

# 已於醫藥先進國核准之罕見疾病藥品 認定併查驗登記審查試辦方案

112年9月25日制定

## 一、目的：

針對美國食品藥物管理局(FDA)、歐盟歐洲藥物管理局(EMA)或日本厚生勞動省(MHLW)已核准上市之罕見疾病藥品，考量其技術性資料業經醫藥先進國審查，故於一般罕見疾病藥品審查程序外，訂定本試辦方案，以期加速該類罕見疾病藥品上市，使罕病病人早日獲得治療並保障其權益。

## 二、適用對象：

依本試辦方案申請罕見疾病藥品認定及查驗登記者，應同時符合以下條件：

- (一) 該藥品經美國 FDA、歐盟 EMA 或日本 MHLW 其中一地區核准上市，且向我國申請之適應症須與核准國相符。
- (二) 須同步申請罕見疾病藥品認定及查驗登記。倘於本試辦方案公告前，已申請罕見疾病藥品認定或業經認定屬罕見疾病藥品者，得依本試辦方案申請罕見疾病藥品查驗登記。

## 三、申請程序

適用本試辦方案者，申請者應同時提出罕見疾病藥品認定及查驗登記申請，並於申請函文敘明依「已於醫藥先進國核准之罕見疾病藥品認定併查驗登記審查試辦方案」提出申請，且說明本品之原料藥及成品製造廠是否與核准國完全相符。

#### 四、應檢附資料：

申請者除依「罕見疾病藥物認定申請要點」、「罕見疾病藥物查驗登記審查準則」及「藥品查驗登記審查準則」檢送相關申請資料外，應另檢附以下資料：

- (一) 美國 FDA、歐盟 EMA 或日本 MHLW/PMDA 出具之核准證明，所載內容應包含(不限於)處方內容、劑型、含量、原料藥及成品製造廠資訊。
- (二) 美國 FDA、歐盟 EMA 或日本 MHLW/PMDA 完整審查報告(Assessment report)及仿單。
- (三) 針對美國 FDA、歐盟 EMA 或日本 MHLW/PMDA 所要求之藥品風險管理計畫(Risk Management Plan；RMP)及上市後承諾(Post-marketing Commitment)提出最新進度報告。
- (四) 國內專案進口及使用情形，如無則免。

#### 五、鼓勵措施

適用本試辦方案之申請案，中央衛生主管機關將於 42 天內發函同意納入本試辦方案，並於 240 天內完成罕見疾病及藥物審議會-藥物小組初步審核，後續仍須俟衛生福利部罕見疾病及藥物審議會通過後核定認定適應症並通知領證。

## 六、其他事項

- (一) 申請時如未檢附美國、歐盟或日本之核准證明及完整審查報告(Assessment report)者，中央衛生主管機關得逕予改為一般罕見疾病藥品查驗登記審查程序。
- (二) 適用本試辦方案之申請案，申請商須列席罕見疾病及藥物審議會-藥物小組會議備詢，必要時須報告本品療效及安全性相關資料。
- (三) 適用本試辦方案之申請案，中央衛生主管機關於科學及臨床之審查標準，及對於試驗期間與數據品質之要求，均不因縮短審查時程而改變，藥品應符合安全、療效與品質之要求，始得上市。

## 七、試辦期間：

自 113 年 1 月 1 日起至 115 年 12 月 31 日止，每年檢附資料齊備最早之二件申請案得納入本試辦方案。