____		
		建議最遲不得晚於第二期臨床試驗結案報告前		
	☐ 適應症為我國嚴重疾病 ☐ 有許可證/字號_____； ☐ 無許可證			
	☐ 於我國執行早期臨床試驗 ☐ 早期臨床證據顯示臨床療效指標比現行療法具重大突破性改善 ☐ 併同申請表，檢附早期臨床證據資料 (例如：臨床試驗核准函、報告備查函、臨床資料等)			
四、	曾有之諮詢或 審查經驗	日期	案名	案號
		* 得依個案實際需求自行增加欄位		
五、	其他說明	例如：醫藥品查驗中心之指標案件編號 * 得依個案實際需求自行增加欄位		