



致力法規科學
守護生命健康

Regulating Science, Service for Life

衛生福利部食品藥物管理署函知「藥品突破性治療認定作業要點 Breakthrough Therapy Designation (草案)」

發表單位：衛生福利部食品藥物管理署 摘要整理：楊綵瑜
發表時間：2017/07/13 內容歸類：新藥審查、藥政管理
類別：函 關鍵字：藥品突破性治療
文號：FDA 藥字第 1061406680 號

資料來源：[檢送「藥品突破性治療認定作業要點 Breakthrough Therapy Designation \(草案\)」](#)

- 重點內容：
1. 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。
 2. 本要點適用對象，需同時符合下列條件：(1) 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。(2) 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：在一個已知的替代療效指標上具有療效、在替代療效指標或中間療效指標可合理地預測臨床療效、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。(3) 於我國執行早期臨床試驗者。
 3. 本要點之申請認定程序：(1) 廠商應填妥申請文件(藥品突破性治療認定案件申請表)，並檢附早期臨床證據資料，向食藥署提出認定申請。(2) 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。(3) 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。
 4. 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



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

Regulating Science, Service for Life

- 階段召開廠商會議。輔導團隊成員包含食藥署、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。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。
5. 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模組批次審查(Module-Based Rolling Review)，並依廠商所送資料，每個模組至多提供二次審查意見。
 6. 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。
 7. 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。
 8. 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。