



Health  
Technology



Regulatory  
Science



Medical  
Products

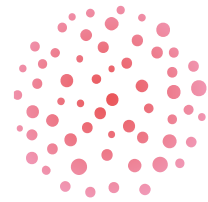
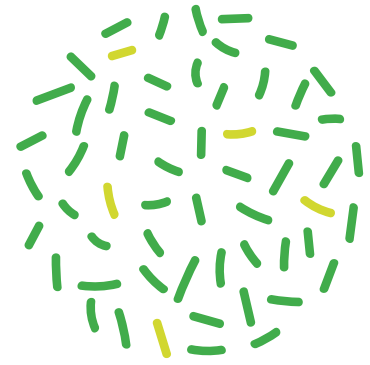
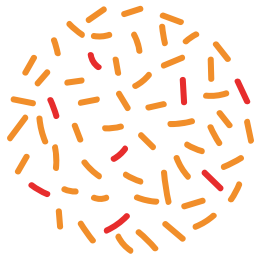
財團法人醫藥品查驗中心  
Center for Drug Evaluation, Taiwan

# 2021

## 年報

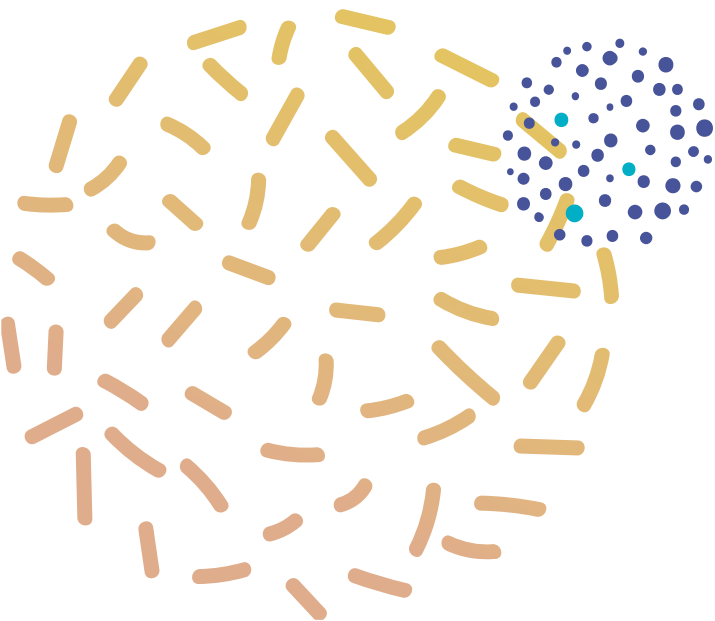
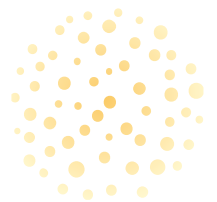


Biotech



財團法人醫藥品查驗中心  
Center for Drug Evaluation, Taiwan

# 2021 年報



# 目錄 Index

|                            |           |
|----------------------------|-----------|
| 董事長的話                      | 9         |
| 執行長的話                      | 10        |
| 總編輯的話                      | 11        |
| <b>壹、中心簡介</b>              | <b>12</b> |
| 一、簡介                       | 12        |
| 二、組織架構、人力資源及經費             | 14        |
| (一) 組織架構                   | 14        |
| (二) 人力配置                   | 15        |
| (三) 經費來源分析                 | 17        |
| <b>貳、特別企劃 — 銜接性試驗二十周年</b>  | <b>18</b> |
| <b>參、審查與評估業務</b>           | <b>27</b> |
| 一、藥品技術性資料評估                | 27        |
| (一) 作業流程說明                 | 27        |
| (二) 藥品上市前之查驗登記評估           | 28        |
| 1.新藥查驗登記評估                 | 29        |
| 2.學名藥查驗登記評估                | 34        |
| 3.符合指示藥品審查基準之藥品處方預審及查驗登記評估 | 37        |
| 4.原料藥之技術性資料評估              | 37        |
| 5.COVID-19 疫苗與藥品 EUA 成果    | 40        |
| (三) 上市後藥品變更登記              | 40        |
| 1.處方藥之適應症、用法用量變更           | 41        |
| 2.處方藥之其他變更類別               | 41        |
| 3.符合指示藥品審查基準藥品之變更          | 41        |
| (四) 國產藥品許可證展延變更            | 41        |
| (五) 具有重大公共衛生意義的案件          | 42        |
| 二、醫療器材技術性資料評估              | 49        |
| (一) 上市前查驗登記之技術性資料評估        | 49        |

|                                |           |
|--------------------------------|-----------|
| (二) 查驗登記用臨床試驗器材之安全性和有效性評估      | 49        |
| (三) 學術研究用臨床試驗器材之安全性評估          | 50        |
| (四) 國內已公告「醫療器材臨床前測試基準」品項之申請案評估 | 50        |
| 三、食品查驗登記技術性資料評估                | 51        |
| (一) 健康食品查驗登記技術性資料評估            | 51        |
| 1. 作業流程說明                      | 51        |
| 2. 健康食品上市前之查驗登記評估              | 52        |
| 3. 上市後健康食品展延變更登記               | 53        |
| (二) 特殊營養食品查驗登記技術性資料評估          | 54        |
| 1. 作業流程說明                      | 54        |
| 2. 特殊營養食品上市前之查驗登記評估            | 54        |
| 3. 上市後特殊營養食品展延變更登記             | 54        |
| 四、醫藥科技評估                       | 55        |
| (一) 新藥 HTA 評估報告                | 55        |
| (二) 促進病友參與醫療科技評估               | 57        |
| (三) 進行衛生政策健康科技評估及實證研究          | 58        |
| (四) 優化健保給付機制提升精準醫療運用           | 60        |
| (五) 促進健保資源有效分配                 | 61        |
| 五、細胞治療技術施行計畫審查                 | 63        |
| (一) 受理細胞治療技術施行計畫審查案            | 63        |
| (二) 衛生福利部核定細胞治療技術施行計畫          | 66        |
| <b>肆、諮詢輔導業務</b>                | <b>70</b> |
| 一、一般諮詢服務                       | 70        |
| (一) 藥品一般諮詢服務                   | 71        |
| (二) 醫療器材一般諮詢服務                 | 72        |
| (三) 健康食品諮詢服務                   | 75        |
| (四) 特殊營養食品諮詢服務                 | 77        |
| (五) 醫藥科技評估諮詢服務                 | 79        |
| (六) 細胞治療技術施行計畫諮詢服務             | 80        |

|  |            |
|--|------------|
| 二、指標案件法規科學諮詢輔導                             | 80         |
| (一) 藥品指標案件法規科學諮詢輔導                         | 80         |
| (二) 醫療器材指標案件法規科學諮詢輔導                       | 87         |
| (三) 醫療器材專案諮詢輔導案件                           | 90         |
| 三、辦理政府部門醫藥領域相關研究計畫案法規科學評估                  | 92         |
| (一) 進行科技部、衛生福利部轉譯研發及臨床試驗有關之計畫<br>審查及執行進度評估 | 92         |
| (二) 經濟部醫藥品研發相關科專計畫之法規評估                    | 93         |
| 四、藥品付費諮詢服務                                 | 94         |
| 五、細胞治療技術付費諮詢                               | 97         |
| <b>伍、法規研擬</b>                              | <b>98</b>  |
| <b>陸、審查業務品質管理</b>                          | <b>101</b> |
| <b>柒、厚植法規科學人才</b>                          | <b>103</b> |
| 一、受邀擔任外部研討活動講師                             | 103        |
| 二、受邀於國際會議演講、擔任主持人及論文發表                     | 105        |
| 三、藥品審查外審專家群培訓                              | 107        |
| 四、內部人員培訓                                   | 108        |
| <b>捌、國際交流與合作</b>                           | <b>110</b> |
| 一、參加重要國際法規會議及年會                            | 110        |
| 二、赴重要國外單位受訓及參訪                             | 117        |
| 三、舉辦大型國際研討會                                | 119        |
| <b>2021 大事紀</b>                            | <b>121</b> |

## 表目錄

|   |     |
|---|-----|
| 表 1、無法免除銜接性試驗之常見缺失                                      | 21  |
| 表 2、CCDP 含臺灣人數據之 BSE 免除率 (西元 2018~2021 年)               | 22  |
| 表 3、2021 年完成藥品一般程序 (non-CTN) 臨床試驗計畫審查新案，依臨床試驗期別分析       | 30  |
| 表 4、2021 年完成藥品一般程序 (non-CTN) 臨床試驗計畫審查新案，依適應症分類前五大類      | 30  |
| 表 5、2021 年完成審查 First in Human 一般程序 (non-CTN) 臨床試驗計畫藥品分類 | 31  |
| 表 6、2021 年完成查驗登記評估之新藥依 ATC 分類前三大類之藥品                    | 33  |
| 表 7、2021 年完成學名藥查驗登記評估之新案依 ATC 分類前三大類之藥品                 | 36  |
| 表 8、2021 年完成原料藥查驗登記暨原料藥主檔案評估之藥品依 ATC 分類前三大類之藥品          | 39  |
| 表 9、2021 年衛生福利部核定細胞治療技術施行計畫之醫療機構與細胞製備場所所屬機構一覽表          | 66  |
| 表 10、2021 年完成轉譯臨床主軸 - 藥品與醫療器材研發法規諮詢與輔導評估業務              | 92  |
| 表 11、2021 年完成經濟部科專計畫之法規科學評估相關業務 (依案件來源及類型分析)            | 93  |
| 表 12、2021 年查驗中心同仁受邀演講場次部分列表                             | 103 |
| 表 13、2021 年查驗中心同仁受邀於國際會議演講、擔任主持人及論文發表列表                 | 106 |

## 圖目錄

|   |    |
|---|----|
| 圖 1、查驗中心組織架構圖                                     | 14 |
| 圖 2、查驗中心各組處人員數統計圖                                 | 15 |
| 圖 3、查驗中心員工學歷統計圖                                   | 15 |
| 圖 4、查驗中心各組處員工學歷統計圖                                | 16 |
| 圖 5、查驗中心具專科醫師者之專科分布統計圖                            | 16 |
| 圖 6、銜接性試驗評估審查流程                                   | 20 |
| 圖 7、2011-2021 年各年度 BSE 免除率                        | 21 |
| 圖 8、BSE 含臺灣人數據之 NDA 審查結果 ( 統計截至 2022 年 4 月 )      | 22 |
| 圖 9、2017 至 2021 年臨床試驗總件數及 CTN 件數                  | 23 |
| 圖 10、2012 至 2021 年臨床試驗期別件數                        | 24 |
| 圖 11、銜接性試驗評估策略態樣分析                                | 25 |
| 圖 12、藥品技術性資料評估作業流程                                | 27 |
| 圖 13、2021 年完成新藥查驗登記審查新案 ( 以案件類別統計 )               | 32 |
| 圖 14、2021 年新藥查驗登記退件評估結果                           | 34 |
| 圖 15、2021 年學名藥查驗登記退件評估結果                          | 35 |
| 圖 16、2021 年原料藥查驗登記退件評估結果                          | 38 |
| 圖 17、2021 年原料藥主檔案退件評估結果                           | 38 |
| 圖 18、健康食品查驗登記案件審查作業流程                             | 52 |
| 圖 19、2021 年完成健康食品查驗登記審查統計分析 ( 依功效類別 )             | 53 |
| 圖 20、健保新藥收載建議案醫藥科技評估作業流程                          | 55 |
| 圖 21、細胞治療技術施行計畫審查流程圖                              | 64 |
| 圖 22、2021 年受理細胞治療技術施行計畫審查屬於特管辦法附表三申請案 ( 依細胞項目分析 ) | 65 |

|   |    |
|---|----|
| 圖 23、2021 年受理細胞治療技術施行計畫審查屬於特管辦法附表三申請案<br>(依適應症分析) | 65 |
| 圖 24、2021 年藥品一般諮詢服務 (以申請者類別區分)                    | 71 |
| 圖 25、2021 年藥品一般諮詢服務 (以藥品類別區分)                     | 72 |
| 圖 26、2021 年醫療器材一般諮詢服務 (以申請者類別區分)                  | 73 |
| 圖 27、2021 年醫療器材一般諮詢服務 (以案件類別區分)                   | 73 |
| 圖 28、2021 年醫療器材法規諮詢專線件數 (以案件類別區分)                 | 74 |
| 圖 29、2021 年與查驗登記相關之醫療器材法規諮詢專線案件分析<br>(以案件類別區分)    | 75 |
| 圖 30、2021 年健康食品線上諮詢服務 (以案件類別區分)                   | 76 |
| 圖 31、2021 年健康食品電話及電子郵件諮詢服務 (以案件類別區分)              | 77 |
| 圖 32、2021 年特殊營養食品電話及電子郵件諮詢服務 (以案件類別區分)            | 78 |
| 圖 33、2021 年藥品指標案件 (以研發期程分析)                       | 81 |
| 圖 34、2021 年藥品指標案件 (以藥品類別區分)                       | 81 |
| 圖 35、2021 年藥品指標案件 (以申請者類別區分)                      | 82 |
| 圖 36、2021 年醫療器材指標案件 (以研發階段區分)                     | 87 |
| 圖 37、2021 年醫療器材指標案件 (以產品等級區分)                     | 88 |
| 圖 38、2021 年藥品付費諮詢案 (以案件類別區分)                      | 95 |
| 圖 39、2021 年藥品付費諮詢案 (以藥品類別區分)                      | 96 |
| 圖 40、2021 年藥品付費諮詢案 (以申請者類別區分)                     | 96 |



## 董事長的話

查驗中心成立二十多年來，因應政府交付的任務需求，其業務範圍不斷擴大。查驗中心不忘初衷，以提升臺灣醫藥品審查的品質與效率為目標。COVID-19 疫情爆發以來，查驗中心充分發揮多年來累積的專業知識與效率，進行相關疫苗及藥品的諮詢輔導與技術審查，在 2021 年完成疫苗的緊急授權審查，在關鍵時刻為國人的健康作出卓著貢獻。

查驗中心在 2021 年除完成衛福部、經濟部、食藥署、健保署、國健署所交付的計畫與業務執行外，付費諮詢輔導從原本的藥品類諮詢輔導，推進到醫藥科技評估之諮詢輔導，可以說是新的突破。CDE 學苑的成立，勢必對產學研相關人才之培育產生效益！

在疫情尚未穩定的情況下，未來還會面臨許多挑戰。期許查驗中心不論面臨何種困境，仍然要秉持一貫的服務精神與服務品質，為全民健康把關，在各方面業務上能有豐碩的成果。

董事長 吳秀梅

2022 年 10 月

## 執行長的話

2021 年臺灣面臨新冠肺炎本土疫情第一波爆發，查驗中心展現多年來累積之專業知識與效率，動態及時審查 COVID-19 疫苗與藥品之技術性資料，協助政府因應緊急公共衛生需求因應國人需求。

為協助業者及早釐清案件資料的潛在缺失，查驗中心在 2021 年推出學名藥查驗登記付費諮詢服務；亦持續研擬並公布學名藥生體相等性試驗指導原則，供外界參考以促進國內產業發展。

在醫療器材方面，查驗中心在 2021 年協助食藥署成立「智慧醫材專案辦公室」，完成 AI 醫材產品審查相關技術指引草案、辦理 AI 醫材專案諮詢輔導案件之徵選及輔導、架設 AI 媒合平台網頁、舉辦業者 / 醫療機構媒合座談會及 TFDA 智慧醫材專案辦公室成果發表會。

在健康食品方面，協助修訂「健康食品之輔助調節血壓功能評估方法」，刪除動物試驗，獲得動保團體高度肯定。

2021 年醫藥科技評估業務配合健保署新增「醫藥科技再評估研究案」，此外，為協助廠商在規劃、準備新藥申請健保給付送審資料之新藥價值陳述架構完整性及財務影響預估合理性，推出醫藥科技評估付費諮詢服務。

查驗中心在 2021 年更成立了 CDE 學苑，主動傳遞醫藥品開發法規科學與醫藥科技評估相關知識，增進新醫藥品研發速度，協助產學研相關人才之培育。

展望未來，查驗中心將謹守安全、療效、品質的科學原則，以開放的態度面對新興產品與新興法規，以專業與效率完成政府交辦之任務。

執行長 **林時宜**

2022 年 10 月

## 總編輯的話

自 2019 年年末全球開始面臨新冠肺炎 ( COVID-19 ) 疫情威脅，臺灣在 2021 年同樣無可避免的，在 5 月份因為本土案例的激增，疫情警戒不斷升級。

查驗中心配合緊急公共衛生需求，因應 COVID-19 疫苗與防治藥品之迫切需求，2020 年啟動新冠肺炎防治藥品及疫苗的諮詢輔導，並以專案式動態即時審查評估新冠肺炎防治藥品及疫苗之技術性資料，到 2021 年完成 COVID-19 疫苗緊急使用授權製造或輸入評估 5 件，新藥查驗登記優先審查認定 1 件及藥品新增 COVID-19 適應症變更 2 件。

「銜接性試驗基準」指引公告二十年之際，查驗中心 2021 年報「特別企劃」章節以「銜接性試驗」為主題，介紹其緣由並分析相關資料。在疫情下我國臨床試驗逆勢成長，顯見臺灣臨床試驗環境良好，能吸引國際藥廠來台執行跨區域臨床試驗，具臨床試驗競爭力與優勢。

雖然 2021 年受到疫情衝擊，查驗中心各項工作依然未曾停歇，於年報中展現工作成果。

總編輯 徐麗娟

2022 年 10 月

# 壹、中心簡介

## 一、簡介

財團法人醫藥品查驗中心（以下簡稱查驗中心）由行政院衛生署（衛生福利部前身）於 1998 年 7 月 13 日捐助成立。政府成立查驗中心最主要目的是為建立藥物審查的專業專職團隊，可獨立審查新醫藥，協助政府建立與國際協和的法規基準，提升臺灣醫藥品審查之品質與效能，保障民眾用藥安全及使病患及早獲得所需醫藥品，達成增進國人健康與福祉的最終目標。

查驗中心以「**致力法規科學，守護生命健康**」（Regulatory Science, Service for Life）為願景，使命與任務如下：

- （一）、協助衛生福利部從事醫藥品相關審查，在確保安全、療效及品質前提下，使國人儘速取得必需之醫藥品，以促進國人健康。
- （二）、因應國家政策，發展法規科學環境，協助研擬符合國際潮流相關規範草案，提供業者諮詢，促進醫藥品之研發。
- （三）、協助衛生福利部從事醫療科技評估，提升醫療資源合理運用，以增進國人健康價值。
- （四）、促進國際交流暨合作，成為區域法規科學之標竿。

自 1998 年成立以來，查驗中心接受衛生福利部委託，協助醫藥品查驗登記及臨床試驗計畫等技術性資料評估，業務範圍從新藥逐步擴展至醫療器材、學名藥、原料藥；並提供產學研各界法規諮詢與輔導，發展相關法規科學，適時提供法規政策建議。2008 年起，查驗中心開啟醫藥科技評估的業務。自 2010 年起，查驗中心開始在經濟部計畫補助之下，投入資源組成團隊進行醫藥品法規專案諮詢服務，以期協助生技醫藥產業縮短產品研發時程，降低開發費用及風險，及跨越研發門檻與困境。

## 查驗中心主要業務含括：

### ● 藥品技術性資料評估

- ◇ 新藥臨床試驗計畫書評估
- ◇ 新藥查驗登記案與相關之展延、變更案評估
- ◇ 學名藥查驗登記案與相關之展延、變更案評估
- ◇ 銜接性試驗評估
- ◇ 原料藥查驗登記/主檔案評估
- ◇ 溶離率曲線比對/生體可用率/生體相等性試驗報告評估
- ◇ 符合指示藥基準查驗登記案評估

### ● 細胞治療技術施行計畫審查

### ● 醫療器材技術性資料評估

- ◇ 醫療器材臨床試驗計畫書評估
- ◇ 醫療器材臨床試驗報告評估
- ◇ 國內已公告「醫療器材臨床前測試基準」品項之申請案評估
- ◇ 醫療器材查驗登記案與相關之展延、變更案評估
- ◇ 醫療器材專案進口評估

### ● 健康食品、特殊營養食品技術性資料評估

### ● 醫藥科技評估

- ◇ 各類醫藥科技評估方法學建立及更新
- ◇ 新藥 / 新醫材健保給付建議之醫藥科技評估
- ◇ 衛生福利政策科技評估
- ◇ 醫藥科技評估研究案
- ◇ 醫藥科技再評估研究案

### ● 諮詢輔導

- ◇ 一般法規諮詢服務
- ◇ 審查中案件諮詢服務
- ◇ 醫藥品指標案件諮詢服務



- ✧ 政府部門醫藥領域相關研究計畫案法規科學評估
- ✧ 付費諮詢服務

- 法規研擬
- 辦理研討會、講習、教育訓練、產官學溝通會議

## 二、組織架構、人力資源及經費

### (一) 組織架構

查驗中心為有效執行各項業務，在組織上設有執行長室、新藥科技組、藥劑科技組、醫療器材組、醫藥科技評估組、專案管理組、諮詢輔導中心、綜合業務處及會計室等九個單位。(組織圖如圖 1)

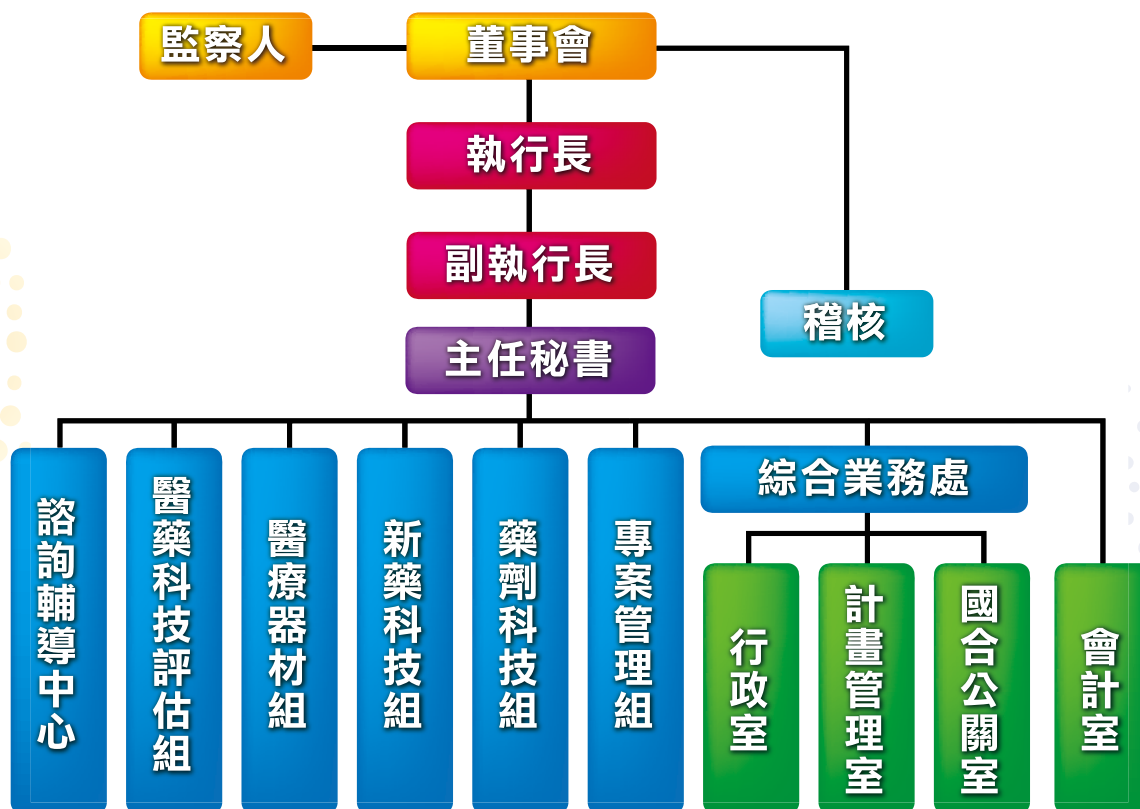


圖 1、查驗中心組織架構圖

## (二) 人力配置

至 2021 年 12 月 31 日，查驗中心人員數計有 304 人。查驗中心結合具醫學、藥學、化學、生物、統計、法律、醫工、醫檢、公共衛生、藥物經濟學、食品科學、食品營養及相關生命科學等專業專職人才，執行醫藥品法規科學審查及評估等相關業務。各組處人員數及學歷分佈統計詳如圖 2~ 圖 4，人員數以藥劑科技組最多，為 60 人（占全中心人員數 19.7%）；醫療器材組次之，為 54 人（占全中心人員數 17.8%）。

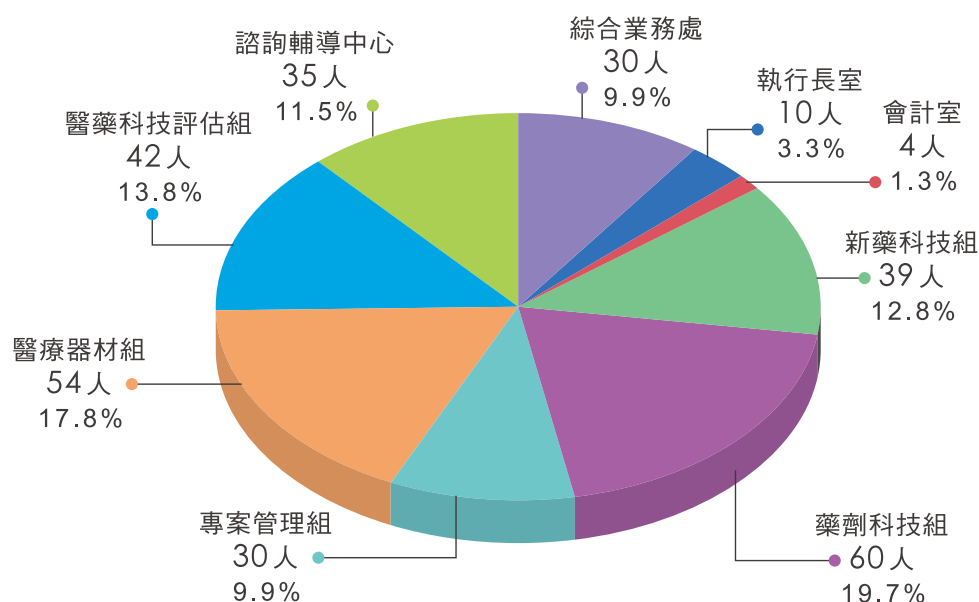


圖 2、查驗中心各組處人員數統計圖（統計日期：2021 年 12 月 31 日）

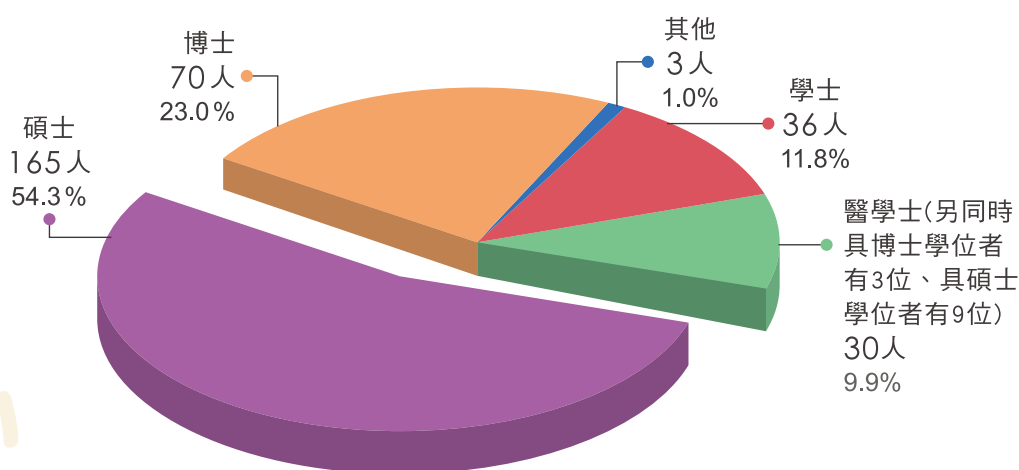


圖 3、查驗中心員工學歷統計圖（統計日期：2021 年 12 月 31 日）

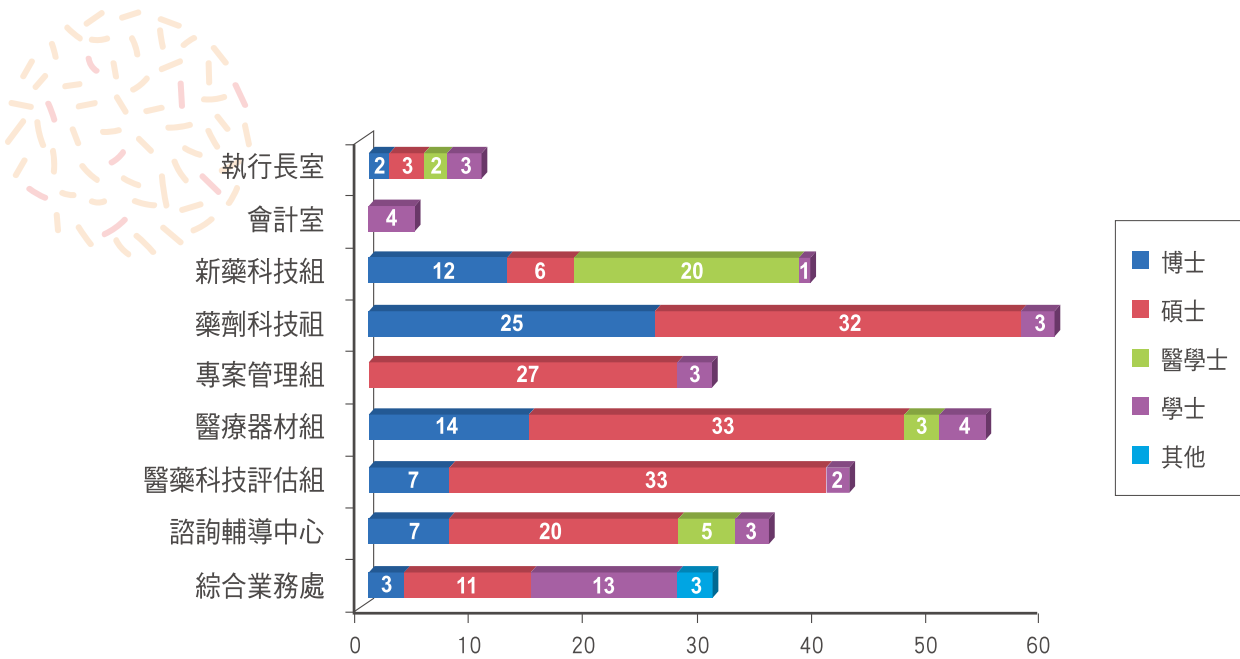


圖 4、查驗中心各組處員工學歷統計圖 (統計日期：2021 年 12 月 31 日)

在 304 位同仁中，有 30 位同仁具專科醫師資格 (另同時具博士學位者有 3 位，具碩士學位者有 9 位)，分別列屬於執行長室 2 人、新藥科技組 20 人、醫療器材組 3 人及諮詢輔導中心 5 人。其專科分布狀況詳如圖 5，以小兒科專科醫師最多，共有 8 位，次專科包含：感染科、血液腫瘤科、肝膽腸胃科、新生兒科、過敏免疫風濕科及醫學遺傳科；神經內科專科醫師有 6 位；內科專科醫師有 5 位，次專科包含：腎臟科、肝膽腸胃科、胸腔暨重症學科；家庭醫學科專科醫師有 4 位；復健科及核子醫學科各有 2 位；婦產科、麻醉科、精神科各有 1 位。

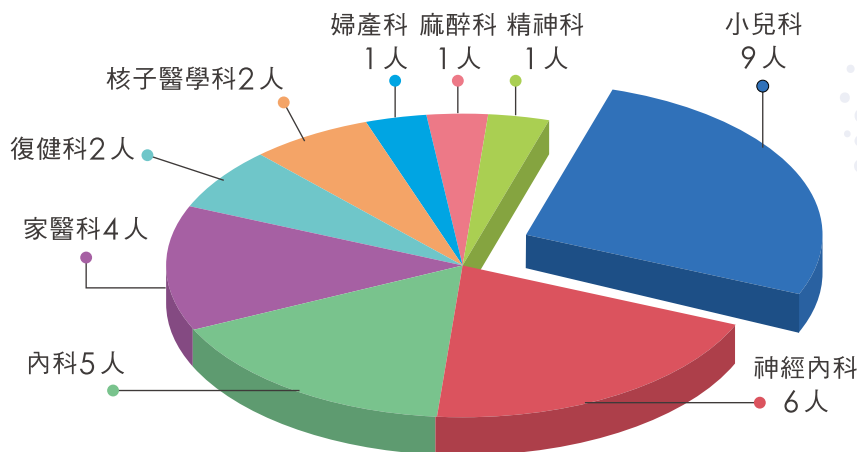


圖 5、查驗中心具專科醫師者之專科分布統計圖 (統計日期：2021 年 12 月 31 日)



### (三) 經費來源分析

歷年來，查驗中心維持組織運作及執行業務所需經費絕大多數來自政府相關部會之捐補助計畫及依政府採購法投標爭取之政府委辦計畫。2021 年查驗中心總計決算收入為新台幣 443,849,926 元，其中 421,726,991 元來自於 27 項之政府計畫。27 項計畫中共有 9 項屬補助計畫，總經費新台幣 163,437,026 元，占全年度經費的 36.82%；18 項屬公開招標之委辦計畫，總經費新台幣 258,289,965 元，占全年度經費的 58.19%。其餘收入則為中心自營項目。

前述政府捐補助或委辦計畫分別來自衛生福利部、食品藥物管理署（以下簡稱食藥署）、中央健康保險署（以下簡稱健保署）、經濟部。來自食藥署的計畫計有 9 項，占總經費的 42.21%；來自衛生福利部之 8 項計畫，則占總經費的 34.37%。


此外，查驗中心亦積極辦理諮詢服務，包括：收費諮詢輔導收入 21,130,479 元、自辦講習課程收入 992,456 元，總計 22,122,935 元。

## 貳、特別企劃 — 銜接性試驗二十周年

### 緣起

西元 1993 年 7 月 7 日前衛生署發布「七七公告」開啟我國臨床試驗的新紀元，對於申請新藥查驗登記前，藥廠須在國內進行至少 40 人例的臨床試驗，試驗報告須併入新藥查驗登記送審資料中，核准上市後可取得行政保護，此技術門檻亦規範第二家廠商，在首家行政保護期間內須執行相同人數與規模的試驗。七七公告的實施係因美國貿易代表署 301 條款談判的壓力，一面促成國內推動新藥保護，另一面也推動國內由進藥試驗發展至 40 人例的臨床試驗，並且帶動臨床試驗軟硬體環境的建置。然而，從臨床與統計的觀點而言，40 人所提供的臨床數據，並不足以證實藥品在國人的安全與療效。

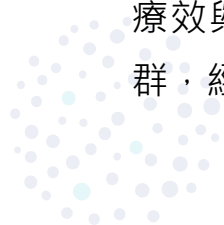
國際醫藥法規協和會 (International Council on Harmonisation, ICH) 於 1998 年 2 月發布 ICH E5 接受國外臨床資料之族群因素考量 (Ethnic Factors in the Acceptability of Foreign Clinical Data ) 指引，此指引之目的係針對國外臨床試驗在研發策略上涵蓋對安全、療效、劑量與給藥方式之族群因素，以評估臨床試驗資料外推作為新地區查驗登記的基礎，且為減少重複進行的臨床試驗，在必要情況下，始須執行銜接性試驗使國外臨床試驗可外推至新地區。綜觀 ICH E5 的內容確實可補充七七公告之不足，同年 7 月查驗中心成立後，遂協助主管機關匯集各界意見，逐步落實具國際法規科學共識之 ICH E5 概念，避免新藥研發資源浪費。於胡前處長領導下，2000 年 12 月 12 日衛生署發布「雙十二公告」，以銜接性試驗取代七七公告試驗，係可謂我國首次參考 ICH 指引所制定之國內政策。



查驗中心對於評估國外執行的臨床試驗數據是否能外推至我國族群，研擬明確系統性評估流程，以瞭解族群因素敏感性對藥品療效與安全性的影響，主管機關隨後於 2002 年 5 月頒布「銜接性試驗基準」，自基準公布迄今歷經 20 個寒暑，在一段雙軌並行的過渡期後，2004 年起全面實施銜接性試驗評估。我國快步公告銜接性試驗評估具體做法，瞬時引起跨國藥廠、各國法規單位和學研界的高度重視與討論，查驗中心以此為國際發聲之策略，將銜接性試驗評估的經驗在美國藥物資訊協會 (Drug Information Association, DIA)、亞太經濟合作會 (Asia-Pacific Economic Cooperation, APEC) 與國際醫藥法規協和會發聲，甚且成為落實 ICH E5 有關族群差異評估的範例之一。

## 銜接性試驗評估流程

銜接性試驗送審資料須檢附藥品完整的臨床試驗數據 (Complete Clinical Data Package, CCDP)，從中篩選東亞人種相關資料，包括藥動學、藥效學、劑量-反應、療效及安全性資料並進行東西方族群比較。法規單位對藥品之族群敏感性因素評估，著重內因性 (intrinsic：如遺傳、生理及病理...) 和外因性 (extrinsic：文化、環境，醫療行為...) 差異對治療效果的影響。正式送件時應依「銜接性試驗基準」及查檢表備齊文件並繳納規費<sup>註1</sup>，衛生福利部食品藥物管理署於 90 個日曆天內完成審查<sup>註2</sup>。



銜接性試驗評估係探討藥品之療效、安全性及藥動/藥效是否具族群差異 (含內因性及外因性)，以了解國外臨床試驗數據是否能外推至我國族群，並作為藥品查驗登記之依據。倘藥品具族群敏感性，對臨床療效與安全性有顯著影響，國外執行的臨床試驗數據無法外推我國族群，經評估無法免除時，則必須進行銜接性試驗。倘經評估後不具族群



差異，則可免除銜接性試驗。

註 1 請參考西藥查驗登記審查費收費標準

註 2 請參考衛生福利部食品藥物管理署人民申請案件處理期限表

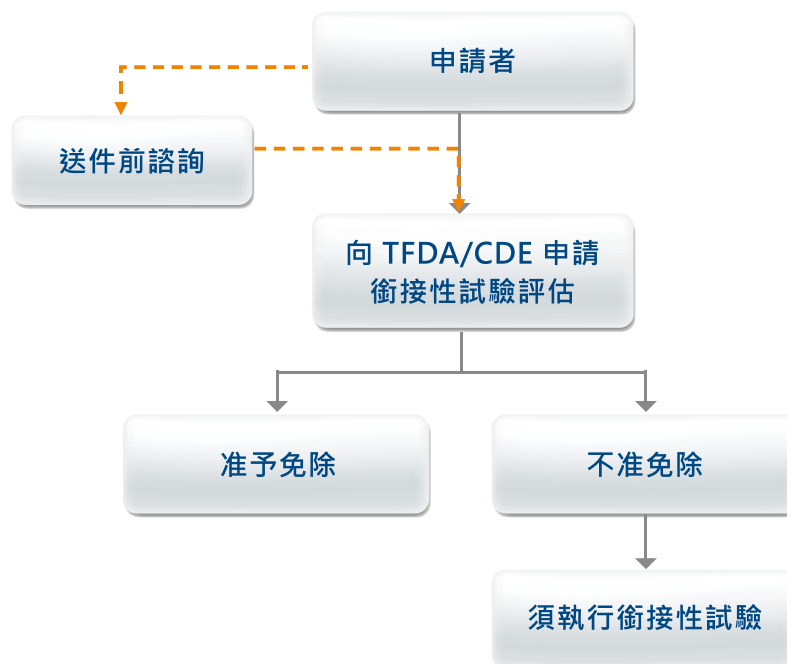


圖 6、銜接性試驗評估審查流程

## 銜接性試驗評估免除率分析

自 2001~2021 年止，累計完成 BSE 審查 928 件，其中 638 件准予免除，整體免除率為 69%；其中，國產藥品與輸入藥品分別為 58% 和 70%。

2001~2010 年，平均免除率約 60%，2011~2016 年平均免除率約 70%，2017~2021 年平均免除率高達約 90%(如圖 7)，免除率具逐年上升的趨勢，意謂近年來獲准免除銜接性試驗的 BSE 申請案中，其銜接性數據多具備東亞族群受試者的臨床或藥動資料，證明族群因素包含

內因性與外因性均不具差異，或是經評估後，認定具有族群差異，惟所提供的資料相當充分，足以決定國人的用法用量，則亦可免除銜接性試驗。在無法免除銜接性試驗的案件中，常見缺失彙整如表 1。

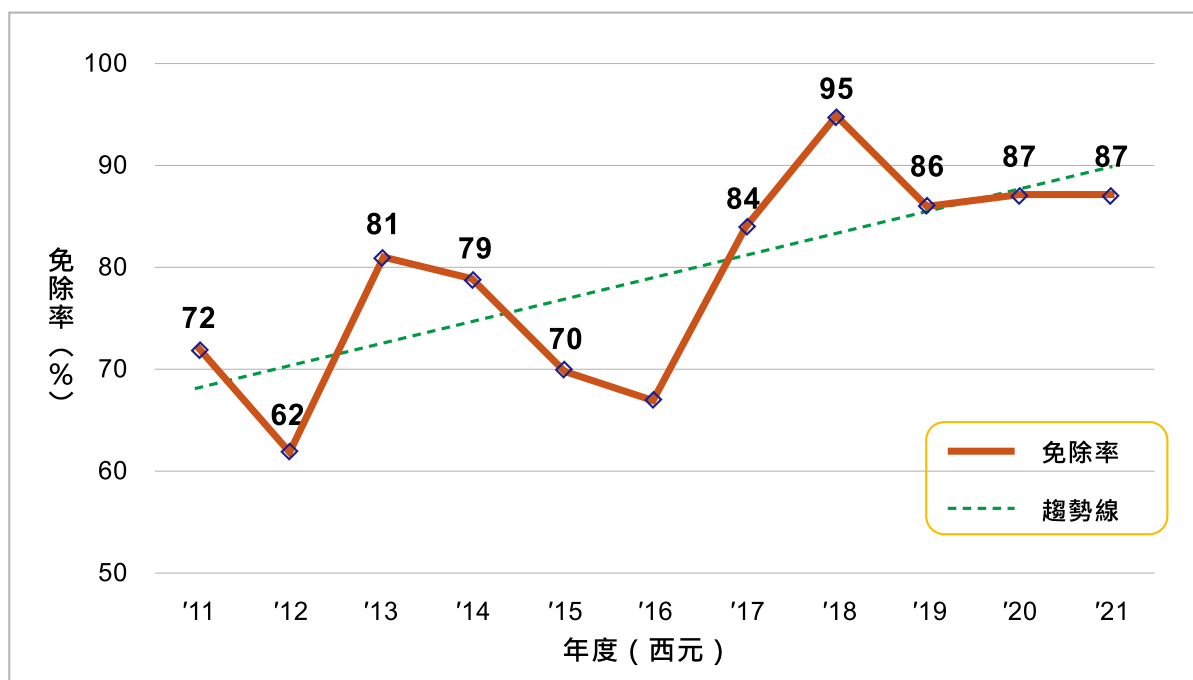


圖 7、2011-2021 年各年度 BSE 免除率

表 1、無法免除銜接性試驗之常見缺失

| 臨床                                   | 藥動                   |
|--------------------------------------|----------------------|
| 1. 東亞族群人數不足，或東亞族群療效及安全性資料不足，無法評估族群差異 | 1. 亞洲藥動 / 藥效資料不足     |
| 2. CCDP 無法支持宣稱之適應症                   | 2. 無法評估東西方族群藥動差異     |
| 3. 致病機轉或流行病學資料東西方人不同                 | 3. 藥動資料顯示東西方族群具種族差異性 |
| 4. 高頻率不良事件發生比例東西方人不同                 | 4. 呈現非線性藥動學或療效劑量範圍狹窄 |
| 5. 長期使用的有效性及安全性資料不足                  | 5. 低生體可用率及高個體差異      |
|                                      | 6. 藥品交互作用不明          |
|                                      | 7. 藥品代謝與排除方式不明       |

## 銜接性試驗評估結果與有含臺灣人數據之關聯性

原則上，東亞地區（如中國、日本與韓國等）為我國類似族群，2021 年 9 月修訂藥品查驗登記審查準則第 22-1 條，廠商申請銜接性試驗評估，須檢附藥品完整的臨床試驗數據，且宜含「東亞」人種資料，並進行比較。剖析 2018 至 2021 年 BSE 案件共 136 件，送審之 CCDP 資料含臺灣人數據為 69 件，免除率為 97%；不含臺灣人數據為 67 件，免除率為 87%（如表 2）。

表 2、CCDP 含臺灣人數據之 BSE 免除率  
（西元 2018~2021 年）

| 族群類別             | 總件數 | 免除件數 | 免除率 |
|------------------|-----|------|-----|
| 亞洲人族群<br>(不含臺灣人) | 67  | 58   | 87% |
| 亞洲人族群<br>(臺灣人)   | 69  | 67   | 97% |

追蹤 69 件新藥查驗登記審查結果，完成審查 56 件中（如圖 8），皆成功取得藥證；另有 2 件撤案，1 件為藥品具心血管安全性風險；另 1 件藥品在東西方族群之安全性及療效上具有差異。顯示有我國受試者的臨床試驗數據，對於後續銜接性試驗評估及新藥查驗登記核准均有相當助益。

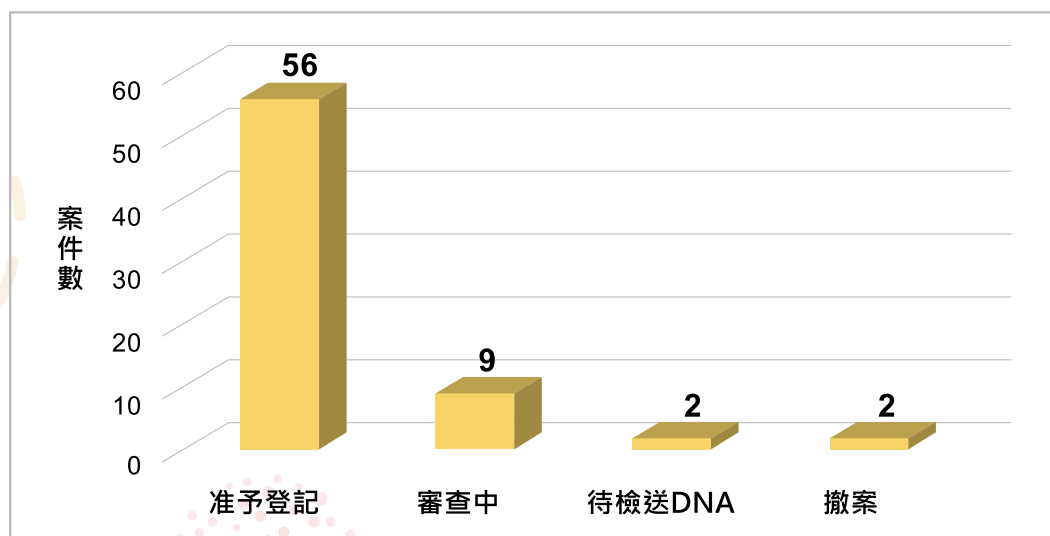


圖 8、BSE 含臺灣人數據之 NDA 審查結果（統計截至 2022 年 4 月）

## 疫情下我國臨床試驗逆勢成長

為避免因執行銜接性試驗而延宕新藥上市時程，鼓勵運用跨區域臨床試驗 (Multi-Regional Clinical Trials, MRCT)。為增進藥品研發效率，快速提供全球病人使用，2017 年 ICH E17 (General Principles for Planning and Design of Multi-Regional Clinical Trials) 指引提倡在藥品的研發策略上，透過跨區域臨床試驗所得到的數據，作為多個法規單位接受以支持上市許可之主要證據來源。我國為促進國際藥廠將臺灣納入跨區域臨床試驗，提供精進流程與鼓勵措施，包含多國多中心簡審 (CTN) 之臨床試驗審查天數縮短至 15 天、符合小兒或少數嚴重疾病認定之銜接性試驗評估可合併於查驗登記案內審查等。

上述表 2 廠商提交 CCDP 之亞洲族群資料，其中含有臺灣人數據約 5 成 (69/136)，顯示國際藥廠逐漸將臺灣納入藥品早期開發計劃。同期間國內臨床試驗數量 (如圖 9)，不論是臨床試驗總件數及

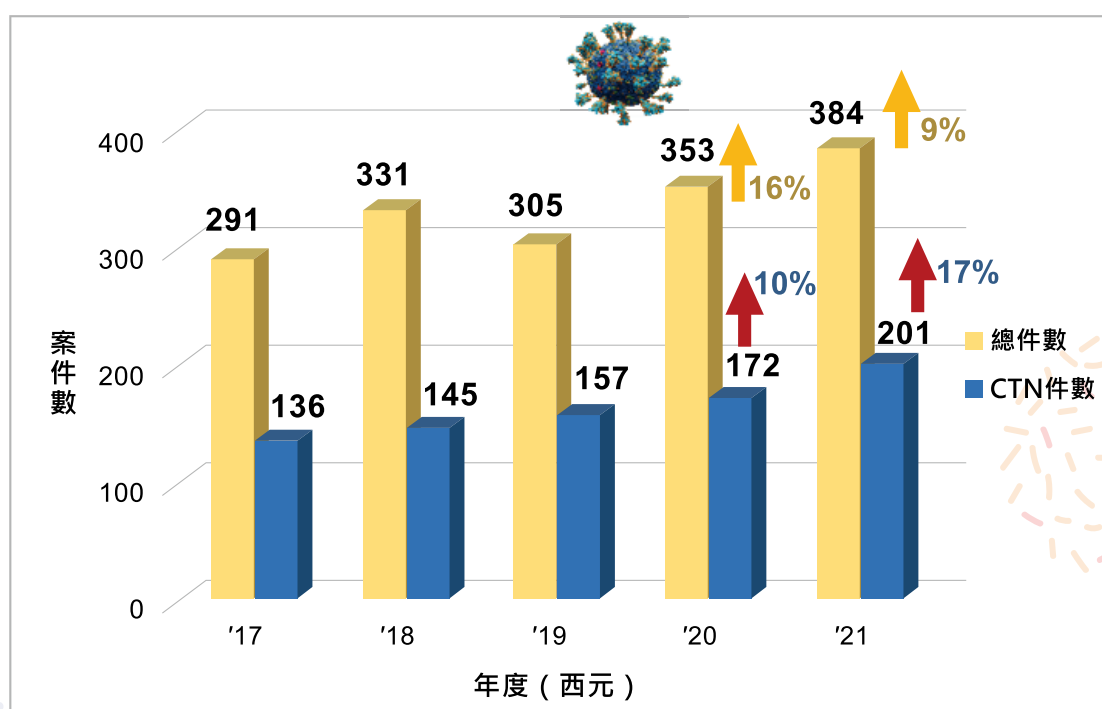


圖 9、2017 至 2021 年臨床試驗總件數及 CTN 件數

多國多中心臨床試驗 (CTN) 件數皆逐年增加。甚至在 2019 年末全球面臨 COVID-19 疫情爆發，我國在 2020 與 2021 年之臨床試驗總件數及 CTN 件數皆能逆勢成長，年增率約大於 10%，累計成長率約 25~27%；另分析近 10 年 Phase I/II/III/IV 各試驗期程的數量，呈現遞增趨勢 (如圖 10)。顯見我國能吸引國際藥廠來台執行 MRCT，具臨床試驗競爭力與優勢。

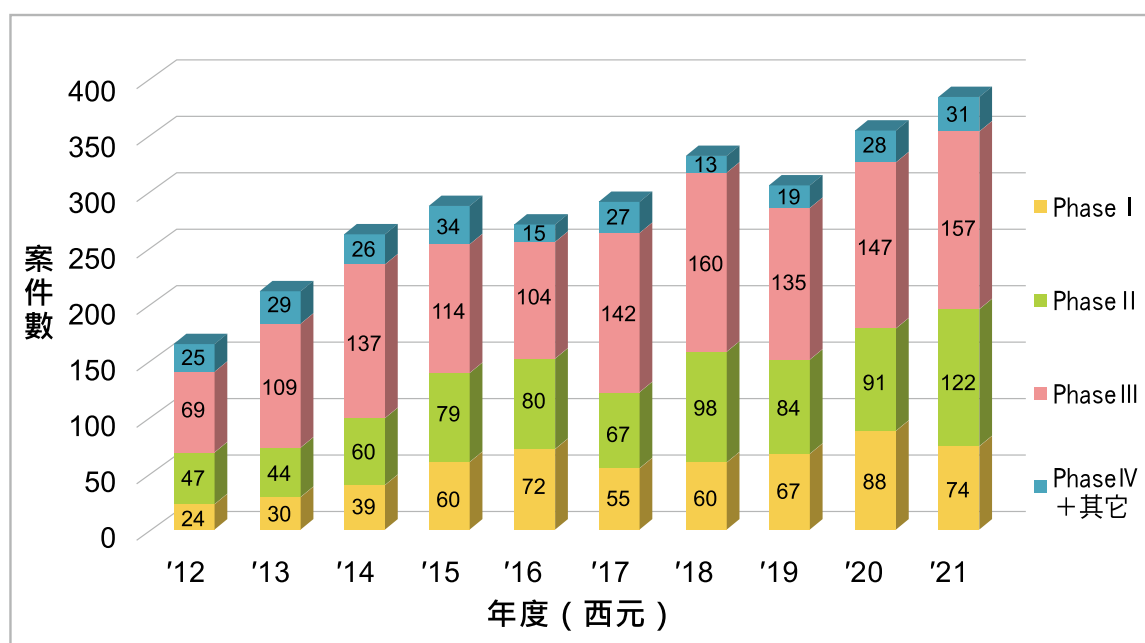


圖 10、2012 至 2021 年臨床試驗期別件數

## 銜接性試驗評估策略諮詢

查驗中心於 2018 年 1 月起推行「藥品付費諮詢」機制，申請方可經由此機制提出銜接性試驗評估策略諮詢。自 2018 年起至 2021 年底已完成 121 件付費諮詢案，與銜接性試驗評估策略諮詢相關之案件共 13 件 (11%)。此 13 件中，有 3 件 (23%) 為疫苗，其餘為小分子化學藥、生物藥或核醫放射藥品。諮詢態樣可依研發時程分為三類 (圖 11)，經



諮詢後送件者，成功獲得查驗登記核准函或計劃書准予執行。

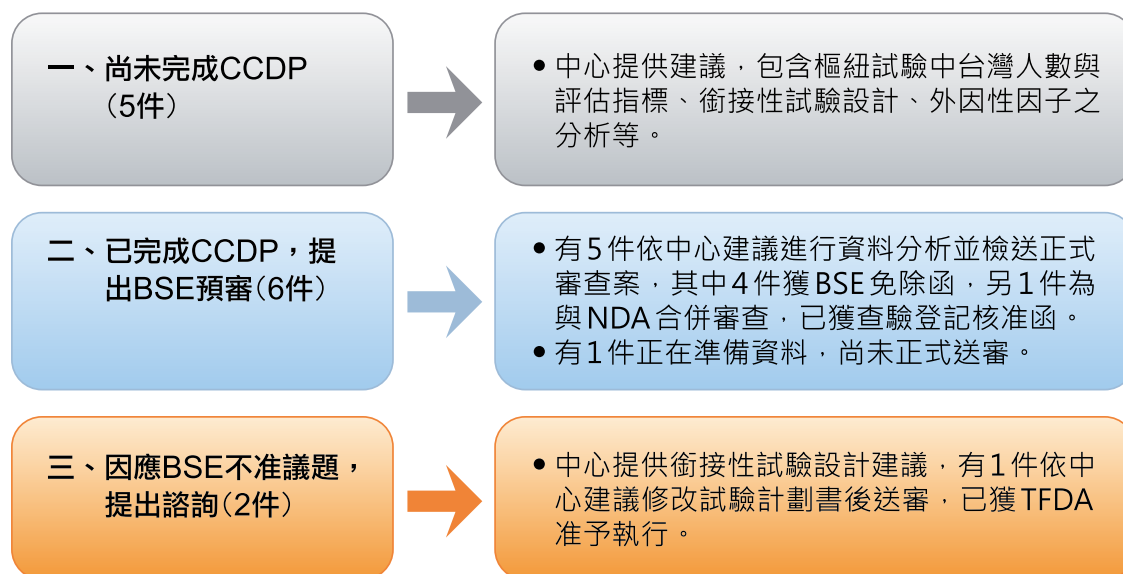



圖 11、銜接性試驗評估策略態樣分析

綜上，銜接性試驗評估 (Bridging Study Evaluation, BSE) 送件前，針對送審資料或研發策略上之議題，建議可先向查驗中心申請銜接性試驗策略諮詢，以釐清潛在資料缺失或修改研發策略。

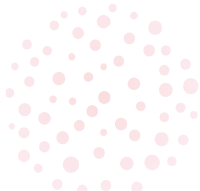


## 未來展望

政府為建構與國際協和之藥品臨床試驗法規環境，不斷致力於強化藥政管理與藥品審查效率提升，並隨著國際法規潮流變遷革新相關法規制度，大幅提升我國臨床試驗的軟硬體實力，如 CTN 簡審機制實施、新藥查驗登記審查精進措施、聯合倫理審查機制 CIRB 設立、臨床試驗中心 GCP 國際認證、臺灣臨床試驗資訊平台建置、卓越臨床試驗中心成立、臺灣特定疾病臨床試驗合作聯盟 (TCTC) 等，皆有助於我國成為亞洲地區具競爭力之臨床試驗中心。



ICH E17 指引鼓勵國際藥廠執行跨區域臨床試驗，並將種族因素納入新藥研發之重要策略考量。觀察近年上市之 Imfinzi<sup>®</sup>、Rinvoq<sup>®</sup>、Smyraf<sup>®</sup>、Calquence<sup>®</sup>、Rybrevant<sup>®</sup>、Enhertu<sup>®</sup>、Shingrix<sup>®</sup>、Rukobia<sup>®</sup>、Rybelsus<sup>®</sup> 等新藥，皆於藥品研發階段納入我國，而所獲得的國人臨床試驗數據，均有利於銜接性試驗評估，同時也為新藥申請藥品上市許可奠定基礎。期盼藥品在全球進行開發時，我國同步參與探索性臨床試驗和確認性跨區域性臨床試驗，成為區域的領頭羊。

我國核准的新藥如 Giotrif<sup>®</sup>、Onivyde<sup>®</sup> 領先歐美先進國家上市，以及國產新藥如 Taigexyn<sup>®</sup>、Nephoxil<sup>®</sup>、Besremi<sup>®</sup>、Axumin<sup>®</sup> 於全球首發核准上市之案例，在審查標準與品質和歐美先進國家不分軒輊，且具備獨立法規專業審查能力，累積豐富審查能量。期許業界與法規單位共同努力，持續精進藥品臨床試驗法規環境，源源不絕吸引跨國性大藥廠來台執行臨床試驗，使臺灣成為全球藥品研發重鎮與藥品審查同業標竿。



## 參、審查與評估業務

### 一、藥品技術性資料評估

#### (一) 作業流程說明

申請者於食藥署藥品組收發窗口送件後，由行政審查員負責行政作業及專案管理，並啟動組成審查團隊；團隊成員依案件類別可包括：化學製造管制、藥理/毒理、藥動/藥效、統計與臨床等專業。行政審查員根據標準作業流程召開審查團隊會議，由 Team Leader 主持，就案件之技術性資料進行討論，以完成審查報告及結論。如申請者之送審資料不齊備或有缺失，需補正者，則由審查團隊完成補件報告，並自 2018 年 4 月 30 日起由查驗中心發文通知，申請者應依揭示期限內檢齊資料送交查驗中心。查驗中心審查團隊完成審查報告，提出對案件之准駁建議，同時對案件是否須提至食藥署藥品諮議 (AC) 小組作討論，提出建議。最後由行政審查員彙整決行之審查報告及 AC 小組委員會會議結論 (若有)，進行呈核，最後由食藥署長官裁示，函覆申請者，如圖 12。



圖 12、藥品技術性資料評估作業流程

## (二) 藥品上市前之查驗登記評估

藥品查驗登記的審查重點，在評估廠商所提供之藥品技術性資料是否足以支持該藥品的安全性、有效性與品質。新藥上市前的查驗登記審查，包含臨床試驗階段的試驗計畫書審查，銜接性試驗評估與上市申請的藥品查驗登記。其中藥品查驗登記又可分為，新藥查驗登記審查、學名藥查驗登記審查，及符合指示藥品審查基準之藥品查驗登記審查。此外，為提升國內製劑使用的原料藥品質管理，查驗中心自 2011 年開始協助食藥署進行原料藥主檔案之技術性資料評估。

臨床試驗計畫書審查，主要在於確保受試者所參與的試驗為設計良好的臨床試驗，使用具有品質管控的藥品，在試驗的過程中有足夠的安全性監測與保護措施，以保障受試者的權益。

銜接性試驗評估乃藉由藥品之藥動 / 藥效學及療效、安全性資訊，輔以比較亞洲族群與非亞洲族群的數據，評估國外臨床試驗數據是否能外推至我國相關族群，以辨識該藥品於我國病患之用法用量的合理性。

新藥查驗登記的技術性資料評估重點，著重於：(1) 化學、製造與管制的資料，能顯示藥品的原料藥與製劑最終成品的品質有良好的控管，於不同批次之間，具有穩定的品質一致性；(2) 動物的藥理與毒理資料，能支持藥品的作用機制，可完整評估可能的潛在毒性反應；(3) 由動物與人體的藥動 / 藥效學資料，可了解藥品在生體內基本藥動 / 藥效學特性，且由藥品於特殊族群的藥動學資訊，與其他藥品的交互作用資訊，有助於評估藥品於特殊族群及 / 或與其他藥品合併使用時，用法用量調整方法的合理性；(4) 人體試驗的結果能顯示藥品於宣稱適應症的族群，在所宣稱用法用量之下，具有可信的療效與可接受的安全性。

學名藥查驗登記的技術性資料評估重點，在於：(1) 化學、製造與管制的資料，能顯示學名藥藥品與參考藥品在品質具相等性，其原料

藥與製劑最終成品的品質有良好控管，於不同批次之間，具有穩定的品質一致性；(2) 生體相等性試驗的資料，能顯示學名藥藥品與參考藥品間具有生體相等性關係，以支持學名藥品與參考藥品有相當的療效及安全性。

指示藥品審查基準包括：抗過敏劑、眼用製劑、鎮暈劑.....等共計 18 類藥品。其中外用痔瘡劑及點（噴）鼻製劑 2 項係 2019 年新增公告之基準項目；符合基準之藥品，其適應症、用法用量及注意事項警語等須依基準內容修訂。符合基準藥品查驗登記案之技術性資料評估重點主要著重於化學、製造與管制的資料，能顯示其原料藥與製劑最終成品品質有良好控管，於不同批次間，具有穩定的品質一致性。

原料藥主檔案之技術性資料評估，著重在於原料藥鑑別、含量純度及與安全性相關之品質特性，如不純物控管、溶劑殘留等，以支持藥品之品質、安全與療效。

## 1. 新藥查驗登記評估

### (1) 臨床試驗計畫書審查 ( Clinical Trial Protocol Review )

2021 年多國多中心簡審 ( CTN ) 臨床試驗計畫書新案由食藥署藥品組審查，共完成 201 件。由查驗中心審查之一般程序 ( non-CTN ) 臨床試驗計畫書新案共完成 183 件，變更案 ( 含申復 ) 共 786 件，新案首輪結論建議准予執行之案件數有 148 件 ( 占 81% ) 。

針對查驗中心審查完成之一般程序 ( non-CTN ) 臨床試驗新案，分別依送件廠商、試驗用途、試驗規模及試驗研發階段進行分析，結果如下：

- (I) 製造廠商以輸入商為主：試驗藥品為國外輸入者占 66% ( 121 件 ) ；國產占 34% ( 62 件 ) 。
- (II) 試驗用途以查驗登記案為主：查驗登記案 79% ( 144 件 ) ；學

術研究案 21% ( 39 件 ) 。

- (III) 試驗規模以多國多中心試驗規模為主：臺灣單中心占 27% ( 50 件 ) ; 臺灣多中心占 18% ( 33 件 ) ; 多國多中心占 55% ( 100 件 ) 。
- (IV) 試驗研發階段以 Phase I 、Phase II 及 Phase III 為主：參見表 3 。

表 3、2021 年完成藥品一般程序 ( non-CTN ) 臨床試驗計畫審查新案，依臨床試驗期別分析

| 臨床試驗期別         | 案件數 ( 百分比 ) |         |
|----------------|-------------|---------|
| Phase I        | 46          | ( 25% ) |
| Phase I / II   | 19          | ( 10% ) |
| Phase II       | 45          | ( 25% ) |
| Phase II / III | 4           | ( 2% )  |
| Phase III      | 45          | ( 25% ) |
| Phase IV + 其他  | 24          | ( 13% ) |

其他包含：核醫放射性藥品、BE study 等學術研究用案件

- (V) 依適應症 ( 國際疾病分類代碼 ICD-9 ) 分析，以癌症用藥之臨床試驗為主要，參見表 4 。

表 4、2021 年完成藥品一般程序 ( non-CTN ) 臨床試驗計畫審查新案，依適應症分類前五大類

| 計畫之適應症  | 案件數 ( 百分比 ) |         |
|---|-------------|---------|
| NEOPLASMS   | 75          | ( 41% ) |
| DISEASES OF THE NERVOUS SYSTEM AND SENSE ORGANS                       | 20          | ( 11% ) |
| DISEASES OF THE RESPIRATORY SYSTEM                                    | 16          | ( 9% )  |
| INFECTIOUS AND PARASITIC DISEASES                                     | 13          | ( 7% )  |
| ENDOCRINE, NUTRITIONAL AND METABOLIC DISEASES, AND IMMUNITY DISORDERS | 10          | ( 5% )  |

完成審查之一般程序 ( non-CTN ) 臨床試驗計畫書新案 183 件中，有 42 件為 First in Human 臨床試驗 ( 即首次應用於人體的試驗 )，其分類項目如表 5。

表 5、2021 年完成審查 First in Human 一般程序 ( non-CTN ) 臨床試驗計畫藥品分類

| 藥品類別      | 案件數 ( 百分比 ) |
|-----------|-------------|
| 化學藥品      | 19 ( 45% )  |
| 生物藥品      | 13 ( 31% )  |
| 細胞及基因治療產品 | 9 ( 21% )   |
| 複合性藥品     | 1 ( 2% )    |

其中包含基因治療產品 3 件及細胞治療產品 6 件，以細胞來源區分，自體 ( autologous ) 有 3 件，同種異體 ( allogeneic ) 有 3 件；若以細胞種類區分，免疫細胞有 4 件，人類骨髓間質幹細胞有 2 件。

### (2) 銜接性試驗評估 ( Bridging Study Evaluation, BSE )

2021 年完成之藥品銜接性試驗評估案共 30 件，其中新案 30 件，申覆案 0 件。完成新案中，結論建議准予免除銜接性試驗有 26 件 ( 86.7% )。

### (3) 新藥查驗登記申請案評估 ( Review of New Drug Application, NDA )

查驗中心於 2021 年完成新藥查驗登記申請案之新案評估共 153 件，包含：新成分新藥 ( New Chemical Entity, NCE ) 申請案 60 件，新使用途徑、新複方、新適應症藥品申請案 22 件，新劑型、新使用劑量、新單位含量藥品申請案 26 件，生物藥品申請案 44 件與放射性藥品申請案 1 件，如圖 13。

2021 年完成新藥查驗登記申請案之 153 件新案評估中，經食藥署評定適用優先審查及精簡審查程序者有 34 件<sup>註 3</sup>。

<sup>註 3</sup> 依據 2019.11.18 衛授食字第 1081410630 號公告之規定，針對國人生命及健康維護有迫切需求的藥物，修定新藥優先審查程序，使新藥早日上市，嘉惠病患使用；另針對 US FDA、EMA 或 MHLW 已核准上市的新成分新藥，考量其技術性資料業經審查且該單位均與我國建立溝通管道及合作機制，亦修定精簡審查程序，以期該類新藥能快速上市，使病人早日獲得治療並保障病人的權益。申請人應填具新藥查驗登記優先或精簡審查機制自評表並檢附適當說明及應備資料，事先向中央衛生主管機關提出適用認定申請，評估結果由中央衛生主管機關行文通知。

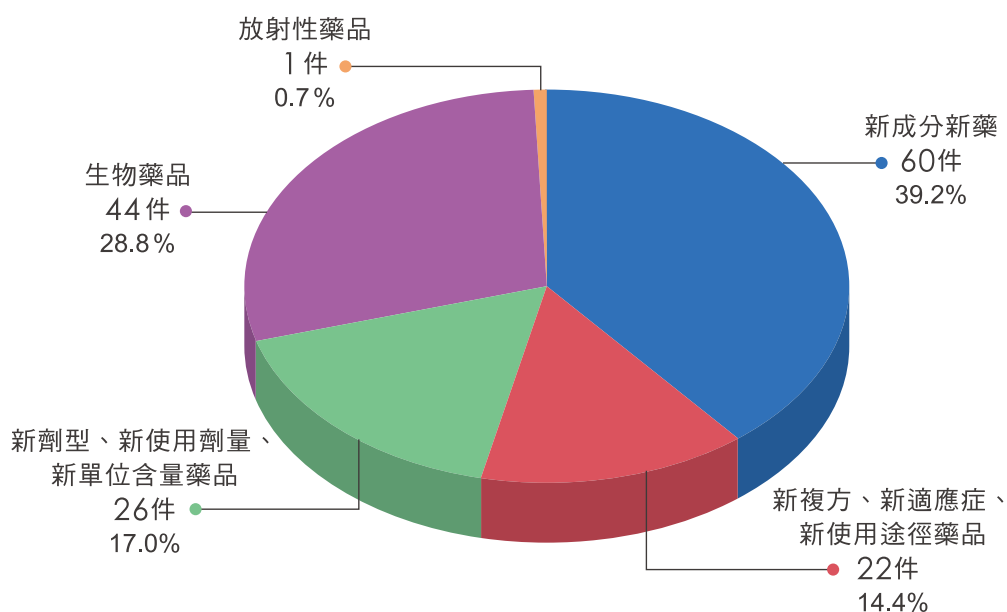


圖 13、2021 年完成新藥查驗登記審查新案 (以案件類別統計)

完成評估之 153 件查驗登記新案，依藥品 ATC code 分類顯示，以「抗腫瘤藥及免疫抑制劑」最多 (占 32.7%)，其次為「血液系統用藥」(占 11.1%) 和「神經系統用藥」(占 10.5%)，如表 6。



表 6、2021 年完成查驗登記評估之新藥依 ATC 分類前三大類之藥品

| 完成評估新藥的 ATC code 分類  | 案件數       |
|--|-----------|
| <b>Antineoplastic and immunomodulating agents 抗腫瘤藥及免疫抑制劑</b> | <b>50</b> |
| L01 Antineoplastic agents                                    | 32        |
| L04 Immunosuppressants                                       | 17        |
| L02 Endocrine therapy  | 1         |
| <b>Blood and blood forming organs 血液系統</b>                   | <b>17</b> |
| B03 Antianemic preparations                                  | 5         |
| B01 Antithrombotic agents                                    | 4         |
| B02 Antihemorrhagics   | 4         |
| B05 Blood substitutes and perfusion solutions                | 2         |
| B06 Other hematological agents                               | 2         |
| <b>Nervous system 神經系統用藥</b>                                 | <b>16</b> |
| N07 Other nervous system drugs                               | 5         |
| N03 Antiepileptics   | 4         |
| N05 Psycholeptics  | 3         |
| N06 Psychoanaleptics   | 2         |
| N02 Analgesics   | 1         |
| N04 Anti-parkinson drugs                                     | 1         |

#### (4) 新藥查驗登記退件機制

為加強廠商送件品質，食藥署於 2017 年 1 月 1 日起推動「新藥查驗登記退件機制 ( Refuse to File; RTF )」，退件原則包括：(一) 未依據藥品查驗登記審查準則檢附「完整行政性資料」；(二) 未依據通用技術文件格式 ( Common Technical Documents; CTD ) 檢附「完整技術性資料」；(三) 未依據西藥及醫療器材查驗登記審查收費標準繳納「審查規費」。

而後為明確退件審查標準，食藥署於 2018 年 9 月 21 日頒布「新藥查驗登記退件機制 ( RTF ) 查檢表」，內容分為行政資料、臨床

(含統計)、CMC/BIO、Pharm/Tox 及 PK/PD 五部分，提供廠商參考遵循，並期強化其送件資料品質。隔年，配合藥事法第四章之一西藥之專利連結之施行，於 2019 年 8 月 20 日起公告施行「新藥及生物藥品(含生物相似性藥)查驗登記退件機制(RTF)查檢表」，並於 2021 年 11 月 2 日公告修正「藥品(不含學名藥及原料藥)查驗登記退件機制(RTF)查檢表」，規範廠商送件前應依新版查檢表自行審視資料的完整性。

2021 年查驗中心完成新藥查驗登記退件評估之案件共 114 件，其中評估建議退件者 7 件(6.1%)，續審者 107 件(93.9%)，如圖 14。

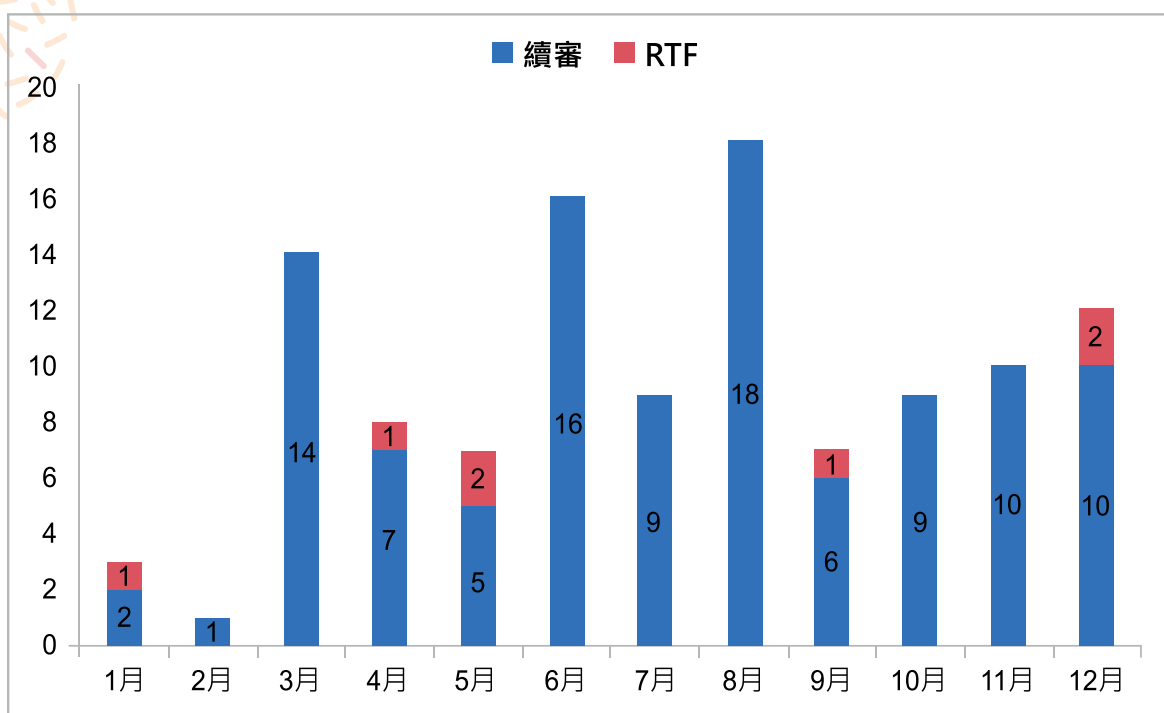


圖 14、2021 年新藥查驗登記退件評估結果

## 2. 學名藥查驗登記評估

### (1) 學名藥查驗登記退件機制

為提升學名藥查驗登記申請案件之送件品質及審查效率，自

2017年1月1日起送件之學名藥查驗登記申請案，其送審文件內容若達嚴重缺失者，實施退件及部分退費作業 ( Refuse to File ; RTF ) 。於2019年7月19日以衛授食字第1081404238號公告修正，並更名為「學名藥查驗登記退件機制 ( Refuse to File, RTF ) 查檢表」；為求查檢表內容更加清楚明確，使申請端及審查端雙方均能有所依循，並於2021年8月31日以衛授食字第1101407447號公告修正「學名藥查驗登記退件機制 ( Refuse to File, RTF ) 查檢表」。使申請學名藥及「符合指示藥品審查基準」之藥品查驗登記案，能依據查檢表核對送審資料，若其缺失達退件標準者，則於收文日後14天內通知廠商。

2021年查驗中心新受理案件共237件，其中評估建議退件者 ( Refuse to File; RTF ) 36件 ( 15.2% ) ，續審者159件 ( 67.1% ) ，撤案42件 ( 17.7% ) ，如圖15。

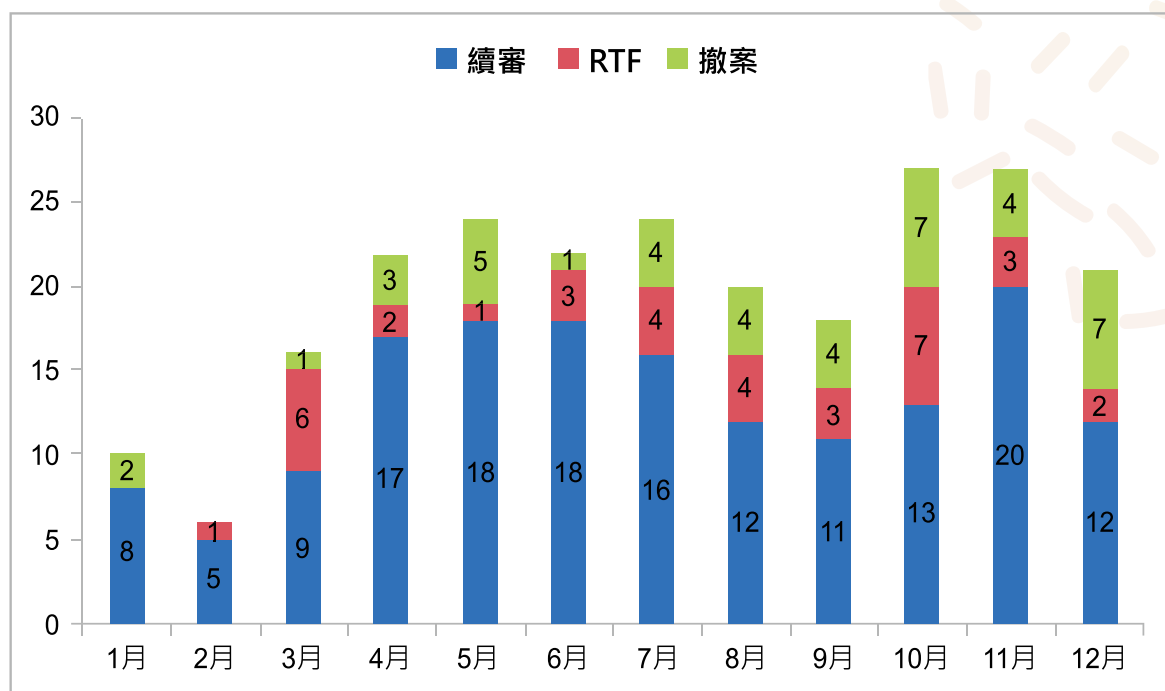


圖 15、2021 年學名藥查驗登記退件評估結果

## (2) 學名藥查驗登記評估執行成果

2021 年查驗中心完成學名藥查驗登記案評估之案件共 395 件 ( 含新案 264 件，申覆案 131 件 )，其中有 159 件 ( 含新案 149 件，申覆案 10 件 ) 併有化學製造管制與生體相等性試驗資料評估。完成新案 264 件中，包括 RTF 退件 46 件，續審案共 218 件，其中續審案核准 70 件，核准率為 32.1 %，申覆案 131 件中核准 106 件，核准率為 80.9%。

學名藥化學製造管制部分，不准缺失比例最高三項為「成品檢驗規格、方法及成績書相關之缺失」、「藥品安定性試驗報告」及「有效成分檢驗規格、方法及成績書相關之缺失」；其中成品檢驗規格最常見之不准缺失項目為不純物，安定性試驗檢驗規格較常見之不准缺失為不純物檢驗項目。

供學名藥查驗登記用且於國內執行的「生體可用率 ( BA ) / 生體相等性 ( BE ) 試驗計畫書」、「BA/BE 試驗報告書」及「溶離率曲線比對報告審查」新申請案，分別完成 12 件、21 件與 31 件，核准率依次為 100%、90.5% 及 80.6%；屬申覆 / 變更案者則分別完成 1 件、3 件與 39 件，核准率依次為 100%、100% 及 94.9%。

就 BA/BE 試驗審查所見缺失，BE 試驗報告中常見的不准缺失是在生物檢品分析方面，包含「分析方法確效缺失」及「分析結果有疑慮」；溶離率曲線比對試驗部分，常見不准缺失主要為「溶離試驗執行方式與試驗結果不符法規要求」，及「定量分析方法確效資料有缺失」。

評估完成之學名藥依藥品 ATC code 分類，結果如表 7。以泌尿道生殖系統和激素用藥最多 ( 占 15.7% )，其次為消化系統和代謝用藥 ( 占 11.9% ) 及抗腫瘤藥品和免疫用藥 ( 占 11.6% )。

表 7、2021 年完成學名藥查驗登記評估之新案依 ATC 分類前三大類之藥品

| 完成學名藥評估的 ATC code 分類   | 案件數       |
|--|-----------|
| <b>Genito urinary system and sex hormones 泌尿道生殖系統和激素用藥</b>   | <b>62</b> |
| G04 Urologicals  | 53        |
| G03 Sex hormones and modulators of the genital system        | 7         |
| G01 Gynecological antinfectives and antiseptics              | 2         |
| <b>Alimentary tract and metabolism 消化系統和代謝用藥</b>             | <b>47</b> |
| A10 Drugs used in diabetes                                   | 11        |
| A06 Drugs for constipation                                   | 10        |
| A02 Drugs for acid related disorders                         | 6         |
| 其他   | 20        |
| <b>Antineoplastic and immunomodulating agents 抗腫瘤藥品和免疫用藥</b> | <b>46</b> |
| L01 Antineoplastic agents                                    | 38        |
| L02 Endocrine therapy  | 4         |
| L04 Immunosuppressants                                       | 4         |

### 3. 符合指示藥品審查基準之藥品處方預審及查驗登記評估

2021 年符合指示藥品審查基準之處方預審共收案 148 件，全數皆完成預審。預審結果符合基準之案件共 104 件；不符基準之案件 44 件。符合指示藥品審查基準之查驗登記審查案共收案 47 件，完成 36 件。

### 4. 原料藥之技術性資料評估

#### (1) 原料藥查驗登記暨原料藥主檔案退件機制

為增進審查效率及提升送件品質，於民國 2019 年 7 月 1 日實施原料藥查驗登記暨原料藥主檔案退件及部分退費機制 ( API, DMF Refuse to File; API, DMF RTF )。申請商可依送件類型所對應之查檢表檢送文件，送審資料若達嚴重缺失者，予以退件及部分退費。

為求查檢表內容更加清楚明確，於 2021 年 8 月 10 日公告衛授食字第 1101407579 號修正「原料藥查驗登記暨原料藥主檔案退件機制查檢表 ( API, DMF Refuse to File; API, DMF RTF )」表一至表四，使申請者能依據查檢表核對送審資料。審查端依據對應之查檢表 ( 表一至表四 ) 審查，達退件標準者，則於收文日後第 14 天內通知廠商。

2021 年查驗中心新受理原料藥查驗登記退件評估 ( API Refuse to File; API RTF ) 案件共 263 件，其中評估建議退件者 20 件 ( 7.6% )，續審者 241 件 ( 91.6% )，撤案 2 件 ( 0.8% )，如圖 16。

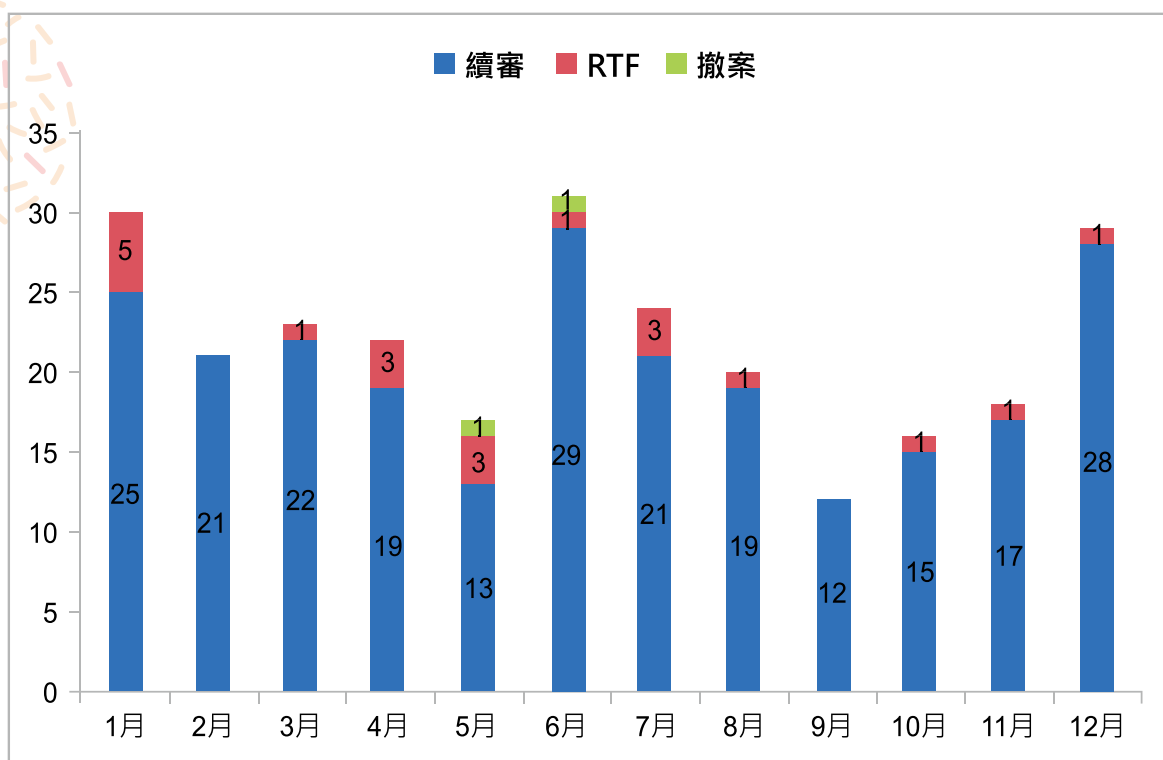


圖 16、2021 年原料藥查驗登記退件評估結果

2021 年查驗中心新受理原料藥主檔案退件評估 ( DMF Refuse to File; DMF RTF ) 案件共 241 件，其中評估建議退件者 29 件 ( 12% )，續審者 206 件 ( 85.5% )，撤案 6 件 ( 2.5% )，如圖 17。

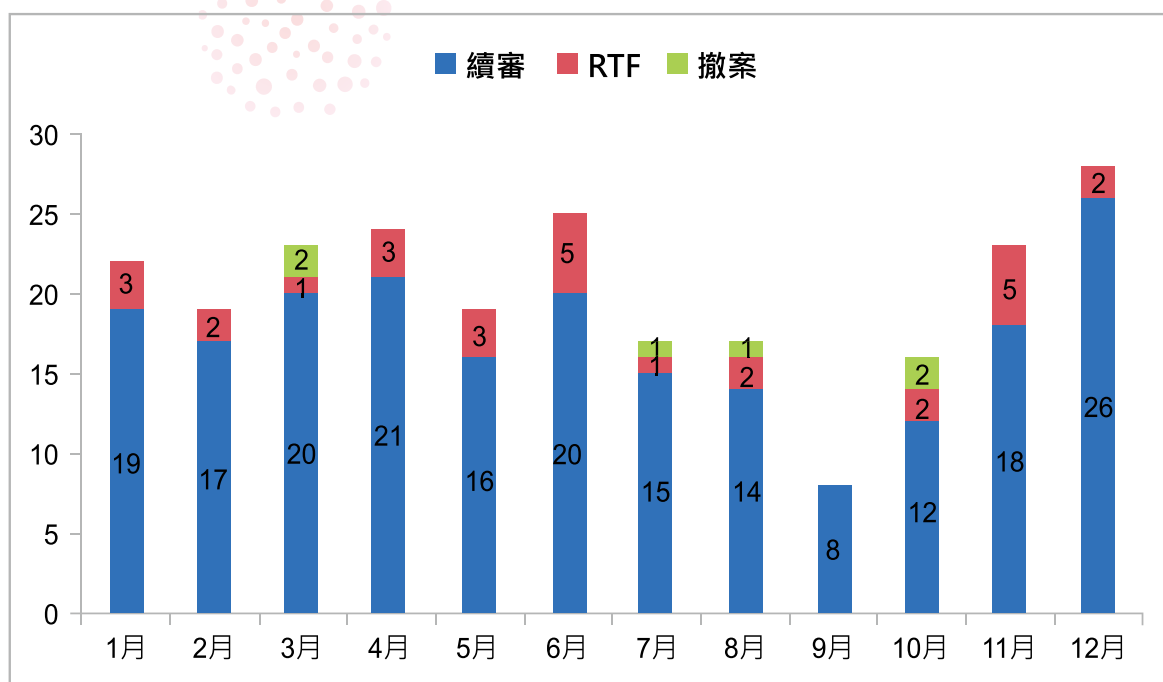


圖 17、2021 年原料藥主檔案退件評估結果

## (2) 原料藥查驗登記暨原料藥主檔案評估執行成果

查驗中心 2021 年審查完成之原料藥查驗登記暨原料藥主檔案評估案共 635 件，其中新案 498 件，RTF 退件 59 件，續審案共 439 件，申覆案 137 件。依原料藥之藥品 ATC code 分類，以消化系統和代謝用藥為多（占 11.3%），其次為抗腫瘤和免疫調節用藥（占 8.8%）及全身性抗感染用藥（占 8.5%），如表 8。

表 8、2021 年完成原料藥查驗登記暨原料藥主檔案評估之藥品依 ATC 分類前三大類之藥品

| 完成評估原料藥主檔案 (DMF) 的 ATC code 分類            | 案件數 |
|---|-----|
| Alimentary tract and metabolism 消化系統和代謝用藥 | 72  |
| A10 Drugs used in diabetes                | 29  |
| A02 Drugs for acid related disorders      | 9   |
| A04 Antiemetics and antinauseants         | 6   |
| 其他  | 28  |

|  |           |
|--|-----------|
| <b>Antineoplastic and immunomodulating agents 抗腫瘤和免疫調節用藥</b> | <b>56</b> |
| L01 Antineoplastic agents                                    | 38        |
| L04 Immunosuppressant  | 9         |
| L02 Endocrine therapy  | 8         |
| L03 Immunostimulants   | 1         |
| <b>Antiinfectives for systemic use 全身性抗感染用藥</b>              | <b>54</b> |
| J01 Antibacterials for systemic use                          | 31        |
| J05 Antivirals for systemic use                              | 14        |
| J02 Antimycotics for systemic use                            | 6         |
| J07 Vaccines   | 2         |
| J04 Antimycobacterials                                       | 1         |

## 5.COVID-19 疫苗與藥品 EUA 成果

查驗中心配合緊急公共衛生需求，因應疫情的防治藥品與疫苗需求急迫，以專案式動態即時審查評估新冠肺炎防治藥品（含疫苗）之技術性資料，截至 2021 年 12 月 31 日，完成 COVID-19 疫苗緊急使用授權製造或輸入評估 5 件及相關輸入疫苗製造廠變更評估，新藥查驗登記優先審查認定 1 件，藥品新增 COVID-19 適應症變更 2 件。

### (三) 上市後藥品變更登記

藥品上市之後，若要進行登記事項變更，則應依規定申請變更許可。查驗中心協助食藥署進行國產及輸入各項已上市藥品申請變更案件中，涉及仿單、適應症、用法用量、藥品類別、製造場所、劑型、配方、檢驗規格與方法、賦形劑、直接包裝材質等變更之技術性資料評估。因不同的變更類別，審查的重點亦不相同。以適應症、用法用量之變更而言，著重於臨床試驗資料是否足以支持所宣稱之變更。若為製程、配方、



製造場所或賦形劑變更，則著重於變更後與變更前藥品的品質是否維持不變，變更前後的藥品是否具生體相等性或體外溶離率曲線比對是否相似。若檢驗規格與方法變更，則是考量變更的依據是否具合理性，相關的變更是否仍可以確保該藥品的品質控管。符合指示藥品審查基準之藥品的上市後變更，主要針對適應症、用法用量、包裝種類、類別、仿單內容進行審查。

### 1. 處方藥之適應症、用法用量變更

2021 年完成上市後藥品適應症、用法用量變更審查案件，共計 209 件；上市後藥品一般仿單變更審查案件，共計 627 件。

### 2. 處方藥之其他變更類別

2021 年完成因製程、配方、製造場所、賦形劑、劑型變更，涉及主、次要改變而須提供生體相等性試驗報告書或體外溶離率曲線比對報告書審查的案件，共計 41 件。

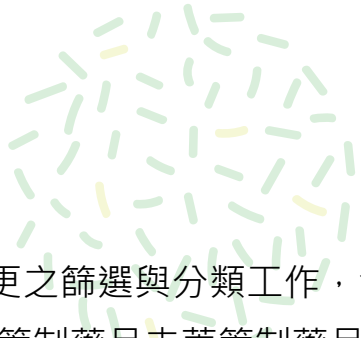
2021 年完成因製程、配方、製造場所、賦形劑、劑型、檢驗規格與方法、直接包裝材質等變更而須提供化學、製造與管制相關資料進行審查的案件，共計 175 件。

### 3. 符合指示藥品審查基準藥品之變更

2021 年完成符合指示藥品審查基準之藥品的變更申請審查案件共計 39 件。

## (四) 國產藥品許可證展延變更

查驗中心 2021 年完成 1,695 張國產藥品許可證展延業務。主要



針對所收個案是否涉及公告須辦理變更之篩選與分類工作，包括：(1) 委託製造廠之委託製造情形確認、(2) 管制藥品未蓋管制藥品戳章之許可證篩選、(3) 符合「指示藥品審查基準」、「含維生素產品認定之基準表」及經修訂之「成藥基準表」之案件分類篩選、(4) 涉及再分類、再評估、統一適應症、仿單須加刊警語、仿單標準化等篩選、(5) 涉及不准展延、不依藥品列管之成分許可證篩選、(6) 涉及其他藥品安全性相關公告篩選。確認無相關疑慮後，方會建議同意許可證展延。




## (五) 具有重大公共衛生意義的案件

本年度查驗中心建議核准上市之新藥中有 8 件具有公共衛生重大意義，透過有效率、科學性的審查機制及早讓產品上市提供國內病人可以有其他的選擇，不僅加速新藥對病人的可近性，亦有助於我國醫療水準的提升。

### 1. 阿斯特捷利康 (AstraZeneca) COVID-19 疫苗 (商品名 Vaxzevria)

阿斯特捷利康 (AstraZeneca) COVID-19 疫苗，目前核准用於「18 歲以上青少年及成人之主動免疫接種，以預防嚴重特殊傳染性肺炎 (COVID-19)」。在新型冠狀病毒 (Severe Acute Respiratory Syndrome Coronavirus 2, SARS-CoV-2) 肺炎 (COVID-19) 疫情自 108 年底爆發以來，全球染疫人數不斷攀升，在緊急授權本品核准使用前，我國尚無核准有效預防性疫苗。

阿斯特捷利康 (AstraZeneca) COVID-19 疫苗為單價疫苗，使用單一重組、帶有複製缺陷的黑猩猩腺病毒 (ChAdOx1) 載體，進行 SARS-CoV-2 S 糖蛋白編碼。施打本品後，體內可局部表現 SARS-CoV-2 S 糖蛋白，刺激中和抗體及細胞免疫反應，可助於抵抗 COVID-19。

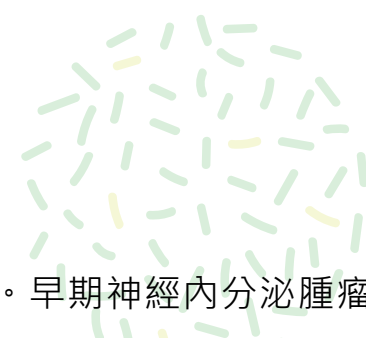


為因應國內 COVID-19 疫情緊急公共衛生情事之需要，並積極因應 COVID-19 疫情可能的發展，查驗中心透過「COVID-19 專案指標案件藥物法規科學諮詢輔導機制」，進行高效率滾動式技術性資料審查，與申請者、相關領域專家及食藥署密切溝通審查議題與研議法規要求。依據藥事法第 48 條之 2 第一項第二款規定，由食藥署公告緊急授權同意專案輸入本品，為國內第一個獲得專案核准使用之 COVID-19 疫苗，具重大的公共衛生指標意義。同時要求獲得專案許可授權者於本品專案核准輸入期間，若有更新之化學製造管制資料、藥物動力學資料、臨床試驗資料等，應即時提供至食藥署審查，以進一步確認疫苗品質、療效與安全性。為確保民眾用藥安全，在本品專案核准輸入期間，並加強疫苗之安全性監視與通報。


## 2. Lutetium (177Lu) oxodotreotide ( 商品名 : Lutathera )

Lutetium (177Lu) oxodotreotide 為新成分放射性藥品，核准適應症為「治療成人無法手術切除或轉移性，分化良好 (G1 及 G2) 且經體抑素類似物 (somatostatin analogue) 治療無效之體抑素受體 (somatostatin receptor) 陽性的胃腸道胰腺神經內分泌腫瘤 (GEP-NETs)」。本品為一結合 octreotide (somatostatin analogue)、螯合劑和 177Lu 的放射性新藥，注射至病人體內後可藉由 octreotide 將藥品帶至表現體抑素受體 (somatostatin receptor) 的神經內分泌腫瘤，再由 177Lu 釋放  $\beta$  射線達到損傷腫瘤細胞的作用。

神經內分泌腫瘤 (neuroendocrine tumor, NET) 為一種具有明顯神經內分泌細胞分化的表皮細胞腫瘤，其廣泛分布於各器官，胃腸道和胰臟約佔 60-70%，其他部位包括肺部或胸腺等。胃腸道及胰腺神經內分泌腫瘤於歐美之盛行率約為 15-20/100,000，於我國的盛行率經估算約為 1.2/100,000，為十分罕見之腫瘤。雖然神經內分泌腫瘤可能會引起荷爾蒙的過度分泌，但初期症狀並不明顯，因此



超過一半病人在診斷時已發生轉移。早期神經內分泌腫瘤的首選治療方式為手術，若無法切除或已發生轉移，治療方式則以藥物為主並考慮以手術局部切除造成症狀的病灶。目前第一線治療藥物為體抑素類似物 (somatostatin analogue) 如 octreotide 和 lanreotide，若接受治療後疾病仍惡化，則第二線治療藥物為標靶治療用藥如 everolimus 和 sunitinib。

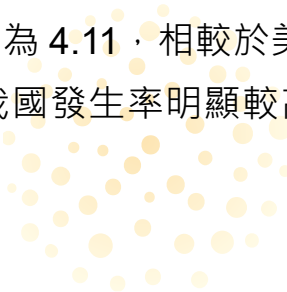


Lutetium (177Lu) oxodotreotide 為國內核准第一個用於治療神經內分泌腫瘤的放射性藥品，提供患有轉移性或無法切除之胃腸道胰腺神經內分泌腫瘤的病人新的治療選擇，且相較於我國已核准的治療藥物具有療效上的優勢。本品適用食藥署小兒或少數嚴重疾病藥品審查機制之新藥查驗登記申請案，透過有效率與科學性的審查機制及早讓藥品上市幫助病人，以進一步促進國人健康。

### 3. Pemigatinib (商品名: Pemazyre)

Pemigatinib 為新成分新藥，是一種標的成纖維細胞生長因子受體 (fibroblast growth factor receptors, FGFR) 1、2 和 3 的小分子激酶抑制劑，藉由抑制 FGFR 1-3 磷酸化及訊號傳遞，使帶有成纖維細胞生長因子受體擴增與融合的活化型變異、導致成纖維細胞生長因子受體訊號持續性活化的癌細胞株的細胞存活度降低。核准適應症為「適用於成人接受過全身性藥物治療、腫瘤具有 FGFR2 融合或重排、不可手術切除的局部晚期或轉移性膽管癌」。

膽管癌是一種從膽管上皮細胞長出來的惡性腫瘤，是除肝癌外，第二常見的肝膽惡性腫瘤。根據衛生福利部國民健康署公布民國 106 年的癌症登記報告，我國膽囊及肝外膽管惡性腫瘤每 10 萬人口粗率：男性為 4.67、女性為 4.11，相較於美國與英國約每 10 萬有 1 至 2 人，上述數據顯示我國發生率明顯較高。目前國內膽囊及肝外



膽管惡性腫瘤治療仍以手術治療為大宗，占49.42%，化學治療其次，占30.66%。Pemigatinib的核准提供無法手術且具有FGFR2的膽管癌的治療選擇，符合我國醫療迫切需求並透過加速核准的機制，及早讓藥品上市提供國內病人新的治療選擇。


#### 4. Ripretinib (商品名: Qinlock)

Ripretinib 為新成分新藥，是一種酪氨酸激酶抑制劑，可抑制原癌基因受體酪氨酸激酶 (KIT) 和血小板衍生生長因子受體 A (PDGFRA) 激酶，包括野生型、原發和繼發突變。核准適應症為「適用於治療已接受3種或以上激酶抑制劑 (包括 imatinib) 治療的晚期胃腸道基質瘤 (GIST) 成人病人」。


GIST 為成人軟組織肉瘤 (soft tissue sarcoma) 最常見的一種，但與其他常見的腫瘤相比，發生率較為罕見。手術為可能可治癒此腫瘤的治療方式，然而半數左右的病人在診斷時已轉移或無法手術切除，且放射治療與傳統化療效果不佳。國內目前已核准三個治療 GIST 的標靶治療用藥 imatinib、sunitinib 及 regorafenib，然而隨著治療，可能會對藥物產生抗藥性而治療失敗。若病人接受前述三個藥品治療後疾病仍惡化就會面臨無其他核准之治療選擇，因此仍具有醫療迫切需求性。本品透過食藥署優先審查機制及早讓藥品核准上市，為國人提供新的治療選擇。

#### 5. 帶狀疱疹疫苗 (非活性基因重組疫苗) (商品名 Shingrix)

Shingrix 核准適應症為「適用於下列對象，以預防帶狀疱疹及其相關併發症，如疱疹後神經痛 (post-herpetic neuralgia, PHN)：(1) 50 歲 (含) 以上的成人；(2) 18 歲 (含) 以上且具有罹患帶狀疱疹風險較高的成人」。



帶狀皰疹是由水痘病毒 (varicella zoster virus, VZV) 引起的疾病，其罹患原因通常為曾感染過水痘後，VZV 病毒潛伏於神經節，隨著年齡越長或因疾病 (如免疫疾病、化療等) 導致免疫力低下時，病毒就容易再度被活化，引發沿著皮節分布的單側性、疼痛性、水泡性皮炎，此外受侵犯的神經受損，易引起劇烈的疼痛。在 Shingrix 核准上市前，我國僅有一種活性減毒疫苗核准上市，但活性減毒疫苗能使用的族群較為受限 (如免疫功能低下的病人就無法使用)，且其效力隨時間下降。Shingrix 屬於非活性基因重組疫苗，藉由結合 VZV 特有抗原 (glycoprotein E, gE) 以及專利 AS01B 佐劑系統，可針對對於水痘帶狀皰疹病毒已存有免疫力的人，誘發其產生抗原特異性的細胞和體液免疫反應。不同於目前已核准的活性減毒疫苗，使用病毒表面醣蛋白作為抗原可改善以往活性減毒疫苗的安全性，此外 AS01B 佐劑系統能夠延長施打疫苗後所產生的效果。

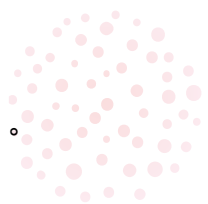


Shingrix 為第一個可適用於因免疫缺陷或因疾病或治療導致免疫抑制，而存在帶狀皰疹感染風險增加的病人族群的帶狀皰疹疫苗。於申請查驗登記案時，本品已獲得美國食品藥物管理局 (FDA) 及歐盟歐洲藥物管理局 (EMA) 核准上市，申請者隨案檢附其它法規單位未遮蔽的審查報告供參考。考量技術性資料已經由 FDA 及 EMA 評估核准，且經評估未發現具族群差異，查驗中心透過精簡審查機制加速本品核准上市，期能提升更廣泛族群使用帶狀皰疹疫苗的可近性。

## 6. Amivantamab( 商品名 Rybrevant)

Amivantamab 為新成分新藥，是一種會與 EGFR 及 MET 之細胞外區域結合的雙特異性抗體。核准適應症為「單一療法適用於罹患帶有表皮生長因子受體 (EGFR) exon 20 插入突變之局部晚期或轉移性非小細胞肺癌的成人病人，作為含鉑類化學療法治療失敗後之





治療」。

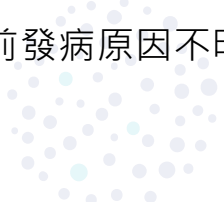
我國於 105 年有 9,372 人死於肺癌，為所有死亡人數的 5.4%，無論是男性或女性，肺癌都列為癌症死亡原因第一位，肺癌的五年存活率僅 19.7%。肺癌的治療主要依腫瘤期別 (tumor stage)、細胞型態 (histology)、分子特性 (molecular characteristics) 做決定。當中 EGFR mutation 族群，EGFR exon 20 insertion 約佔所有 EGFR 突變的 4-10%，目前雖有針對 EGFR mutation 治療，但 EGFR exon 20 插入突變對目前已核准 EGFR tyrosine kinase inhibitor 幾乎具有抗藥性，故 EGFR exon 20 插入突變非小細胞肺癌仍以含鉑類化學療法為第一線療法，國內尚未核准針對 EGFR exon 20 插入突變非小細胞肺癌之標靶治療用藥。

Amivantamab 的核准提供 EGFR exon 20 插入突變之局部晚期或轉移非小細胞肺癌的治療選擇，符合我國少數嚴重疾病的醫療迫切需求，查驗中心透過加速核准的機制及早讓藥品上市提供國內病人新的治療選擇。

## 7. Pitolisant (商品名 Wakix)

Pitolisant 是一種強力且具口服活性的組織胺 H3 受體拮抗劑/反向致效劑，用於治療成人猝睡症 (伴隨或未伴隨猝倒現象)。Pitolisant 可通過阻斷組織胺自體受體來增強腦內組織胺神經元的活性。組織胺神經元延伸遍布整個大腦，構成主要的覺醒系統。Pitolisant 還可以調節多個神經傳遞物質系統，增加大腦中乙醯膽鹼、正腎上腺素和多巴胺的釋放。

猝睡症是一個很少見的疾病，是大腦腦區調控睡眠和清醒機制出了問題的一種慢性腦部疾病，目前發病原因不明。主要症狀有白



天過度睡眠、肌肉無力及猝倒、作夢期睡眠異常、入睡前的幻覺、睡眠麻痺等。以上症狀當中，最為病人帶來困擾的，莫過於白天過度睡眠及肌肉無力及猝倒。猝倒所造成的危險包括意外受傷，嚴重可能會造成頭部挫傷、腦震盪等。此疾病過程不可逆，若未經治療將隨時間更趨嚴重。

目前我國核准用於治療猝睡症藥品缺乏對肌肉無力及猝倒有效的堅實證據。我國亦未核准可同時有效控制並治療嗜睡及所伴隨的猝倒。相較於現行核准用藥，Pitolisant 為非管制類藥物，無成癮性和濫用的風險。本品適用食藥署小兒或少數嚴重疾病藥品審查機制之新藥查驗登記申請案，透過有效率與科學性的審查機制及早讓藥品上市以幫助病人。

## 8. Voretigene neparvovec (商品名 Luxturna)

Voretigene neparvovec 為基因治療產品，藉由重組腺相關病毒載體血清型 2 (adeno-associated virus type 2, AAV2)，將製造 RPE65 蛋白之 cDNA 注射至視網膜下空腔 (subretinal injection)，使視網膜能夠產生視覺所需的 RPE65 蛋白。建議核准適應症為「適用於因雙對偶基因 RPE65 突變，導致萊伯氏先天性黑矇症 (Leber congenital amaurosis, LCA)，並具有足夠的存活視網膜細胞的病人」。

遺傳性視網膜失養症 (inherited retinal dystrophy, IRD) 為視網膜細胞或視覺訊息傳遞路徑受損之遺傳性疾病的統稱，整體盛行率約 1/3000。過去多以臨床表徵來歸類病人屬於 IRD 中哪一特定疾病，例如萊伯氏先天性黑矇症 (Leber congenital amaurosis, LCA)、視網膜色素病變 (retinitis pigmentosa, RP) 等，隨著越來越多 IRD 致病基因被發現，目前已傾向以基因變異型將 IRD 做進一步分類。IRD 的致病突變基因已知有 220 個，RPE65 基因為其中一個，東亞族群中 RPE65 相關 IRD 約佔 IRD 的 1-2%。RPE65 基因若失去功



能，將無法產生正常的 RPE65 蛋白，使視覺傳遞功能受阻，因而影響視力；同時視覺傳遞時所產生之中間產物，將無法藉由 RPE65 代謝而逐漸累積，進而傷害視網膜色素上皮，導致無法供應適當養分給感光細胞，造成不可逆的視力受損。具 RPE65 突變之 IRD 病人中，超過六成之臨床診斷為 LCA，其餘約一半為 RP。RPE65 相關 LCA 通常在出生後到五歲前發病，症狀為眼震、夜盲、視力與視野受損，十歲以後症狀會明顯惡化，約一半的病人在二十歲以前會失明，且幾乎所有病人在四十歲以前都會失明。

對於患有 RPE65 基因突變之 LCA 病人，國內目前已核准的治療方式僅有植入性的醫療器材，且僅適合幾乎或完全失明的病人，提供的效果亦十分有限。本品透過食藥署優先審查機制及早讓藥品核准上市，為國人提供新的治療選擇。


## 二、醫療器材技術性資料評估

### (一) 上市前查驗登記之技術性資料評估

2021 年共完成 44 件醫療器材查驗登記申請案之技術性資料評估，含新案 22 件。新案依產品區分，包含 9 件冠狀動脈支架案件，3 件冠狀動脈氣球擴張導管案件，血管球囊導管 5 件，人工骨、骨髓內釘共 3 件，止血劑及內視鏡套管組各 1 件。若依產品等級區分，本年度共完成 12 件第二等級產品審查，以及 10 件第三等級產品審查。


### (二) 查驗登記用臨床試驗器材之安全性和有效性評估

2021 年共完成 64 件查驗登記用醫材臨床試驗之技術評估，包含 19 件新案。新案依試驗規模區分，9 案為臺灣單中心，8 案為臺灣多中



心臨床試驗案，2 案為多國多中心臨床試驗案。產品包含靜脈支架系統、凝膠產品、連續血糖監測系統、子宮內膜監測系統、人工智慧醫療輔助診斷軟體、人工智慧醫療輔助偵測軟體、人工血管、人工腦膜注射器、眼科及骨科手術器械、隱形眼鏡類、手術影像顯示系統、經皮電刺激器等醫療器材之臨床試驗案。

### (三) 學術研究用臨床試驗器材之安全性評估

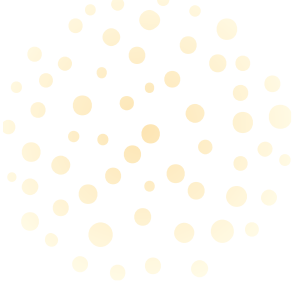


2021 年共完成 262 件學術研究用臨床試驗評估，包含 99 件學術研究用臨床試驗計畫審查案，163 件學術研究用臨床試驗執行進度與計畫變更審查案。99 件學術研究用臨床試驗計畫審查案中，71 件以國內尚未核准醫療器材進行臨床研究，有 28 件以國內已核准醫療器材進行臨床研究。依試驗規模區分，82 件為臺灣單中心，14 件為臺灣多中心、3 件為多國多中心臨床試驗案。

### (四) 國內已公告「醫療器材臨床前測試基準」品項之申請案評估

2021 年共完成 410 件國內已公告「醫療器材臨床前測試基準」品項之第二等級查驗登記案，包含 175 件新案審查，174 件補件案與 61 件申覆案審查。其中新案審查依產品類別區分，包含 39 件骨科學類、61 件眼科學類、12 件心臟血管醫學類、21 件一般醫院及個人使用裝置類、19 件一般及整形外科手術類、5 件神經科學類、6 件胃腸病科學及泌尿科學類、6 件物理醫學科學類及 6 件牙科學類。

2021 年共完成 27 件第三等級查驗登記案，包含 15 件新案以及 12 件補件案審查。其中新案審查依產品類別區分，包含 10 件人工水晶體與 5 件骨內植體。



### 三、食品查驗登記技術性資料評估

#### (一) 健康食品查驗登記技術性資料評估

##### 1. 作業流程說明

健康食品查驗登記審查採雙軌制，第一軌個案審查、第二軌規格標準審查。自 2015 年 7 月 1 日起第一軌個案審查分為「初審」、「複審」兩階段審查技術性資料。

- (1) 申請者於食藥署食品組收發窗口送件後，轉交查驗中心行政審查員（專案經理）負責行政作業及專案管理，並組成內部審查團隊，包括：保健功效、安全性及安定性等審查員，根據「健康食品查驗登記審查標準作業流程」進行審查作業。
- (2) 初審階段，審查團隊針對行政文件與技術性資料要項進行查檢，完成初審報告，篩除違反食品安全法規（如：超出食品添加物限量及規格標準等）之不合格案。
- (3) 複審階段，除由查驗中心審查員對試驗報告提供複審評估意見外，亦納入健康食品審議小組委員審查，專案經理彙整各委員意見後，於會前轉知廠商進行委員審查意見書面回覆，並安排召開健康食品審議小組會議進行案件討論，會議成員包含查驗中心之專案經理、審查員，以及健康食品審議小組委員、食藥署食品組及研檢組，最後由主席彙整會議決議，並由專案經理作成會議紀錄，並依會議紀錄進行補件發文、後續產品檢驗與核證等結案作業。
- (4) 第二軌規格標準審查則依產品所送資料進行品質查檢，通過後送交研檢組核驗功效成分，若有需求時可召開健康食品審議小組會議進行審查。

健康食品查驗登記第一 / 二軌審查作業流程概述如圖 18。另依據 2010 年 12 月 25 日公告修正「健康食品申請許可辦法」，書面審查與產品檢驗可同步進行。



圖 18、健康食品查驗登記案件審查作業流程

## 2. 健康食品上市前之查驗登記評估

衛生福利部公告的第一軌健康食品個案審查的保健功效評估方法，共計 13 項目，分別為：(1) 牙齒保健、(2) 免疫調節、(3) 骨質保健、(4) 胃腸功能改善、(5) 調節血脂、(6) 調節血糖、(7) 護肝、(8) 抗疲勞、(9) 延緩衰老、(10) 促進鐵吸收、(11) 輔助調節血壓、(12) 輔助調整過敏體質、(13) 不易形成體脂肪。

第一軌個案審查的審查重點，在評估文件齊備性及健康食品技術性資料是否足以支持該健康食品的安全性、有效性與品質，意即包含了產品安全性、保健功效、製造管制、安定性、檢驗方法等專業審查。

依第二軌規格標準審查的健康食品有 2 個公告項目，分別為：(1) 紅麴健康食品規格標準及 (2) 魚油健康食品規格標準。第二軌規格標準審查的審查重點，在評估文件齊備性及產品之製造管制、安定性、檢驗方法等是否符合「紅麴健康食品規格標準」、「魚油健康食品規格標準」。

2021 年健康食品查驗登記案收案件數共計 65 件，包括初審 24

件、複審 22 件、申復 14 件、續審 4 件及二軌 1 件；申請功效多寡依序為調節血脂 13 件、護肝 13 件、抗疲勞 11 件、不易形成體脂肪 6 件、免疫調節 5 件、骨質保健 5 件、胃腸功能改善 4 件、調節血糖 3 件、牙齒保健 2 件、輔助調整過敏體質 1 件、延緩衰老 1 件及紅麴健康食品規格標準 1 件。

完成健康食品上市前查驗登記之核可案件共 23 件，包括一軌個案審查 19 件及二軌規格標準審查 4 件。一軌案件之功效類別以「調節血脂」4 件最多、「調節血糖」及「抗疲勞」以及「護肝」3 件次之、及「不易形成體脂肪」與「胃腸功能改善」2 件居第三位；二軌規格標準案件包括紅麴 3 件及魚油 1 件，案件數所占百分比如圖 19 所示。

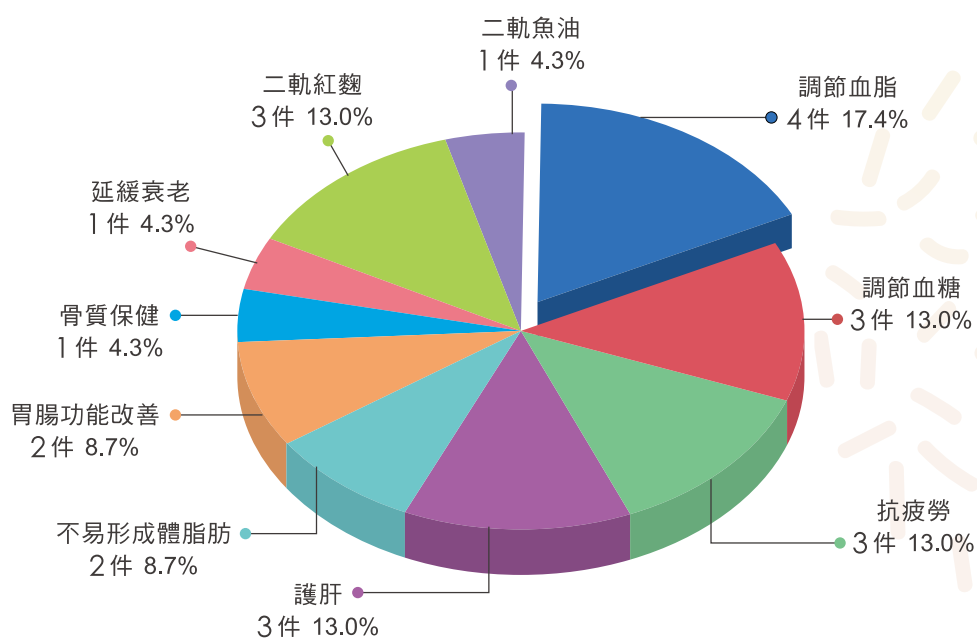


圖 19、2021 年完成健康食品查驗登記審查統計分析（依功效類別）

### 3. 上市後健康食品展延變更登記

上市後健康食品展延變更登記包含許可證換發、補發、展延、轉移、註銷及登記事項變更等審查業務，2021 年總計辦理上市後健康食品展延變更登記結案數為 140 件。包括：展延案 46 件、變更案 89 件，以及轉移、遺失補發、污損換發案 5 件。

## (二) 特殊營養食品查驗登記技術性資料評估

### 1. 作業流程說明

特殊營養食品查驗登記業務包含「特定疾病配方食品」及「嬰兒與較大嬰兒配方食品」兩類產品審查。

- (1) 申請者於食藥署食品組收發窗口送件後，轉交查驗中心行政審查員（專案經理）負責行政作業及專案管理，並組成內部審查團隊，根據特殊營養食品查驗登記審查標準作業流程進行審查作業。
- (2) 文件初審：查驗中心針對申請廠商檢附之申請文件，進行文件初審，檢視文件資料之齊全性、正確性、一致性，包括申請廠商資料、產品包裝標籤及說明書之內容及產品原料成分之食用安全性等。
- (3) 審議小組會議：依案件審查需求召開會議。
- (4) 結果判讀與彙整：由查驗中心根據產品檢驗及標籤包裝審查結果綜合評估後，彙整相關文件交由食藥署裁定案件准駁，後由衛生福利部核發許可證或駁回申請公文給廠商。

### 2. 特殊營養食品上市前之查驗登記評估

2021 年特殊營養食品查驗登記案收案件數共計 88 件，包括特定疾病配方食品 65 件及嬰兒與較大嬰兒配方食品 23 件。完成特殊營養食品上市前查驗登記之核可案件共 91 件，其中特定疾病配方食品 69 件、嬰兒與較大嬰兒配方食品 22 件。

### 3. 上市後特殊營養食品展延變更登記

上市後特殊營養食品展延變更登記包含許可證展延、換發、補發、轉移、註銷及登記事項變更等審查業務，2021 年總計辦理上市後特殊營養食品展延變更登記結案數為 201 件，包括：展延案 59 件、變更案 142 件。

## 四、醫藥科技評估

醫藥科技評估 ( Health Technology Assessment, 以下簡稱 HTA ) 之主要業務，一為協助健保署針對藥品許可證持有者提出之新藥、新特材給付建議案件，進行療效與經濟評估 ( 包括臨床相對療效、成本效益與預算衝擊等 )、相關科學實證的蒐集、與提供我國適用性等分析報告，以作為全民健康保險藥物給付項目及支付標準共同擬訂會議審議之參考；二為協助政府衛生福利政策科技評估工作，主要目的為透過健康科技評估，評估各項規劃中或已執行政策之趨勢與脈動，提供國家健康政策制定者相關之科學實證以協助決策，避免不必要的重複研究與資源浪費。

### (一) 新藥 HTA 評估報告

藥品許可證持有者或保險醫事服務機構，統稱建議者，向健保署提出藥物納入全民健康保險給付申請案，係由健保署收案後，委請查驗中心醫藥科技評估組進行醫療科技評估。查驗中心會在 2 日內核定符合接案範圍之案件，確定收案後，指派醫藥科技評估團隊 ( 療效及經濟研究員 ) 進行審查，42 天內完成 HTA 報告，並發文回覆健保署。2020 年起，完成之 HTA 報告，則改由查驗中心發文副本通知廠商。如圖 20。

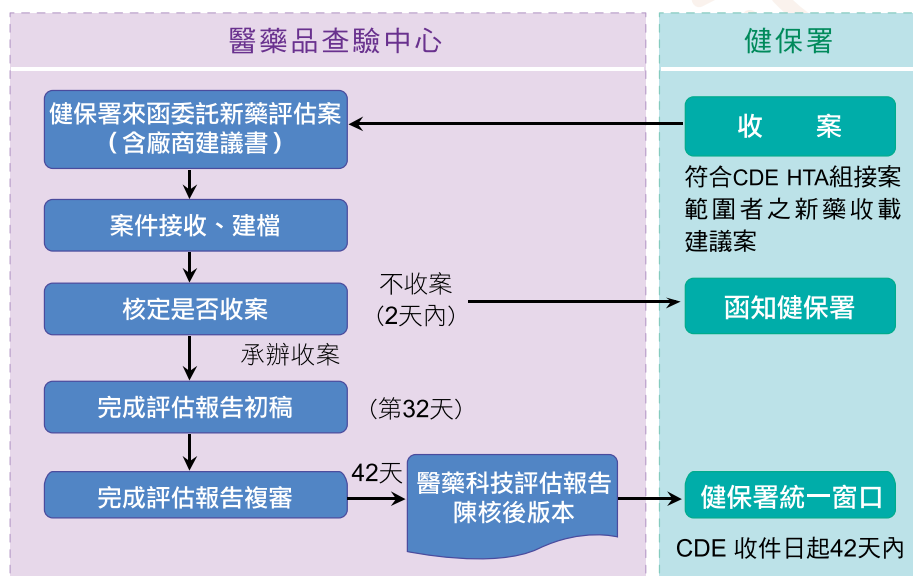


圖 20、健保新藥收載建議案醫藥科技評估作業流程

健保署為辦理新藥健保核價作業，於「新藥建議全民健康保險作業手冊」中提出需辦理 HTA 的案件類別有以下兩類：

1. 新藥案件：屬於治療重大傷病或新治療機轉之新藥，且廠商預估納入給付後 5 年間，有任一年之藥費超過 1 億者。
2. 藥品給付範圍擴增案件：屬於治療重大傷病之藥品，且廠商預估擴增給付範圍後之 5 年間，有任一年擴增部分之藥費超過 5 千萬者。

其中，新藥案件若欲申請第 1 類「突破創新性新藥」者，建議者須依照「藥物納入全民健康保險給付建議書 - 藥品專用 (A1) 填表說明」，提出與現行最佳常用藥品或治療比較之實證資料，顯示該臨床療效有明顯改善之突破創新新藥。此處臨床療效亦包含減少危險副作用。

建議者申請時須檢附第 1 類及第 2 類新藥資料如下圖所示。

- |  |   |   |
|--|---|---|
| <ol style="list-style-type: none"> <li>1. 藥品基本資料</li> <li>2. 藥品相關資料</li> <li>3. 與參考品之比較</li> <li>4. 參考國藥價資料</li> <li>5. 本品於國外最新之給付規定</li> <li>6. 國內實施種族特異性及安全性臨床試驗資料</li> <li>7. 國內實施藥物經濟學研究資料</li> <li>8. 英國、澳洲及加拿大三國醫藥科技評估 (HTA) 資料</li> <li>9. 經濟效益評估文獻摘述</li> <li>10. 新藥納入收載後之財務影響分析資料 ( 必填 )</li> </ol> | <div style="border-left: 2px solid green; border-right: 2px solid green; height: 100px; margin: 0 auto;"></div> <p style="background-color: #006633; color: white; padding: 5px; text-align: center;">第 2 類新藥</p> | <div style="border-left: 2px solid blue; border-right: 2px solid blue; height: 100px; margin: 0 auto;"></div> <p style="background-color: #0056b3; color: white; padding: 5px; text-align: center;">第 1 類新藥</p> |
| <ol style="list-style-type: none"> <li>11. 證明突破創新新藥之療效顯著性</li> </ol>   |   |   |

\* 藥物納入全民健康保險給付建議書 - 藥品專用 ( 健保署 2014.09.29 更新 )

2021 年共完成 23 件突破創新性新藥 HTA 評估、132 件一般新藥 HTA 評估及 8 件特材 HTA 評估。其中，23 件突破創新性新藥評估案皆



屬新成分新藥；132 件一般新藥評估案依類別區分為：新成分藥品 11 件，財務評估 80 件，療效評估 2 件，已收載成分複方 3 件以及擴增適應症 / 擴增給付範圍 / 修訂給付範圍 36 件。

2021 年 HTA 報告公佈在健保署網站共計 27 件 ([https://www.nhi.gov.tw/Content\\_List.aspx?n=2BB1275EE812659A&topn=5FE8C9FEAE863B46](https://www.nhi.gov.tw/Content_List.aspx?n=2BB1275EE812659A&topn=5FE8C9FEAE863B46))，含藥品 23 件及特材 4 件；2021 年完成之評估報告，針對建議者提出之回應後而完成「建議者意見之回應說明」總計 57 件，含藥品 56 件及特材 1 件。

自 2020 年起，為提升廠商送件完整度，健保署委請查驗中心協助執行新藥申請健保給付送審資料檢查作業，以針對廠商送審資料（財務影響分析及細部推估說明、國內藥物經濟學研究報告、藥品給付協議方案）進行檢查。2021 年共完成 47 件新藥送審資料檢查案件，依藥品屬性區分為：第一類突破創新新藥 12 件，符合藥物支付標準第 17-1 條之新藥 6 件，重大傷病用藥 12 件，非屬前述屬性者 17 件。

## (二) 促進病友參與醫療科技評估

病友參與醫療科技評估過程在國際上是很重要的議題，查驗中心自 2016 年起，協助健保署辦理多場病人參與健保給付決策的宣導與培訓。查驗中心除彙整之病人意見納入共同擬訂會議簡報資料外，亦於 2019 年起召開專家會議，邀請病人代表、病友團體及相關專家學者，共同討論我國現行病友參與的機制並提出修正建議，包含將病友意見納入 HTA 報告，以及於共同擬訂會議前辦理病友意見會前會，用以強化病人代表對於不同案件病人的觀點與經驗的了解。查驗中心截至 2021 年已辦理 11 場病友意見會前會，其中 2021 年，因 COVID-19 新冠病毒疫情，查驗中心以實體及線上會議併行方式，共辦理 5 場病友意見會前會，參與


人員包含病人代表、被保險人代表、填寫意見的病友團體代表及健保署代表等，出席人數較過去更為踴躍，且藉由病友意見會前會的溝通及對話，協助病友意見於審議會議及 HTA 評估報告中更精準表達。

此外，為讓更多病友可藉由健保署「新藥及新醫材病友意見分享」平台表達用藥經驗，查驗中心於 2021 年也持續與不同病友團體建立合作關係，期能於健保審議過程中提升病友聲音的重要性，如與癌症希望基金會共同討論如何精進病友意見的收集與整理方法，參與臺灣癌症基金會所辦理之部分負擔與新藥多元支持基金等工作坊，並且受臺灣全癌症病友連線邀請，分享真實世界資料於醫療科技評估之應用。


### (三) 進行衛生政策健康科技評估及實證研究

2021 年查驗中心持續執行「衛生福利政策評估暨學研合作前瞻研究」9 項研究案，由查驗中心研究團隊進行研究並邀請顧問專家密切參與討論；另針對新興精準健康與國衛院團隊進行合作及執行相關新醫療科技成本效益評估。衛生福利政策評估 9 項研究案主題如後：

1. 建立全民健康保險現行給付效益評估機制 - 以醫療科技評估 (HTA) 技術為基礎 ( 第三年計畫 )
2. 侵襲性肺炎鏈球菌感染症高風險族群之肺炎鏈球菌疫苗接種政策最適推行策略評估
3. 定額補助長者肺炎鏈球菌疫苗接種之最適策略評估
4. 暴露愛滋病毒前預防性投藥 (PrEP) 計畫對我國愛滋病防治之效益評估
5. 血友病各類治療型態之治療效益分析
6. 我國病床需求及資源配置探討 ( 第二年計畫 )
7. 國內外藥癮替代治療政策檢視與我國美沙冬治療成本效益分析

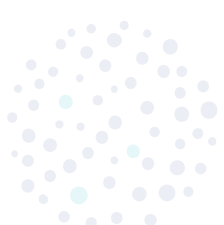
- 
8. 我國全民健康保險運用抗精神病長效針劑效益評估及精神醫療未來建議
  9. 未來復健人力發展評估計畫

其中，在「血友病各類治療型態之治療效益分析」案，本報告以文獻回顧國際用於評估重度 A、B 型血友病治療建議及指標，以及利用重大傷病檔、健保申報資料及在家治療紀錄表，分析我國 A、B 型血友病人基本特性、治療型態、出血次數、就醫次數、血友病治療藥物申報量與申報藥費。並將國內外資料進行比較，檢視我國目前血友病治療之成效。



在結果部分，本報告發現各國登錄系統主要紀錄流行病學資訊，缺少療效指標，故各國均鼓勵病人紀錄治療狀況。各項研究的病人族群以重度 A 型病人為主，年出血率中位數多介於 1 至 3 次，但研究間出血次數和藥物耗用呈現方式差異大。另外，我國 2020 年之 A 型與 B 型血友病人共 1,414 名，重度 A 型及 B 型血友病人分別為 523 人及 108 人，治療率分別為 98.3% 與 100%，有抗體病人分別占 16.8% 及 13%；重度 A 型血友病病人以預防性治療與出血時治療的年度出血率中位數分別為 3 次 (IQR：0-8.1) 與 18 次 (IQR：8-34.9)，重度 B 型血友病人以預防性治療與出血時治療的年度出血率中位數分為 3.3 次 (IQR：0-10) 與 9 次 (IQR：5-20)。

而將國內與國外資料進行比較，顯示我國之重度血友病病人在治療率、凝血因子耗用量以及出血次數等指標上均已與國際相近。最後，本研究建議主管機關能就在家治療紀錄表增加病人治療計畫以及其他檢查數據之欄位，用以收集更為完整之數據，以利後續更為深入的定期分析與探討已給付藥品之效益。



#### (四) 優化健保給付機制提升精準醫療運用

提供健保資源利用之相關分析、評估與研究，範圍包含醫療服務、藥品及特材，於 2021 年完成之研究報告主題共 11 案，如下所列。

1. NGS 技術、檢驗流程與法規
2. 各國 NGS 給付現況 ( 以日本、韓國及美國為例 )、給付規範 ( 以癌症為主 ) 及財務評估
3. 各國復健給付現況 ( 以日本、英國及美國為例 )
4. 乳癌治療藥品試行依疾病類別進行給付規定之分類及統整
5. 肺癌治療藥品試行依疾病類別進行給付規定之分類及統整
6. 肝癌治療藥品試行依疾病類別進行給付規定之分類及統整
7. 優化前瞻性評估 ( Horizon scanning ) 運用於引進新醫療科技對健保預算影響之機制
8. 運用真實世界證據進行免疫檢查點抑制劑等項目之給付效益評估
9. 精進特材價值評議評估模式
10. 我國癌症用藥給付現況與國際臨床指引差異分析—以乳癌、肺癌及肝癌為例
11. 建立繳交評估報告之品質管控機制 ( 包含內部專業人員把關及外部專家之回饋 )，完成「評估報告之品質管控機制」報告。

其中，在「優化前瞻性評估 ( Horizon scanning ) 運用於引進新醫療科技對健保預算影響之機制」案，有鑑於新醫療科技不斷的推陳出新，可提供病人更多的治療選擇；然而，新醫療科技可能帶來的龐大醫療費用衝擊亦是當前需思考的問題。衛生福利部中央健康保險署 ( 以下簡稱健保署 ) 委託財團法人醫藥品查驗中心 ( 以下簡稱查驗中心 )，透過前瞻性評估 ( horizon scanning, HS ) 之方法，對於未來可能為健保收載且具相當影響潛力之新醫療科技，進行事先的預警和評估，以供健保署進行年度預算編列時參考。

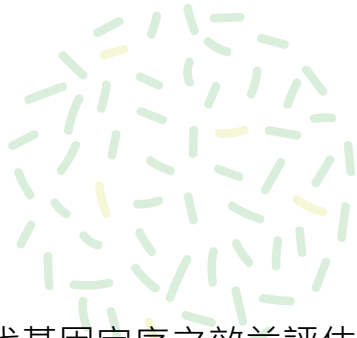
此外，健保署考量過去藥品共同擬訂會議、健保會以及國家發展委員會等會議上，曾多次針對新藥預算編列之合宜性進行討論，認為預算之編列仍應考量未來可能給付新藥之財務衝擊，以利新藥之引進以及未來預算編列之適切性。故健保署參採查驗中心提出之建議，於 2020 年建置「前瞻式新藥及新給付範圍預算推估登錄作業及平台（以下簡稱 HS 平台）」，邀集各藥品許可證持有廠商自主登錄未來欲申請納入健保給付之藥品相關資訊，包括預計申請之健保給付範圍、預計送審時程以及財務影響推估等資訊，以作為健保署進行年度預算編列時之參考依據；目前 HS 平台尚處第一年之試行階段，並無強制要求欲提出藥品給付建議之廠商進行資料登錄，故對於目前 HS 平台內所登錄之資訊是否完整及其可用性，仍有待瞭解及評估。

綜上所述，本研究除持續透過前瞻性評估之機制，提供署方未來具潛力之新興醫療科技相關資訊外，亦藉由首次運用 HS 平台進行年度預算編列之經驗，提供 HS 平台相關資訊蒐集之建議與改善方向，並針對 HS 平台填報數據以及廠商實際送件狀況進行了解。

## (五) 促進健保資源有效分配

查驗中心亦協助相關主管機關進行我國衛生福利政策之評估與研究，針對健康政策及健保資源有效分配等議題進行探討，2021 年共執行 7 項研究案，主題如下：


1. 「110 年度運用醫療科技再評估提升保險給付項目之效益計畫委託辦理案」
2. 「高價位治療技術之療效追蹤機制」委託研究計畫
3. 罕見疾病藥物治療成效分析計畫 - 擇一高價藥物為例
4. 特殊需求者口腔健康照護資源需求評估
5. 「國內醫療使用第一級、第二級管制藥品銷售量及健保藥價分析」



### 委託辦理計畫

6. 發展遲緩及智能障礙兒童接受次世代基因定序之效益評估
7. 次世代基因定序應用於新生兒篩檢之效益評估

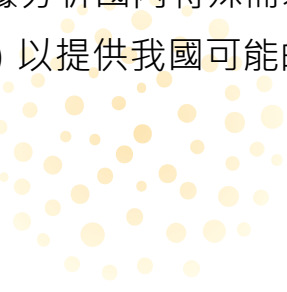
其中，在「特殊需求者口腔健康照護資源需求評估」案，有鑑於特殊需求者的口腔醫療需求及照護有逐年提升趨勢，但缺乏相關真實數據分析結果，且健保牙醫門診總額特殊醫療服務計劃之預算逐年攀升(105年 4.73 億元至 111 年 7.22 億)。



在結果部分，本報告運用文獻回顧，針對英國、瑞典及西班牙等國，就一般牙科(或特殊需求者)之醫療服務現況、經費或保險制度、照顧資源概況，及其牙科論人計酬支付制度之內容；及以回溯性研究分析 2016 至 2019 年健保資料庫中特殊需求者牙科醫療利用情形。最後透過文獻、健保資料庫分析結果及專家意見，以 18 歲以下智能障礙及自閉症為基礎，分別建構牙醫門診醫療費用之風險計價模型。

本研究比較臺灣與三個國家於一般牙科之醫療服務現況，其結果顯示英國、瑞典及西班牙只補助兒童牙科照護，而成人僅提供緊急或必要之牙科照護，反觀臺灣口腔健康覆蓋是不分年齡且涵蓋大部分的牙科治療項目。在特殊需求者各障礙類別就醫情形，從健保資料庫分析結果顯示 18 歲以下的特殊需求者和非特殊需求者牙科門診就醫率相近，但隨者年齡發展，特殊需求者的牙科就醫情形有明顯低於非特殊需求者。另外以 18 歲以下智能障礙與自閉症族群進行建構牙科門診醫療費用風險預測模型中，模式一及二之整體模型預測力分別為 19% 至 22% 和 34% 至 38%，並從模型中顯示年齡、障礙等級及口腔疾病健康風險程度是重要的影響因子。

綜上，本報告藉由大數據分析國內特殊需求者口腔照護現況，及彙整國外相關機制(論人計酬)以提供我國可能的牙醫門診計價模式，作為未來政策規劃參考。



## 五、細胞治療技術施行計畫審查

衛生福利部於 2018 年 9 月 6 日公告修正「特定醫療技術檢查檢驗醫療儀器施行或使用管理辦法」（以下簡稱特管辦法），開放醫療機構施行細胞治療技術，並於該辦法明定，醫療機構施行細胞治療技術，應擬定施行計畫向中央主管機關申請核准。

查驗中心為配合衛生福利部特管辦法的實施，協助細胞治療技術審查機制的建構以及案件審查作業的進行，自 2018 年 11 月起開始受理細胞治療技術施行計畫申請案件，辦理計畫相關審理作業。依據 2020 年 5 月 7 日公告之「申請施行細胞治療技術須知」規範，細胞治療技術施行計畫審查流程如下說明。

醫療機構向衛生福利部提出細胞治療計畫申請並完成規費繳納後，將案件資料寄予查驗中心。由查驗中心經過行政審查確認資料項目齊備後，進行技術性資料實質審查，而有關細胞治療收費方式，衛生福利部另以會議進行審查。若案件審查中有需要，將提至再生醫學及細胞治療發展諮議會討論。衛生福利部於實質審查階段通知細胞製備場所所屬機構，該案之細胞製備場所可向食藥署申請 GTP 認可檢查。經過本中心及食藥署完成審查後，通過審查之案件，將由衛生福利部發出計畫書核准函以及細胞製備場所的 GTP 認可函。後續醫療機構須向地方衛生局登記方可執行細胞治療計畫。細胞治療技術施行計畫審查流程圖如圖 21。

### (一) 受理細胞治療技術施行計畫審查案

2021 年查驗中心受理細胞治療技術施行計畫審查案總計 95 件。95 件申請案中，依申請案類別進行分析，屬於特管辦法附表三的案件共 93 件，特管辦法非附表三的案件共 2 件。進一步分析屬於特管辦法附表三的 93 件案件，依細胞項目類別分析，以自體免疫細胞治療 CIK

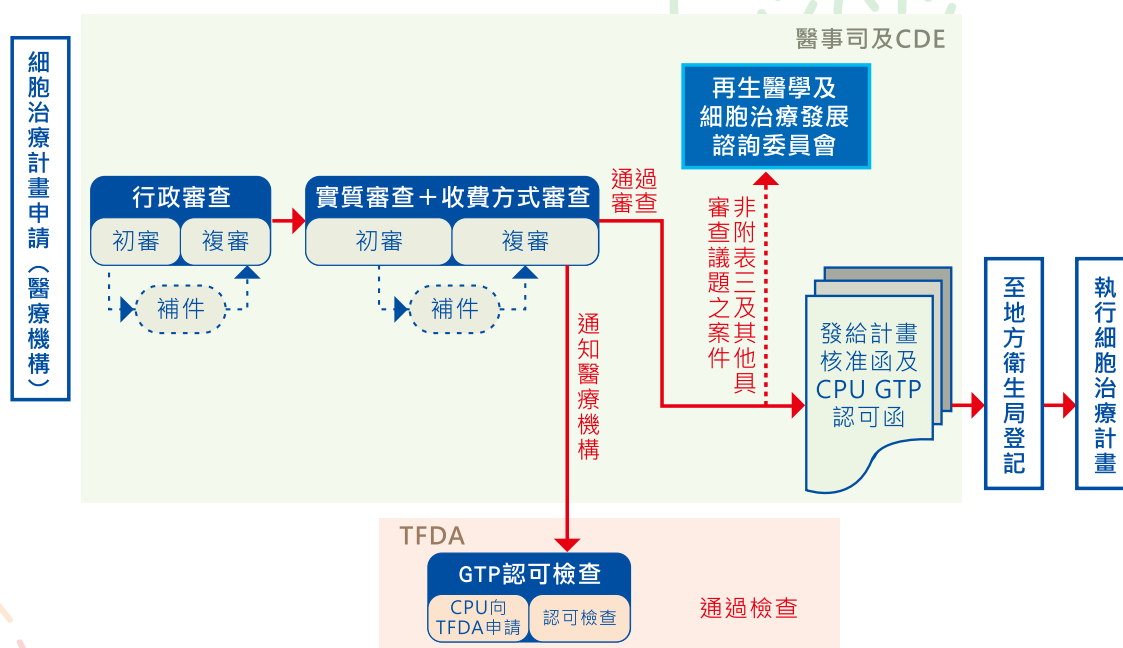


圖 21、細胞治療技術施行計畫審查流程圖

( cytokine-induced killer cell ) 28 件最多，其次為自體脂肪幹細胞移植 19 件，自體骨髓間質幹細胞移植 15 件，自體免疫細胞治療 DC-CIK ( dendritic cell-cytokine-induced killer cell ) 10 件，自體免疫細胞治療 DC ( dendritic cell ) 10 件，自體纖維母細胞移植 5 件，自體免疫細胞治療 NK ( Natural killer ) 4 件，自體軟骨細胞移植 2 件。細胞項目分類案件數及所占百分比圖示如圖 22。

屬於特管辦法附表三之案件依適應症類別分析統計，以治療實體癌第四期 36 件最多，其次為退化性關節炎及膝關節軟骨缺損 19 件，第一至第三期實體癌且經標準治療無效者 14 件，脊髓損傷 8 件，皮膚缺陷( 皺紋、凹洞及疤痕之填補及修復 ) 及慢性或滿六週未癒合之困難傷口各 5 件，皮下及軟組織缺損、血液惡性腫瘤經標準治療無效、膝關節軟骨缺損各 2 件。適應症類別案件數及所占百分比圖示如圖 23。



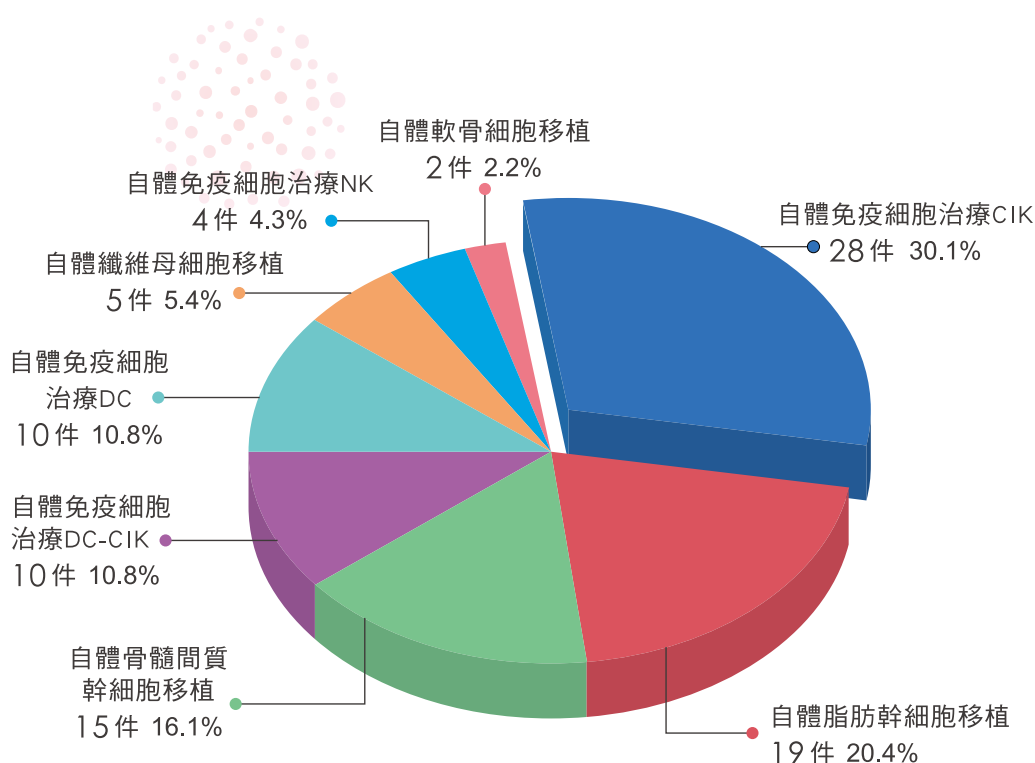


圖 22、2021 年受理細胞治療技術施行計畫審查屬於特管辦法附表三申請案 (依細胞項目分析)

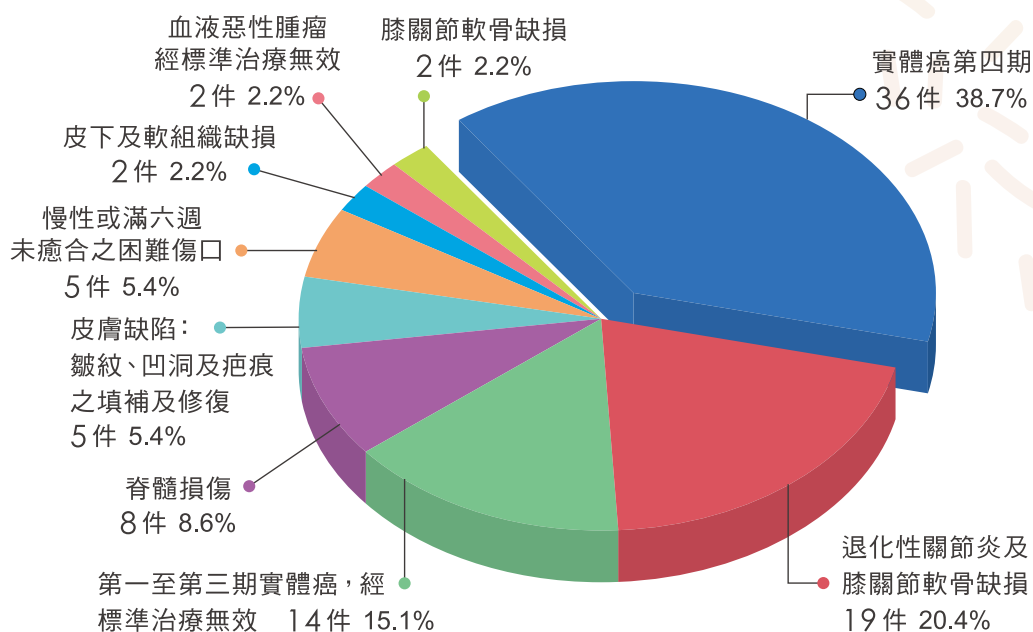


圖 23、2021 年受理細胞治療技術施行計畫審查屬於特管辦法附表三申請案 (依適應症分析)

## (二) 衛生福利部核定細胞治療技術施行計畫


自特管辦法修正起至 2021 年 12 月 31 日，已有 111 件細胞治療技術施行計畫書獲衛生福利部許可，其中，自 2021 年 1 月 1 日至 2021 年 12 月 31 日，許可計畫書共 46 件，詳見表 9。

表 9、2021 年衛生福利部核定細胞治療技術施行計畫之醫療機構與細胞製備場所所屬機構一覽表




| 細胞項目        | 適應症    | 醫療機構                         | 細胞製備場所 (CPU) 所屬機構 |
|-------------|--------|------------------------------|-------------------|
| 自體免疫細胞治療 DC | 實體癌第四期 | 長庚醫療財團法人<br>林口長庚紀念醫院         | 世福細胞醫學科技股份有限公司    |
|             |        | 新光醫療財團法人<br>新光吳火獅紀念醫院        | 鑫品生醫科技股份有限公司      |
|             |        | 臺中榮民總醫院                      | 鑫品生醫科技股份有限公司      |
|             |        | 員榮醫療社團法人員榮醫院                 | 鑫品生醫科技股份有限公司      |
|             |        | 衛生福利部雙和醫院 (委託<br>臺北醫學大學興建經營) | 鑫品生醫科技股份有限公司      |
|             |        | 中國醫藥大學新竹附設醫院                 | 長聖國際生技股份有限公司      |
| 自體免疫細胞治療 NK | 實體癌第四期 | 仁愛醫療財團法人<br>大里仁愛醫院           | 基亞生物科技股份有限公司      |
|             |        | 彰化基督教醫療財團法人<br>彰化基督教醫院       | 基亞生物科技股份有限公司      |
|             |        | 新光醫療財團法人<br>新光吳火獅紀念醫院        | 基亞生物科技股份有限公司      |
|             |        | 彰化基督教醫療財團法人<br>彰化基督教醫院       | 鑫品生醫科技股份有限公司      |
|             |        | 行天宮醫療志業醫療財團法人<br>人恩主公醫院      | 基亞生物科技股份有限公司      |
|             |        | 臺北醫學大學附設醫院                   | 基亞生物科技股份有限公司      |
|             |        | 彰化基督教醫療財團法人<br>彰化基督教醫院       | 再生緣生物科技<br>股份有限公司 |

|                      |                                   |                                |                        |
|----------------------|-----------------------------------|--------------------------------|------------------------|
| 自體免疫<br>細胞療<br>CIK   | 第一至第<br>三期實體<br>癌·經標<br>準治療無<br>效 | 國立成功大學醫學院<br>附設醫院              | 長春藤生命科學<br>股份有限公司      |
|                      |                                   | 衛生福利部雙和醫院 ( 委託<br>臺北醫學大學興建經營 ) | 長春藤生命科學<br>股份有限公司      |
|                      |                                   | 高雄醫學大學<br>附設中和紀念醫院             | 精準生技股份有限公司             |
|                      |                                   | 國軍高雄總醫院<br>附設民眾診療服務處           | 長春藤生命科學<br>股份有限公司      |
|                      | 實體癌<br>第四期                        | 國泰醫療財團法人<br>國泰綜合醫院             | 瑞寶生醫股份有限公司             |
|                      |                                   | 新光醫療財團法人<br>新光吳火獅紀念醫院          | 台灣尖端先進生技醫藥<br>股份有限公司   |
|                      |                                   | 高雄醫學大學<br>附設中和紀念醫院             | 精準生技股份有限公司             |
|                      |                                   | 佛教慈濟醫療財團法人<br>花蓮慈濟醫院           | 路迦生醫股份有限公司             |
|                      |                                   | 阮綜合醫療社團法人<br>阮綜合醫院             | 阮綜合醫療社團法人<br>阮綜合醫院     |
|                      |                                   | 中國醫藥大學附設醫院                     | 長聖國際生技股份有限公司           |
|                      |                                   | 奇美醫療財團法人奇美醫院                   | 光晟生物科技股份有限公司           |
|                      | 血液惡性<br>腫瘤經<br>標準治療<br>無效         | 戴德森醫療財團法人<br>嘉義基督教醫院           | 沛爾生技醫藥<br>股份有限公司 高雄分公司 |
|                      |                                   | 中國醫藥大學新竹附設醫院                   | 長聖國際生技股份有限公司           |
|                      | 自體免疫<br>細胞治療<br>DC-CIK            | 實體癌<br>第四期                     | 國軍高雄總醫院<br>附設民眾診療服務處   |
| 博田國際醫院               |                                   |                                | 長聖國際生技股份有限公司           |
| 秀傳醫療財團法人<br>彰濱秀傳紀念醫院 |                                   |                                | 長聖國際生技股份有限公司           |
|                      |                                   | 國泰醫療財團法人<br>國泰綜合醫院             | 長聖國際生技股份有限公司           |

|                   |                         |                        |                  |
|-------------------|-------------------------|------------------------|------------------|
|                   |                         | 高雄醫學大學<br>附設中和紀念醫院     | 長聖國際生技股份有限公司     |
|                   |                         | 光田醫療社團法人<br>光田綜合醫院     | 博惠生技股份有限公司       |
| 自體脂肪<br>幹細胞移<br>植 | 退化性關節炎及膝關節軟骨缺損          | 新光醫療財團法人<br>新光吳火獅紀念醫院  | 訊聯生物科技股份有限公司     |
|                   | 皮下及軟組織缺損                | 佛教慈濟醫療財團法人<br>花蓮慈濟醫院   | 國璽幹細胞應用技術股份有限公司  |
|                   | 慢性或滿六週未癒合之困難傷口          | 中山醫學大學附設醫院             | 訊聯生物科技股份有限公司     |
| 自體軟骨<br>細胞        | 膝關節軟骨缺損                 | 彰化基督教醫療財團法人<br>彰化基督教醫院 | 三顧股份有限公司         |
|                   |                         | 新光醫療財團法人<br>新光吳火獅紀念醫院  | 三顧股份有限公司         |
|                   |                         | 三軍總醫院<br>附設民眾診療服務處     | 三顧股份有限公司         |
|                   |                         | 敏盛綜合醫院                 | 三顧股份有限公司         |
|                   |                         | 童綜合醫療社團法人<br>童綜合醫院     | 三顧股份有限公司         |
| 自體纖維<br>母細胞<br>治療 | 皮膚缺陷：<br>皺紋、凹洞及疤痕之填補及修復 | 彰化基督教醫療財團法人<br>彰化基督教醫院 | 三顧股份有限公司         |
|                   |                         | 臺北醫學大學附設醫院             | 三顧股份有限公司         |
| 自體骨髓<br>間質幹細胞治療   | 退化性關節炎及膝關節軟骨缺損          | 臺北醫學大學附設醫院             | 台灣尖端先進生技醫藥股份有限公司 |



|             |                        |                      |
|-------------|------------------------|----------------------|
| 膝關節軟<br>骨缺損 | 基督復臨安息日會醫療<br>財團法人臺安醫院 | 華元生醫股份有限公司           |
| 脊髓損傷        | 中國醫藥大學附設醫院             | 長聖國際生技股份有限公司         |
|             | 光田醫療社團法人<br>光田綜合醫院     | 台灣尖端先進生技醫藥<br>股份有限公司 |





## 肆、諮詢輔導業務

為提昇臨床試驗品質，並輔導國內生技製藥產業研發，查驗中心提供業者及研發單位，在藥品及醫療器材研發過程中相關法規諮詢服務，協助解決疑難問題，以促進產業研發、提昇競爭力。諮詢輔導團隊針對申請者提出之諮詢議題進行專案研究，提供專業具體建議方案及法規途徑。多元的諮詢服務包括一般諮詢服務，以及主動式深入輔導之指標案件諮詢服務。除了醫藥品研發相關之諮詢服務外，查驗中心亦受理醫藥科技評估諮詢案，提供新藥、新特材給付建議案之廠商，諮詢申請健保給付與核價準備資料時產生的問題。

自 2011 年起，查驗中心接受衛生福利部及經濟部等政府機構委託，針對醫藥品領域（包括化學藥、生物製劑、植物萃取藥、細胞治療、基因治療及醫療器材等）相關之研究計畫補助申請案，進行案件相關法規面的評析工作，提供相關部會與申請單位法規科學評估建議，俾促進國內醫藥生技產業發展。

另於 2018 年 1 月 1 日起推出「付費諮詢服務」，提供研發策略諮詢、臨床試驗設計諮詢及臨床試驗申請案預審等服務項目，期能藉此服務方案，協助廠商擬定研發策略或及早釐清臨床試驗申請案件技術性資料的潛在缺失，並與廠商共同努力，促進新藥早日上市。

### 一、一般諮詢服務

申請者可依據產品研發期程、案件屬性和法規需求提出諮詢。查驗中心就

申請者提出的諮詢議題和相關技術性資料，進行專案研究，以書面 / 諮詢會議等方式，提供不同研發階段之法規需求及試驗設計相關建議，以作為研發策略規劃之參考。

## (一) 藥品一般諮詢服務

### 1. 線上申請諮詢

2021 年查驗中心完成藥品法規諮詢案共計 550 件。

#### (1) 以申請者類別區分

查驗中心完成藥品法規諮詢案 550 件，除了食藥署請辦案計有 125 件外，其餘 425 件中以國內生技醫藥廠商（包含國資藥廠 / 生技業者）237 件最多，其次為代理商 72 件，外資藥廠 70 件，醫界 / 學界 22 件，CRO 顧問公司 11 件，法人機構 7 件，政府機關 6 件。案件數及所占百分比如圖 24。

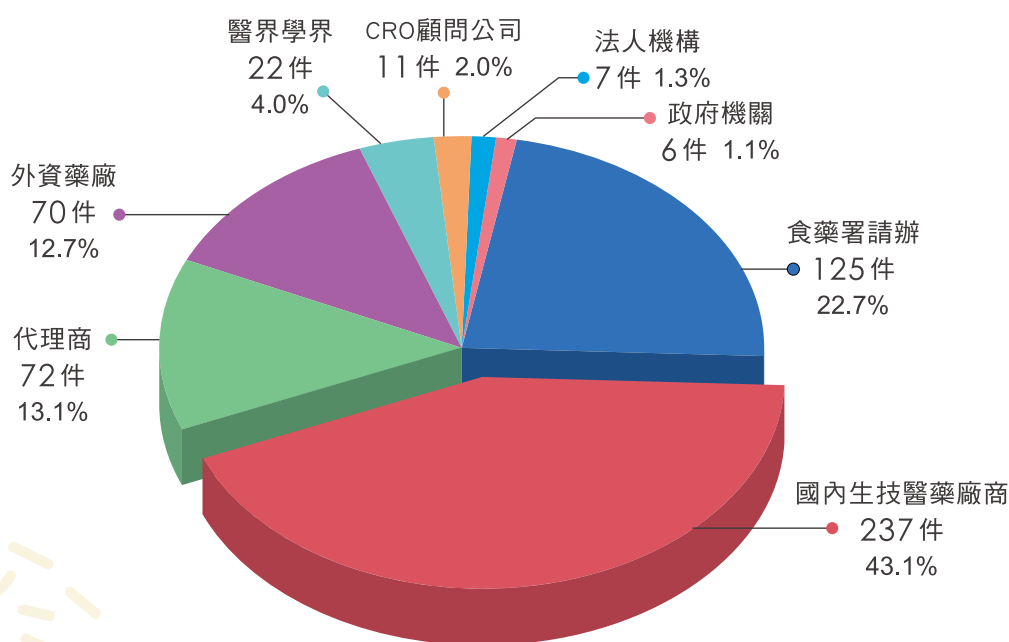


圖 24、2021 年藥品一般諮詢服務（以申請者類別區分）

## (2) 以藥品類別區分

依諮詢藥品類別分析，計有化學藥品 452 件，生物藥品 58 件，基因 / 細胞治療產品 30 件，植物新藥 5 件，複合性醫藥產品 1 件，其他 4 件。案件數及所占百分比如圖 25。

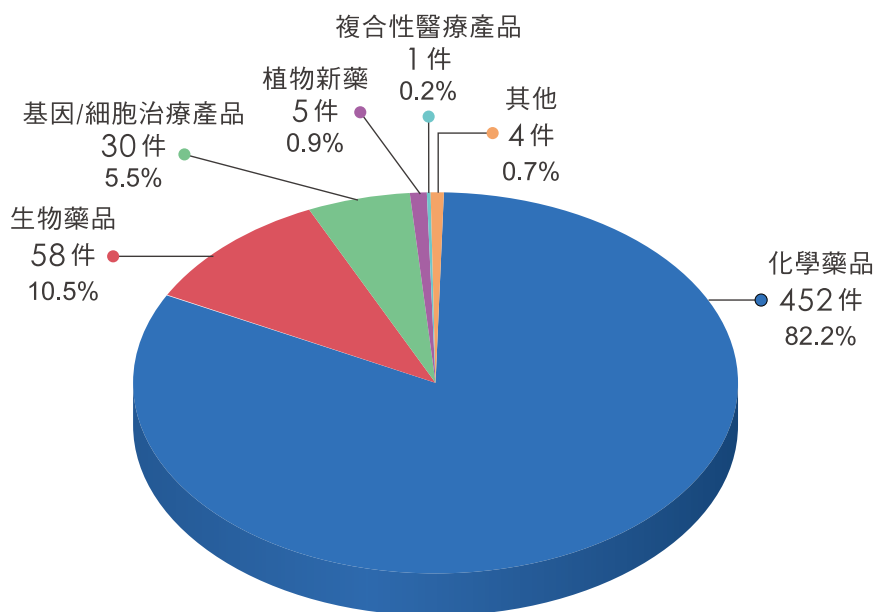


圖 25、2021 年藥品一般諮詢服務 (以藥品類別區分)

## 2. 藥品諮詢 888 專線

查驗中心設有藥品諮詢 888 專線，由專人回答問題，或轉適當服務窗口，2021 年上半年共有 605 通諮詢電話。此項服務已自 2021 年 7 月 1 日起調整為線上諮詢。

### (二) 醫療器材一般諮詢服務

#### 1. 線上申請諮詢

2021 年受理醫療器材法規一般諮詢線上申請案共計 350 件。

#### (1) 以申請者類別區分

主要以醫材業者諮詢 126 件最多，其次為醫界 / 學界 102 件，政府



機關轉介 50 件，法人機構 32 件，生技業者 25 件，代理商 3 件，其他 12 件。案件數及所占百分比如圖 26。

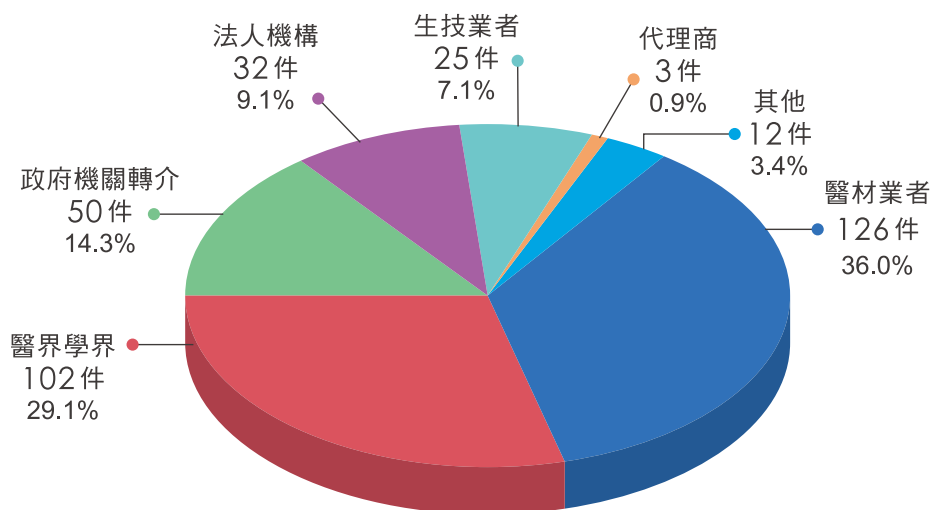


圖 26、2021 年醫療器材一般諮詢服務 (以申請者類別區分)

## (2) 以案件類別區分

醫療器材相關諮詢案件 350 件中，醫材相關法規驗證諮詢 162 件、一般法規諮詢 87 件、查驗登記送件前諮詢 50 件、臨床試驗設計 46 件、上市前查驗登記之技術性資料評估 (PMA) 相關諮詢案件 2 件、查驗登記用臨床試驗器材之安全性和有效性評估 (IDE) 相關諮詢案 3 件。案件數及所占百分比如圖 27。

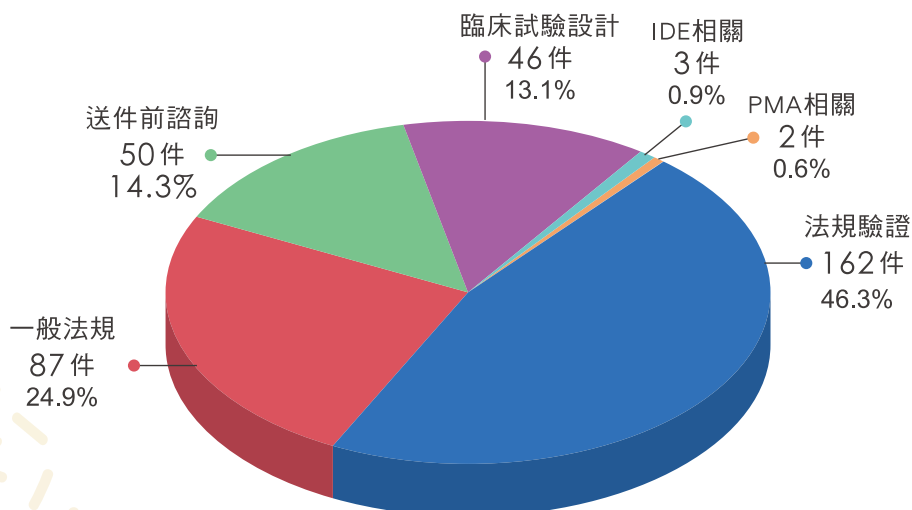


圖 27、2021 年醫療器材一般諮詢服務 (以案件類別區分)

## 2. 醫療器材諮詢專線

2021 年共接獲 32,536 件次之諮詢電話服務，常見諮詢項目包括：

- (1) 查驗登記相關諮詢：包含許可證申請、許可證變更、許可證展延、製售證明申請及屬性管理查詢申請。
- (2) 通關與專案進口相關諮詢：包含專案進口、自用原料進口以及國貨復運。
- (3) QMS/QSD 諮詢：國內外製造廠申請製造許可、相關登錄事項變更及優良製造證明書申請。
- (4) 一般法規：包含最新法規公告及其他非屬上述諮詢項目之法規。
- (5) 行政：包含送件地址及、查詢承辦人員及案件費用等。
- (6) 其他：包括臨床試驗及非醫材事務（如藥品、化粧品或廣告）等。

各類別案件數及所占百分比如圖 28。

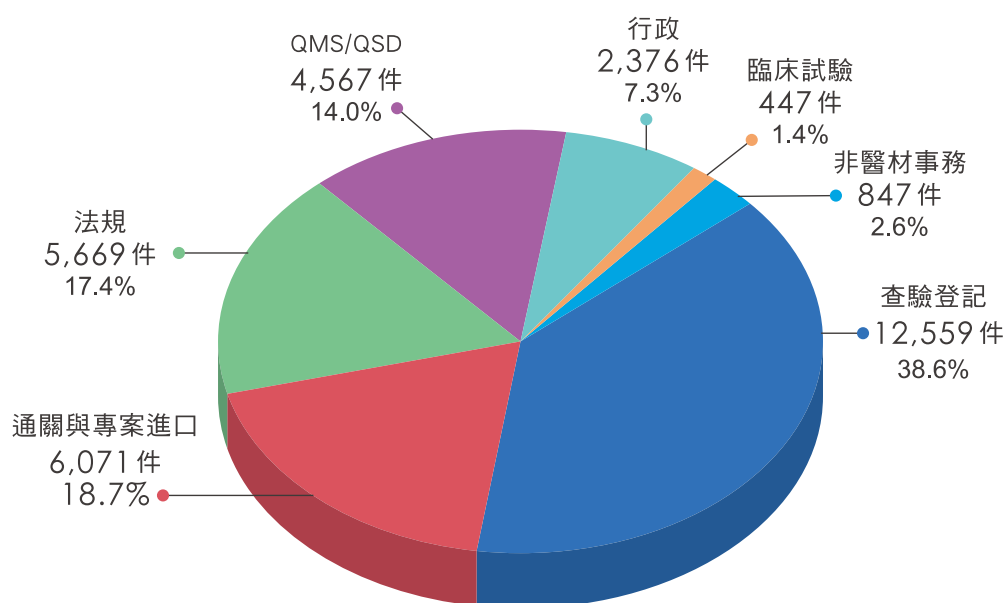


圖 28、2021 年醫療器材法規諮詢專線件數（以案件類別區分）

其中 12,559 件醫材查驗登記相關諮詢中，以許可證申請 6,442 件

最多，其次為許可證變更 2,068 件，屬性管理諮詢 1,899 件，許可證展延 1,204 件，製售證明申請 254 件，其他 692 件。案件數及所占百分比如圖 29。

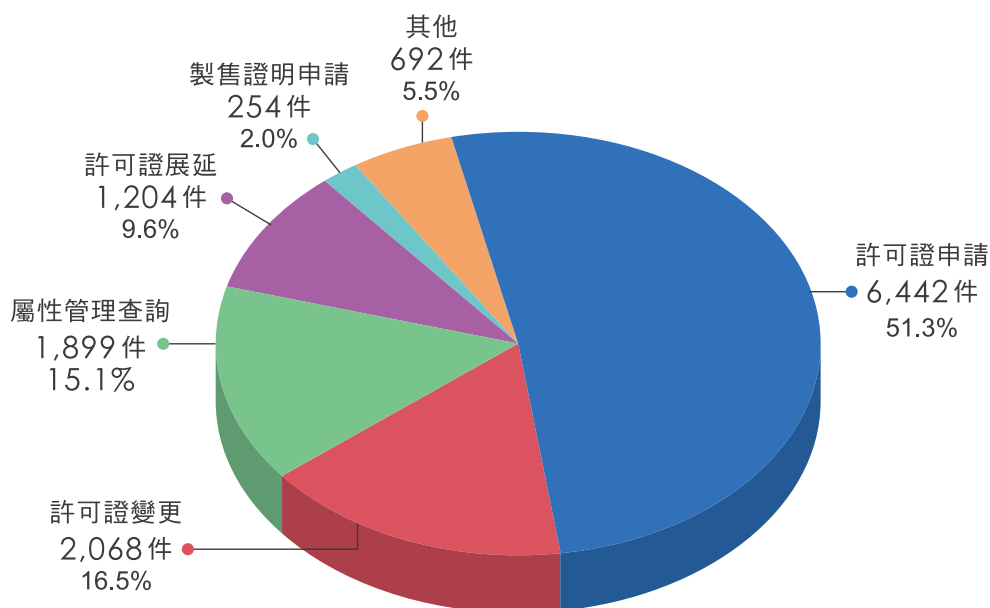


圖 29、2021 年與查驗登記相關之醫療器材法規諮詢專線案件分析 (以案件類別區分)

### (三) 健康食品諮詢服務

#### 1. 線上申請諮詢

2021 年受理健康食品線上申請諮詢共 82 件，其中諮詢類別多寡依序為「安全性分類判定」43 件、「安定性-延長保存期限議題」20 件、「安全性相關議題」5 件、「業者諮詢功效性議題」4 件、「安定性相關議題」3 件、「業者諮詢安全性議題」1 件、「功效性相關議題」1 件、「健康食品相關法規諮詢」1 件、「其他」4 件；各類諮詢案案件數及所占百分比如圖 30。

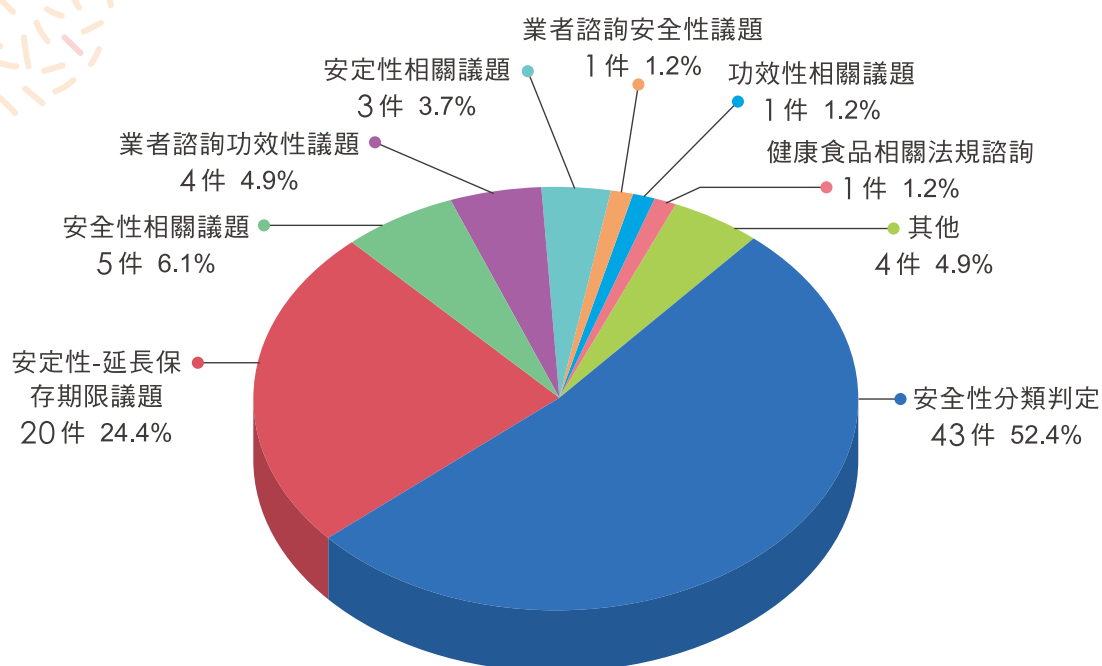


圖 30、2021 年健康食品線上諮詢服務 (以案件類別區分)

## 2. 電話及電子郵件諮詢申請

查驗中心設有健康食品 888 諮詢專線，由諮詢輔導中心健康食品諮詢窗口專人即時回答問題或轉適當服務窗口。

2021 年受理健康食品電話諮詢 405 件及電子郵件諮詢 80 件。

### (1) 以案件類別區分

依諮詢內容分類：許可證展延及變更 116 件、新案申請流程及費用 83 件、健康食品管理法規 62 件、包裝標籤 32 件、安定性評估 32 件、安全性評估 21 件、功效性評估 20 件、確效與檢驗 17 件、原料文件 12 件、衛生檢驗 5 件、製程良好作業規範 3 件、一般營養分析 1 件及其他 81 件。案件數及所占百分比如圖 31。

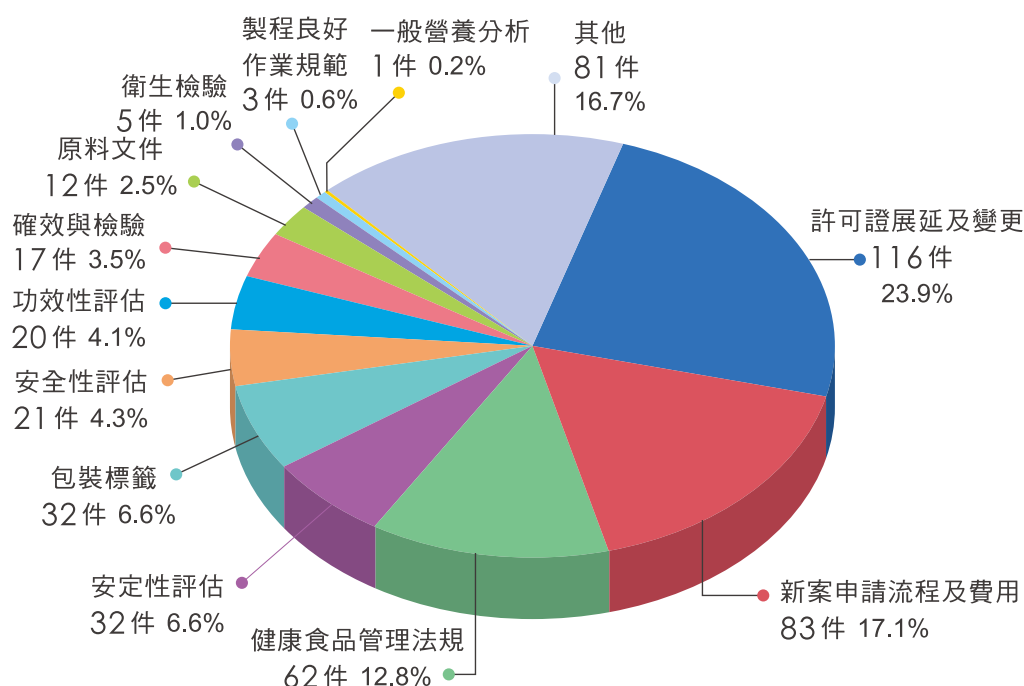


圖 31、2021 年健康食品電話及電子郵件諮詢服務 (以案件類別區分)

## (2) 以申請者區分

以諮詢申請者區分：廠商 458 件，CRO 22 件，醫界 / 學界 4 件，其他 1 件。

## (四) 特殊營養食品諮詢服務

### 1. 線上申請諮詢

2021 年受理特殊營養食品線上諮詢案共 6 件，包含審查相關 5 件及特殊營養食品管理相關法規諮詢 1 件。

### 2. 電話及電子郵件諮詢申請

查驗中心設有特殊營養食品 888 諮詢專線，由諮詢輔導中心特殊營養食品諮詢窗口，專人即時回答問題或轉適當服務窗口。



2021 年受理特殊營養食品電話諮詢 227 件。

### (1) 以案件類別區分

依諮詢內容分類：特殊營養食品查登新案申請與相關法規 112 件、展延、變更、轉移申請 31 件、包裝標籤 (含營養標示) 28 件、原料成分含量表及原料相關文件 5 件、國外販售證明及產品試用報告 8 件、產品規格表及營養成分分析報告 6 件、及其他 37 件。案件數及所占百分比如圖 32。

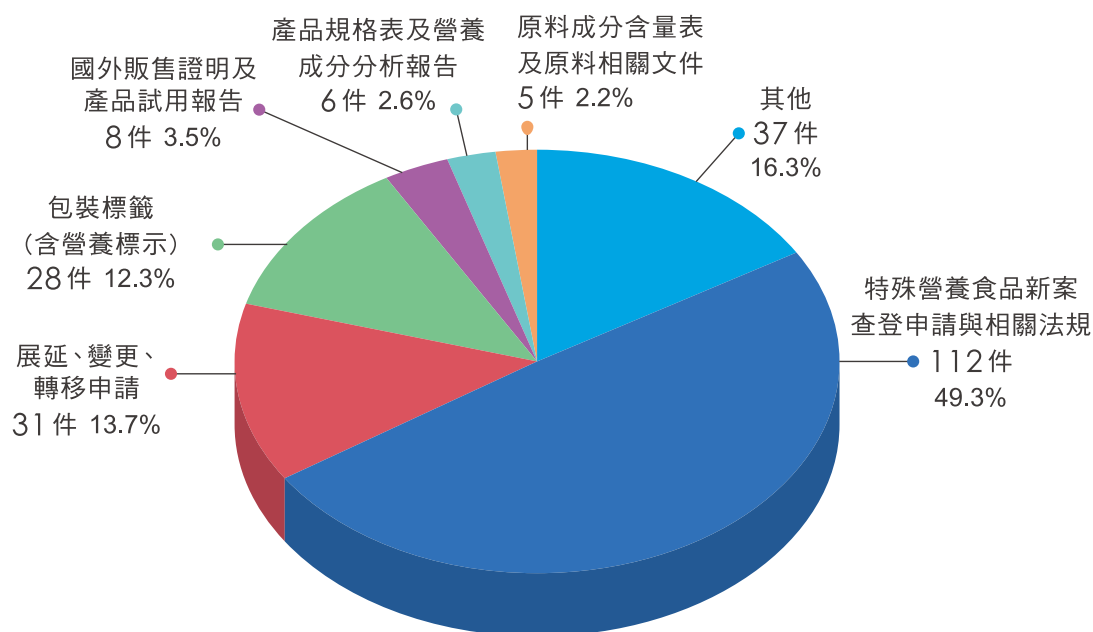


圖 32、2021 年特殊營養食品電話及電子郵件諮詢服務 (以案件類別區分)

### (2) 以申請者區分

以諮詢申請者區分：廠商 226 件，醫界 / 學界 1 件。



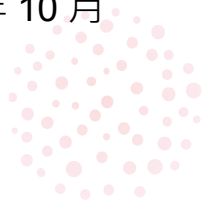
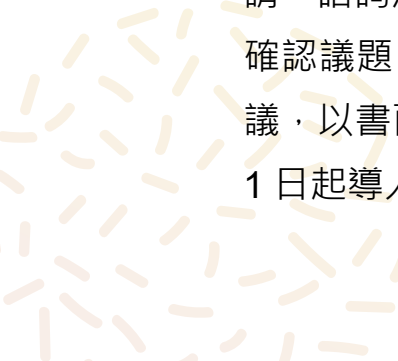
## (五) 醫藥科技評估諮詢服務

2021 年完成 19 件醫藥科技評估之諮詢案件，依諮詢產品分類分別有新藥 17 件、特材 1 件及醫療服務 1 件。諮詢議題包含新藥申請健保給付建議案送件前之醫療科技評估（如相對療效、財務影響或本土藥物經濟學研究等）、免疫檢查點抑制劑（IO）醫療科技評估、研發上市前之意見，以及特材或醫療服務申請健保給付前之醫療科技評估諮詢（如行政程序、方法學等）。

為協助廠商在規劃或準備新藥申請健保給付送審資料時，能夠更圓滿地達到對於新藥價值陳述的架構完整性以及財務影響預估之合理性，查驗中心於 2021 年 10 月 1 日起推出「HTA 付費諮詢服務」，明訂諮詢服務項目包含三大項目。

1. 新藥醫療科技評估行政程序諮詢：提供新藥送審作業相關議題之諮詢，例如藥物納入全民健康保險給付建議書如何填寫、準備方向。
2. 預計申請納入健保給付或擴增健保給付適應症，且於同臨床地位已有同機轉藥品給付之藥品諮詢：本中心提供之醫療科技評估方法學諮詢方向，包含比較品選擇、相對療效評估、財務影響（BIA）及新藥送審作業相關議題諮詢。
3. 非屬前項 2 之藥品、或有執行本土藥物經濟學研究之藥品、或申請現行給付條件修訂之藥品諮詢：本中心提供之醫療科技評估方法學諮詢方向，包含比較品選擇、相對療效評估、財務影響（BIA）、本土藥物經濟學研究（Local PE）及新藥送審作業相關議題諮詢。

申請者可在新藥健保給付建議案送件前，依需求提出諮詢服務申請。諮詢流程包含：申請者線上填寫申請表、事前面談（以利雙方釐清/確認議題）、查驗中心受理後諮詢團隊對議題及資料深入了解並提供建議，以書面意見及諮詢會議方式回覆申請者。本項服務自 2021 年 10 月 1 日起導入試辦。





## (六) 細胞治療技術施行計畫諮詢服務

2021 年完成 13 件細胞治療技術施行計畫之諮詢案件，均為審查案件函文釋疑。

## 二、指標案件法規科學諮詢輔導

查驗中心自 2005 年起建立指標案件諮詢輔導服務機制，組成專屬諮詢輔導團隊，提供國內生技製藥與學研機構在醫藥品研發各階段之法規科學建議，期望藉由主動式的深入諮詢輔導，降低醫藥品研發成本，縮短研發時程。

指標案件輔導對象涵蓋國產藥商、生技公司、學術與研究機構，早期是由查驗中心向國內產學研單位以定期主動徵求、公開甄選方式進行。自 2012 年起，則改成隨到隨評的方式，將申請案依創新程度、貢獻程度、早收程度、滿足法規程度等四面向進行評估及篩選。評選後獲同意列入指標案者，由查驗中心與申請方正式簽約，並由輔導團隊與申請方共同確立年度預定目標、訂定案件之各階段性目標，召開諮詢輔導會議，主動掌握專案研發進度。查驗中心針對指標案件之諮詢輔導建置有主動積極輔導機制，提供不同研發期程之國內外專業法規參考資訊，與全方位的法規諮詢服務，期能協助國內醫藥產業發展並促成成功案例。

### (一) 藥品指標案件法規科學諮詢輔導

#### 1. 案件分析

2021 年間持續輔導的藥品指標案件總計 83 件，其中有 3 件為 2021 年新增指標案。2021 年提供法規科學諮詢的次數總計有 53 件次。依案件的研發期程、藥品分類及申請者分別分析如下。



### (1) 以藥品研發期程分類

於臨床前階段有 21 件，在二期臨床試驗階段 18 件，在二期臨床試驗階段 21 件，在三期臨床試驗階段 16 件，申請查驗登記階段 3 件，查驗登記核准函 4 件。各期程件數及所占百分比如圖 33。

#### 2021 年度提供藥品指標案輔導(83 案件)之研發期程分佈

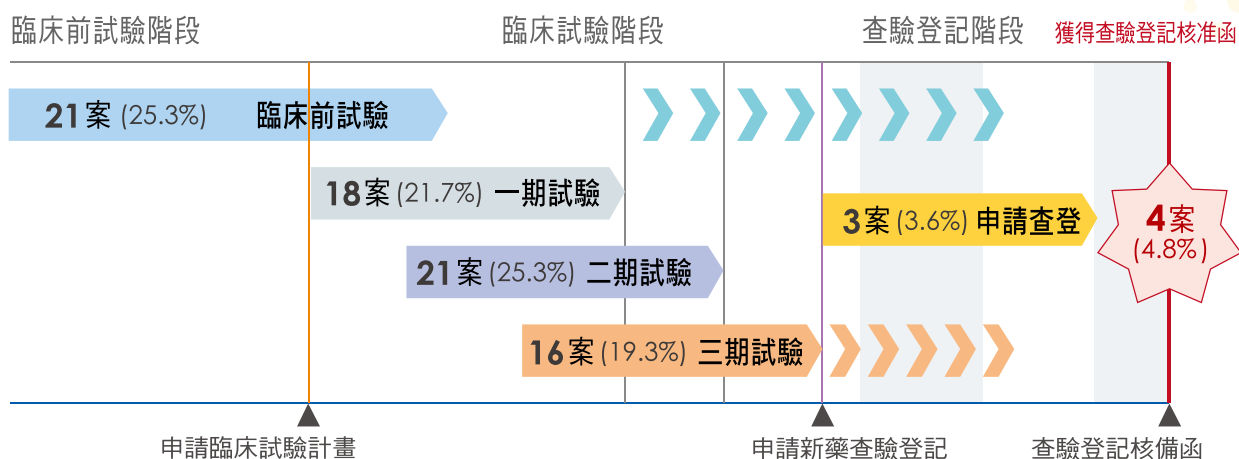


圖 33、2021 年藥品指標案件 (以研發期程分析)

### (2) 以藥品類別區分

化學藥品 35 件最多，其次為生物藥品 30 件，細胞及基因治療產品 10 件，植物新藥 8 件。案件數及所占百分比如圖 34。

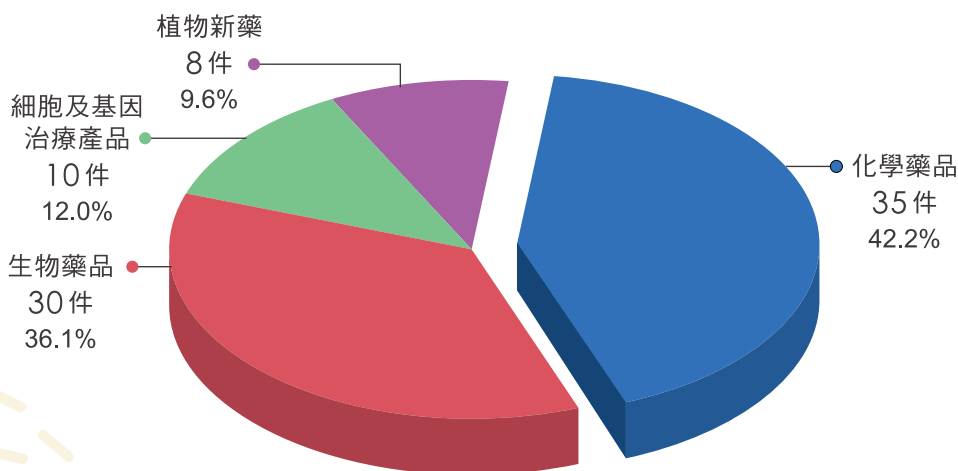


圖 34、2021 年藥品指標案件 (以藥品類別區分)

### (3) 以申請者類別區分

國資藥廠 / 生技業者 66 件、法人機構 13 件、醫界 / 學界 4 件。案件數及所占百分比如圖 35。

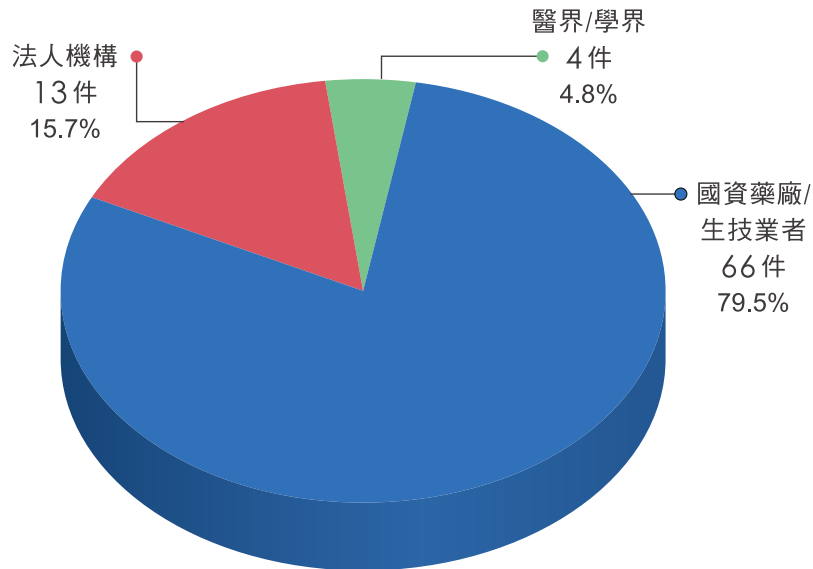


圖 35、2021 年藥品指標案件 (以申請者類別區分)

## 2. 藥品指標案件法規科學諮詢輔導主要成果

為呈現藥品指標案件之輔導成果，依藥品開發歷程設定以下五個輔導成果里程碑：通過臨床試驗申請案進入一期臨床試驗、通過臨床試驗申請案進入二期臨床試驗案、通過臨床試驗申請案進入三期臨床試驗、申請新藥查驗登記、及獲得查驗登記核准函。2021 年度成功達成上述里程碑者計有 16 件：獲得一期臨床試驗核准 5 件，獲得二期臨床試驗核准 4 件，獲得三期臨床試驗核准 1 件，申請新藥查驗登記 4 件及獲得查驗登記核准函 2 件。

## 藥品輔導成效案例說明



### 案例一、化學藥品研發案

本案於 2013 年起列入指標案，並自 2014 年起提供法規諮詢，歷經 41 次諮詢、23 次主動追蹤，中心積極協助業者並提供化學製造管制、製劑國產化、一般法規策略、銜接性試驗議題解決策略建議、目標族群適應症臨床試驗設計等多方位相關法規意見。本品一期臨床試驗於 2021 年 2 月獲食藥署准予執行，另分別於 2021 年 4 月與 10 月申請不同適應症之查驗登記，2021 年度總計達成三件輔導成果里程碑。



### 案例二、細胞及基因治療產品研發案

本案於 2015 年起列入指標案，歷經 18 次諮詢、19 次主動追蹤，查驗中心提供業者為準備第一期臨床試驗申請之相關文件與試驗進行的法規諮詢，包括捐贈者篩檢試劑、細胞庫檢測項目、最終產品放行檢測與非臨床試驗之藥毒理試驗設計等，在符合法規規範的前提下，明確提供試驗方向，以利業者試驗安排與進行。本品不同適應症之一期臨床試驗分別於 2021 年 3 月與 4 月獲食藥署准予執行。



### 案例三、細胞及基因治療產品研發案

本案於 2019 年起列入指標案，歷經 2 次諮詢、6 次主動追蹤，協助業者準備第一期臨床試驗製造管制、藥毒理所需送件資料。查驗中心針對安全性試驗、最終產品細胞庫的無菌測試、最終產品的放行檢測等提供建議與方向。本品一期臨床試驗於 2021 年 4 月獲食藥署准予執行。

## 藥品輔導成效案例說明



### 案例四、細胞及基因治療產品研發案

本案自 2019 年列入指標案，歷經 4 次諮詢、6 次主動追蹤，查驗中心提供業者法規諮詢與人類細胞治療產品送件前諮詢，法規諮詢有助於業者釐清我國人類細胞治療產品臨床試驗送審之相關流程；人類細胞治療產品送件前諮詢則有助於業者減少臨床試驗送件補件階段之缺失、提升文件品質。本品一期臨床試驗於 2021 年 3 月獲食藥署准予執行。



### 案例五、生物製劑研發案

本案自 2007 年加入指標案，歷經 34 次諮詢、102 次主動追蹤，查驗中心針對本品三期臨床試驗設計積極提供業者輔導及建議，包含治療組別、各組別受試者人數及劑量、劑量進升條件及於試驗劑量進升過程如何執行分層隨機分派以達到各組預計收納的人數及分層因子在各組的分佈平衡...等。本品於 2021 年 7 月與 8 月分別有二期臨床試驗、三期臨床試驗獲食藥署准予執行。



### 案例六、生物製劑研發案

本案自 2014 年列入指標案，歷經 19 次諮詢、102 次主動追蹤。查驗中心針對本品三期試驗及未來產品發展策略提供製造管制、藥毒理、藥動、臨床等多項專業領域法規科學建議予業者，有助業者釐清法規、試驗執行和進行長期的產品開發規劃。本品二期臨床試驗於 2021 年 8 月獲食藥署准予執行。

## 藥品輔導成效案例說明



### 案例七、細胞及基因治療產品研發案

本案自 2016 年列入指標案，歷經 12 次諮詢、16 次主動追蹤。查驗中心積極追蹤本案不同適應症之研發進度，協助業者了解我國法規單位要求，相對加速業者臨床試驗核准進程；查驗中心亦針對本案製造管制之方法適用性執行提供專業建議，節省業者品管檢驗費用支出。本品二期臨床試驗於 2021 年 9 月獲食藥署准予執行。



### 案例八、化學藥品研發案

本案自 2016 年列入指標案，歷經 15 次諮詢、14 次主動追蹤。自列入指標案起，查驗中心針對本案動物毒理試驗的設計（如：毒理試驗動物隻數是否符合規定、本品延伸性單一劑量毒理試驗是否有再進行恢復期觀察的必要）、一期臨床試驗的設計、化學製造管制、送件流程等議題提供意見。本品二期臨床試驗於 2021 年 5 月獲食藥署准予執行。



### 案例九、疫苗研發案

本案自 2014 年列入指標案，歷經 12 次諮詢、23 次主動追蹤。查驗中心提供銜接性試驗評估、三期臨床試驗諮詢，亦積極輔導本案製造管制等相關問題，以因應業者轉換製造廠之需求，有助其了解法規單位審查觀點，提前擬定產品研發方向及下一步應進行事項。本品於 2021 年 10 月申請查驗登記。

## 藥品輔導成效案例說明



### 案例十、疫苗研發案

本案自 2016 年列入指標案，歷經 10 次諮詢、14 次主動追蹤。查驗中心持續輔導業者本案製造管制相關議題，並持續溝通療效確認性試驗之設計，提供包含免疫原性試驗之設計原則、抗體分析方法確效、樣本數估計、隨機分派比例等項目法規科學建議。本品於 2021 年 8 月申請查驗登記。



### 案例十一、植物藥研發案

本案自 2012 年列入指標案，歷經 11 次諮詢、24 次主動追蹤。查驗中心提供業者化學製造管制、藥動、藥毒理、臨床等法規科學建議，包含：原料藥檢驗項目是否符合查驗登記要求、不劣性界限設定、技術性資料預審等。本品於 2021 年 2 月獲食藥署查驗登記核准函。



### 案例十二、疫苗研發案

本案自 2014 年列入指標案，歷經 10 次諮詢、22 次主動追蹤。查驗中心針對本品主要療效指標評估標準與劑量選擇等臨床試驗設計提供建議予業者，亦提醒業者未來查驗登記送件之注意事項。本品於 2021 年 9 月獲食藥署查驗登記核准函。

## (二) 醫療器材指標案件法規科學諮詢輔導

### 1. 案件分析

#### (1) 以醫材研發階段區分

2021 年醫療器材專案輔導之指標案件共計有 36 件，依研發階段分類，在臨床前階段有 20 件，在臨床試驗階段有 9 件，在查驗登記階段有 7 件，其中有 5 件取得醫療器材上市許可。

#### 2021年度提供醫療器材指標案輔導(36案件)之研發期程分佈

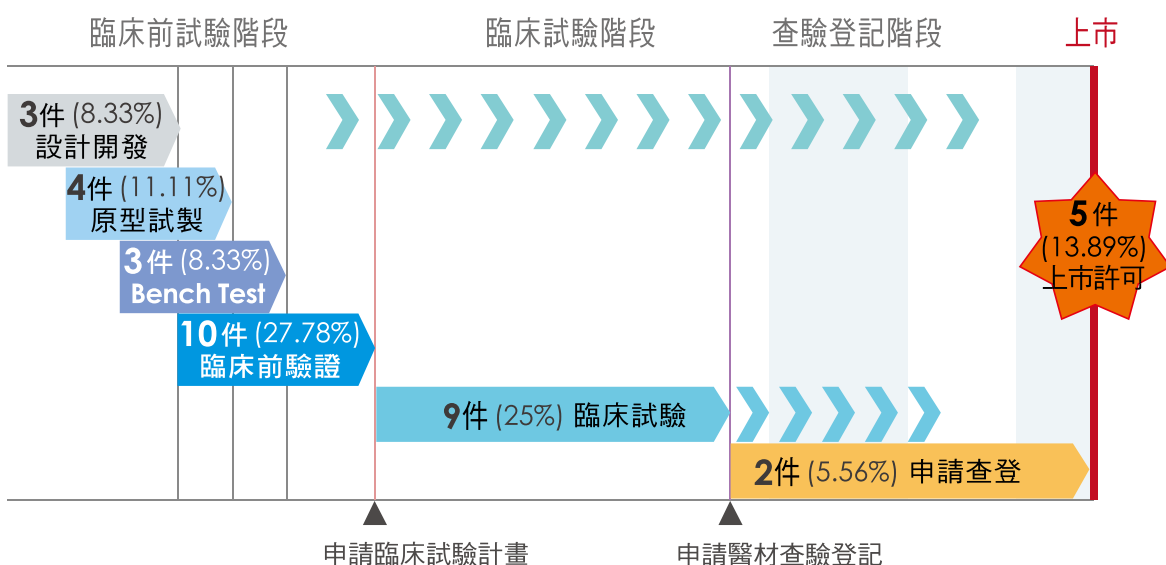


圖 36、2021 年醫療器材指標案件 (以研發階段區分)

#### (2) 以產品等級區分

36 件醫療器材指標案件中，16 件為第二等級醫療器材，7 件為第三等級醫療器材，6 件為新醫療器材，1 件為新醫療技術，6 件尚待評估醫療器材之屬性及其列管等級。

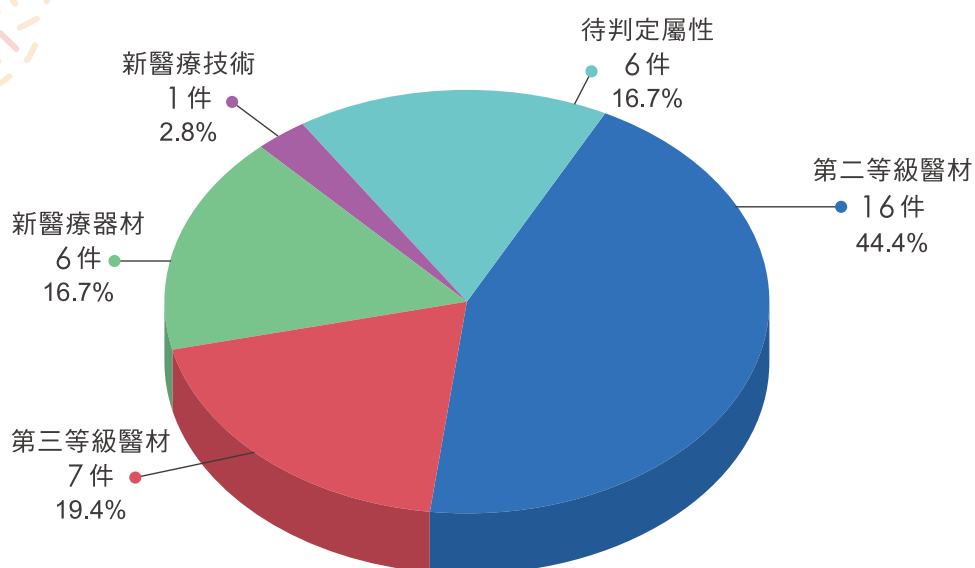


圖 37、2021 年醫療器材指標案件 (以產品等級區分)

## 2. 醫療器材指標案件法規科學諮詢輔導主要成果

36 件醫療器材指標案件諮詢輔導案件中，於 2021 年有 2 件申請臨床試驗案、有 3 件臨床試驗案獲核准、有 2 件申請產品查驗登記、有 5 件取得國內醫材上市 (含專案製造) 許可。



## 醫材輔導成效案例說明



### 案例一、AI 醫療影像辨識系統研發案

本案自 2019 年列入指標案件輔導，廠商於 2019 年中提出臨床試驗計畫書諮詢輔導之需求。中心輔導團隊針對試驗設計、試驗樣本數、統計分析提供建議，並提供國內外臨床試驗申請流程建議。諮詢團隊於 2020 年 8 月通過美國臨床試驗核准並開始執行，並於 2021 年正式申請美國 510(k)，於年底取得 510(k)。



### 案例二、子宮內膜癌體外診斷試劑產品研發案

本案自 2018 年底列入指標案件輔導，中心輔導團隊提供相關法規意見，包含申請查驗登記之產品命名原則、臨床前測試設計原則、產品性能標準及 LDT 現行法規等；並針對臨床試驗（評估）所需樣本數，提供統計方法之設計建議。於 2020 年 7 月列入食藥署專案諮詢輔導案件，由中心輔導團隊提供臨床試驗設計意見，並於 11 月申請查驗登記。本案產品於 2021 年 5 月正式取得醫療器材上市許可證。



### 案例三、COVID-19 快篩試劑

因應 COVID-19 疫情之緊急公共衛生情勢，中心自 2020 年中起開創「CDE can Help：COVID-19 專案法規科學輔導計畫」，積極主動給予研發各階段所需法規科學建議，期望能縮短 COVID-19 相關藥物開發上市時程。本案為中心 COVID-19 指標輔導案件，中心輔導團隊依據其送審資料評估是否足以符合專案製造法規要求，並給予相關產品說明書修正建議。產品於 2021 年初取得特定醫療器材專案製造上市核准。



### (三) 醫療器材專案諮詢輔導案件

#### 1. 案件分析

2021 年醫材組協助食藥署辦理醫療器材專案諮詢輔導案共計有 18 件，其中技術性評估共 11 件。依技術性評估案之產品等級區分，第二等級 8 件、第三等級 2 件、待判定 1 件。依產品類別區分，眼科學 4 件、一般及整形外科手術 2 件，放射學科學、血液學及病理學、臨床化學及臨床毒理學各 1 件，待判定 2 件。

#### 2. 醫療器材專案諮詢輔導案件法規科學諮詢輔導主要成果



##### 案例一、AI 骨髓抹片分析系統研發案

本案為國產第一件、新適應症及政府重點計畫支持之產品，廠商欲諮詢臨床試驗設計、統計分析等問題。於 2020 年納入食藥署專案諮詢輔導案件，經中心提供臨床試驗設計、統計樣本數分析及臨床前測試之法規建議，技術性評估達 2 次，於 2021 年正式提出醫療器材查驗登記，並於同年取得醫療器材上市許可。



##### 案例二、AI 內視鏡影像輔助偵測系統研發案

本案為國產第一件開發此類型之產品，欲諮詢臨床驗證相關。中心針對其資料提供臨床試驗設計與樣本數計算之法規建議，並參與廠商諮詢會議，與食藥署及廠商三方討論法規議題。



##### 案例三、AI 傷口影像分析系統研發案

本案為國產第一件及國家型計畫重點支持之產品，於 2021 年納入專案諮詢輔導，廠商欲諮詢臨床試驗設計、統計模型分析與臨床前測試項目。中心依據所附資料提供臨床試驗設計、納入排除條件、統計樣本數分析以及臨床前測試等相關法規意見。本案於 2021 年提出查驗登記用臨床試驗計畫案申請並獲得核准執行。



#### 案例四、AI 眼科影像輔助診斷軟體研發案

本案產品特點符合國產第一件，於 2021 年納入專案諮詢輔導，廠商欲諮詢臨床試驗設計及統計分析。中心針對其資料提供臨床試驗設計與樣本數計算之法規建議；本案於 2021 年提出查驗登記用臨床試驗計畫案申請並獲得核准執行。



#### 案例五、視力矯正軟式隱形眼鏡研發案

本案產品特點符合國產第一件，於 2021 年納入專案諮詢輔導，廠商欲諮詢臨床試驗設計及統計分析樣本數問題。中心依據所附資料提供臨床試驗設計與統計樣本數分析等相關法規意見，技術性評估共計達 3 次。





#### 案例六、材料產品研發案

原已上市產品擬新增適應症，由中心輔導團隊提供查驗登記用臨床試驗計畫之醫療器材臨床試驗參數設計、受試者需求人數等相關法規建議。於 2020 年底列入食藥署專案諮詢輔導案件，亦由中心輔導團隊提供臨床試驗設計意見；於 2021 年 8 月提出查驗登記用臨床試驗計畫案申請，中心提供臨床試驗審查意見。

### (四) 智慧醫療器材專案諮詢輔導案件

2021 年醫材組協助食藥署成立智慧醫材專案辦公室，建立人工智慧醫療器材諮詢輔導機制，並協助辦理人工智慧醫療器材專案諮詢輔導案共計 21 件，包含主動輔導案 10 件，以及技術性評估共 11 件。依產品之輸入資料型態區分，屬於影像類型有 18 件，輸入生理參數者有 3 件；其中影像類別又可再細分彩色影像 10 件、CT 影像 3 件、X 光影像 4 件、MRI 影像 1 件。依據產品態樣區分，電腦輔助篩檢 3 件、電腦輔助偵測 10 件、電腦輔助診斷 5 件、待判定者 3 件。中心針對所附資料給予相關法規科學評估建議。



### 三、辦理政府部門醫藥領域相關研究計畫案法規科學評估

#### (一) 進行科技部、衛生福利部轉譯研發及臨床試驗有關之計畫審查及執行進度評估

查驗中心自 2011 年起，即開始協助生技醫藥國家型科技計畫案相關之法規評估、研究國內外醫藥法規趨勢並提出法規建議。生技醫藥國家型科技計畫於 2016 年完成階段性任務，並於 2017 年 5 月轉型/退場，由「生技醫藥轉譯創新發展計畫－轉譯臨床主軸」接棒。

自 2017 年起，查驗中心執行「生技醫藥轉譯創新發展計畫－轉譯臨床主軸」之「藥品與醫療器材研發法規諮詢與輔導」之分項計畫業務；藉由轉譯醫學暨臨床試驗發展法規協助平台，協助國內臨床試驗計畫、轉譯醫學計畫、及參與主軸計畫之其他部會任務導向型計畫的計畫審查及執行進度評估。藉由計畫審查與計畫執行進度評估時提供法規建議，以作科技部及衛生福利部計畫補助篩選參考，與執行中計畫進度之評估。

查驗中心於 2021 轉譯臨床主軸 - 藥品與醫療器材研發法規諮詢與輔導評估業務，共進行藥品類案件 7 件、醫療器材類案件 68 件。各類案件之件數統計如表 10。

表 10、2021 年完成轉譯臨床主軸 - 藥品與醫療器材研發法規諮詢與輔導評估業務

| 計畫工作項目            | 藥品類      | 醫材類       | 小計        |
|-------------------|----------|-----------|-----------|
| 科技部及衛生福利部相關計畫審查   | 2        | 59        | 61        |
| 科技部及衛生福利部相關計畫進度評估 | 5        | 9         | 14        |
| <b>合計</b>         | <b>7</b> | <b>68</b> | <b>75</b> |

計畫審查及進度評估案件來源包含：(1) 科技部運用人鏈結產學合作計畫、(2) 科技部研發成果萌芽計畫、(3) 科技部研發成果育苗計畫、

(4) 臺灣特定疾病臨床試驗合作聯盟專案計畫 TCTC、(5) 臺灣生醫與醫材轉譯增值人才培訓計畫 SPARK、(6) 生醫商品化中心 (藥品領域及醫材領域)、(7) 科技部產學司防疫計畫。

## (二) 經濟部醫藥品研發相關科專計畫之法規評估

為配合行政院「台灣生技產業起飛行動方案」強化產業化研發能量，查驗中心自 2011 年開始在經濟部的科技計畫支持下，協助經濟部進行醫藥品研發相關科專計畫之法規審查和評估。針對業界科專、學界科專與法人科專計畫之構想書、計畫書、期中查證、期末查證及全程查證，提供法規科學評估建議。此外，建置法規科學知識平台服務，持續發行「當代醫藥法規月刊 (Reg Med News)」月刊，介紹當今生技醫藥與藥物研發的法規科學新知。

2021 年共完成 211 件經濟部科專計畫之法規科學評估相關書面建議及查證，主要以業界科專最多 (業界科專 122 件、法人科專 63 件、學界科專 26 件)，各類案件之件數統計如表 11。

表 11、2021 年完成經濟部科專計畫之法規科學評估相關業務  
(依案件來源及類型分析)

| 案件來源 | 類別    | 藥品 | 醫材 |
|------|-------|----|----|
| 學界科專 | 構想書審查 | 0  | 18 |
|      | 計畫書審查 | 5  | 2  |
|      | 期中查證  | 0  | 0  |
|      | 期末查證  | 0  | 0  |
|      | 全程查證  | 0  | 1  |
| 法人科專 | 構想書審查 | 0  | 4  |
|      | 計畫書審查 | 21 | 11 |
|      | 期中查證  | 10 | 2  |
|      | 期末查證  | 6  | 6  |

|      |                  |     |    |
|------|------------------|-----|----|
|      | 全程查證             | 2   | 1  |
| 業界科專 | 快速審查臨床試驗計畫送件資料檢查 | 19  | 0  |
|      | 構想書審查            | 1   | 22 |
|      | 計畫書審查            | 18  | 12 |
|      | 期中查證             | 30  | 13 |
|      | 期末查證             | 0   | 0  |
|      | 全程查證             | 5   | 2  |
|      | 營運計畫審查           | 0   | 0  |
| 總 計  |                  | 117 | 94 |

#### 四、藥品付費諮詢服務

查驗中心為促進產業發展、增加國際競爭優勢及建立諮詢服務之品質、透明化及一致性之目的，於2018年1月1日起推出「付費諮詢服務」方案，明訂諮詢服務項目包含三大項目：

##### (一) 臨床試驗申請案預審 ( IND Prior Assessment )

包含臨床試驗新案或申覆案，依申請者須要，分為品質部分，非臨床部分，或完整技術性資料之事先評估。此類諮詢服務因產品複雜程度分為化學藥及生物製劑，訂定不同辦理天數。

##### (二) 臨床試驗諮詢 ( Clinical Trial Consultation )

包含第一期至第四期臨床試驗設計相關諮詢。

##### (三) 研發策略諮詢 ( Regulatory consultation services )

策略評估、查驗登記策略評估、適用 Animal rule 之動物療效或臨床試驗設計諮詢、藥物生體可用率及生體相等性計畫書諮詢、安定性試

驗計畫書諮詢等項目。

申請者可在藥品開發期間、申請臨床試驗前及申請銜接性試驗評估 / 查驗登記前等各種時程，依產品開發須求提出諮詢服務申請。諮詢流程包含：申請者線上填寫申請表、事前面談（以利雙方釐清 / 確認議題）、查驗中心受理後成立諮詢團隊提供深入之法規科學建議、及以書面意見及面對面會議形式回覆申請者。申請者須於正式送件時一併檢附該書面意見及會議紀錄，作為查驗中心日後審查之重要參考依據。

2021 年新制付費諮詢案件結案共有 39 件。以下針對已受理之付費諮詢案件依案件類別、藥品類別、及申請者類別等進行分析統計。

#### (1) 以案件類別區分：

2021 年藥品付費諮詢案件結案計有 39 件。新藥查驗登記策略評估 19 件，臨床試驗諮詢 16 件，臨床試驗預審 2 件、銜接性試驗策略評估 1 件、其他計畫書諮詢 1 件。案件數及所占百分比如圖 38。

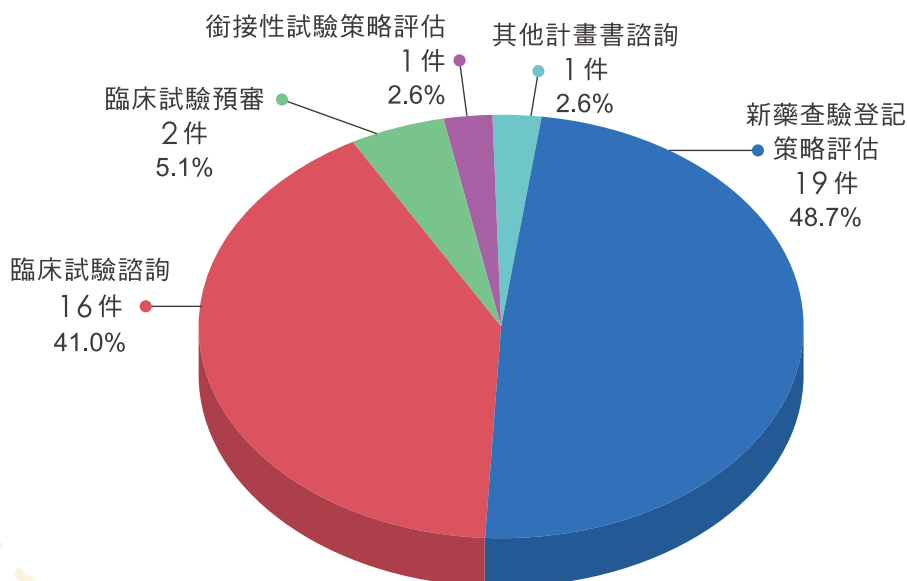


圖 38、2021 年藥品付費諮詢案（以案件類別區分）

**(2) 以藥品類別區分：**

2021 年藥品付費諮詢案件結案計有 39 件。化學藥品 23 件、生物藥品 14 件、基因治療產品 1 件、植物新藥 1 件。案件數及所占百分比如圖 39。

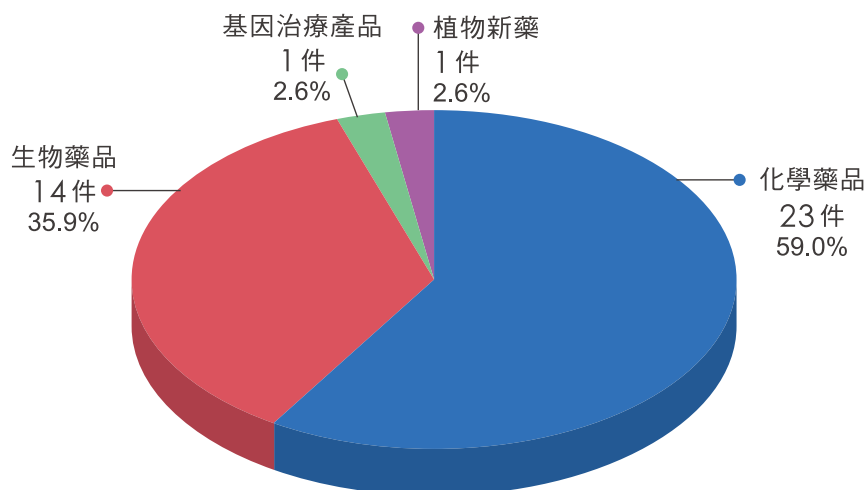


圖 39、2021 年藥品付費諮詢案 (以藥品類別區分)

**(3) 以申請者類別區分：**

2021 年藥品付費諮詢案件結案計有 39 件。國資藥廠 / 生技業者 21 件，外資廠商 9 件，CRO/ 顧問公司 6 件，代理商 3 件。案件數及所占百分比如圖 40。

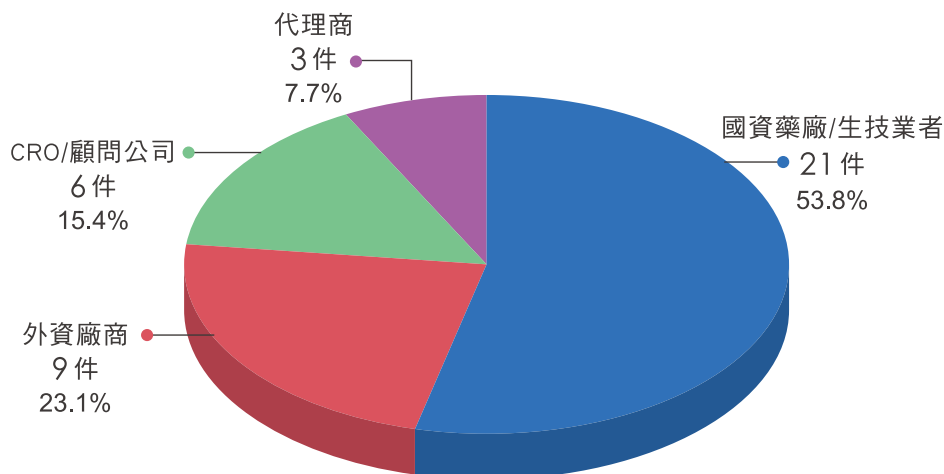


圖 40、2021 年藥品付費諮詢案 (以申請者類別區分)





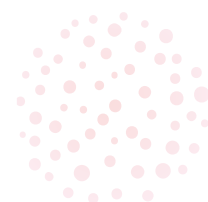
#### (4) 學名藥查驗登記付費諮詢：

2021 年完成學名藥策略諮詢及查驗登記案付費諮詢案件共計有 10 件，包含學名藥策略諮詢服務 3 件、學名藥查驗登記案諮詢服務 5 件及藥品生體相等性試驗計畫書 / 報告書申請案諮詢 2 件。

## 五、細胞治療技術付費諮詢

為促進細胞治療技術研發與產業發展，於 2021 年特建立「細胞治療技術付費諮詢」提供細胞治療技術審查案申請前與查驗中心進行諮詢的途徑，期藉由此機制協助申請方於規劃階段即可了解技術性資料要求，本機制著重討論細胞治療技術計畫書與細胞製造管制資料之要求。

2021 年細胞治療技術付費諮詢結案計有 2 件，皆為細胞治療技術計畫預審。



## 伍、法規研擬

查驗中心為因應法規科學進展，並期能與國際法規同步接軌，持續針對新醫藥與新興生技產品，研擬符合風險管理及產業需求之基準或規範，同時建立審查業務所須的標準作業與審查考量重點，以提供衛生主管機關參採，作為產官學研業者遵循的依據。

2021 年協助中央衛生主管機關研議之法規項目如下：

### 一、藥品類：

- (一) 研擬「人類細胞及基因治療產品流向管理基準」草案
- (二) 研擬「人類細胞治療產品捐贈者合適性判定基準」草案
- (三) 研擬「人類細胞治療製劑查驗登記審查基準」草案
- (四) 研擬「人類基因治療製劑查驗登記審查基準」草案
- (五) 修正「藥品查驗登記審查準則」部份條文
- (六) 修訂「小兒族群的藥動學試驗基準」
- (七) 修訂「生物相似性藥品查驗登記基準」
- (八) 修訂「藥品臨床試驗納入兩性考量指引」(草案)
- (九) 修訂「植物藥新藥臨床試驗審查基準」
- (十) 使用真實世界數據 / 真實世界證據 (RWD/RWE) 作為申請藥品  
審查技術文件應注意事項
- (十一) 使用電子健康照護資料執行藥品流行病學安全性研究指引
- (十二) 嚴重特殊傳染性肺炎重組蛋白類疫苗臨床試驗之化學製造與管  
制審查重點
- (十三) 嚴重特殊傳染性肺炎防治藥品研發之臨床審查考量

- (十四) 嚴重特殊傳染性肺炎疫苗專案製造或輸入之非臨床與臨床審查考量
- (十五) 第二期臨床試驗之統計考量、模型輔助藥物開發之藥物動力學考量重點
- (十六) 再生醫療製劑中含經基因修飾細胞之化學製造管制研發策略指導原則 (2021.11.22 公布於 CDE 外網)
- (十七) 藥品生殖發育毒性檢測指導原則 (2021.11.22 公布於 CDE 外網)
- (十八) 食物影響試驗指導原則 (2021.8.23 公布於 CDE 外網)
- (十九) 臨床試驗多重指標之統計指導原則 (2021.11.22 公布於 CDE 外網)
- (二十) 診斷性造影劑臨床研發策略指導原則 (2021.11.22 公布於 CDE 外網)
- (二十一) 愛滋病治療藥品之臨床研發策略指導原則 (國內首創) (2021.11.22 公布於 CDE 外網)

## 二、醫療器材類：

- (一) 人工智慧 / 機器學習技術之電腦輔助診斷 (CADx) 醫療器材軟體查驗登記審查要點指引草案
- (二) 人工智慧 / 機器學習技術之電腦輔助分流 (Computer Aided Triage) 醫療器材軟體查驗登記審查要點指引草案
- (三) 人工智慧 / 機器學習技術之醫療器材軟體類似品判定流程草案
- (四) 無顯著風險之人工智慧 / 機器學習技術之醫療器材軟體臨床試驗之判定原則草案
- (五) 臨床決策支援系統納入醫療器材軟體分類分級指引之示例草案

- (六) 研擬「手提式製氧機臨床前測試基準」草案
- (七) 研擬「聚焦式超音波刺激器臨床前測試基準」草案
- (八) 研擬「生物滅菌過程指示劑臨床前測試基準」草案

### 三、健康食品類：

#### (一) 修正案

1. 「輔助調節血壓功能評估方法」( 2021.11.18 食藥署預告修正 )
2. 「牙齒保健功能評估方法」
3. 「調節血脂保健功能評估方法」
4. 「調節血糖功能評估方法」

#### (二) 新功效申請提案

1. 「調節情緒保健功效評估方法 ( 草案 ) 」
2. 「調節尿酸保健功效評估方法 ( 草案 ) 」
3. 「輔助調節血管功能保健功效評估方法 ( 草案 ) 」
4. 「關節保健功效評估方法 ( 第二件提案 ) 」( 2021.08 申請案 )

## 陸、審查業務品質管理

查驗中心依優良審查規範 ( Good Review Practice · GRP ) 精神，以實證醫學為本，遵循法規科學實務原則，進行醫藥品上市申請案之審查；致力於提升審查之效率 ( Efficiency )、品質 ( Quality )、一致性 ( Consistency )、審查觀點明確 ( Clarity ) 以及審查程序透明 ( Transparency )。各類案件之審查流程皆訂有標準作業程序 ( Standard Operation Procedure，以下簡稱 SOP )，並定期更新。同時對審查團隊組成及權責分工亦有明確規範，確保透明、有效率之審查作業。為此，查驗中心建立有業務品質管控 / 品質保證 ( Quality Control/Quality Assurance ) 機制，由執行長室主管主導，定期召開審查案件時程管控會議及品質管理會議，訂定品質保證之關鍵指標 ( Key Performance Index, KPI )，檢視各項審查作業進度，提出檢討，藉此確保查驗中心各項業務品質，包括藥物臨床試驗與查驗登記審查及醫藥科技評估等。

### 一、召開業務品質管控會議

查驗中心成立 Quality Assurance 工作小組，依照各類案件 SOP 所訂定之審查時程指標，於每月召開「審查案件時程管控會議」，由各組針對各項業務之時程指標統計結果進行報告與檢討，並擬定及追蹤各項改善方案。並且，持續針對品質管理相關制度或議題進行討論，以期建置完善品質管理機制，落實不斷改善精進之精神。

## 二、建置與更新標準作業程序

為使中心內部各項行政、審查與諮詢等業務之作業流程有所依循，查驗中心多年來已建置完成各項 SOP，並定期進行更新，2021 年完成制定與更新之 SOP 及相關表單共 58 項，包含業務類 25 項及行政管理類 33 項。

## 三、辦理「審查報告品質評估」

每年邀請各專業領域之國內外資深審查專家，協助查驗中心辦理不同專業領域之「審查報告品質評估」。作業方式為隨機抽取審查員該年度完成之審查報告，交由國內外資深審查專家審閱與評估審查報告撰寫的結構、文字是否適當，審查之思考邏輯是否符合法規要求及依據實證科學給予結論。

2021 年進行藥品查驗登記審查案 (NDA)、API/DMF 查檢表一及 Sartan 類上市後評估、醫療器材第二等級及第三等級查驗登記案 (C2D)，與藥物科技評估案 (HTA) 之外部專家評估。資深專家之評估結果與建議列為中心改進業務管理，及評估內部稽核制度實施成效之參考。本年度針對專家之建議展開之改善方案主要為優化審查報告內容與流程，包括：增設審查報告撰寫意見欄位、鼓勵並訓練審查同仁完整地表現審查邏輯、及審查員於審查過程中及早提出疑義並討論。

## 柒、厚植法規科學人才

### 一、受邀擔任外部研討活動講師

2021 年查驗中心同仁共有 140 人次受邀於國內各大研討會擔任講師，包括藥品相關主題 97 人次、醫藥科技評估相關主題 22 人次及醫療器材相關主題 21 人次。

表 12、2021 年查驗中心同仁受邀演講場次部分列表

| 演 講 議 題   | 主 辦 單 位                 | 講 員 |
|---|-------------------------|-----|
| 真實世界資料應用工作坊<br>綜合討論                                     | 財團法人中華景康藥學基金會           | 徐麗娟 |
| 「法規科學國際重要發展<br>趨勢和臺灣應努力方向 -<br>藥品類」RAPS 2020 大<br>會心得分享 | 臺灣醫藥品法規學會               | 陳恒德 |
| 真實世界證據的研究設計<br>/ 務實性臨床試驗的考量<br>重點                       | 社團法人臺灣藥物品質協會            | 王亞蕾 |
| 臨床試驗之藥品不良反應<br>通報                                       | 財團法人臺灣醫界聯盟基金會           | 王竣鋒 |
| COVID-19 疫苗開發的法<br>規科學                                  | 嚴重特殊傳染性肺炎中央流行<br>疫情指揮中心 | 徐千惠 |
| 細胞治療臨床試驗計畫送<br>審應注意事項及常見缺失                              | 社團法人臺灣生醫品質保證協<br>會      | 許巧縈 |
| 生物相似性藥品的法規考<br>量  | 中華民國藥師公會全國聯合會           | 陳紀勳 |
| 真實世界數據？關聯性與<br>可靠性評估                                    | 社團法人臺灣藥物品質協會            | 蔡貴鳳 |

|   |                |     |
|---|----------------|-----|
| 抗體藥物複合體產品 (ADC) 之 CMC 考量及個案解讀                       | 中華民國醫藥法規研究協會   | 王誌慶 |
| 健康食品之功效指標成分分析與安定性評估                                 | 臺灣大學食品科技研究所    | 溫譽鈴 |
| 國內細胞治療於醫療技術及產品之技術性資料需求差異                            | 臺灣細胞醫療協會       | 湯依寧 |
| 如何有效運用 CDE 諮詢服務                                     | 中央研究院          | 賴怡君 |
| 醫療器材臨床試驗申請流程與實務分享                                   | 國立陽明交通大學陽明校區   | 周郁欣 |
| 國內外最新人工智慧醫材管理架構及法規簡介                                | 社團法人臺灣藥物品質協會   | 簡廷翰 |
| 醫療服務項目的 HTA 評估                                      | 臺灣藥品行銷暨管理協會    | 張慧如 |
| RWD 於醫療科技評估之應用                                      | 臺灣全癌病友連線       | 陳奎安 |
| 世界各國次世代定序檢測之給付現況                                    | 臺灣精準醫療品質策進會    | 黃莉茵 |
| 特材的 HTA 評估  | 臺灣藥品行銷暨管理協會    | 謝斯婷 |
| 真實世界資料運用於健保藥品保險給付調整 - 以疫療法為例                        | 財團法人中華景康藥學基金會  | 簡伶蓁 |
| 細胞治療產品、基因治療產品 (含基因修飾細胞的產品) 之細胞製造管制研發指引及細胞製造管制資料審查原則 | 財團法人醫藥工業技術發展中心 | 李倍慈 |
| 學名藥申請 - 美國 FDA 「提出暫時性許可修訂取得最終許可」指引                  | 社團法人臺灣藥物品質協會   | 杜建龍 |



|                                      |             |     |
|--------------------------------------|-------------|-----|
| 於十大醫藥先進國上市滿十年，國內屬新藥之非處方藥新藥查驗登記審查原則說明 | 臺灣藥品行銷暨管理協會 | 葉嘉新 |
| 宣導說明「學名藥技術審查文件常見缺失」相關議題              | 臺灣製藥工業同業公會  | 葉嘉新 |

查驗中心同仁除受邀外部研討會活動擔任講師之外，亦受邀至學校，進行醫藥相關課程之授課，例如：執行長室徐麗娟副執行長、新藥科技組詹明曉組長、陳筱筠小組長及諮詢輔導中心陳怡安審查員等至中國醫藥大學，擔任「法規及臨床試驗」課程講師；新藥科技組林資荃審查員至台北大學，擔任「統計學」兼任教師；藥劑科技組葉嘉新組長至中興大學，擔任「新藥開發的法規策略與實務」課程講師；藥劑科技組楊庭軒審查員至國防醫學院藥學系，擔任「高等藥物化學」與「有機合成」之兼任教師；諮詢輔導中心溫譽鈴小組長至屏東科技大學，擔任「保健食品概論」課程講師；醫藥科技評估組黃莉茵組長至陽明交通大學，擔任「藥物流行病學」課程講師；醫藥科技評估組張慧如小組長至臺灣大學，擔任「NHIA 新藥給付制度、HTA 流程及所需的科學證據」課程講師；醫療器材組范文佳審查員至臺北醫學大學，擔任「醫療器材臨床試驗相關法規與實務」課程講師。

## 二、受邀於國際會議演講、擔任主持人及論文發表

2021 年查驗中心同仁受邀於各項國際會議演講、擔任主持人或進行論文發表者，詳見下表。

表 13、2021 年查驗中心同仁受邀於國際會議演講、擔任主持人及論文發表列表

|             |             |  |
|-------------|-------------|--|
| <b>會議名稱</b> |             | <b>21th Annual meeting of Health Technology Assessment International, HTAi</b>                                 |
| <b>出席同仁</b> | <b>擔任角色</b> | <b>題 目</b>   |
| 黃莉茵         | Panelist    | Deliberative Processes For HTA<br>Deliberating The Results Of The Joint HTAi - ISPOR Task Force                |
| <b>會議名稱</b> |             | <b>International Network of Agency for Health Technology Assessment, INAHTA, Annual Meeting 2021</b>           |
| <b>出席同仁</b> | <b>擔任角色</b> | <b>題 目</b>   |
| 黃莉茵         | Panelist    | Increasing efficiency and effectiveness in the production of HTA   |
|             | Facilitator | Horizon Scanning-experience from Taiwan  |
|             | Speaker     | Real-world results of immune checkpoint inhibitors from Taiwan National Health Insurance Registration System   |
| <b>會議名稱</b> |             | <b>9<sup>th</sup> HTAsiaLink</b>   |
| <b>出席同仁</b> | <b>擔任角色</b> | <b>題 目</b>   |
| 賴美祁         | Speaker     | Performance Evaluation of Dental Services for Special Needs in Taiwan  |
| <b>會議名稱</b> |             | <b>14<sup>th</sup> International Conference of the ERCIM WG on Computational and Methodological Statistics</b> |
| <b>出席同仁</b> | <b>擔任角色</b> | <b>題 目</b>   |
| 林資荃         | Speaker     | Mixture of multivariate t linear Mixed Models With Missing Information   |

### 三、藥品審查外審專家群培訓

為擴展臺灣醫藥品審查效能，2021 年查驗中心建置藥品審查外審專家群培訓，在現行查驗中心的審查能量外，建立具生技醫藥相關背景之外審專家群，促進臨床專業領域涵蓋範圍及深度，並有計劃的提供新藥審查與諮詢相關之法規科學 ( Regulatory Science ) 專業訓練，以培養具醫藥品研發所需法規科學知識與經驗之人才，從而協助審查藥品查驗登記相關案件。

#### (一) 訓練課程

外審專家群培訓課程採分階段方式進行，依個別專業領域進行教育訓練及審查實務訓練。

##### 1. 第一階段訓練—線上課程與線上案例討論會：

- (1) 培訓課程類別：臨床領域、藥品化學製造及管制 (CMC)、生物藥品製造及管制 (Bio CMC)、藥毒理 (Pharm/Tox)、藥動 (PK/PD)、統計 (Statistics)。
- (2) 線上案例討論會：針對完成初階培訓線上課程者，依不同案例及審查領域辦理案例討論會共 2 場、外審專家達 14 人次，會中由查驗中心資深審查員分享審查重點及實務案例，與外審專家就法規議題進行交流討論。

##### 2. 第二階段訓練—模擬審查訓練課程：

針對完成初階培訓線上課程與案例討論者，經查驗中心篩選適合之案件，由查驗中心資深審查員擔任指導員，完成審查報告撰寫，臨床醫師種子審查 6 人次。



## (二) 培訓人數

完成外部審查專家培訓 3 名。

受訓人員須通過各階段訓練，以整體評估其法規科學審查能力。未來參與實務審查訓練，並須遵循查驗中心之外聘委員保密及利益迴避規定，並於規定時限內提供審查意見及審查報告。

## 四、內部人員培訓

查驗中心審查人員除須具備審查領域之專業背景，如醫學、藥學、化學、生物、統計、法律、醫工、醫檢、公共衛生、藥物經濟學、食品科學、食品營養及相關生命科學等，尚需充實藥物審查法規相關領域之知識及經驗，並隨著法規科學之進步，與時俱進。人員之培訓首重專業知能之培養，因此查驗中心之人員知能訓練計有新進人員教育訓練、現職人員在職訓練，以及資深審查員培訓等三種訓練。此外，同時提供同仁在溝通技巧、策略規劃之能力等之共通性教育訓練。

### (一) 新進人員教育訓練

新人教育訓練工作，共分兩階段，第一階段為行政作業與各組業務簡介，採取面對面教學方式，內容包含人事規章，內部行政作業流程、各業務組部門架構及功能等。第二階段訓練採取線上教學方式，由查驗中心內部資深人員擔任講師，依專長領域分為藥品、醫材、及醫療科技評估三大類，分別就相關法規、作業流程、行政規章，與技術性資料審查考量，作概括性介紹與經驗承傳，新人訓練線上課程須於新進三個月內完成。



2021 年共延攬新進人員 51 名，包括醫學士 1 名、博士 9 名、碩士 38 名及學士 3 名，皆完成新人教育訓練課程。

## (二) 現職人員在職訓練

在職訓練部分，除參加查驗中心主辦之各種內部或對外公開之研討會與講習會外，並積極鼓勵與指派同仁參與外部國內與國際學術研討會，及法規科學訓練課程，內容涵蓋藥政法規、品質管制、生物製劑、銜接性試驗、藥物動力學 / 藥效學、生物統計、醫療器材、藥物經濟學、健康食品及特殊營養食品等審查業務相關課程。針對專業領域審查經驗的傳承與分享，則由業務組依各專業需求，安排定期案件或審查標準討論會，分享審查經驗及進行觀點交流，必要時邀請專家蒞臨指導；對特定新議題或新科學知識則規劃邀請外部專家作專題演講，以增進同仁在前瞻領域之知識。

2021 年查驗中心主辦之國內研討會或法規說明會共 69 場次，舉辦專業組別之專家會議、座談會、內部訓練會及對外演講等共 215 場次。

## (三) 資深審查員培訓

查驗中心長期與美國、歐盟、日本、加拿大等醫藥品法規單位，建良好互動關係，並藉此資源與管道，指派審查員到先進國家的法規單位，作短期的培訓與經驗交流。2021 年各項培訓內容詳述於章節「捌、國際交流與合作」之「二、赴重要國外單位受訓及參訪」。

## 捌、國際交流與合作

推動國際合作與交流可協助主管機關掌握國際法規最新趨勢，與協助廠商解決於國外進行查驗登記過程中，所面臨行政及技術上的要求或障礙。查驗中心積極參加及舉辦國際重要會議活動，與各國法規主管機關交流，促成我國與國外法規單位專家及產業專家之合作與互動，促進國際藥政法規交流發展及協和化，有卓越之貢獻。2021 年因 COVID-19 疫情影響，國際會議銳減，順利舉辦者多以線上會議方式辦理。2021 年查驗中心出席、參與及辦理之重要國際活動擇要說明如下。

### 一、參加重要國際法規會議及年會

#### (一) 藥物資訊年會 (DIA) 2021 年第 57 屆年會

藥物資訊協會為一世界性組織，創立於 1964 年，會員來自 80 多國的政府藥事法規單位、學研單位、生技醫藥研發公司、製藥公司、委託研究 (CRO) 公司、醫藥軟硬體設備業者，及相關醫藥組織團體等領域，會員人數達 1 萬 8 千多人。因應疫情關係，2021 DIA 會議取消原定 6 月 27 日至 7 月 1 日於美國費城舉辦之面對面會議，改為同時間以線上會議進行。DIA 大會並舉辦線上展覽，由各廠商申請線上攤位 (virtual booth)，並上傳展覽資料，供來訪攤位之來賓閱覽。

本中心所申請之線上攤位頁面如下：

查驗中心本年度參展主題為「臺灣臨床試驗環境及量能」，於參展代表封面圖中結合「臺灣臨床試驗資訊平台」網站 ([www.TaiwanClinicalTrials.TW](http://www.TaiwanClinicalTrials.TW)) 形象標題「TAIWAN CLINICAL TRIALS」，

The screenshot shows the DIA 2021 website interface. At the top, there is a navigation bar with links for Lobby, Agenda, Exhibit Showcase, Participants, and Posters. Below this, a secondary bar contains Networking and Information. The main content area features a video player titled '2021 Taiwan Your Clinical Trial Solution' with a 'View admin tools' button. The video player shows a slide with the text 'TAIWAN 2021 YOUR CLINICAL TRIAL SOLUTION' and logos for the Ministry of Health and Welfare, Taiwan Food and Drug Administration (TFDA), and the Center for Drug Evaluation. To the right of the video player is a sidebar with a 'Follow' button and a 'About' section. The 'About' section contains text describing the Center for Drug Evaluation (CDE) and its role in providing clinical trial information. Below the text are two buttons: 'Taiwan Clinical Trials' and 'Taiwan Food and Drug Administration'.

讓來訪賓客可以立即清楚了解此次參展主題，同時提升「臺灣臨床試驗資訊平台」網站於國際間之知名度。攤位網站亦有展示推廣影片「Taiwan Your Clinical Trial Solution」，將臺灣優勢、各家臨床試驗中心績效，及臺灣臨床試驗資訊平台網站資料等，製作成影片播放，宣傳國內臨床試驗量能。

## (二) 2021 ICH 工作小組 (Working Group) 視訊會議

國際藥品法規協和會 (International Conference on Harmonization, 以下簡稱 ICH) 乃是結合世界上三大製藥產業經濟體 (美國、歐盟、日本) 提出製藥法規協和化的要求之下因應而生。ICH 乃結合此三大區域之藥政主管機關代表，及新藥製藥國際性產業團體所成立之法規協和化

平台。ICH 為擴大其影響力至非 ICH 國家 / 區域，及解決其活動辦理之經費問題，於 2014 年開始討論在 SWISS LAW 之下成立 ICH 組織，並於 2015 年 10 月 23 日完成登記正式成立 ICH Association，全稱為 International Council for Harmonization of Technical Requirement for Pharmaceuticals for Human Use；我國於 2018 年成為正式會員。

查驗中心自 2016 年即參與 ICH 工作組，至今已參與 27 個工作組，計有 39 位同仁陸續投入，並於 16 個工作組擔任正代表。2021 年查驗中心同仁配合 ICH 工作組線上參與討論共計 332 人次，大會每半年辦理的面對面會議，因為受疫情影響改為以視訊會議方式進行，共計有 E2D(R1)、E11A、M12、M13、Q3E 工作組召開線上面對面會議，查驗中心由王竣鋒審查員、王亞蕾審查員、王藝琳審查員、楊詩盈小組長、張貽婷審查員、盧青佑副組長、莊秉澄小組長出席，參與指引討論提出臺灣的觀點及形成共識。

### (三) 出席 HTA 相關之國際會議

#### 1.21th Annual Meeting of HTAi、INAHTA Annual Meeting 2021

由於 COVID-19 疫情全球嚴峻，2021 年的國際醫療科技評估學會 (Health Technology Assessment International, HTAi) 年會及國際醫療科技評估組織聯盟 (The International Network of Agencies for Health Technology Assessment, INAHTA) 年會皆為線上舉行，由查驗中心黃莉茵組長代表參加。


HTAi 成立於 2003 年，是全球從事醫療科技評估 (Health Technology Assessment, HTA) 領域的重要學術與專業的組織。其組織成員包括所有的利害關係人，例如研究者、機構、決策者、產業、學術



團體、衛生醫療服務提供者、病友及消費者等，其扮演中立的論壇平台，藉由論壇大家分享相關資訊及專業知識。HTAi 的會員函括六大洲及超過 71 個國家，82 個組織和超過 2,500 多名個人會員的相關組織團體。

黃莉茵組長於 2021 年當選 HTAi 理監事會理事成員之一，亦獲選為 HTAi nomination committee member，可瞭解國際上醫療科技評估的最新發展與關注重點，也可參與規劃全球醫療科技評估發展方向及貢獻臺灣的經驗，拓展臺灣於亞洲醫療科技評估網絡發展。第 21 屆 HTAi annual meeting 會議主軸為「Innovation Through HTA」，面對新藥新科技的發展，例如：突破性 (disruptive) 技術，細胞、基因療法及精準治療等，決策者面臨的壓力不僅包括要滿足醫療系統的基本需求，也要提供創新的醫療服務以滿足民眾的期待，傳統的醫療科技評估該如何面對此挑戰？因此，此次大會相關議題包括：(1) HTA in a changing evidence eco-system；(2) Patient being at the Heart of the Innovation pathway；(3) Innovating HTA to support new interventions。黃莉茵組長受大會邀請，受邀擔任 HTAi panel: HTAi-ISPOR Task Force Principles for deliberative processes in health technology assessment 的與談人，分享我國的醫療科技評估經驗。

INAHTA 為一非營利性的國際聯盟，INAHTA 的會員函括超過 31 個國家，共有 49 個由國家經費支助的 HTA 組織參與，是一個非常活躍且具公部門代表的全球網絡組織。黃莉茵組長曾於 2016 年獲選擔任理監事會理事成員，任期 2 年；並於 2019 年 6 月再次當選，且同時擔任 HTA Database Steering Committee Meeting 的主席。因疫情關係，年會於 9 月 16 日至 21 日，每天 2 小時以線上會議方式舉行。黃莉茵組長除與其他同為非營利組織之 HTA 機構討論相關議題外，亦於 4 月 29 日與各國成員進行 HTA Database 相關議題進行討論，協助優化現有 INAHTA HTA Database 系統，相關作業也已發表於 HTAi 年會。



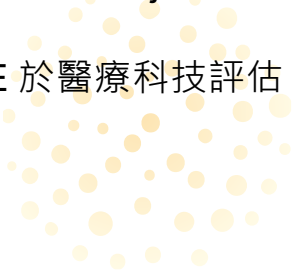
黃莉茵組長在 INAHTA 年會分享 CDE/HTA impact story，並於 40 幾個會員組織中，獲票選為前三名，且於 9 月 21 日會上進行報告及分享，相關訊息並已公布在 INAHTA 官方網站。藉由參與 HTAi 年會及出席 INAHTA 會議，可瞭解醫療科技評估於國際上的最新發展與關注重點，透過各國分享交流的藥物相對療效與經濟評估模式、病友參與、所面臨的問題與相對應的解決策略，可優化我國之醫療科技評估；藉由擔任相關研討會的講員及與談人，分享臺灣醫療科技評估經驗，提升臺灣醫療科技評估的能見度。



## 2. 第九屆 HTAsiaLink 線上年會

HTAsiaLink 已有來自亞洲地區 15 個國家、超過 20 個單位的參與，包括澳洲、不丹、中國、印尼、日本、哈薩克、馬來西亞、蒙古、紐西蘭、菲律賓、韓國、新加坡、臺灣、泰國和越南，英國國家健康與照顧卓越研究院 (The National Institute for Health and Care. Excellence, NICE) 為本組織的顧問單位。而 HTAsiaLink 目前除了定期舉辦年會，也持續辦理各項活動，以提升會員國 HTA 組織各方面的能力，並做為國際交流的平台。第九屆年會於 10 月 11 日至 13 日採線上舉辦，查驗中心由黃莉茵組長、謝斯婷小組長、陳騰立研究員、賴美祁研究員、柯靜華研究員、洪笛思研究員、劉宛凭研究員參與。有鑑於真實世界數據 (Real-World Data, RWD) 的收集、分析及使用，伴隨著許多相關議題，且醫療科技評估組織、臨床專家及學界對真實世界證據 (Real-World Evidence, RWE) 興趣日益增加，在全面健康照護覆蓋的願景下，需要讓更多利害關係人掌握 RWD/ RWE 在保險給付及決策的角色，年會本年度主題為「Global Health Technology Assessment (HTA) Bringing True Evidence to the UHC Benefit Adjustment」。

有關運用 RWD 及 RWE 於醫療科技評估，大會邀請來自加拿大、



臺灣、印尼及菲律賓的講者進行分享。另外，也討論到在 COVID-19 疫情之下 RWD 及 RWE 的使用，並邀請新加坡國立大學 Siobhan Botwright 及 Hannah Clapham 博士分享新加坡及泰國運用真實世界數據建立模型，以輔助 COVID-19 疫苗政策研擬的經驗。

查驗中心陳奎安研究員以 Patient Involvement in Health Technology Assessment: Experience of Taiwan 為題進行海報報告，說明病人參與在臺灣醫療科技評估的流程及方式；賴美祁研究員以 Performance Evaluation of Dental Services for Special Needs in Taiwan 為題進行口頭報告，說明利用臺灣全民健保資料庫及身心障礙資料檔分析目前牙醫服務用於特殊失能者的情形。

#### (四) 出席藥品、醫材相關之國際會議

##### 1. 4th Asia Partnership Conference of Regenerative Medicine (APACRM) 線上會議

APACRM 是由創新再生醫療論壇 Forum for Innovative Regenerative Medicine (FIRM) 每年固定舉辦的亞太區域再生醫療論壇，會議旨在邀請亞太各國討論再生醫療產業現況、發展趨勢、與各國法規協和。第四屆 APACRM 會議於 4 月 15 日以線上會議的形式舉行，會議邀請亞太各國專家、產業先進及法規代表一同出席參與，有來自印度、新加坡、中國、韓國、臺灣和日本以及亞洲其他國家（包括印尼、馬來西亞、緬甸、菲律賓、泰國和越南）的 50 名演講者 / 小組成員和 150 名觀眾參加會議。查驗中心何昆瑾審查員、黃豐淳資深 Bio CMC 審查員參與討論，提供臺灣再生醫療審查的經驗與觀點，與亞太其他國家的專家相互交流，了解此新興醫療領域之概況與相關政策及規定異同。



## **2. 2021 International Society for Cell and Gene Therapy (ISCT) 年度會議**

查驗中心湯依寧副主任於 5 月 26-28 日參與 ISCT 年度線上會議，ISCT 成立於 1992 年，為全球有關細胞 / 基因治療之最大型會議，參與會議助於了解細胞及基因研究的國際發展狀況，吸取先進國家的研究經驗，以建立國內相關臨床試驗以及產品上市的審查要點，並可協助國內廠商及學研界設計臨床試驗或臨床前試驗與建立品質系統時，提供法規管理方面的諮詢意見。

## **3. 2021 RAPS Annual Conference 視訊會議**

本次會議於 9 月 13~16 日以視訊會議方式進行，查驗中心由陳恒德特聘研究員代表參加。美國醫療法規協會 ( Regulatory Affairs Professional Society, RAPS ) 是全球最大法規科學協會，聚集產、官、學、研、病友此領域專家，討論最新生技產業相關法規科學，議題涵蓋醫材、生物製劑及藥品領域。本年度會議主題為「Charting New Strategies-Together」，來自全球 37 個國家 1500 多名參與者。與會者聽取了 300 多位專家演講者的發言，其中包括 50 多位來自國家和地區法規單位以及來自世界各地的認證機構，其中超過 25 名美國食品藥物管理局 (U.S. Food and Drug Administration ) 官員參加演講。透過本會議掌握歐美日疫情下法規因應趨勢、瞭解國際合作趨勢將簡化 GCP 查核，Real World Evidence 發展趨勢，與瞭解美日「Harmonization by Doing, HBD」計畫等議題，促進臺灣與國際接軌。

## **4. 受邀於 14th International Conference of the ERCIM WG on Computational and Methodological Statistics (CMStatistics 2021) 演講**

International Conference of the ERCIM WG on Computational and Methodological Statistics 由兩大知名統計期刊 Econometrics and




Statistics (EcoSta) 與 Computational statistics and Data Analysis (CSDA) 主要贊助，由 MStatistics、King's Business School 和 King's 數學系所主辦，本次會議因受到疫情影響，於 12 月 18 日至 20 日以視訊會議方式進行。討論議題包括「Bayesian statistics」、「Advances In Longitudinal Data Modelling」、「Contributions In Applied Machine Learning」與「Non-regular statistical modeling with complete and incomplete data」等主題，分別就新的統計方法學進行不同觀點的討論與交流。查驗中心林資荃資深統計審查員受邀擔任會議講員，講題為 Mixture of multivariate t linear Mixed Models With Missing Information，演講內容與修訂中 ICH E9 (R1) 的內容相關。透過演講除與國際交流外，也發表查驗中心研究成果，展現查驗中心在統計方面之審查專業及能量。

## 二、赴重要國外單位受訓及參訪

### (一) Centre for Innovation Regulatory Science (CIRS)

國際法規科學創新研究中心 CIRS 以中立非營利組織角色辦理會議，主要期望協調藥物主管機關和 HTA 機構、產業界及學術界之間的分歧與促進協同合作，並對問題提出解決建議。研討會於 3 月 10 日至 11 日於線上舉辦，主題為 Regulatory, HTA and Payer Interactions and Collaborations: Optimising their Use and Outcome Success，查驗中心由黃莉茵組長、謝斯婷小組長、陳騰立研究員、廖唯甄研究員、劉依晨研究員參加。

另於 6 月 24 日至 25 日以主題 Digital Technologies – Enabling evidence generation in clinical development for regulatory and



reimbursement decisions - How are the regulatory and HTA landscapes adapting? 進行討論，查驗中心由黃莉茵組長、謝斯婷小組長、陳鷹立研究員參加，會中透過案例研究，確定利益相關者之間達成有效互動和合作的關鍵、類型以及挑戰；並了解透過互動和合作，如何解決分歧和限制，改善決策品質。經由國際交流與分享中，學習其他國家的解決方案，增進實證證據的產生及改善評估結果。

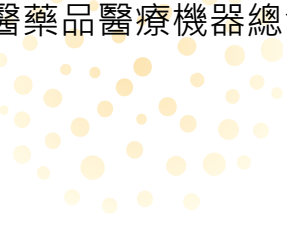


## (二) 2021 年 Role of Quality in Pharmaceuticals, MHLW/ PMDA-USP Joint Workshop

查驗中心張凱琳資深 CMC 審查員線上參與 6 月 16 日至 17 日由日本厚生勞動省 (Ministry of Health, Labor and Welfare, MHLW) 及醫藥品醫療機器總合機構 (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, PMDA) 與美國藥典委員會 (United States Pharmacopeial Convention, USP) 共同合作舉辦之「医薬品に果たす品質の役割」に関する米国薬局方 ( USP ) -MHLW/PMDA 共同ワークショップ Joint MHLW/ PMDA-USP Workshop “Role of Quality in Pharmaceuticals 會議，本次主旨為因應 COVID-19 疫情危機，討論如何應對藥品供應鏈短缺、藥品原料藥、製劑、藥品包裝等規格標準化等議題，並納入 ICH 近期討論之連續製造、分析方法確效、不純物檢驗等，鼓勵業界與主管機關共同研究合適的對應方式。

## (三) PMDA-ATC & U.S.FDA Pediatric Review Webinar 2021

查驗中心王竣鋒審查員、楊哲宇審查員、陳奕光審查員共同線上參與 9 月 21 日至 24 日由日本醫藥品醫療機器總合機構 (Pharmaceuticals

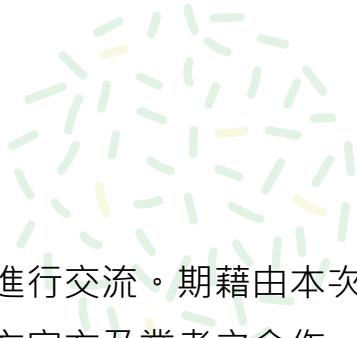


and Medical Devices Agency, PMDA) 與美國藥物管理局 (Food and Drug Administration of the United States, U.S. FDA) 共同舉辦之「PMDA-ATC & U.S.FDA Pediatric Review Webinar 2021」，在為期四天的網絡研討會中，透過會前自學課程、線上會議，以及小組模擬案例討論報告之方式，讓與會者能了解當前日本、美國和歐盟對兒童藥物發展的法規指南，以及研發實踐相關議題的看法與建議。本次課程中，其他國家的審查員分享了如何從成人及有限的兒童資料，外推療效與安全性到兒童適應症族群。另外，經由小組討論，使各國的審查員間得以分享不同國家的審查經驗。利於未來處理兒童新藥及新適應症的申請時，能接軌國際最新觀點，使具有臨床療效及安全性的藥物可及早應用於我國兒童病人。

### 三、舉辦大型國際研討會

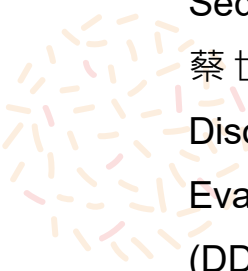
#### (一) 第九屆台日醫藥交流會議

第九屆台日醫藥交流會議由臺灣主辦，因應 COVID-19 疫情，訂於 10 月 14 日辦理線上會議，會議提供中文與日文雙語同步口譯，中文會議室最高上線人數 349 人，日文會議室最高上線人數 289 人，線上共計 638 人參加。會議由台日雙方代表分享藥物法規進展與趨勢、COVID-19 疫情之下臺灣臨床試驗申請案的數量變化及維護受試者者參與臨床試驗的權益及安全性相關措施、日本在加速疫苗開發及臨床試驗的作法、罕見疾病藥物查驗登記相關規範、臺灣健保鼓勵新藥給付強化策略、日本新藥定價系統、臺灣新醫療器材管理法說明、日本醫療器材軟體 (Software as a Medical Device, SaMD) 審查之法規觀點、臺灣施行醫療器材單一識別系統 (Unique Device Identifier, UDI) 進展、與日本

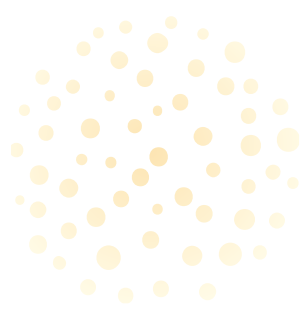



對基因定序技術產品的法規措施等議題進行交流。期藉由本次會議，促進雙方法規資訊之交流及瞭解，強化雙方官方及業者之合作，強化國際接軌，協助業者布局國際市場，保障民眾健康福祉。

## (二) 2021 醫療科技評估應用於精準健康之國際經驗分享研討會



查驗中心 11 月 5 日線上辦理「2021 醫療科技評估應用於精準健康之國際經驗分享研討會」，邀請加拿大多倫多大學的 Wendy J. Ungar 教授線上介紹 **Economic Evaluation of Exome and Genome Sequencing in Child Health**，國家衛生研究院分子與基因醫學研究所蔡世峯特聘研究員介紹 **Genomic Medicine of Neurodevelopmental Disorders in Taiwan**，以及由查驗中心張慧如小組長說明 **Economic Evaluation of Exome and Genome Sequencing in development delay (DD) and intelligence disability (ID)-A pilot study**，線上參加人數約 220 人。會議中討論次世代基因檢測應用於小兒健康的經濟評估方法的觀點及方法，臺灣目前在神經發育疾病的基因體學研究近況，並發表查驗中心的一項先導研究，針對發育遲緩和智力障礙外顯子和基因組測序的經濟評估，與各界交流醫療科技評估應用於精準健康的方法與觀點。





## 2021 大事紀

- 
- 2021.01.15 召開第八屆第六次董事會
- 
- 2021.01.22 辦理「細胞治療技術常見缺失研討會」
- 
- 2021.01.28 辦理「細胞治療技術製程中使用生物性原料之病毒安全性評估」專家座談會
- 
- 2021.02.01 辦理「臺灣臨床試驗主持人資料庫 Taiwan Principal Investigator Database(TPIDB)」說明會
- 
- 2021.03.10 辦理「如何進行法規科學諮詢輔導之有效溝通」法人座談會
- 
- 2021.03.17 召開第八屆第七次董事會
- 
- 2021.03.26 辦理「基因修飾細胞治療產品之上市法規途徑解析」座談會
- 
- 2021.03.31 辦理「以臨床試驗為目的之醫療器材臨床前審查經驗分享及常見問題」座談會
- 
- 2021.04.09 辦理「突破智慧醫療影像醫學推向市場之法規科學關鍵決戰點座談會」
- 
- 2021.04.22 辦理健康食品審議小組全體委員共識會議
- 
- 2021.04.23 辦理「c-IRB 主審共識會議」
- 
- 2021.04.28 辦理 110 年度醫療科技評估產官學會議
- 
- 2021.05.06 辦理 110 年度健康食品查驗登記法規暨常見缺失宣導溝通說明會(北部場)
- 
- 2021.05.07 辦理食藥署智慧醫材專案辦公室啟動典禮
-

|               |  |
|---------------|--|
| 2021.05.07    | 辦理 110 年產官學會議 ( 藥品類 )                                  |
| 2021.05.11    | 辦理食藥署智慧醫材專案辦公室輔導機制說明會                                  |
| 2021.05.12    | 辦理特定疾病配方食品審議小組全體委員共識會議                                 |
| 2021.05.13    | 辦理「真實世界證據的研究設計 - 務實性臨床試驗的考量重點」教育訓練                     |
| 2021.05.17    | 辦理「以實證為基礎的決策模式—應用 HTA 協助衛生福利政策工作坊」                     |
| 2021.05.17    | 辦理「 mRNA 及 siRNA 藥物開發審查經驗分享座談會」                        |
| 2021.05.18    | 召開第八屆第八次董事會  |
| 2021.05.21    | 辦理「製程中使用生物性原物料之研發策略指導原則」法規交流座談會                        |
| 2021.05.28    | 辦理「Trastuzumab 生物相似性藥品之臨床研發策略指導原則」法規交流座談會              |
| 2021.06.02~03 | 參加 ICH Assembly Virtual Meeting                        |
| 2021.06.07~08 | 參加 IPRP Management Committee Virtual Meeting           |
| 2021.06.18    | 臺灣臨床試驗主持人資料庫 (TPIDB) 說明會                               |
| 2021.07.01    | 辦理「從新興科技看醫療產品法規趨勢 - 智慧醫療產品管理規範」座談會                     |
| 2021.07.06    | 辦理 110 年度臨床試驗中心合作平台第一次會議：「 COVID-19 對於臨床試驗執行實務之影響」專題討論 |
| 2021.07.12    | 辦理 110 年度健康食品之牙齒保健功能評估方法專家共識會議                         |

- 
- 2021.07.13 辦理 110 年度臨床試驗中心合作平台第二次會議：「提升臨床試驗國際競爭力」專題討論
- 
- 2021.07.16 召開第八屆第九次董事會
- 
- 2021.08.04 辦理「110 年度國內資通訊業者及醫療機構媒合交流座談會」
- 
- 2021.08.09 辦理「運用微脂粒技術包覆藥物之產品開發與審查經驗分享座談會」
- 
- 2021.08.13 辦理「真實世界資料分析與解讀 - 於財務影響推估之應用」課程
- 
- 2021.08.17 辦理「110 年度健康食品之牙齒保健功能評估方法」第二次專家共識會議
- 
- 2021.08.17 辦理「財務影響推估概論」課程
- 
- 2021.08.26 辦理健康食品審議小組「調節血脂」分組委員共識會
- 
- 2021.09.01 辦理「藥物經濟模型建構」課程
- 
- 2021.09.03 辦理「政策 HTA- 方法學研討會」
- 
- 2021.09.03 辦理「110 年度細胞治療計畫作業說明會 - 行政部分」
- 
- 2021.09.03 辦理「110 年度推動臨床試驗發展計畫」第二次例行會議
- 
- 2021.09.08 辦理「110 年改善醫療器材查驗登記送件品質工作坊 ( 第一場 ) 」
- 
- 2021.09.09 辦理「110 年度細胞治療計畫作業說明會 - 臨床部分」
- 
- 2021.09.09 辦理「真實世界數據 - 關聯性與可靠性之評估考量」教育訓練
- 
- 2021.09.13 辦理「110 年醫療器材臨床試驗 GCP 教育訓練課程」
-

|            |  |
|------------|--|
| 2021.09.14 | 辦理「2021 年 c-IRB 機制精進研討會」   |
| 2021.09.17 | 辦理「2021 藥物開發之關鍵臨床計畫國際研討會 (2021 Conference of Critical Clinical Initiatives in Drug Development)」 |
| 2021.09.23 | 辦理「110 年度細胞治療計畫作業說明會 -Bio 部分」  |
| 2021.09.24 | 辦理「110 年度健康食品查驗登記法規暨常見缺失宣導溝通說明會 (第 2 場)」   |
| 2021.09.24 | 辦理「第二期臨床試驗設計與分析訓練課程」   |
| 2021.09.28 | 辦理「110 年第二次產官學會議 (藥品類)」  |
| 2021.09.28 | 辦理「110 年度健康食品之牙齒保健功能評估方法」第三次專家共識會議   |
| 2021.09.29 | 辦理「110 年度健康食品查驗登記法規暨常見缺失宣導溝通說明會 (第 3 場)」   |
| 2021.09.29 | 辦理「愛滋病治療藥品之臨床研發策略指導原則」專家會議   |
| 2021.09.30 | 辦理「健康食品之輔助調節血壓功能評估方法修正草案」說明會   |
| 2021.10.01 | 辦理「110 年改善醫療器材查驗登記送件品質工作坊 (台中場)」   |
| 2021.10.01 | 辦理「臨床試驗 multiplicity 之統計考量與應用」專家會議   |
| 2021.10.04 | 辦理「新南向推動：東南亞醫療器材上市調查」深度訪談會議  |
| 2021.10.05 | 辦理「110 年度國內資通訊業者及醫療機構媒合交流座談會 (第二場)」  |

- 
- 2021.10.06 辦理「診斷性造影劑臨床研發策略指導原則」專家會議
- 
- 2021.10.07 辦理「溶離率曲線比對試驗報告廠商自評報告撰寫訓練課程」
- 
- 2021.10.12 辦理「從新興科技看醫療產品法規趨勢 -IVD/ 材料管理規範」  
小型法規科學座談會
- 
- 2021.10.14~15 食藥署與查驗中心以及日本 MHLW/PMDA 合作主辦第九屆台  
日醫藥交流會議（視訊會議）
- 
- 2021.10.19 辦理「2021 年 ICH E17 指引產業教育訓練視訊課程」
- 
- 2021.10.21 辦理「中央研究院生醫創新商轉加值法規生態環境建構教育  
訓練課程」：新藥開發的法規科學概述—審查原則與實務、  
新藥早期臨床試驗法規科學與審查重點
- 
- 2021.10.25 辦理「學名藥查驗登記 RTF 審查說明（初階）」
- 
- 2021.10.25 辦理「學名藥相關法規說明與審查範例（初階）」
- 
- 2021.10.26 辦理「ICH S8 產業教育訓練」
- 
- 2021.10.27 辦理「原料藥查驗登記審查重點及常見缺失（進階）」
- 
- 2021.10.28 辦理「原料藥上市後變更審查重點與常見缺失（進階）」
- 
- 2021.10.28 接受經濟部研究機構管理制度追蹤評鑑實地審查
- 
- 2021.11.02 辦理「2021 年 ICH Q5A、B、D 產業教育訓練」
- 
- 2021.11.04 辦理「110 年度特定疾病配方食品查驗登記業者說明會」
- 
- 2021.11.05 辦理「特定疾病配方食品查驗登記及申請文件之準備重點訓  
練課程」
-

|            |   |
|------------|---|
| 2021.11.05 | 辦理「醫療科技評估應用於精準健康之國際經驗分享研討會」   |
| 2021.11.09 | 辦理「2021 年 ICH Q5C、Q5E 產業教育訓練」   |
| 2021.11.09 | 辦理「110 年度健康食品之牙齒保健功能評估方法」第四次專家共識會議  |
| 2021.11.10 | 辦理「110 年細胞及基因治療製劑法規業界說明會」   |
| 2021.11.12 | 辦理「人工智慧醫療器材之產品屬性及審查相關指引草案專家業者座談會」   |
| 2021.11.16 | 辦理「醫療用精準定位及植入式產品需考量之法規科學 - 案例分析」小型法規科學座談會   |
| 2021.11.18 | 辦理「110 年醫療器材臨床試驗 GCP 教育訓練課程 (第 2 場)」  |
| 2021.11.23 | 辦理「110 年度食品藥物管理署智慧醫療器材輔導成果發表會」  |
| 2021.11.23 | 辦理「中央研究院生醫創新商轉增值法規生態環境建構教育訓練課程」：ICH Q5C- Quality of Biotechnological Products: Stability Testing of Biotechnological/Biological Products、ICH Q5E- Comparability of Biotechnological/Biological Products Subject to Changes in their Manufacturing Process |
| 2021.11.24 | 辦理「110 年度醫療器材臨床前測試基準 (草案) 說明會暨醫療器材上市前審查教育訓練」  |
| 2021.12.14 | 辦理「中央研究院生醫創新商轉增值法規生態環境建構教育訓練課程」：WHO: Evaluation of the quality, safety and efficacy of RNA-based prophylactic vaccines for infectious diseases: regulatory considerations (CMC part)、siRNA 及 mRNA 藥物開發之藥毒理法規考量與案例分享                                       |

- 
- 2021.12.15 辦理「新興醫療科技與衛生福利政策效益評估研究」計畫成果發表會
- 
- 2021.12.28 辦理「中央研究院生醫創新商轉加值法規生態環境建構教育訓練課程」：美國 IND 送件經驗
- 
- 2021.12.29 辦理健康食品審議小組「行政管理」分組委員共識會議
-



財團法人醫藥品查驗中心  
Center for Drug Evaluation, Taiwan

台北市南港區11557忠孝東路六段465號3樓

Tel: 886-2-8170-6000

Fax: 886-2-8170-6001、886-2-8170-6002



<http://www.cde.org.tw>