

正本

檔 號：
保存年限：

行政院衛生署食品藥物管理局 函

機關地址：11561 台北市南港區昆陽街161-2號

傳 真：(02)27877629

聯絡人及電話：林意筑 (02)27877447

電子郵件信箱：yclin@fda.gov.tw

10478

台北市中山區建國北路二段87號10F之1

受文者：中華民國西藥代理商業同業公會

發文日期：中華民國100年11月11日

發文字號：FDA藥字第1001406683號

速別：

密等及解密條件或保密期限：

附件：罕見疾病藥物認定申請要點（草案）

主旨：本局訂定「罕見疾病藥物認定申請要點（草案）」（附件），請於文到之次日起14日內惠示卓見，請 查照。

說明：

- 一、依據「罕見疾病防治及藥物法」第3條規定，罕見疾病藥物係指依本法提出申請，經罕見疾病及藥物審議委員會審議認定，並經中央主管機關公告，其主要適應症用於預防、診斷、治療罕見疾病者。
- 二、為提供申請者資料之準備及本局審查之依據，特訂定「罕見疾病藥物認定申請要點（草案）」。
- 三、對本草案內容有任何意見或修正建議者，請於文到之次日起14日陳述意見或洽詢：

（一）承辦單位：本局藥品及新興生技藥品組

（二）地址：11561 台北市南港區昆陽街161-2號

（三）電話：(02)2787-7447

（四）傳真：(02)2787-7498

（五）電子信箱：yclin@fda.gov.tw

核定

1. 會 查驗登記與法規委員會

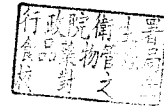
2. 刊 會 評。 11/14, 2011

梁進盈

11/14, 2011

正本：中華民國醫師公會全國聯合會、中華民國藥師公會全國聯合會、中華民國藥劑生公會全國聯合會、台灣醫院協會、台灣社區醫院協會、中華民國基層醫療協會、台灣區製藥工業同業公會、中華民國藥品行銷暨管理協會、中華民國製藥發展協會、中華民國開發性製藥研究協會、中華民國西藥代理商業同業公會、台北市進出口商業同業公會、台北市西藥代理商業同業公會、中華民國學名藥協會、中華民國生物產業發展協會、財團法人中華綜合發展研究所生物科技研究所、財團法人罕見疾病基金會、社團法人台灣臨床藥學會、財團法人醫藥品查驗中心、行政院衛生署國民健康局、行政院衛生署中央健康保險局、本局企劃及科技管理組、本局藥品及新興生技藥品組(均含附件)

副本：



局長 康照洲

行政院衛生署食品藥物管理局 罕見疾病藥物認定申請要點（草案）

- 一、 行政院衛生署食品藥物管理局(以下簡稱本局)為辦理罕見疾病藥物之申請及審查，特訂定本要點。
- 二、 申請罕見疾病藥物認定，應具備下列資格：
 - (一) 藥商
 - (二) 醫療院所
 - (三) 其他經本局認定者
- 三、 申請罕見疾病藥物認定者，應檢附下列資料，以郵寄方式向本局提出申請：
 - (一) 申請者之公文、設立與營業資料影本及負責人身分證明文件。
 - (二) 罕見疾病藥物認定申請書（附件一）
 - (三) 依藥品技術性資料之相關資料（附件二，一式兩份）
 1. 藥品綜合描述摘要
 2. 藥品於其他國家認定及查驗登記現況
 3. 藥品技術性文件
 4. 其他

罕見疾病藥物認定申請書

申請日期： 年 月 日

申請機構名稱：

申請機構商號/代號：

地址：

電話：

負責人姓名：

機構章戳：

一、藥品基本資料：

藥品商品名 (或擬定名稱)	
主成分名稱	
劑 型	
劑 量 (單位含量)	
製造廠名稱	
製造廠址	
宣稱適應症	
用法用量	
類別	☐ 新成分 ☐ 新使用途徑 ☐ 新複方 ☐ 新療效 ☐ 新劑型 ☐ 新使用劑量 ☐ 新單位含量

申請方式：請檢具應備文件，以郵寄方式向本局提出申請。

二、藥品技術性資料(一式兩份)：

應檢附資料項目	自行 審核	說明
I. 藥品綜合描述摘要	☐	應包含本品基本描述、藥理作用機轉、宣稱之適應症、用於該適應症之療效及安全性、及目前是否有其他治療方法可治療該適應症。
II. 藥品於其他國家認定及查驗登記現況	☐	說明本品是否經其他國家認定為罕藥、申請查驗登記情形、是否已核准上市、核准適應症為何及是否有任何負面的決定等。
III. 藥品技術性文件		
1. 非臨床之安全性試驗報告	☐	檢附相關試驗報告或文獻資料
2. 藥理作用 - 有效性證明 - 一般藥理	☐	檢附相關試驗報告或文獻資料
3. 臨床試驗報告 - 臨床試驗報告或醫學期刊	☐	檢附相關試驗報告或文獻資料
4. 中、外文仿單	☐	
IV. 其他	☐	依「罕見疾病及藥物審議委員會-藥物小組」審議結果所要求之資料