

## 歐盟EMA於2012年9月發表更新「罕見疾病藥物之指定流程」指引

發表單位： 歐盟 EMA                                    摘要整理： 黃齡慧  
發表時間： 2012/09/03                                  內容歸類： 罕藥  
類      別： 指引    關 鍵 字： 罕藥、孤兒藥、罕見疾病

資料來源：[Procedure for orphan medicinal product designation: Guidance for sponsors](#)

- 重點內容：
1. 法源依據：於 2000 年歐盟執行委員會(European Commission, EC)首次設立罕藥相關法源，包含指定為罕藥之條件及獎勵研發條件等。
  2. 審查目標：在檢視罕見疾病藥物的指定申請時，罕藥專家委員會(Committee for Orphan Medicinal Products；COMP)將會著重於廠商是否有描述該藥符合指定標準，例如：
    - (1) 該罕病症狀之危及生命或減弱力量特性。
    - (2) 提出的罕藥適應症在醫學上的合理性。
    - (3) 罕病症狀的盛行率在歐盟每 10,000 人中少於 5 人。
    - (4) 該藥之銷售若沒有額外獎勵則無法有足夠的回收以支持必須的投資。
    - (5) 該罕病症狀無令人滿意的診斷預防或治療，或有方法，但此藥對於受罕病影響的病患能提供顯著的好處。
  3. 一般性原則：
    - (1) 申請前：最晚在預定繳交申請案的兩個月之前，廠商須事先告知 EMA 欲申請罕藥計畫。EMA 也強烈建議廠商先準備相關文件報告與問題，並召開與政府單位的會議；EMA 將會由罕藥專家委員代表檢視廠商的申請表與文件內容的品質，並給予建議。
    - (2) 申請時：須注意 EMA 網頁規定之罕藥申請時限、格式、及所需相關文件規定。
    - (3) 驗證：EMA 收到申請案後會核對相關文件是否齊全，若需補件，廠商必須於三個月內回覆。當驗證的程序完成後便開始進入評估時程。
    - (4) 評估：在評估階段，EMA、COMP 與指定諮詢專家將會密切合作協調，收集相關罕病狀態、治療、研究現況等

資訊；並對該申請案提供一份簡短報告，內容包括申請案的數據、關鍵審查報告及結論。廠商可能會被要求參與後續會議以回答相關問題。

- (5) 意見：90 天內，COMP 將會產出評估意見，與 EMA 達成共識並修正簡短報告。
- (6) 追蹤 COMP 之意見：EMA 會在網頁上的月報發布評估過程，評估結果將會寄給廠商及 COMP 以更新罕藥清單。
- (7) 申訴：若廠商對評估結果有爭議，須於 90 天內提出申訴。
- (8) 決議：在 COMP 提供意見後 30 天內，由歐盟執行委員會執行決議。
- (9) 公開發表：EC 之決議結果將發布於罕藥之公眾網頁 (Community Register of Orphan Medicinal Products)。