

Health
Technology

Regulatory
Science

Medical
Products

Biotech

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

2022

年報

2022 CDE
年報

董事長的話	9
執行長的話	10
總編輯的話	11
壹、中心簡介	12
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	18
貳、特別企劃 — 前瞻性評估於健保新藥預算預估之應用	19
參、審查與評估業務	25
一、藥品技術性資料評估	25
(一) 作業流程說明	25
(二) 藥品上市前之查驗登記評估	26
1. 新藥查驗登記評估	27
2. 學名藥查驗登記評估	33
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	35
4. 原料藥之技術性資料評估	36
(三) 上市後藥品變更登記	38
1. 處方藥之適應症、用法用量變更	38
2. 處方藥之其他變更類別	39
3. 符合指示藥品審查基準藥品之變更	39
(四) 國產藥品許可證展延變更	39
(五) 具有重大公共衛生意義的案件	40
二、醫療器材技術性資料評估	51
(一) 上市前查驗登記之技術性資料評估	51

(二)	國內已公告「醫療器材臨床前測試基準」品項之申請案評估	51
(三)	查驗登記用臨床試驗器材之安全性和有效性評估	51
(四)	學術研究用臨床試驗器材之安全性評估	52
三、	食品查驗登記技術性資料評估	52
(一)	健康食品查驗登記技術性資料評估	52
1.	作業流程說明	52
2.	健康食品上市前之查驗登記評估	54
3.	上市後健康食品展延變更登記	55
(二)	特殊營養食品查驗登記技術性資料評估	55
1.	作業流程說明	55
2.	特殊營養食品上市前之查驗登記評估	55
3.	上市後特殊營養食品展延變更登記	56
四、	醫藥科技評估	56
(一)	新藥 HTA 評估報告	56
(二)	促進病友參與醫療科技評估	59
(三)	進行衛生政策健康科技評估及實證研究	60
(四)	優化健保給付機制提升精準醫療運用	63
(五)	促進健保資源有效分配	66
五、	細胞治療技術施行計畫審查	68
(一)	受理細胞治療技術施行計畫審查案	69
(二)	衛生福利部核定細胞治療技術施行計畫	71
肆、	諮詢輔導業務	77
一、	一般諮詢服務	77
(一)	藥品一般諮詢服務	78
(二)	醫療器材一般諮詢服務	79
(三)	健康食品諮詢服務	82
(四)	特殊營養食品諮詢服務	84
(五)	醫藥科技評估諮詢服務	85

(六) 細胞治療技術施行計畫諮詢服務	86
二、指標案件法規科學諮詢輔導	86
(一) 藥品指標案件法規科學諮詢輔導	86
(二) 醫療器材指標案件法規科學諮詢輔導	93
三、付費諮詢服務	95
(一) 藥品付費諮詢服務	95
(二) 細胞治療技術付費諮詢服務	98
(三) 醫療科技評估付費諮詢服務	98
(四) 醫療器材付費諮詢服務	99
四、辦理政府部門醫藥領域相關研究計畫案法規科學評估	100
(一) 進行科技部 / 國科會、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	100
(二) 經濟部醫藥品研發相關科專計畫之法規評估	102
伍、法規研擬	104
陸、審查業務品質管理	106
柒、厚植法規科學人才	108
一、受邀擔任外部研討活動講師	108
二、受邀於國際會議演講、擔任主持人及論文發表	110
三、內部人員培訓	111
四、外部人才培訓	113
捌、國際交流與合作	121
一、參加重要國際法規會議及年會	121
二、赴重要國外單位受訓及參訪	126
三、舉辦大型國際研討會	130
2022 大事紀	132

表目錄

表 1、2022 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	28
表 2、2022 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	29
表 3、2022 年完成審查 First in Human 一般程序 (non-CTN) 臨床試驗計畫藥品分類	29
表 4、2022 年完成查驗登記評估之新藥依 ATC 分類前三大類之藥品	32
表 5、2022 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	35
表 6、2022 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	37
表 7、2022 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	71
表 8、2022 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	101
表 9、2022 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)	102
表 10、2022 年查驗中心同仁受邀演講場次部分列表	108
表 11、2022 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	110
表 12、2022 年 CDE 學苑課程辦理總表	118

圖 1、查驗中心組織架構圖	15
圖 2、查驗中心各組處人員數統計圖	16
圖 3、查驗中心員工學歷統計圖	16
圖 4、查驗中心各組處員工學歷統計圖	17
圖 5、查驗中心具專科醫師者之專科分布統計圖	17
圖 6、我國健保 HS 平台登錄欄位項目	22
圖 7、健保新藥年度新藥預算編列架構	22
圖 8、藥品技術性資料評估作業流程	25
圖 9、2022 年新藥查驗登記退件評估結果	31
圖 10、2022 年完成新藥查驗登記審查新案 (以案件類別統計)	32
圖 11、2022 年學名藥查驗登記退件評估結果	34
圖 12、2022 年原料藥查驗登記退件評估結果	36
圖 13、2022 年原料藥主檔案退件評估結果	37
圖 14、健康食品查驗登記案件審查作業流程	53
圖 15、健保新藥收載建議案醫藥科技評估作業流程	57
圖 16、細胞治療技術施行計畫審查流程圖	69
圖 17、2022 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)	70
圖 18、2022 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)	71

圖 19、2022 年藥品一般諮詢服務 (以申請者類別區分)	78
圖 20、2022 年藥品一般諮詢服務 (以藥品類別區分)	79
圖 21、2022 年醫療器材一般諮詢服務 (以申請者類別區分)	80
圖 22、2022 年醫療器材一般諮詢服務 (以案件類別區分)	80
圖 23、2022 年醫療器材法規諮詢專線件數 (以案件類別區分)	81
圖 24、2022 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)	82
圖 25、2022 年健康食品線上諮詢服務 (以案件類別區分)	83
圖 26、2022 年健康食品電話及電子郵件諮詢服務 (以案件類別區分)	84
圖 27、2022 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)	85
圖 28、2022 年藥品指標案件 (以研發期程分析)	87
圖 29、2022 年藥品指標案件 (以藥品類別區分)	87
圖 30、2022 年藥品指標案件 (以申請者類別區分)	88
圖 31、2022 年醫療器材指標案件 (以研發階段區分)	93
圖 32、2022 年醫療器材指標案件 (以產品等級區分)	93
圖 33、2022 年藥品付費諮詢案 (以案件類別區分)	96
圖 34、2022 年藥品付費諮詢案 (以藥品類別區分)	97
圖 35、2022 年藥品付費諮詢案 (以申請者類別區分)	97

董事長的話

查驗中心成立以來，以積極的態度辦理各項任務，充分展現專業能力，成為政府仰賴的幕僚。2022年執行衛福部、經濟部、食藥署、健保署、國健署所交付的計畫與業務，各項業務的執行成果除了達到 KPI 要求之外，查驗中心也主動思考如何將各項業務之效率與效能提升。

查驗中心在 2022 年除完成政府交付任務外，亦積極提供多元的諮詢輔導服務，付費諮詢輔導服務範圍已全面開展，輔導對象包含新藥、學名藥、醫療器材與醫藥科技評估。

在科技進步神速的時代，期許查驗中心以積極創新的精神，跳脫框架的思考，來因應各項困難與挑戰！

董事長 吳秀梅

2023 年 9 月

執行長的話

臺灣在 2022 年因為傳播力極高的 Omicron 變異株成為主流株，迎來疫情高峰，確診人數迅速攀升。查驗中心因應緊急公共衛生需求，主動積極提供國內外廠商對於 COVID-19 藥品研發各階段所需法規科學產品評估，進行高效率滾動式技術性資料審查。並與申請者、相關領域專家及食品藥物管理署密切溝通審查議題及研議法規要求，讓國人及早使用安全有效之藥品及疫苗。

在協助產業發展方面，經查驗中心輔導之藥品與醫療器材案件有多項榮獲 2022 國家藥物科技研究發展獎；為協助國內業者開發學名藥，查驗中心亦持續研擬學名藥生體相等性試驗指導原則。

在健康食品方面，持續協助修訂功效評估方法，刪除動物試驗，以人體食用研究為主，獲得動保團體高度肯定。

在國際合作方面，查驗中心亦持續爭取擔任國際醫藥科技評估網絡組織要員，由黃莉茵組長擔任 HTAi 理監事、陳鷹立研究員擔任 HTAsialink 理監事，藉此展現臺灣之專業能力並提升國際能見度。

查驗中心以穩健的腳步，在團隊合作之下，各項工作將持續精進。

執行長 林時宜

2023 年 9 月

總編輯的話

查驗中心 2022 年報「特別企劃」章節以「前瞻性評估於健保新藥預算預估之應用」為主題，介紹其緣由、架構與歷程。期望透過前瞻性評估機制，對仍在發展中的新藥進行資料蒐集分析，作為財務衝擊的早期預警。查驗中心自 2017 年開始針對前瞻性評估進行研究，並已利用前瞻性評估登錄資料協助健保署完成 2022 年及 2023 年之健保新藥年度預算推估，期待未來能建立新藥預算及新給付範圍預算編列之永續模式。

全球自 2019 年年末開始面臨新冠肺炎 (COVID-19) 疫情威脅，2022 年國內外防疫措施逐步放寬，各項法規科學人才培訓活動亦日趨活絡。除依計畫辦理之各項研討會與說明會之外，CDE 學苑提供多元之訓練課程，查驗中心並積極辦理學生實習、醫療科技評估挑戰營、培訓外審專家及提供專科醫師臨床試驗審查與諮詢相關之法規科學專業訓練等活動。

查驗中心各項工作在同仁的努力之下達成計畫目標，於年報呈現成果。

總編輯 徐麗娟

2023 年 9 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。

查驗中心成立以來在技術性審查方面不斷學習成長、精益求精，持續發揮專業知識並進一步將其轉化為輔導能量，亦在政府的託付之下發展醫藥科技評估業務。查驗中心作為政府的重要幕僚，業務範圍逐步擴展，至今包括藥品、醫療器材、健康食品、特殊營養食品之技術性資料評估，細胞治療技術施行計畫審查，醫藥科技評估，並提供前述業務之諮詢輔導服務。

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)

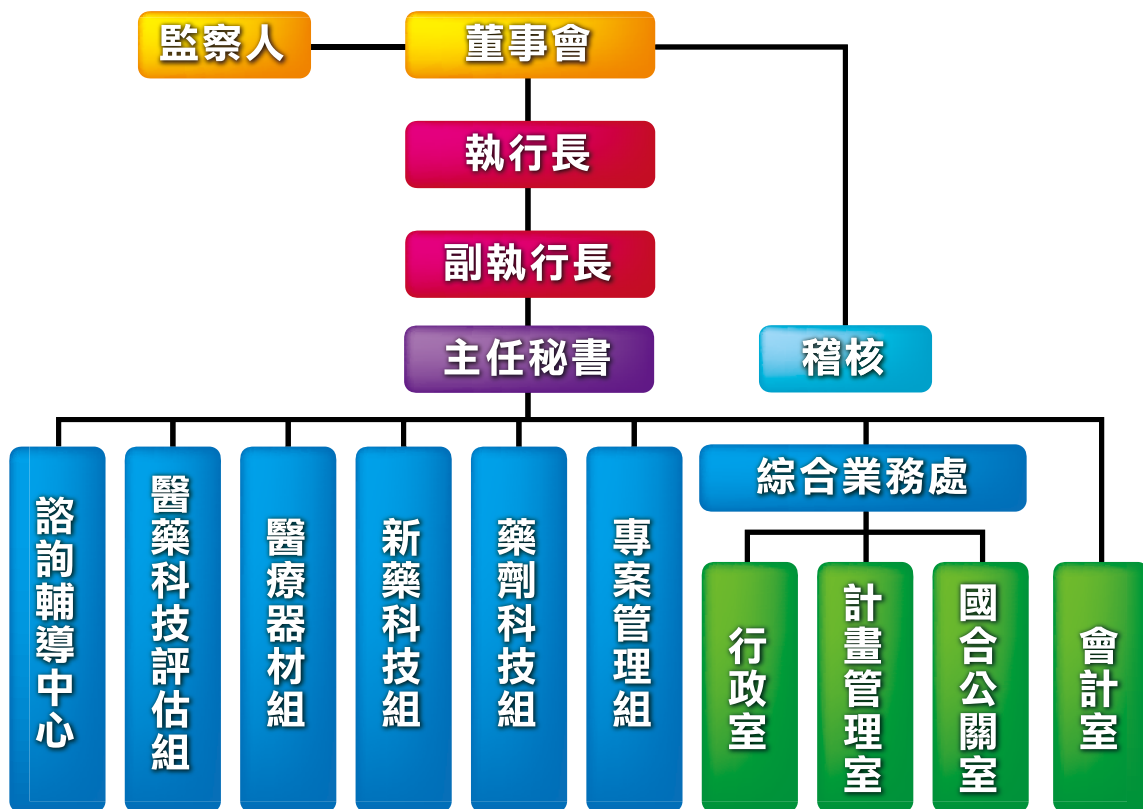


圖 1、查驗中心組織架構圖

(二) 人力配置

至 2022 年 12 月 31 日，查驗中心人員數計有 313 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 19.2%）；醫藥科技評估組次之，為 53 人（占全中心人員數 16.9%）。

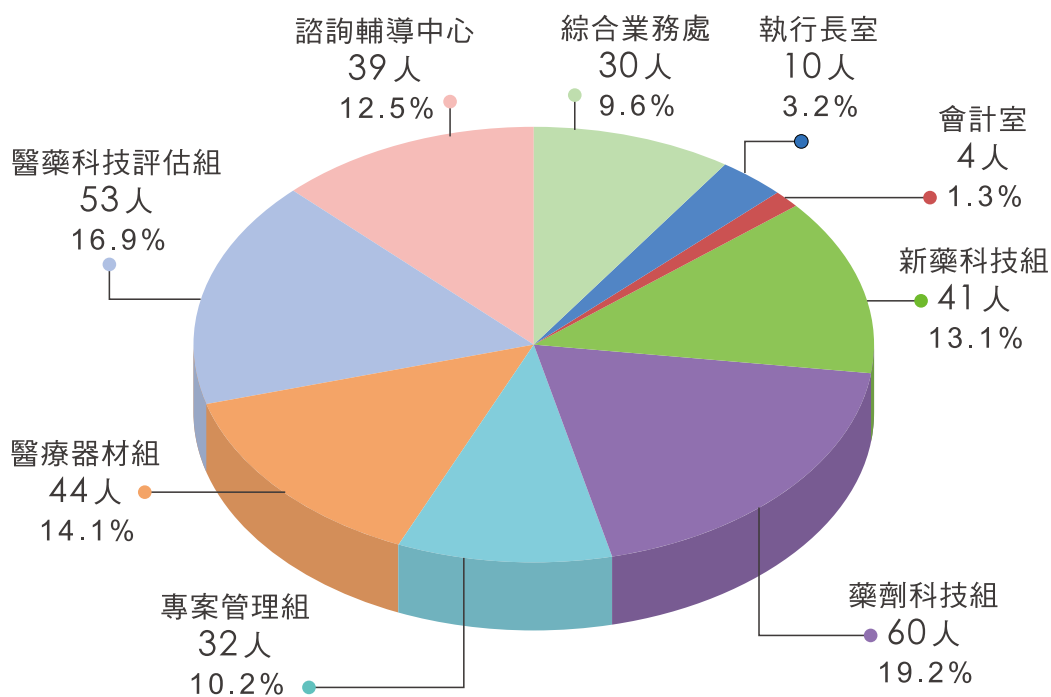


圖 2、查驗中心各組處人員數統計圖 (統計日期：2022 年 12 月 31 日)

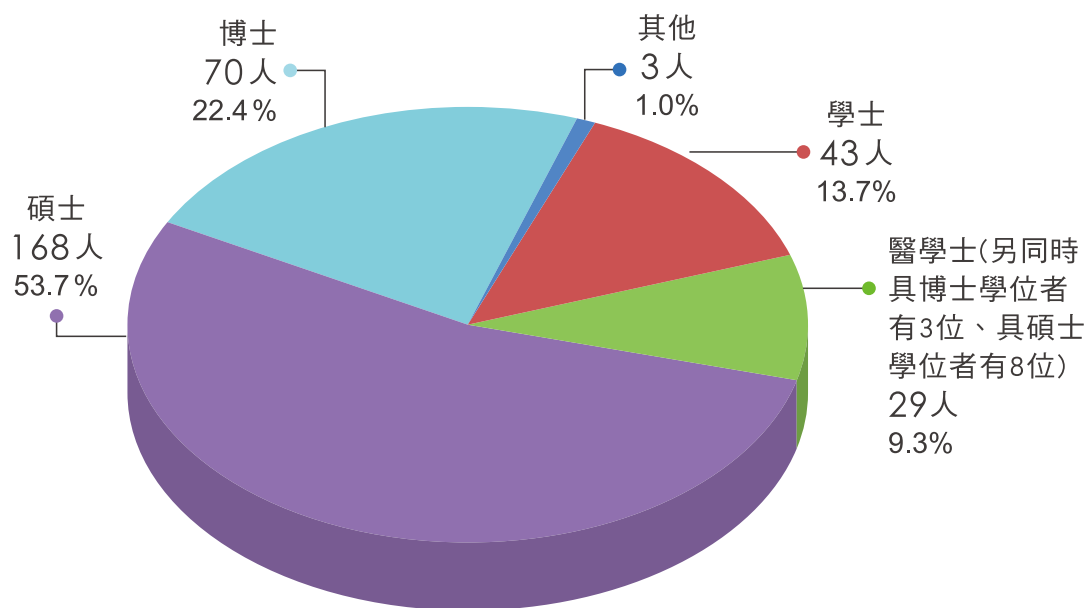


圖 3、查驗中心員工學歷統計圖 (統計日期：2022 年 12 月 31 日)

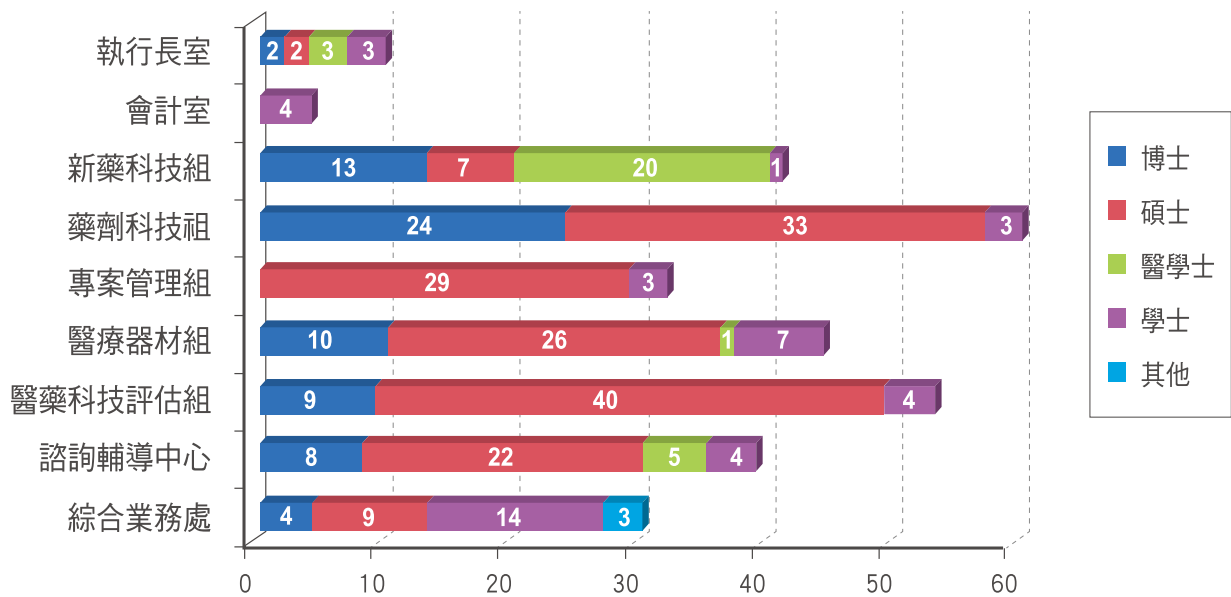


圖 4、查驗中心各組處員工學歷統計圖 (統計日期：2022 年 12 月 31 日)

在 313 位同仁中，有 29 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 8 位)，分別列屬於執行長室 3 人、新藥科技組 20 人、醫療器材組 1 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 9 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 4 位，次專科包含：腎臟科、胸腔暨重症學科；家庭醫學科專科醫師有 3 位；復健科 2 位；外科、婦產科、麻醉科、精神科、核子醫學科各有 1 位。

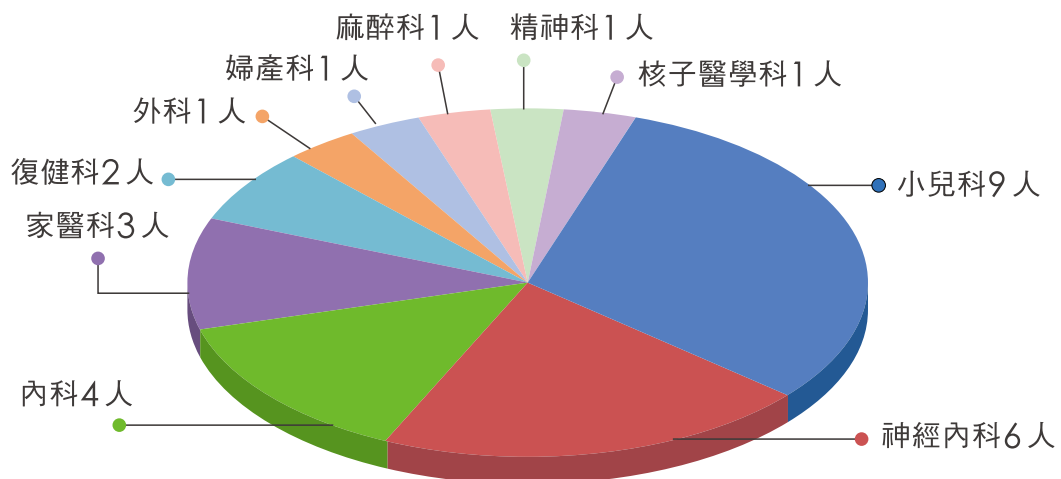


圖 5、查驗中心具專科醫師者之專科分布統計圖 (統計日期：2022 年 12 月 31 日)

(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主要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。2022年查驗中心總計決算收入為新台幣 493,713,183 元，其中 452,950,502 元來自於 27 項之政府計畫。27 項計畫中共有 9 項屬補捐助計畫，總經費新台幣 209,048,506 元，占全年度經費的 42.34%；18 項屬公開招標之委辦計畫，總經費新台幣 243,901,996 元，占全年度經費的 49.40%。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 31.29%；來自衛生福利部之 13 項計畫，則占總經費的 42.17%。

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 37,019,712 元、自辦講習課程收入 2,724,672 元，總計 39,744,384 元。

貳、特別企劃

前瞻性評估於健保新藥預算預估之應用

緣起

查驗中心醫藥科技評估組（以下簡稱查驗中心 HTA 組）於 2008 年成立以來，除協助辦理藥品、醫材及醫療服務納入全民健康保險（以下簡稱健保）之醫療科技評估工作，亦協助相關衛生主管機關與決策單位進行衛生福利政策之規劃與評估研究。台灣對於醫藥科技評估的方法學部分，已日趨成熟，然而一項產品或科技可以在不同的時機點以該方法被評估，包括上市前期評估、保險收載時評估及收載使用後的再評估等。因此，在醫藥科技評估領域中，對於那些仍在開發階段或接近上市之新醫療科技，若能主動察覺其可能的有效性、安全性及對於未來納入健保體系後可能對於我國醫療體系所帶來之財務影響同等重要。爰此，查驗中心 HTA 組自 2017 年積極參與和了解國際間各國前瞻性評估方法及運用，並藉由問卷，了解國際官方醫藥科技評估網絡組織（International Network of Agencies for Health Technology Assessment, INAHTA）會員在其國家前瞻性評估（Horizon Scanning, 以下簡稱 HS）執行現況及經驗，該次問卷收到各國熱烈迴響，我們共收集到數十筆各國（包括歐洲、南美洲、美洲及亞洲等國家）執行 HS 經驗回饋及資料，其中，多數國家對於前瞻性評估報告行之有年，於架構上也趨成熟，足以我國借鏡。

為協助主管機關評估 HS 機制導入健保之可行性與規劃方向，查驗中心於 2017 年之前瞻性評估研究，主要著重蒐集與統整各國醫藥科技評估組織

之相關經驗，並參考歐洲科技偵測國際網絡中心 (EuroScan International Network) 以及美國醫療照護暨品質研究所 (Agency for Healthcare Research and Quality, AHRQ) 之工具等，針對可能對我國帶來衝擊之新醫療科技，提出識別 (Identification)、篩選 (Filtration)、優先順序排序 (Prioritization) 及評估 (Assessment) 之可行方法建議。

而在 2018 年至 2019 年間，健保署開始委請查驗中心 HTA 組初擬我國 HS 架構與機制，並以此機制試行先導性評估，針對未來可能進入健保體系且帶來較大財務影響的新醫療科技品項、臨床應用情境與健保財務影響提出預警，以作為健保年度新藥預算編列之參考。2018 年與 2019 年之前瞻性評估分別針對可能在 2020 年與 2021 年納入健保體系且對財務具有高度影響的潛在新醫療科技品項進行蒐集與評估，主要針對新成分新藥或新基因工程新藥品項進行識別、區分與篩選，並統整相關醫療科技於各國上市狀態，蒐集臨床實證與治療指引，參考國際醫療科技評估報告，諮詢臨床與經濟評估專家意見，以及推估納入健保收載之財務影響等。

然而，經過 2018 年及 2019 年兩年的先導性評估後，健保署及查驗中心體認到新醫療科技的識別、篩選、優先順序排序及評估作業繁瑣耗時，在我國評估人力及資源有限的環境下，或許應尋找其他更具效率的作業模式與評估方法。

本土前瞻性評估登錄平台之建立

參考過往研究所收集到的各國 HS 評估及運作方法，尤其是英國新醫療科技品項資訊登錄平台 UK PharmaScan，以及加拿大 Canadian Agency

for Drugs and Technologies in Health (CADTH) 要求藥商提供新醫療科技評估所需重要資訊之作法，健保署另於 2020 年委請查驗中心 HTA 組協助規劃前瞻性評估平台登錄機制。同年 4 月，查驗中心 HTA 組協助召開產官學溝通會議，說明臺灣前瞻性評估架構現況之作法、前瞻性評估定義與步驟，以及他國的前瞻性評估機制，並與廠商共同討論新藥資訊登錄平台的必要欄位項目，以及共同研擬前瞻性評估登錄平台試行的時程。同年 9 月，健保署完成本土之前瞻性評估登錄平台 – 「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) 」之建置，並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，包含新藥相關資訊、查驗登記申請資訊、健保給付申請資訊、財務影響預估等相關欄位 (詳見圖 6)，以作為後續健保新藥預算編列之參考，期藉由 HS 平台之運作能及早蒐集新藥的相關資訊以利財務分配規劃與決策。

有關健保新藥預算編列流程如圖 7 所示。HS 平台登錄資料主要是用於蒐集預期在未來 2 年新申請納入健保給付或擴增健保給付之藥品資訊。查驗中心 HTA 組協助利用 HS 平台登錄資訊進行新藥預算推估，相關作業程序包含對廠商登錄資料進行整理與除錯，比較各藥品間臨床地位與參考品，以及依新藥預算編列原則，排除屬專款給付之藥品 (包括：C 型肝炎、HIV、血友病以及罕見疾病用藥)，以及排除預期對健保財務影響有限之第 2B 類新藥 (臨床價值相近於已收載核價參考品之新藥)，再依過往新藥給付審議經驗，設定每品項之財務影響上限，並設定第 1 類新藥 (臨床療效有明顯改善之突破創新新藥) 及 2A 類新藥 (臨床價值有中等程度改善之新藥) 之健保收載通過比例，以預估各品項新藥納入健保給付之財務影響，並合計為整體新藥年度總預算。

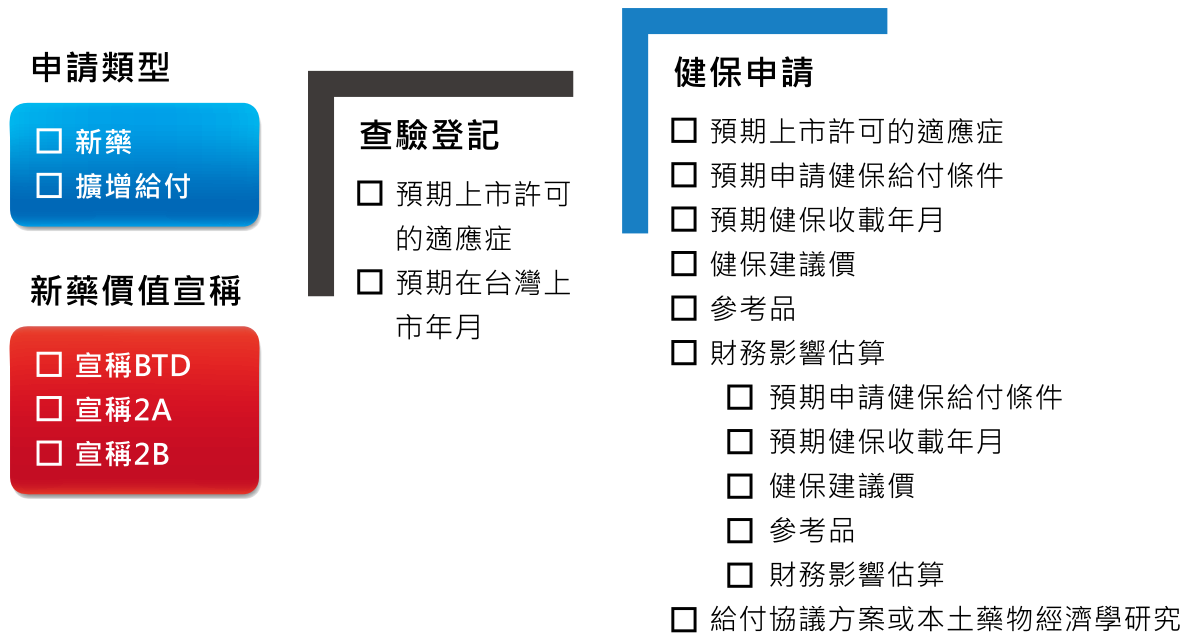


圖 6、我國健保 HS 平台登錄欄位項目

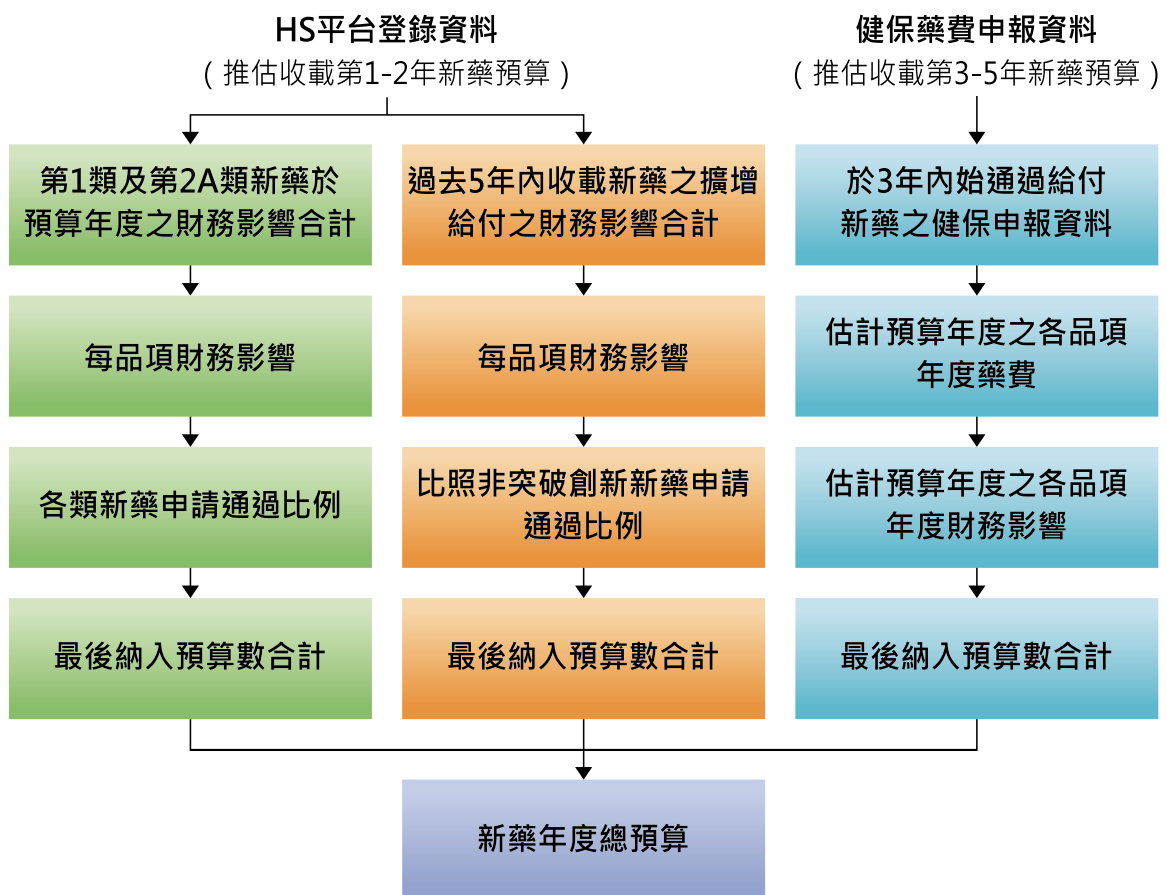


圖 7、健保新藥年度新藥預算編列架構

而為了確保 HS 登錄資料用於新藥預算預估之正確性與合理性，健保署於 2021 年亦邀集相關專家學者與利害關係人成立「健保新藥推估模式研究小組」，就新藥預算之推估邏輯、計算模式及相關公式與參數設定進行討論與提出優化建議；而查驗中心 HTA 組亦將 HS 登錄資料比對後續廠商提交之新藥給付建議書資料、健保共同擬定會議決議資料與後續實際藥費申報資料，用以確認 HS 登錄資料於新藥預算預估之外推性及代表性，並就相關的推估誤差探討成因及提出修正及改善建議。

查驗中心 HTA 組已利用 HS 登錄資料協助健保署完成 2022 年及 2023 年之健保新藥年度預算推估，相關資料供作健保署新藥預算編列及健保會新藥預算核定之決策參考。透過此 HS 評估機制，可對新藥之導入時程及造成的影響預先進行偵測與評估，相關資訊也提供給決策者可預先對未來可能的發展做出判斷，亦即針對如何編列足夠的新藥預算以為支應，能預先制定因應對策。

未來展望

查驗中心 HTA 組協助執行 HS 評估以預估新藥預算之過程中，除提出 HS 平台優化建議，如平台填報格式調整與各欄位填報格式精簡以利廠商填報作業，亦參考新藥預算專家研究小組的建議，針對新藥預算方法進行討論與修正，故整體而言，目前新藥預算的推估在資料蒐集與推估模式上已漸趨完善。另外，針對新藥預算推估之準確度，查驗中心 HTA 組亦已著手協助分析新藥預算執行率，並觀察到預算執行受藥價調整、極端申報藥費以及藥品未如期通過等眾多因素影響，但由於目前相關新藥健保收載時間尚短，尚待更為長期的追蹤與觀察。

針對臺灣健保前瞻性評估，透過 HS 平台的建立與相關登錄資料的分析，已與藥界合作共同建立正向循環之健保藥品給付評估模式，未來則期望能與醫界、付費者代表達到共識，建立新藥預算及新給付範圍預算編列之永續模式。

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、統計與臨床等專業審查員。行政審查員根據標準作業流程召開審查團隊會議，就案件之技術性資料進行討論，形成審查共識報告及初步結論。如申請者之送審資料不齊備或有缺失需補正，則審查團隊提出補件報告，查驗中心發文通知申請者，申請者應依揭示期限內檢齊資料回覆補件報告所提出的議題，送交查驗中心。查驗中心審查團隊檢視後完成審查報告，提出對案件之最終准駁建議，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)，進行食藥署內部陳核，最後由食藥署裁示，函覆申請者，如圖 8。

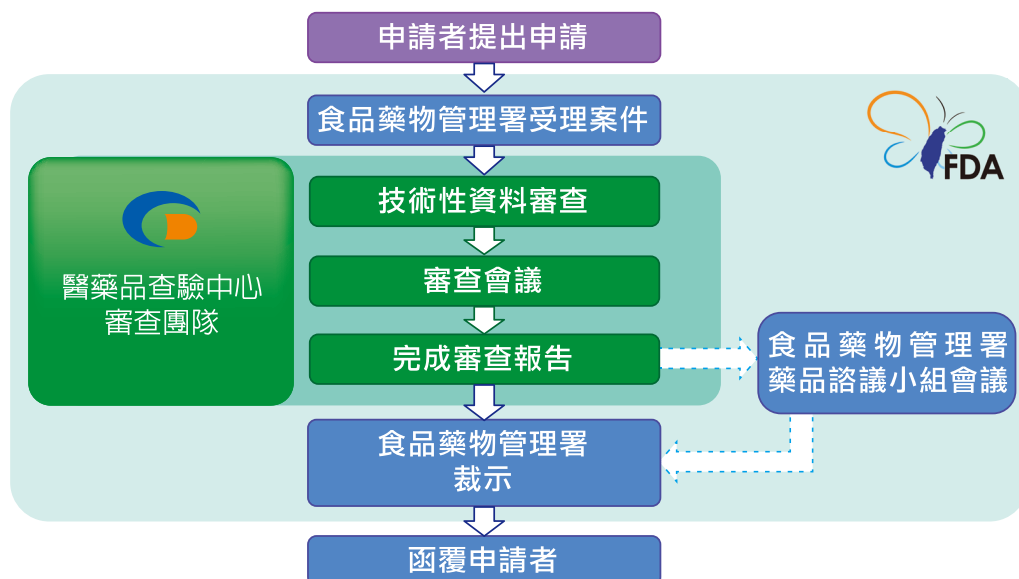


圖 8、藥品技術性資料評估作業流程

(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。藥品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。

銜接性試驗評估由藥品之藥動 / 藥效學及療效、安全性資訊在東亞族群的數據，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；生物藥品亦同。(2) 動物的藥理與毒理資料，能支持藥品的作用機制，可完整評估無法在人體上探索的可能潛在毒性反應；(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，評估藥品於特殊族群及 / 或其他藥品合併使用時，用法用量調整方法的合理性；(4) 臨床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。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)

臨床試驗計畫書審查在我國採逐案審查 (非採依成分或期別階段性審查)，路徑分為兩種：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，2022 年共完成 167 件。由查驗中心審查之一般程序 (non-CTN) 臨床試驗計畫書，2022 年共完成新案 177 件，變更案 (含申復) 共 989 件，新案首輪結論建議准予執行之案件數有 128 件 (占 72%)。

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 69% (123 件) ；國產占 31% (54 件) 。
- (II) 試驗用途以查驗登記案為主：查驗登記案 76% (135 件) ；學術研究案 24% (42 件) 。
- (III) 試驗規模以多國多中心試驗規模為主：臺灣單中心占 23% (40 件) ；臺灣多中心占 12% (22 件) ；多國多中心占 65% (115 件) 。
- (IV) 試驗研發階段以 Phase I、Phase II 及 Phase III 為主：參見表 1 。

表 1、2022 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	42	24%
Phase I/II	18	10%
Phase II	45	25%
Phase II/III	2	1%
Phase III	44	25%
Phase IV + 其他	26	15%

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大宗：參見表 2 。

表 2、2022 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	91	(51%)
INFECTIOUS AND PARASITIC DISEASES	14	(8%)
DISEASES OF THE NERVOUS SYSTEM AND SENSE ORGANS	12	(7%)
DISEASES OF THE RESPIRATORY SYSTEM	10	(6%)
DISEASES OF THE MUSCULOSKELETAL SYSTEM AND CONNECTIVE TISSUE	10	(6%)

完成審查之一般程序 (non-CTN) 臨床試驗計畫書的 177 件新案中，有 34 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 3。

表 3、2022 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	14	(41%)
生物藥品	13	(38%)
細胞及基因治療產品	6	(18%)
複合性藥品	1	(3%)

其中包含基因治療產品 2 件及細胞治療產品 4 件，以細胞來源區分，自體 (autologous) 有 2 件，同種異體 (allogeneic) 有 2 件；若以細胞種類區分，免疫細胞有 2 件，臍帶間質幹細胞有 1 件，紅血

球細胞有 1 件。

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

2022 年完成之藥品銜接性試驗評估案共 39 件，其中新案 37 件，申覆案 2 件。完成新案中，結論建議准予免除銜接性試驗有 32 件 (86%)。

(3) 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。

2022 年查驗中心完成新藥查驗登記退件評估之案件共 113 件，其中評估建議退件者 5 件 (4.4%)，續審者 106 件 (93.8%)，撤案 2 件 (1.8%)，如圖 9。

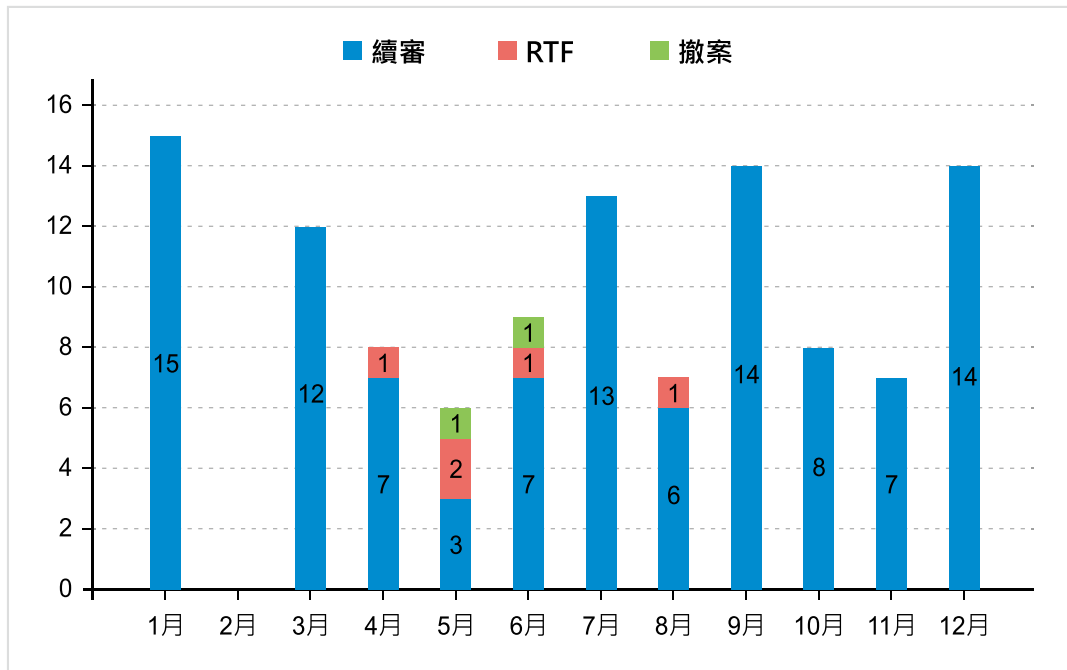


圖 9、2022 年新藥查驗登記退件評估結果

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

查驗中心於 2022 年完成新藥查驗登記申請案之新案評估共 112 件，包含：新成分新藥 (New Chemical Entity, NCE) 申請案 42 件，新使用途徑、新複方、新適應症藥品申請案 20 件，新劑型、新使用劑量、新單位含量藥品申請案 13 件，生物藥品申請案 34 件與放射性藥品申請案 3 件，如圖 10。

2022 年完成新藥查驗登記申請案之 112 件新案評估中，經食藥署認定適用優先審查及精簡審查程序者有 17 件^{註 1}。

^{註 1} 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。

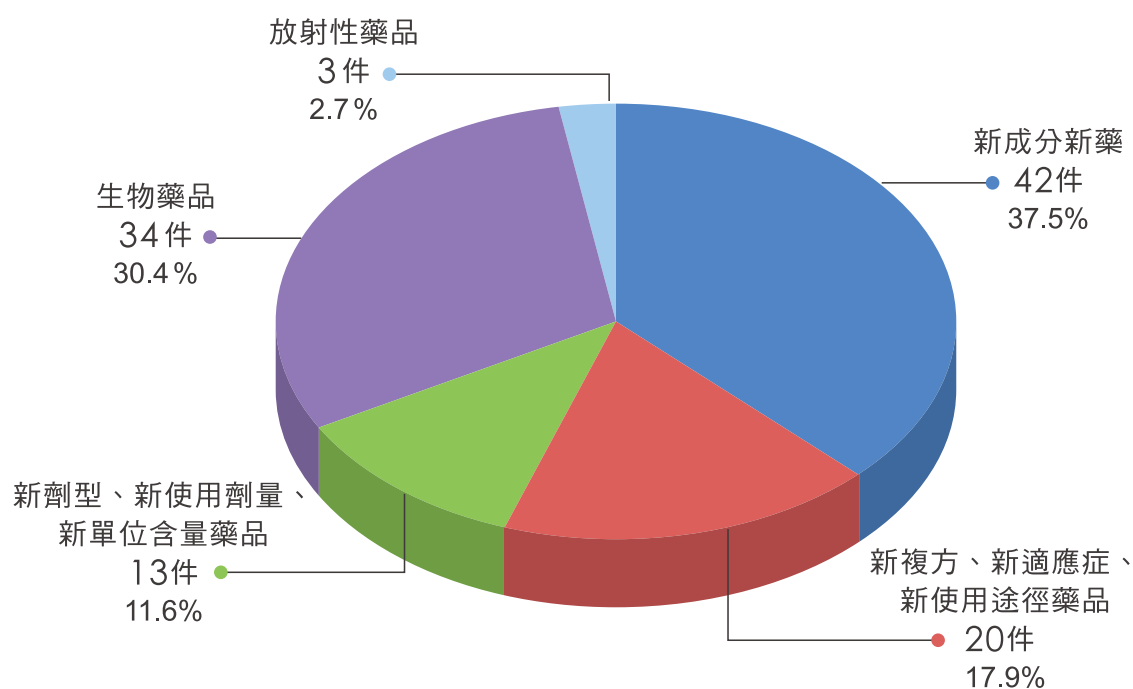


圖 10、2022 年完成新藥查驗登記審查新案 (以案件類別統計)

完成評估之 112 件查驗登記新案，依藥品 ATC code 分類顯示，以「抗腫瘤藥及免疫調節劑」最多 (占 33.0%)，其次為「消化系統和代謝系統用藥」(占 11.6%) 和「抗感染藥」(占 8.0%)，如表 4。

表 4、2022 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
Antineoplastic and immunomodulating agents 抗腫瘤藥及免疫調節劑	37
L04 Immunosuppressants	18
L01 Antineoplastic agents	16
L02 Endocrine therapy	2
L03 Immunostimulants	1

Alimentary tract and metabolism 消化系統和代謝系統血液系統	13
A16 Other alimentary tract and metabolism products	5
A10 Drugs used in diabetes	4
A02 Drugs for acid related disorders	2
A07 Antidiarrheals, intestinal anti-inflammatory/anti-infective agents	2
Anti-infectives for systemic use 抗感染藥	9
J01 Antibacterials for systemic use	5
J05 Antivirals for systemic use	2
J07 Vaccines	2

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。

2022 年查驗中心學名藥查驗登記新受理案件共 241 件，其中評估建議退件者 (Refuse to File; RTF) 33 件 (13.7%) ，續審者 167 件 (69.3%) ，撤案 41 件 (17.0%) ，如圖 11。

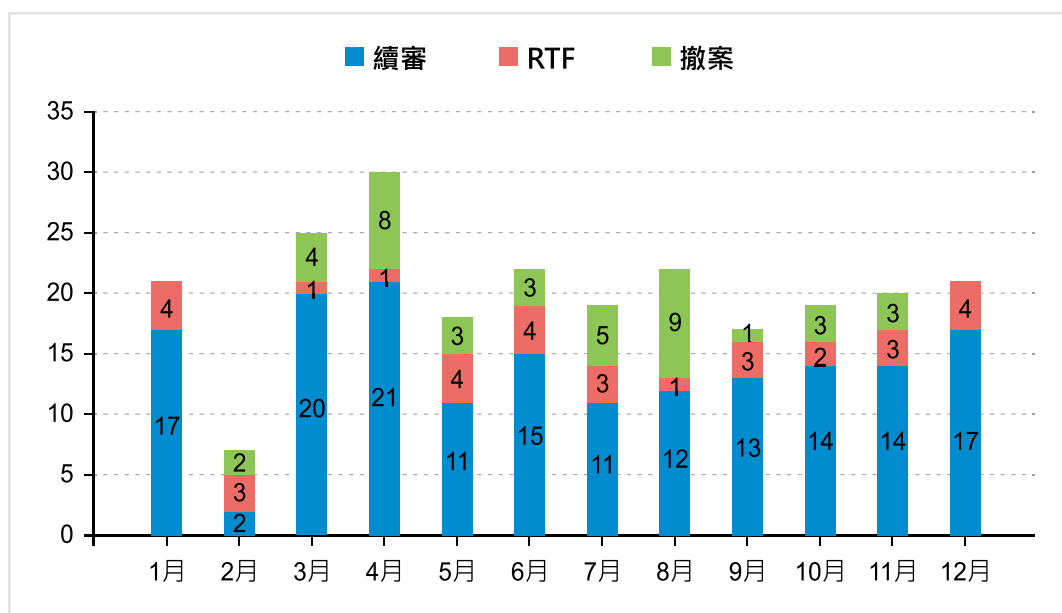


圖 11、2022 年學名藥查驗登記退件評估結果

(2) 學名藥查驗登記評估執行成果

2022 年查驗中心完成學名藥查驗登記案評估之案件共 288 件 (含新案 183 件，申覆案 105 件)，其中有 149 件 (含新案 104 件，申覆案 45 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 183 件中，包括 RTF 退件 33 件，續審案共 150 件，其中續審案核准 37 件，申覆案 105 件中核准 80 件。

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」；其中成品檢驗規格及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 11 件、15 件與 11 件。

BE 試驗報告常見不准缺失是受試藥品與對照藥品基本資料不

足，以及生物檢品分析方面缺失。溶離率曲線比對試驗部分，常見不准缺失主要為所選用對照藥品（即：同廠牌執行 BE 之藥品）因未被核准，導致無法適用以溶離率曲線比對試驗取代 BE，或變更登記案所選對照藥品不適當；對於適用以溶離率曲線比對試驗取代 BE 之案件，常見缺失為溶離試驗執行方式不適當。

評估完成之學名藥依藥品 ATC code 分類，結果如表 5。以抗腫瘤藥及免疫調節劑最多（占 13.9%），其次為泌尿道生殖系統和激素用藥（占 12.5%）及腦、神經系統用藥（占 11.8%）。

表 5、2022 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
Antineoplastic and immunomodulating agents 抗腫瘤藥及免疫調節劑	40
L01 Antineoplastic agents	32
L04 Immunosuppressants	5
L02 Endocrine therapy	3
Genito urinary system and sex hormones 泌尿道生殖系統和激素用藥	36
G04 Urologicals	27
G03 Sex hormones and modulators of the genital system	9
Nervous system 腦、神經系統用藥	34
N05 Psycholeptics	9
N03 Antiepileptics	9
N06 Psychoanaleptics	7
其他	9

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

2022 年符合指示藥品審查基準之處方預審共收案 187 件，全數皆完成預審。預審結果符合基準之案件共 123 件；不符基準之案件 64 件。

符合指示藥品審查基準之查驗登記審查案共收案 31 件，完成 14 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，食藥署於 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)。申請商依送件類型所對應之查檢表檢送文件，若送審資料達嚴重缺失者，予以退件及部分退費。為求查檢表內容更加清楚明確，食藥署於 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。

2022 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 190 件，其中評估建議退件者 13 件 (6.8%)，續審者 174 件 (91.6%)，撤案 3 件 (1.6%)，如圖 12。

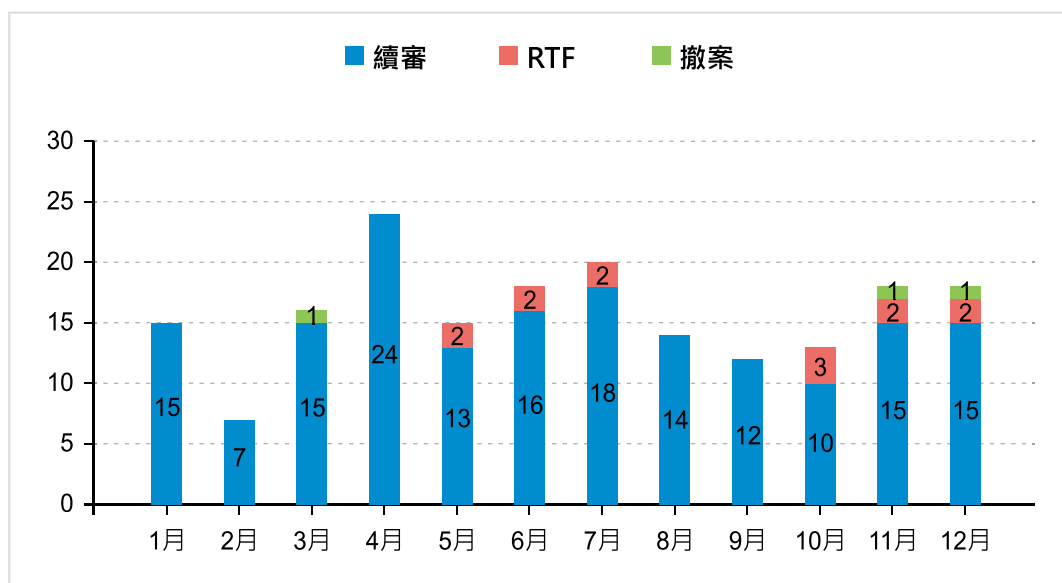


圖 12、2022 年原料藥查驗登記退件評估結果

2022 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 192 件，其中評估建議退件者 15 件 (7.8%)，續審者 172 件 (89.6%)，撤案 5 件 (2.6%)，如圖 13。

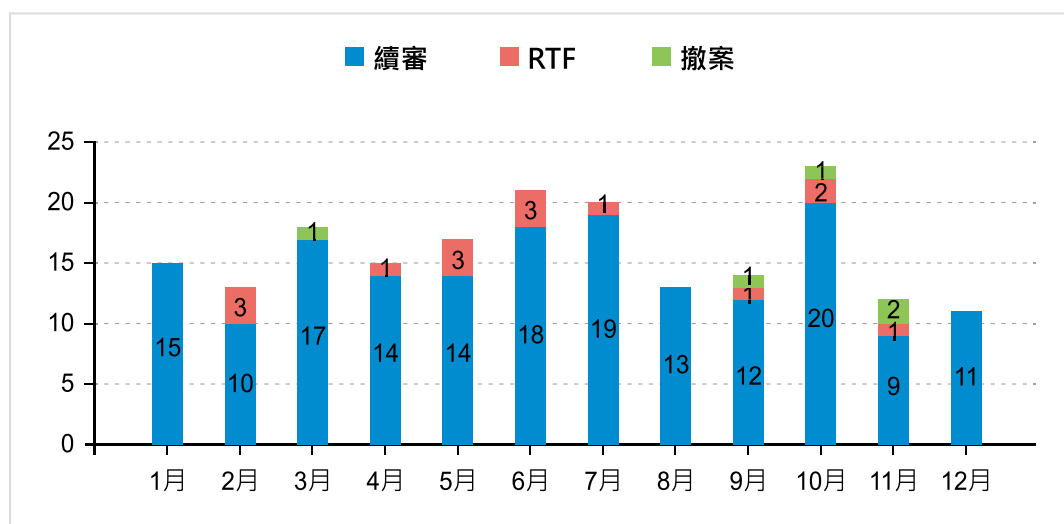


圖 13、2022 年原料藥主檔案退件評估結果

(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 2022 年審查完成之原料藥查驗登記暨原料藥主檔案評估案共 628 件，其中新案 412 件，RTF 退件 30 件，續審案共 382 件，申覆案 216 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 15.8%)，其次為全身性抗感染用藥 (占 10%) 及心血管系統用藥 (占 9.9%)，如表 6。

表 6、2022 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

完成原料藥評估的 ATC code 分類	案件數
Alimentary tract and metabolism 消化系統和代謝用藥	99
A10 Drugs used in diabetes	40
A02 Drugs for acid related disorders	23
A06 Drugs for Constipation	10

其他	26
Antiinfectives for systemic use 全身性抗感染用藥	63
J01 Antibacterials for systemic use	39
J05 Antivirals for systemic use	14
其他	10
Cardiovascular system 心血管系統用藥	62
C09 Agents Acting On The Renin-Angiotensin System	21
C10 Lipid modifying agents	17
其他	24

(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

2022 年完成上市後藥品適應症、用法用量變更審查案件，共計

181 件；上市後藥品一般仿單變更審查案件，共計 479 件。

2. 處方藥之其他變更類別

2022 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 12 件。

2022 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 90 件。

3. 符合指示藥品審查基準藥品之變更

2022 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 56 件。

(四) 國產藥品許可證展延變更

查驗中心 2022 年完成 2,269 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或緊急授權之新藥中有 7 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.Selpercatinib (商品名 Retsevmo)

Selpercatinib 為新成份新藥，是一種激酶抑制劑，會抑制野生型轉染重排 (Rearranged During Transfection, 以下簡稱 RET) 與多種突變 RET 亞型。RET 的某些點突變或涉及 RET 與各種夥伴基因的框架中融合染色體重組可能導致持續活化嵌合 RET 融合蛋白，該蛋白可成為致癌驅動因子進而促進腫瘤細胞株的細胞增生。核准適應症為 (1) RET 基因融合陽性非小細胞肺癌 (2) RET 基因突變甲狀腺髓質癌 (3) RET 基因融合陽性甲狀腺癌。

非小細胞肺癌 (Non-small Cell Lung Cancer, NSCLC) 和甲狀腺乳突癌 (Papillary Thyroid Cancer, PTC) 是最常見的具有 RET 融合的癌症類型。大約 2% 的非小細胞肺癌病人具有 RET 融合，並且往往發生在相對年輕 (年齡小於 60 歲)、從不或輕度吸煙者。另外，5-10% 的甲狀腺乳突癌病人具有 RET 融合，病人先前接受過輻射這種融合的罹病率將提高。此外，RET 點突變是甲狀腺髓質癌 (Medullary Thyroid Cancer, MTC) 的主要激活改變 (Activating Alteration)。

一項開放性、多國多中心第 I / II 期臨床試驗，納入具 RET 基因融合 / 突變、曾接受全身性治療或未曾接受全身性治療之晚期實質固態瘤病人，主要療效指標為整體反應率 (Overall Response Rate, 以下簡稱 ORR)，由獨立審核委員會 (Independent Review

Committee, IRC) 依據 RECIST (Response Evaluation Criteria in Solid Tumors) 版本 1.1 進行評估。結果顯示 Selpercatinib 的療效優於現行治療方法，如 RET 基因突變甲狀腺髓質癌，先前曾接受或未曾接受 Cabozantinib 或 Vandetanib 治療的病人，本試驗 ORR 結果分別為 67.7 % 及 72.7%；相較於現行療法 Vandetanib 之試驗結果 ORR 為 51.8% 較優。

Selpercatinib 符合臺灣醫療迫切需求並透過加速核准的機制核准上市，以提供國內病人新的治療選擇。

2. Inebilizumab (商品名 Uplizna)

Inebilizumab 為新成分生物製劑，是一種 CD19 (Cluster of Differentiation 19) 導向的 IgG1 (Immunoglobulin G1) 單株抗體，其在泛視神經脊髓炎 (Neuromyelitis Optica Spectrum Disorder, NMOSD) 中發揮療效的確切機轉不明，但推測涉及與 CD19 結合的作用，藉由結合於 B 淋巴球的細胞表面後，導致抗體依賴性細胞溶解。核准適應症為適用於治療水通道蛋白自體抗體陽性 [Anti-Aquaporin-4 (以下簡稱 AQP4) Antibody Positive] 的泛視神經脊髓炎 (Neuromyelitis Optica Spectrum Disorder, 以下簡稱 NMOSD) 之成人病人。

泛視神經脊髓炎是一種少見的中樞神經系統自體免疫發炎疾病，在臺灣盛行率約為每十萬分之 1.72，好發於成年女性，但亦有可能發生於男性與任何年齡層，多數 NMOSD 病人檢測有抗 AQP4 抗體，上述自體免疫抗攻擊星狀細胞，導致中樞神經系統受損，病灶好發於視神經、脊髓以及腦幹，病程多為反覆發作且造成不可逆的傷害，臨床上可導致病人失明、肢體癱瘓、呼吸衰竭甚至死亡，屬罕見/嚴重疾病。

Inebilizumab 的療效及安全性資料於一項第 II/III 期臨床試驗，隨機分配、雙盲、安慰劑對照和開放性延伸性試驗針對成年 NMOSD 病人（多數為抗 AQP4 抗體陽性）進行評估。於抗 AQP4 抗體陽性成年 NMOSD 病人中，Inebilizumab 組相較於安慰劑組病人首次判定復發的時間顯著較長（相對風險差 73%；危險比：0.272； $p < 0.0001$ ）。抗 AQP4 抗體陽性族群的相對風險減少 77.3%（危險比：0.227， $p < 0.0001$ ），且病人住院率有所減少。沒有證據顯示抗 AQP4 抗體陰性的病人受益。在安全性方面，Inebilizumab 常見的不良反應為輸注反應（包括頭痛、噁心、嗜睡、呼吸困難、發燒、肌痛、皮疹或其他表徵或症狀）、感染（如：泌尿道感染、鼻咽炎、上呼吸道感染和流感）、免疫球蛋白減少，這些多為輕度或中度事件，且鮮少導致 Inebilizumab 於臨床試驗中須因此中斷或停藥。

Inebilizumab 為臺灣第二個核准用於治療水通道蛋白 4 自體抗體陽性的 NMOSD 之成人病人的藥物，且通過罕見疾病防治及藥物法之藥物品項認定。NMOSD 為罕見 / 嚴重疾病，傳統治療口服皮質類固醇與免疫調節劑，但尚未經大型臨床試驗證實其療效。直到近兩年臺灣才核准另一個可用於治療 NMOSD 的藥物，兩者作用機轉不盡相同，因此 Inebilizumab 的核准可提供病人新的治療選擇，以滿足臺灣醫療迫切需求，促進國人健康。

3. 口服抗 COVID-19 感染藥物（商品名 Molnupiravir）

Molnupiravir 為因應嚴重特殊傳染性肺炎（以下簡稱 COVID-19）防疫之緊急公共衛生需求，依據藥事法第 48 條之 2 第 1 項第 2 款規定申請專案輸入之新成分口服抗病毒藥品，適用於「發病 5 天內、具有重症風險因子之成人輕度至中度新型冠狀病毒疾病（COVID-19，嚴重特殊傳染性肺炎）確診者，且臨床上不適用其他 COVID-19 治療

選擇時。」

嚴重特殊性傳染肺炎 (COVID-19) 為感染新型冠狀病毒 (Severe Acute Respiratory Syndrome Coronavirus 2, 以下簡稱 SARS-CoV-2) 引發的傳染病，目前已知罹患 COVID-19 病人之臨床表現包含發燒、乾咳、倦怠，約三分之一會有呼吸急促，其他症狀包括肌肉痛、頭痛、喉嚨痛、腹瀉等，另有部分病人出現嗅覺或味覺喪失 (或異常) 等。病人多數能康復，少數病人嚴重時將進展至嚴重肺炎、呼吸道窘迫症候群或多重器官衰竭、休克等重症，甚至死亡，根據現有資訊，導致重症的風險因子包括年齡 (>60 歲)、併有癌症、腦血管疾病、慢性腎病、慢性肝病、慢性阻塞性肺病 (Chronic Obstructive Pulmonary Disease, COPD)、糖尿病、心臟疾病及肥胖。COVID-19 疫情自 2019 年年底爆發以來，全球染疫人數不斷攀升，除了全面施打 COVID-19 疫苗以降低感染率以外，針對已感染 COVID-19 病人亦需要給予藥品治療以降低重症風險。

Molnupiravir 為具有抗病毒活性的前驅藥，在體內會代謝成胞苷核苷類似物 (N-hydroxycytidine, 以下簡稱 NHC)，然後分佈進入細胞，NHC 在細胞中會經磷酸化作用形成具藥理活性的核糖核苷三磷酸 (N-hydroxycytidine triphosphate, 以下簡稱 NHC-TP)。NHC-TP 會透過病毒 RNA 聚合酶 (Non-structural Protein 12, nsp12) 的作用與 SARS-CoV-2 RNA 結合，導致病毒基因組錯誤累積，從而抑制複製作用。

Molnupiravir 的療效及安全性於一項雙盲、隨機分配、安慰劑對照之第三期臨床試驗評估，試驗族群為 18 歲以上、經實驗室檢驗確認感染 SARS-CoV-2、輕至中度 COVID-19、出現症狀五天內、且具有一項或多項重症風險因子的病人，定義為 60 歲以上、

糖尿病、肥胖 BMI (Body Mass Index) ≥ 30 、慢性腎病、嚴重心臟病、慢性阻塞性肺病或活動性癌症。療效結果顯示 Molnupiravir 相較於安慰劑組，在主要療效指標 - 第 29 天以內因任何原因住院或死亡的受試者比例達顯著差異 [期中分析結果：p=0.0024, Adjust Difference：-6.8% (95% 信賴區間：-11.3%, -2.4%) ；最終分析結果：p=0.0436, Adjust Difference：-3.0% (95% 信賴區間：-5.9%, -0.1%)]，在帶有特定風險因子如年紀超過 60 歲、肥胖或有糖尿病的病人接受 Molnupiravir 治療的療效趨勢與整體族群一致。在安全性方面，Molnupiravir 發生比例較高的不良反應為腹瀉、噁心、暈眩，而大部分嚴重不良反應為與 COVID-19 相關的事件。Molnupiravir 在上市後須執行風險管理計畫，內容包括醫療人員溝通計畫、病人用藥須知、特殊風險醫療措施 (確認病人完成完整療程且有適當的隔離措施)，並須持續蒐集 Molnupiravir 造成的各種病毒變異，及分析各變異與臨床的相關性。

Molnupiravir 為臺灣通過緊急授權專案輸入的第一個用於非住院病人之 COVID-19 口服抗病毒藥品，相較於先前同意專案輸入的單株抗體藥品，Molnupiravir 有口服的優勢、無輸注過敏反應的風險，且較無藥品交互作用的問題。本中心透過高效率滾動式技術性資料審查機制幫助 Molnupiravir 獲得緊急授權的核可，提供感染 COVID-19 病人及早治療的機會，滿足臺灣公衛迫切需求，並進一步達到降低病人重症住院及死亡風險的目標。

4. 口服抗 COVID-19 感染藥物 (商品名 Paxlovid)

Paxlovid 為因應嚴重特殊傳染性肺炎防疫之緊急公共衛生需求，依據藥事法第 48 條之 2 第 1 項第 2 款規定申請專案輸入之新成分口服抗病毒藥品，適用於「發病 5 天內、具有重症風險因子之成人與兒

童病人 (12 歲以上且體重至少 40 公斤) 的輕度至中度新型冠狀病毒疾病 (COVID-19 , 嚴重特殊傳染性肺炎) 確診者。」

Paxlovid 包含 Nirmatrelvir 與 Ritonavir 兩種成分。Nirmatrelvir 為 SARS-COV-2 Main Protease (Mpro) 抑制劑 (抑制病毒的複製蛋白) , 而成分 Ritonavir 為 HIV-1 (Human Immunodeficiency Virus-1) Protease 抑制劑與 CYP3A (Cytochrome P450, family 3, subfamily A) 抑制劑。Ritonavir 透過抑制 CYP3A 來降低 Nirmatrelvir 被代謝, 進而提升成分 Nirmatrelvir 的血中濃度, 來達到降低 SARS-COV-2 病毒複製的效果。

Paxlovid 之臨床療效評估來自一項第 II/III 期、隨機、雙盲試驗, 試驗收納 18 歲以上, 未接種疫苗, 出現症狀 5 天內, 症狀從輕微到中度, 具高風險惡化且為重症的 SARS-CoV-2 感染者。試驗之主要療效指標是 28 天內發生因 COVID-19 相關原因住院或任何原因導致死亡之受試者比例。試驗共收納 2246 名受試者, 平均年齡 46 歲, 51% 為男性, 以 1 : 1 隨機分配至安慰劑組或是 Paxlovid 組 (每 12 小時口服一次, 連續 5 天) 。療效結果顯示, Paxlovid 相較於安慰劑可降低 28 天內發生因 COVID-19 相關原因住院或任何原因導致死亡之受試者比例 [降低風險 88% (95% 信賴區間 : 75%, 94%)] , Paxlovid 組無死亡事件, 而安慰劑組有 12 人死亡。另外在次族群分析方面 (年齡、病毒量及血清學狀態) 的療效結果也呈現一致性。在 12 歲 ~18 歲族群方面的有效性資料, 是依據群體藥物動力學模型, 預計給藥方案依據體重校正後, 觀察到 Paxlovid 在 12 歲以上及體重至少 40 公斤的病人中產生穩定血漿暴露與在成人中觀察到的相當。安全性方面大部分不良反應為輕至中度, 常見不良反應有味覺障礙、腹瀉、高血壓與肌肉痛。

Paxlovid 為臺灣通過緊急授權專案輸入的第二個 COVID-19 口服抗病毒藥品，且可適用於 12 歲以上青少年族群病人。本中心透過高效率滾動式技術性資料審查機制，幫助 Paxlovid 獲得緊急授權的核可，提供感染 COVID-19 病人另一種治療選擇，滿足臺灣公衛迫切需求，並進一步達到降低病人重症住院及死亡風險的目標。

5. 肺炎鏈球菌 15 價結合型疫苗 (商品名 Vaxneuvance)

Vaxneuvance 疫苗核准適應症為「適用於 18 歲以上成人的主動免疫接種，以預防肺炎鏈球菌血清型 1、3、4、5、6A、6B、7F、9V、14、18C、19A、19F、22F、23F 及 33F 所引起的侵襲性疾病。」

肺炎鏈球菌是一種革蘭氏陽性的鏈球菌，細菌表面的莢膜多醣與致病力有關，到目前為止，一共發現多種血清型。這種病菌常潛伏在人類鼻腔內，並可透過飛沫傳播，一旦感冒或是免疫力降低，快速複製的肺炎鏈球菌可侵入呼吸道或血液中而引發肺炎、菌血症、腦膜炎等嚴重病症，稱為侵襲性肺炎鏈球菌疾病感染症 (Invasive Pneumococcal Disease, IPD)，其中可能導致重症的高風險族群包括 65 歲以上老人、有特定共病如慢性肺病、肝臟疾病、心臟疾病、糖尿病、氣喘者以及免疫功能不全者等。目前國內已核准的肺炎鏈球菌疫苗包括 10 價結合型疫苗 (1、4、5、6B、7F、9V、14、18C、19F 及 23F)、13 價結合型疫苗 (1、3、4、5、6A、6B、7F、9V、14、18C、19A、19F 及 23F) 和 23 價多醣體疫苗 (1、2、3、4、5、6B、7F、8、9N、9V、10A、11A、12F、14、15B、17F、18C、19F、19A、20、22F、23F、33F)。

Vaxneuvance 疫苗為肺炎鏈球菌 15 價結合型疫苗，是一種含有源自肺炎鏈球菌血清型 1、3、4、5、6A、6B、7F、9V、14、

18C、19A、19F、22F、23F 及 33F 並個別結合於 CRM197 (Cross Reacting Material 197) 上之純化莢膜多醣體的無菌懸浮液，與國內已核准之肺炎鏈球菌 13 價結合型疫苗相比多了 22F 和 33F 兩個血清型，主要是透過調理吞噬作用殺死肺炎鏈球菌，從而達到預防侵襲性疾病的效果。Vaxneuvance 疫苗的有效性主要是透過 5 項隨機分配、雙盲、以 13 價結合型疫苗作為對照組之第三期臨床試驗及一項隨機分配、雙盲、安慰劑對照、同時或非同時接種季節性四價流感疫苗之第三期臨床試驗來評估，試驗族群包括未曾 / 曾經接種過肺炎鏈球菌疫苗的健康受試者、發生肺炎鏈球菌疾病之風險較高的成人和有 HIV (Human Immunodeficiency Virus) 感染的成人，其中有 2 項臨床試驗有於接種 Vaxneuvance 疫苗或 13 價結合型疫苗後再接種 23 價多醣體疫苗。Vaxneuvance 疫苗與 13 價結合型疫苗所誘發之免疫反應的檢測方式為於接種前與接種後針對 Vaxneuvance 疫苗中所含的 15 種肺炎鏈球菌血清型進行複合式調理吞噬抗體分析 (Multiplexed Opsonophagocytic Assay, MOPA)。其中在兩項有進行統計檢定分析的臨床試驗結果顯示，在接種 Vaxneuvance 疫苗或 13 價結合型疫苗 30 天後其 13 種共同血清型的 OPA (Opsonophagocytic Activity) 幾何平均抗體效價 (Geometric Mean Titers, 以下簡稱 GMTs) 兩組可達不劣性，而在 Vaxneuvance 疫苗的兩種特有血清型 (22F 和 33F) 的 OPA GMTs 則顯著高於 13 價結合型疫苗；其他三項臨床試驗亦觀察到類似結果。在一項同時或於接種季節性四價流感疫苗後 30 天再接種 Vaxneuvance 疫苗的臨床試驗結果則顯示兩組在肺炎鏈球菌疫苗血清型的 OPA GMTs 及流感疫苗病毒株的血凝素抑制分析 (Hemagglutinin Inhibition Assay, HAI) GMTs 皆可達到不劣性。在安全性方面，Vaxneuvance 疫苗發生比例較高的不良反應為注射部位疼痛、疲倦、肌痛、頭痛、注射部位腫脹、注射部位紅斑及關節痛，與 13 價結合型疫苗相比之下注射部位相關的不良反應發生比例較高。

侵襲性肺炎鏈球菌疾病感染症 (IPD) 能引起多種疾病如敗血症、肺炎、腦膜炎、關節炎、骨髓炎、心包膜炎、溶血性尿毒症、腹膜炎等，為嚴重且危急生命的狀況，對於高風險族群如老年人、有慢性病或免疫功能不全者更有可能導致嚴重後遺症及死亡。Vaxneuvance 疫苗的核准提供 18 歲以上成人預防肺炎鏈球菌引起之侵襲性疾病的另一個選擇，滿足臺灣在降低肺炎鏈球菌引起之侵襲性疾病流行的公衛迫切需求。

6.Givosiran (商品名 Givlaari)

Givosiran 為新成份新藥，是繼臺灣第一個核准之 SiRNA (Small Interfering Ribonucleic Acid) 藥品 (Onpattro) 後第二個 SiRNA 藥品，透過靶向肝細胞中氨基乙酰丙酸合酶 1 (Aminolevulinic Acid Synthase 1, ALAS1)，使 mRNA 降解並使其靜默，來達到使血基質蛋白前驅產物氨基乙酰丙酸 (Aminolevulinic Acid, ALA) 和膽色素原 (Porphobilinogen, PBG) 降低，進而降低蓄積物質對病人的影響，來降低病人相關症狀發作。

急性肝性紫質症 (Acute Hepatic Porphyria，以下簡稱 AHP)，為一種極罕見的自體顯性遺傳疾病，致病原因為肝臟代謝血基質蛋白 (Heme Protein) 的酵素基因產生變異，導致血基質蛋白前驅物紫質 (Porphyrins) 蓄積，進而引發多種全身神經性疾病，包含噁心、慢性神經疼痛、永久神經損傷、癲癇等，亦包含長期併發症 (如，高血壓、慢性腎臟疾病、肝病等)，不僅嚴重影響病人生活品質，也對病人生命造成威脅。

Givosiran 的臨床療效評估來自於一項隨機、雙盲、安慰劑對照、多國、多中心的第三期試驗，試驗收納 94 名 AHP 病人。試

驗主要療效指標為 6 個月雙盲期間的複合性紫質症發作的年發作率 (Annualised Attack Rate, 以下簡稱 AAR) , 包括三個項目: 需要住院治療的發作、緊急醫療照護或在家中靜脈給予氯化血紅素。試驗結果顯示相較於安慰劑組, Givosiran 可使複合性紫質症發作的 AAR 降低 74% ($p < 0.001$) , 並在開放標籤延伸試驗期間內繼續服用 Givosiran 的病人, 觀察到的 AAR 中位數 (Quartile 1 , Quartile 3) 為 0.0 (0.0 , 3.5) , 在 6 個月內觀察到的結果可一直持續到第 12 個月。安全性方面, 試驗觀察到常見不良反應包含注射部位反應、噁心和疲倦。

目前 AHP 的治療方式非常有限, 在 Givosiran 核准前, 急性發作的治療目標為症狀緩解與預防併發症, 治療方式主要以注射血基質來降低含有毒素的中間產物產生為主, 因此對於此類疾病的治療極具醫療迫切需求。核定適應症為「用於治療成人急性肝臟型紫質症 (Acute Hepatic Porphyria, AHP) 」, 為 AHP 病人帶來新的治療選擇。

7.Ranibizumab 新使用劑量及新單位含量新藥 (商品名 Susvimo)

Susvimo 其活性成分 Ranibizumab 為國內已上市藥品成分, 使用專用的眼內給藥載體持續釋放藥物, 以治療成人血管新生型 (濕性) 年齡相關性黃斑部退化病變 (Neovascular (wet) Age-related Macular Degeneration, AMD) , 病人先前需至少接受過兩劑玻璃體內血管內皮生長因子 (Vascular Endothelial Growth Factor, 以下簡稱 VEGF) 抑制劑治療且有反應者。

成人血管新生型 (濕性) 年齡相關性黃斑部退化病變為一慢性、持續進展之黃斑部退化, 通常發生在 50 歲以上成人。若未經妥善治療, 會導致視力快速惡化, 為老年人失明的主要原因之一。目前的治

療以玻璃體內注射 anti-VEGF 類藥品為主，藉由阻斷不正常的血管新生，達到減少滲出液累積在視網膜。臺灣已核准三種玻璃體內注射之 anti-VEGF 類藥品，然而病人需每一到三個月回診進行玻璃體內注射，頻繁回診及注射藥品所引起的不適是造成部分病人無法持續治療的主要原因。Susvimo 採用專用的給藥載體，稱為 PDS (Port Delivery System) 裝置，玻璃體內植入 PDS 裝置後，持續釋放藥物，每半年進行藥品充填，本品為透過永久植入的給藥載體給予持續性的治療。

Susvimo 支持性資料包括評估 PDS 裝置充填不同濃度之藥品其所需補充藥品的時間間隔之第 II 期臨床試驗、驗證療效及安全性之樞紐性第 III 期臨床試驗、及評估使用 PDS 裝置安全耐受性之長期試驗。根據樞紐性第 III 期臨床試驗，主要試驗目的為比較 PDS 100 mg/mL Q24W (Every 24 Weeks) 治療組與玻璃體內注射 (0.5 mg) Q4W (Every 4 Weeks) 治療組於第 36 週、第 40 週與基線值相比最佳矯正視力 (Best Corrected Visual Acuity, BCVA) 得分的平均變化之差異是否達到不劣性。結果顯示兩組間差異為 -0.3 個字母，95.03% 信賴區間為 -1.7, 1.1，其下界大於預先設定之不劣性臨界值 (-4.5 個字母)，兩組間達到不劣性。安全性部分，本品最重要的治療風險為眼內炎 (Endophthalmitis)，可透過改善手術技巧並及早察覺來降低風險。

Susvimo 使用專用的眼內給藥載體於玻璃體內給藥，具有治療創新性。本品可降低頻繁的玻璃體內注射藥品之不適及負擔，提高病人治療依順性，本品核准上市提供國內病人新的治療選擇。

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

2022 年共完成 38 件醫療器材查驗登記申請案之技術性資料評估，含新案 18 件。新案依產品區分，包含 9 件冠狀動脈支架案件，2 件冠狀動脈氣球擴張導管案件，血管球囊導管 2 件，牙槽填充物、鏡片潤輸液、腦積水引流閥、含藥衛生套及可吸收膠原止血棉各 1 件。若依產品等級區分，本年度共完成 6 件第二等級產品審查，以及 12 件第三等級產品審查。

(二) 國內已公告「醫療器材臨床前測試基準」品項之申請案評估

2022 年共完成 412 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 182 件新案審查，160 件補件案與 70 件申覆案審查。其中新案審查依產品類別區分，包含 61 件骨科學類、53 件眼科學類、20 件一般及整形外科手術類、20 件一般醫院及個人使用裝置類、11 件心臟血管醫學類、6 件胃腸病科學及泌尿科學類、5 件牙科學類、3 件神經科學類、2 件物理醫學科學及 1 件麻醉科學。

2022 年共完成 34 件第三等級查驗登記案，包含 15 件新案、12 件補件案以及 7 件申復案審查。其中新案審查依產品類別區分，包含 10 件人工水晶體與 5 件牙植體。

(三) 查驗登記用臨床試驗器材之安全性和有效性評估

2022 年共完成 59 件查驗登記用醫材臨床試驗之技術評估，包含 22 件新案。新案依試驗規模區分，9 案為臺灣單中心臨床試驗案，12 案為臺灣多中心臨床試驗案，1 案為多國多中心臨床試驗案。產品包含體外磁波刺激器、血氧濃度監測系統、快篩試劑組、隱形眼鏡類 (含角

膜塑型類)、複合式人工骨材、人工智慧醫療輔助診斷軟體、血糖監測系統、手術影像顯示系統、超音波熱治療系統、數位連結照護系統、可吸收性縫線、金屬積層製造植入物、可吸收性防沾黏膜等醫療器材之臨床試驗案。

(四) 學術研究用臨床試驗器材之安全性評估

2022 年共完成 172 件學術研究用臨床試驗評估，包含 84 件學術研究用臨床試驗計畫審查案，88 件學術研究用臨床試驗執行進度與計畫變更等其他審查案。84 件學術研究用臨床試驗計畫審查案中，包含 31 件新案。其中 20 件以國內尚未核准醫療器材進行臨床研究，有 11 件以國內已核准醫療器材進行臨床研究。依試驗規模區分，30 件為臺灣單中心臨床試驗案，1 件為臺灣多中心臨床試驗案。

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) 申請者向食藥署食品組收發窗口送件後，案件轉交查驗中心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，再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 14。另依據 2020 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。

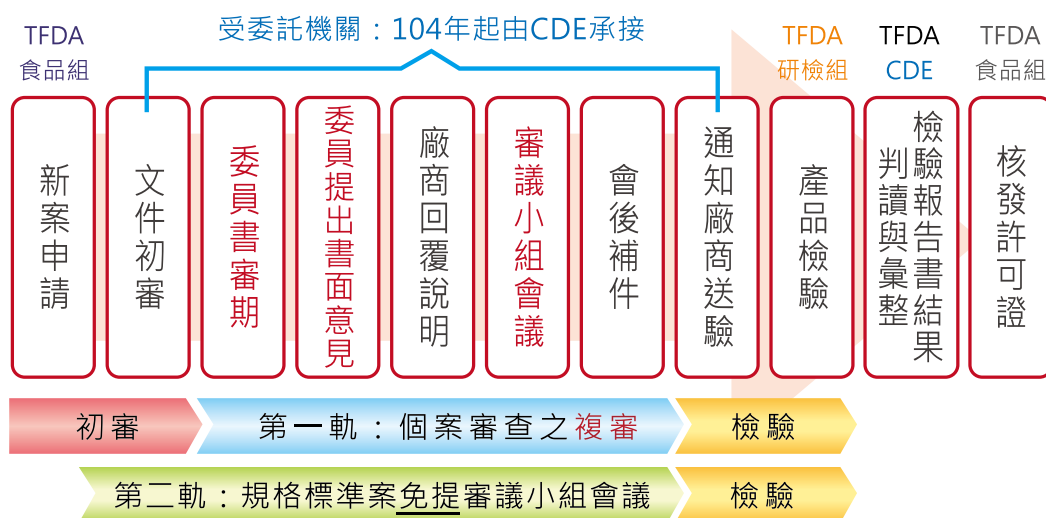


圖 14、健康食品查驗登記案件審查作業流程

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」。

2022 年健康食品查驗登記案收案件數共計 63 件，包括初審 36 件、複審 17 件、申復 6 件、續審 2 件及二軌 2 件；申請功效多寡依序為調節血脂保健功效 15 件、護肝保健功效 14 件、調節血糖保健功效 8 件、抗疲勞保健功效 6 件、胃腸功能改善保健功效 6 件、骨質保健功效 4 件、免疫調節保健功效 3 件、延緩衰老保健功效 2 件、不易形成體脂肪保健功效 2 件、輔助調整過敏體質保健功效 1 件，及魚油健康食品規格標準 2 件。完成健康食品上市前查驗登記之核可案件共 23 件，皆為第一軌個案審查，其保健功效類別以「調節血脂保健功效」及「不易形成體脂肪保健功效」皆為 5 件最多、「抗疲勞保健功效」及「胃腸功能改善保健功效」次之、「骨質保健功效」居第三位。

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，2022 年總計辦理上市後健康食品展延變更登記結案數為 174 件，包括展延案 66 件、變更案 103 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) 申請者向食藥署食品組收發窗口送件後，案件轉交查驗中心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

2022 年特殊營養食品查驗登記案收案件數共計 68 件，包括特定

疾病配方食品 53 件及嬰兒與較大嬰兒配方食品 15 件。完成特殊營養食品上市前查驗登記之核可案件共 92 件，其中特定疾病配方食品 66 件、嬰兒與較大嬰兒配方食品 26 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，2022 年辦理上市後特殊營養食品展延變更登記結案數總計為 177 件，包括：展延案 49 件、變更案 116 件、轉移案 2 件、續審案 10 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 15。

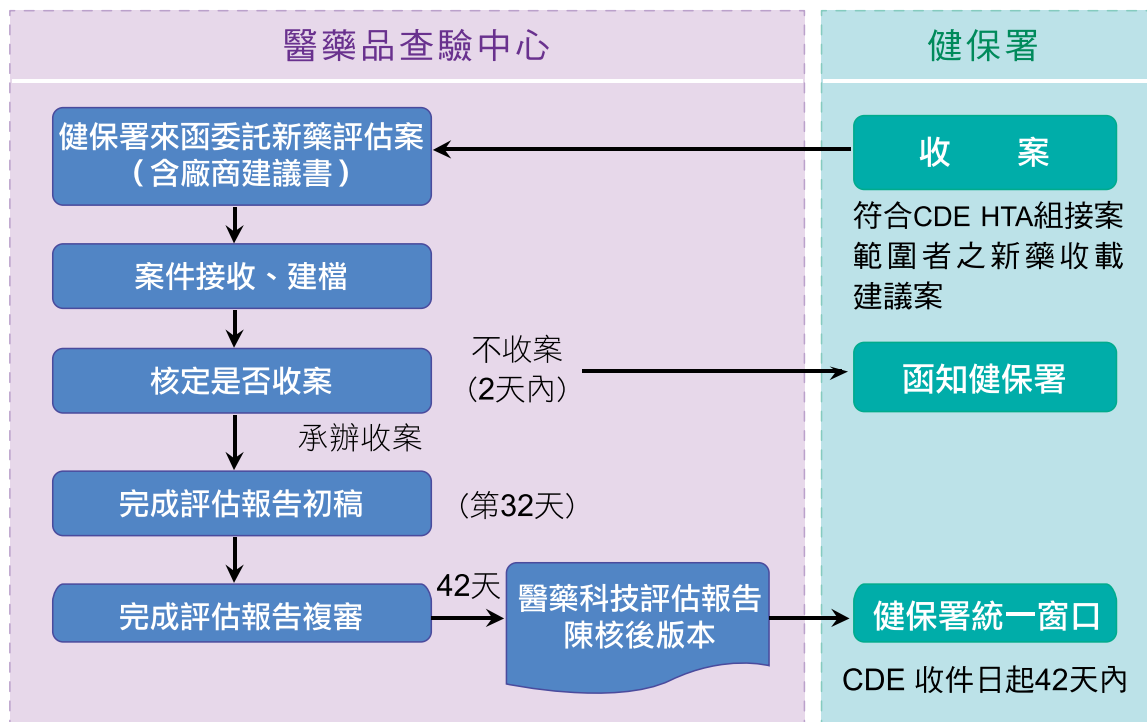


圖 15、健保新藥收載建議案醫藥科技評估作業流程

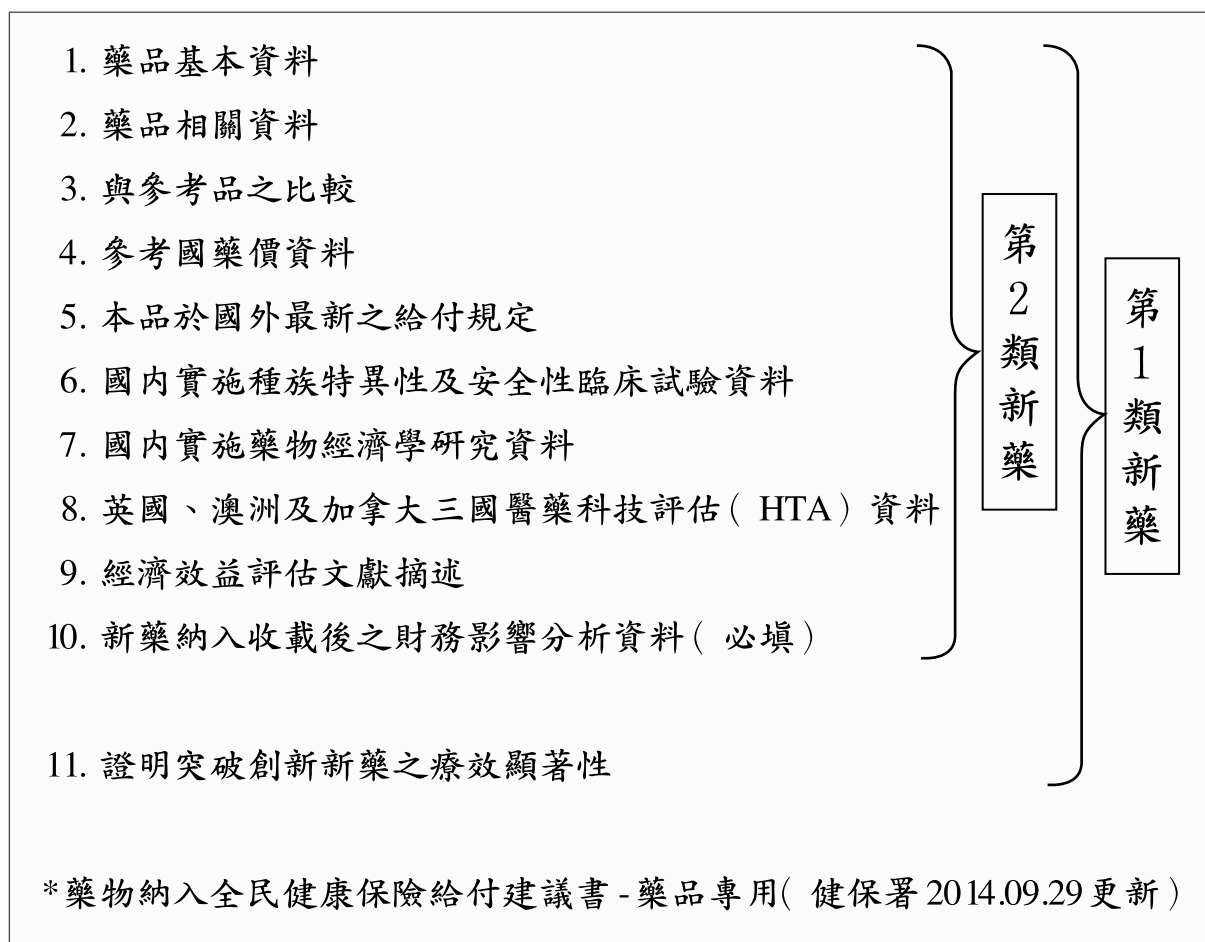
健保署為辦理新藥健保核價作業，於「新藥建議全民健康保險收載作業手冊」中提出需辦理 HTA 的案件類別有以下兩類：

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 仟萬者。

其中，新藥案件若欲申請第 1 類新藥者，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。



2022 年共完成 36 件突破創新性新藥 HTA 評估、126 件一般新藥 HTA 評估及 16 件特材 HTA 評估。其中，36 件突破創新性新藥評估依類別區分為：新成分新藥 25 件，新劑型新藥 2 件，新給藥途徑新藥 1 件，及財務評估 8 件；126 件一般新藥評估案依類別區分為：新成分藥品、財務影響評估、相對療效評估、已收載成分複方、新複方，臨床效益評估，新使用途徑，新劑型，再評估案，以及擴增適應症 / 擴增給付範圍 / 修訂給付範圍等。

2022 年 HTA 報告公佈在健保署網站共計 44 件，含藥品 38 件^{註 2}及特材 6 件^{註 3}。2022 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 59 件，均為藥品類案件。

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。2022 年共完成 54 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 24 件，重大傷病用藥 12 件，非前述屬性者 18 件。

註 2 https://www.nhi.gov.tw/Content_List.aspx?n=C250FE6D418BDB0E&topn=5FE8C9FEAE863B46

註 3 https://www.nhi.gov.tw/Content_List.aspx?n=0F1FA6AC0F6FC880&topn=5FE8C9FEAE863B46

(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 2022 年已累計辦理 17 場病友意見會前會；其中，2022 年之 6 場病友意見會前會，因受 COVID-19 新冠病毒疫情影響，採實體及線上會議併行方式辦理，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 2022 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

2022 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. 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 (第二年計劃)
2. 以價值為導向之急性後期照護支付制度改革 - 國際經驗導向
3. 我國流感疫苗接種對象接種後疫苗保護效力及群體免疫力評估計畫
4. 醫療服務給付之前瞻性評估與本土機制之建立
5. 我國兒童醫療資源配置模式實證研究
6. 我國鴉片類藥癮治療可近性及共病照護執行現況之評析及具體改善方案建議
7. 彙整國際經驗有關改善肥胖年輕化之對策評估

8. 胃幽門螺旋桿菌篩檢及除菌治療作為胃癌防治之醫療經濟效益評估
9. 肺癌高危險族群低劑量電腦斷層肺癌篩檢之可行性及經濟效益評估

以下擇定 2 案進行研究結果與相關政策建議之說明。

● 「我國流感疫苗接種對象接種後疫苗保護效力及群體免疫力評估計畫」案

針對 2019 年起全面接種的四價流感疫苗 (QIV) 在 2019/2020 流感季進行成效評估，用以協助年度公費流感疫苗接種計畫之推展，並期能符合疾病管制署現行的流感疫苗接種政策。此流感疫苗成效評估主要研究透過分析 2018 至 2020 年健保申報資料，評估我國公費接種對象之疫苗保護效力，並建立適用於流感的動態傳播模型 (SICR model)，估算達成群體免疫所需之公費接種對象目標接種率，並且透過文獻回顧，探討國際間對於不同流行狀況及不同疫苗吻合度情境下之公費接種對象疫苗保護效力資料。

在以健保申報資料分析 2019/2020 流感季流感疫苗接種情形之分析結果上，顯示 65 歲以上老年人 (46.5%) 及 0 至 3 歲幼兒 (51.9%) 有較高之接種率，而於各項流感事件指標中，研究族群約有 43.1% 因類流感就醫、2.6% 因流感就醫，因肺炎住院的比例則較低 (<1%)；另外，以因流感至門急住診就醫之指標為例，校正年齡、性別、居住地、共病情形、疫苗接種史後，各族群之流感疫苗保護效果介於 24% 至 55% 之間。在動態模型之建構與分析結果上，根據前述疫苗保護力結果、相關文獻、健保申報資料及專家意見設定各參數，並透過疾病管制署之統計資料對傳播機率參數進行校正，結果顯示各年齡層的傳播機率參數介於 0.2 至 0.6 之間，各年齡層達到群體免疫所需之疫苗接種覆蓋率介於 40% 至 70% 之間。此外，經彙整美國、英國和加拿大於 2016/2017 至 2021/2022 流感季之經實驗室確診流感之流感疫苗保

護效力相關研究結果，可知美國整體疫苗保護效力約介於 29% 至 40% 之間、英國約介於 15% 至 44% 之間、加拿大則約介於 42% 至 68% 之間；另因 2019 年底全球爆發新冠疫情影響，使得各國於 2020/2021 至 2021/2022 流感季多呈現低度流行狀態。

於政策應用之建議上，因流感疫苗保護力受流行病毒株與疫苗接種政策差異所影響，建立本土常規監測流感疫苗保護力機制甚為重要。此外，基於回溯性研究有其限制，建議我國可參考其他國家採取檢測陰性設計 (test-negative design)，得到即時疫苗保護力結果以因應不同流行情境，並預先調整疫苗接種策略。由動態模型模擬結果可知，對於流感傳播機率影響程度較大的參數為接觸率，因此非藥物介入仍為減少流感傳播之重要措施。最後，考量未來新冠疫情持續流行時間的不確定性和我國逐漸放寬非藥物介入措施的限制，可能發生潛在免疫負債情形，應加強宣導國人接種流感疫苗與 COVID-19 疫苗以即時獲得雙重保護力。

● 「醫療服務給付之前瞻性評估與本土機制之建立」案

研究目的為探討各國及相關醫療科技評估組織對於醫療服務創新發展的掌握方式及評估排序機制，透過資料分析與專家意見調查提供適合本土之創新醫療服務項目資訊整合模式建議方案，以供未來我國醫療服務預算編列之參考。研究方法包含透過各國官方網頁、國際前瞻性評估網絡組織及系統性文獻回顧方式收集各國對於創新醫療服務發展的掌握方法及評估排序機制；分析臺灣各保險醫事服務機構未列項目之申報資料，掌握國內尚未納入健保給付之新醫療服務項目；透過搜尋整理地方政府衛生局網站資訊並諮詢自費項目申請承辦人員及醫療院所醫事單位人員，了解自費項目發展概況；以及參考國際組織機制並運用專家意見調查結果，提出本土創新醫療服務項目資訊整合模式及前瞻性評估機制之建議方案。

在結果部分，彙整了國際上針對醫療服務之前瞻性掃描執行方式，以及澳洲 ASERNIP-S、英國 NIHR 及馬來西亞 MaHTAS 等國際組織執行醫療服務前瞻性評估之方法。其次，透過訪談與問卷方式，了解相關國家針對創新醫療服務納入國家健保項目之施行情形。接著，分析近三年來臺灣健保未列項申報情形、服務滲透率以及歷年皆未曾被使用的未列項名稱數量。最後，訪談地方政府衛生局人員及醫療機構服務申報單位，以了解相關醫療服務申請機制，並請教對於自費資訊收集的建議。

在政策應用建議部分，提出以下初步建議，以建立我國的醫療服務前瞻性評估機制。首先，建議定期透過主動搜尋資料庫及被動接收等方式辨識創新醫療服務項目。其次，經辨識之項目須符合「高價」與「預期有重大財務衝擊」等條件進行篩選。然後，通過篩選之醫療服務，依據專家會議決定之條件進行重要性之排序。最後，對排序優先之項目撰寫評估報告，報告內容包括醫療服務簡介、該疾病治療現況與財務影響等評估項目，以供做未來醫療服務預算編列之參考。

(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 2022 年完成之研究報告主題共 8 案，如下所列。

1. NGS 納入健保給付後之整體健保財務評估
2. 機械手臂輔助手術效益再評估 - 達文西直腸癌腹部會陰聯合切除術等 6 項
3. 機械手臂輔助手術系統達文西婦癌分期手術 - 子宮內膜癌
4. 機械手臂輔助手術系統 - 達文西根治性腎切除手術
5. 大腸直腸癌治療藥品給付規定依國際臨床指引進行分類統整及差異分析

6. 多發性骨髓瘤治療藥品給付規定依國際臨床指引進行分類統整及差異分析
7. 創新特材定義及精進特材價值評議 (Value Appraisal) 評估模式
8. 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「健保給付評估案之品質管控機制」報告。

提供全民健康保險醫療服務給付項目及支付標準之相關分析研究報告，於 2022 年完成 4 案，研究主題如下所列。

1. 2019 年至 2021 年未列項增修綜整分析報告
2. 國際診療項目給付規範及查詢指引手冊
3. 優化我國評估新醫療服務項目流程建議報告
4. 醫療服務給付項目及支付標準通盤檢視支付點數合理性及未來點數調整策略建議報告

另外，為協助提升健保醫療服務支付標準診療項目增修作業審查品質及效率，配合成立醫療服務支付標準增修工作團隊，完成「初審報告」、「專家徵詢報告」、「國內外價格分析報告」共 465 件，以及「增修診療項目評估報告」共 109 件。

而為協助我國精準醫療之發展與應用，查驗中心亦協助進行相關研究，執行以下 2 項研究案：

1. 多基因檢測平台應用於早期乳癌病人之成本效益評估 - 以 EndoPredict 為例
2. 國際醫療科技評估組織評估精準醫療之方法學探討

其中，「國際醫療科技評估組織評估精準醫療之方法學探討」案旨

在探討國際醫療科技評估組織評估精準醫療相關診斷醫療器材與藥品之方法學，以供我國醫療科技評估組織單位後續評估此類新醫療科技時有所依循。此研究透過文獻回顧，蒐集國際醫療科技評估組織評估精準醫療相關診斷醫療器材與藥品之方法學指引或建議；並且回顧國際醫療科技評估組織針對精準醫療相關診斷醫療器材與藥品之實際評估案例；以及提出適用於我國精準醫療相關診斷醫療器材與藥品醫療科技評估應考量與注意之處。

在結果部分，此研究蒐集到加拿大藥品及醫療科技評估機構（Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health, CADTH）、英國國家健康暨照護卓越研究院（National Institute for Health and Care Excellence, NICE）、澳洲藥品給付諮詢委員會（Pharmaceutical Benefits Advisory Committee, PBAC）、澳洲醫療服務給付諮詢委員會（Medical Service Advisory Committee, MSAC）與法國國家衛生管理局（The Haute. Autorité de santé, HAS）等國家醫療科技評估組織針對伴隨式診斷和 / 或輔助式診斷相關醫療器材或藥品以及不定腫瘤類型治療藥品所研議與發布相關方法學指引，以及此類精準醫療相關診斷醫療器材或藥品之公開醫療科技評估報告。而參考各國之方法學指引及評估案例，了解到未來醫療科技評估精準醫療相關新醫療科技時，針對需搭配伴隨式診斷的藥品，評估時除需評估藥品療效，也需考量伴隨式診斷之效能、檢測結果解讀及檢測結果對臨床治療行為的影響；針對伴隨式診斷或輔助式診斷醫療器材，評估時需考量生物標記在整體病人中的盛行率、檢視生物標記與相對應治療藥品間之相互依賴關係；針對不定腫瘤類型治療藥品，相關醫療科技評估組織在比較品、療效在不同腫瘤類型間之異質性、以腫瘤反應作為替代性療效指標等層面均給予方法學建議。

此研究根據現有可取得資料，針對需搭配伴隨式診斷的藥品、伴隨式診斷或輔助式診斷醫療器材、不定腫瘤類型治療藥品進行醫療科技評估時，提出方法學方面應考量與注意之處，供我國醫療科技評估組織於未來評估精準醫療相關新醫療科技時作為參考。

(五) 促進健保資源有效分配

查驗中心亦協助針對健保資源有效分配進行評估與提出建議，2022 年主要執行重點為針對健保已收載之藥品、特殊材料及醫療服務相關項目協助進行再評估作業。

於藥品、特殊材料再評估作業上，2022 年透過文獻回顧及國際合作方式彙整各國再評估的執行經驗，及對於未來可能面臨的挑戰提出對策建議，並以兩面向進行探討：(一) 精進健保署常規性醫療科技再評估制度及辦理已給付項目再評估，完成 10 項次子題之研究案，並包含彙整日本、韓國等國家藥價管理機制及運用 R-zone 等政策進行藥價調整的經驗；(二) 精進新藥預算預估方法，包含優化前瞻性評估 (Horizon scanning, HS) 運用於引進新醫療科技對健保預算影響之機制，並利用健保資料庫 real word data 驗證現有新藥預算估算方法與 HTA 評估模式及提出調整方案；另蒐集藥品使用量警示系統之國際執行實況，提出可行之政策建議。

其中「精進健保署常規性醫療科技再評估制度及辦理已給付項目再評估」之 10 項研究案主題如下：

1. 彙整國際已給付藥品藥價管理機制的經驗
2. 真實世界證據於 nusinersen (Spinraza) 之給付效益評估

3. 癌症用藥效益評估 - 以針對 EGFR 突變陽性的晚期非小細胞肺癌第一線使用標靶治療及針對第四期大腸直腸癌使用標靶治療的效益評估為例
4. 運用真實世界證據進行免疫檢查點抑制劑之給付效益評估
5. 乾癬生物製劑之醫療科技再評估
6. 已給付特殊醫材醫療科技再評估 - 長效型心室輔助系統 (三年資料庫)
7. 調整人工電子耳給付標準之評估案
8. 迷走神經刺激器登錄指標探討及使用現況分析
9. 經導管主動脈瓣膜置換術 (TAVI) 醫療科技再評估
10. 關節內注射劑之經濟效益再評估

而在醫療服務之再評估作業上，2022 年除參考各國社會保險運作模式，初步規劃符合我國全民健康保險醫療科技再評估制度及標準化作業流程，並且針對 5 項健保已納入給付且對健保財務衝擊較大之醫療服務進行再評估，包含：

1. 腎臟移植與透析於末期腎臟病治療之醫療科技再評估
2. 復健治療相關健保資源耗用的合理性及醫療科技再評估
3. 精神醫療治療診療項目的療效評估及醫療科技再評估
4. LDCT 篩檢補助計畫對健保短、中、長程財務衝擊
5. 居家透析 (腹膜、血液) 與院所血液透析之治療及經濟效益比較，及各國居家透析給付研究

前述各項目之再評估研究報告與建議，主要供作健保署後續相關給付支付政策修訂研議參考。以「腎臟移植與透析於末期腎臟病治療之醫療科技再評估」案為例，主要目的為比較居家腹膜透析及院所血液透析在治療及經濟層面之效益，並運用 2010 至 2020 年健保申報資料，分析國內透析治療現況，包含血液透析及腹膜透析之每年透析發生數及

每年透析盛行數，並呈現歷年趨勢及區域分布，以及分析慢性透析新發個案分別接受兩種透析模式後的治療效益，並比較居家腹膜透析與院所血液透析之治療效益。研究結果則顯示近年我國腹膜透析比例持平在約 10%，而觀察發生全死因死亡之風險，血液透析病人存活時間中位數為 5.58 年，腹膜透析病人為 7.93 年；未滿 75 歲、前一年之共病症主診斷無糖尿病、或開始透析前一年未使用過紅血球生成素之病人，使用腹膜透析之存活效益與院所血液透析相近；以及腹膜透析病人有顯著較低的年平均門急診透析花費。此研究發現就共病症負擔較少且較年輕的病人，腹膜透析之治療效益與院所血液透析相近，卻能統計上顯著減少總醫療支出，以及另考量我國腹膜透析比例仍有成長空間，故建議現階段可先針對此類病人鼓勵推動居家腹膜透析，待居家血液透析技術發展較成熟後再著手積極推行。

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衛生主管機關申請核准。

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 2022 年 1 月 20 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品質監督管理組申請 GTP 認可檢查。經過本中心審查細胞治療技術施行計畫及食藥署品質監督管理組查核後，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 16。

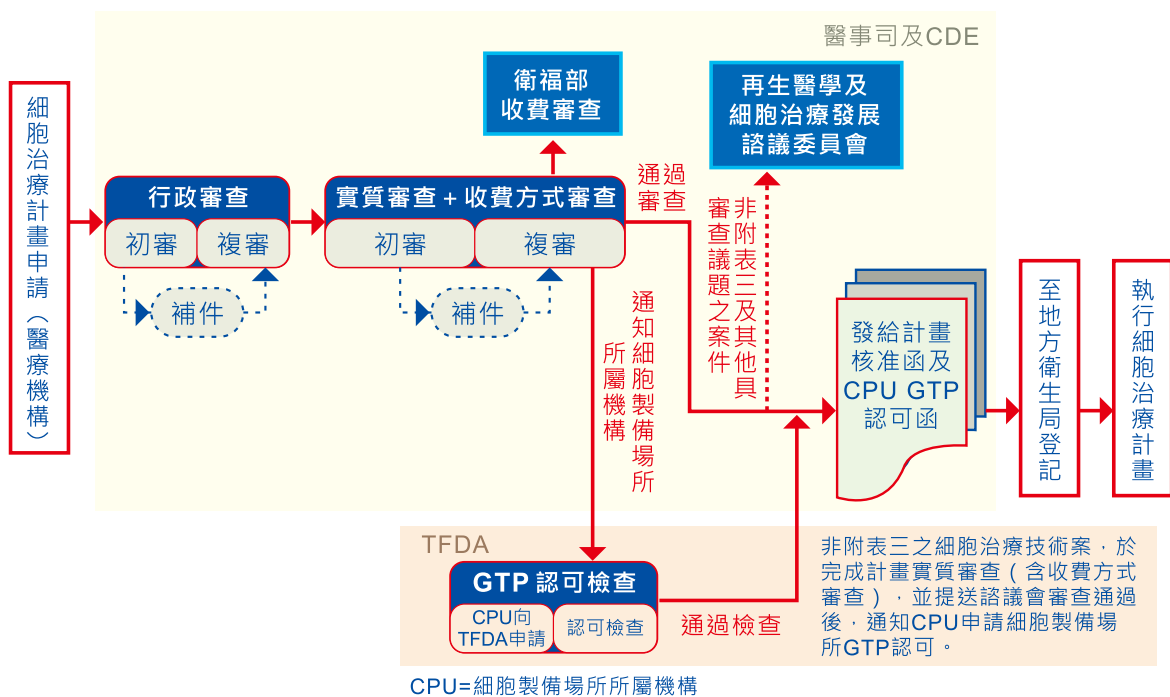


圖 16、細胞治療技術施行計畫審查流程圖

(一) 受理細胞治療技術施行計畫審查案

2022 年查驗中心受理細胞治療技術施行計畫審查案總計 96 件。96 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 95 件，特管辦法非附表三的案件共 1 件。進一步分析屬於特管辦法附表三的 95 件案件，依細胞項目類別分析，以自體脂肪幹細胞移植 27 件最多，其次自體免疫細胞治療 CIK (Cytokine-Induced Killer Cells) 26 件，自體免疫細胞治療 NK (Natural Killer Cells) 13 件，自體免疫細胞治療 GDT (Gamma-Delta T Cells) 10 件，自體纖維母細胞移植 6 件，自體免疫細胞治療 DC (Dendritic Cells) 5 件，自體骨髓間質幹細胞移植 4 件，自體免疫細胞治療 DC-CIK (Dendritic Cell-Cytokine-Induced Killer Cells) 3 件，自體軟骨細胞移植 1 件。細胞項目分類案件數及所占百分比如圖 17。

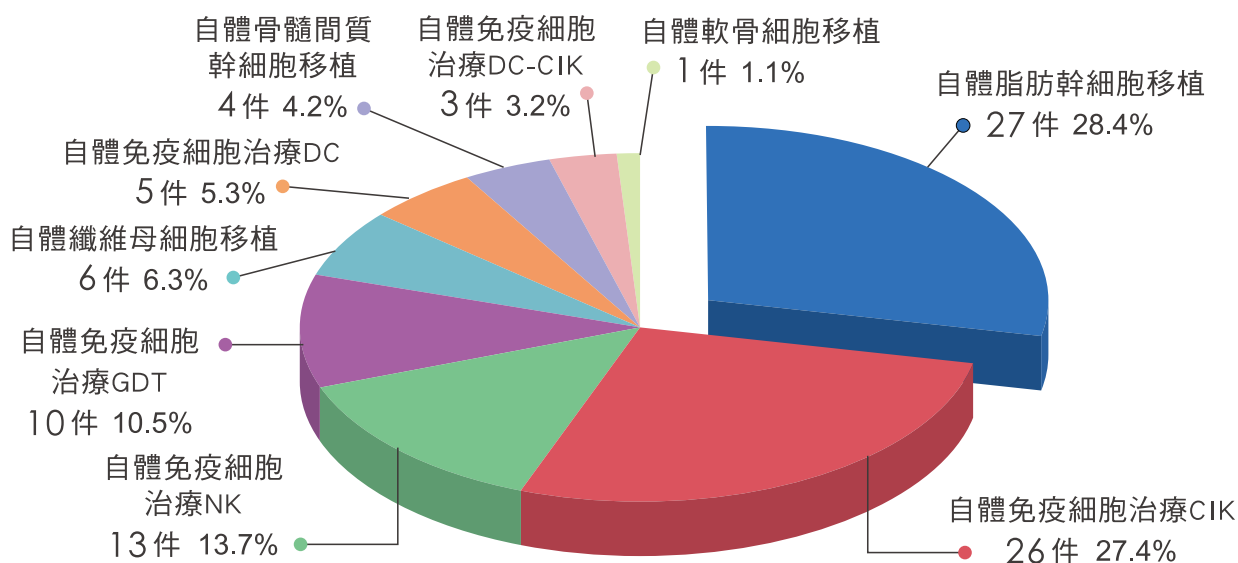


圖 17、2022 年受理細胞治療技術施行計畫審查屬於特管辦法附表三申請案 (依細胞項目分析)

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 43 件最多，其次為退化性關節炎及膝關節軟骨缺損 15 件，第一至第三期實體癌且經標準治療無效者 13 件，慢性或滿六週未癒合之困難傷口 9 件，皮膚缺陷 (皺紋、凹洞及疤痕之填補及修復) 6 件，皮下及軟組織缺損 5 件，脊髓損傷 2 件，血液惡性腫瘤經標準治療無效、膝

關節軟骨缺損各 1 件。適應症類別案件數及所占百分比如圖 18。

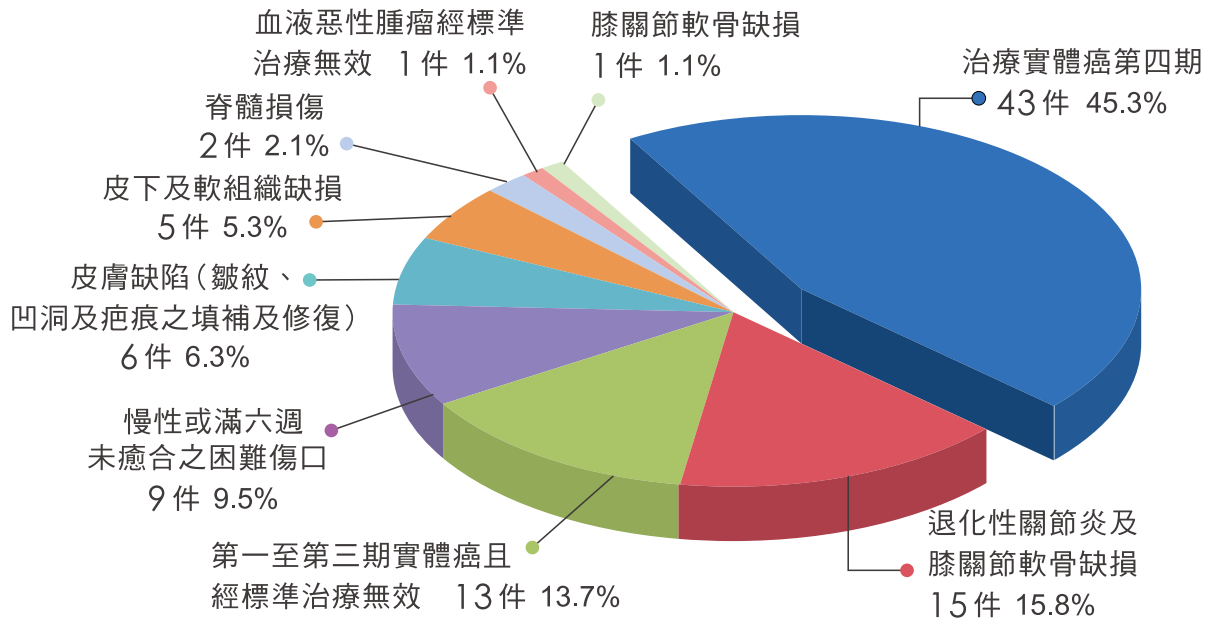


圖 18、2022 年受理細胞治療技術施行計畫審查屬於特管辦法附表三申請案 (依適應症分析)

(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 2022 年 12 月 31 日，已有 208 件細胞治療技術施行計畫書獲衛生福利部許可，其中，自 2022 年 1 月 1 日至 2022 年 12 月 31 日，許可計畫書共 89 件，詳見表 7。

表 7、2022 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	彰化基督教醫療財團法人 彰化基督教醫院	鑫品生醫科技股份有限公司
		三軍總醫院附設 民眾診療服務處	長聖國際生技股份有限公司

		臺北醫學大學附設醫院	鑫品生醫科技股份有限公司
		臺北市立萬芳醫院 - 委託財團法人臺北醫學大學辦理	鑫品生醫科技股份有限公司
自體免疫細胞治療 NK	實體癌 第四期	新光醫療財團法人 新光吳火獅紀念醫院	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
		醫療財團法人徐元智先生 醫藥基金會亞東紀念醫院	鑫品生醫科技股份有限公司
		衛生福利部雙和醫院 (委託 臺北醫學大學興建經營)	再生緣生物科技股份有限公司
		臺北市立萬芳醫院 - 委託財團法人臺北醫學大學辦理	基亞生物科技股份有限公司
		佛教慈濟醫療財團法人 台中慈濟醫院	基亞生物科技股份有限公司
自體免疫細胞治療 CIK	第一至 第三期 實體癌， 經標準 治療無效	新光醫療財團法人 新光吳火獅紀念醫院	路迦生醫股份有限公司
		奇美醫療財團法人 柳營奇美醫院	路迦生醫股份有限公司
		醫療財團法人徐元智先生 醫藥基金會亞東紀念醫院	路迦生醫股份有限公司
		臺北榮民總醫院	路迦生醫股份有限公司
		板橋中興醫院	路迦生醫股份有限公司
		臺中榮民總醫院	長春藤生命科學股份有限公司
		中山醫療社團法人中山醫院	精準生技股份有限公司
	阮綜合醫療社團法人 阮綜合醫院	阮綜合醫療社團法人 阮綜合醫院	
	實體癌 第四期	新光醫療財團法人 新光吳火獅紀念醫院	永鑫生醫科技股份有限公司 - 委託訊聯生物科技股份有限公司執行細胞製備
		新光醫療財團法人 新光吳火獅紀念醫院	路迦生醫股份有限公司

	奇美醫療財團法人 柳營奇美醫院	路迦生醫股份有限公司
	財團法人私立高雄醫學大學 附設中和紀念醫院	富禾生醫股份有限公司
	醫療財團法人徐元智先生 醫藥基金會亞東紀念醫院	路迦生醫股份有限公司
	臺北榮民總醫院	路迦生醫股份有限公司
	板橋中興醫院	路迦生醫股份有限公司
	臺中榮民總醫院	喜躍生醫股份有限公司
	佛教慈濟醫療財團法人 台中慈濟醫院	台灣尖端先進生技醫藥 股份有限公司
	中山醫療社團法人中山醫院	精準生技股份有限公司
	臺北榮民總醫院	長春藤生命科學股份有限公司
	台灣基督長老教會馬偕醫療 財團法人馬偕紀念醫院	長春藤生命科學股份有限公司
	臺中榮民總醫院	蓮見國際生技股份有限公司 - 委託訊聯生物科技股份 有限公司執行細胞製備
	臺南市立安南醫院 - 委託 中國醫藥大學興建經營	長聖國際生技股份有限公司
	中國醫藥大學新竹附設醫院	長聖國際生技股份有限公司
	高禾醫院	光晟生物科技股份有限公司
	台南市立醫院 (委託 秀傳醫療社團法人經營)	光晟生物科技股份有限公司
	國軍高雄總醫院 附設民眾診療服務處	光晟生物科技股份有限公司
血液惡性 腫瘤經 標準治 療無效	佛教慈濟醫療財團法人 花蓮慈濟醫院	台灣尖端先進生技醫藥 股份有限公司

自體免疫細胞治療 DC-CIK	第一至第三期 實體癌， 經標準 治療無效	長庚醫療財團法人 林口長庚紀念醫院	長庚醫療財團法人 桃園長庚紀念醫院
		中國醫藥大學附設醫院	長聖國際生技股份有限公司
	實體癌 第四期	長庚醫療財團法人 林口長庚紀念醫院	長庚醫療財團法人 桃園長庚紀念醫院
		衛生福利部雙和醫院(委託 臺北醫學大學興建經營)	沛爾生技醫藥股份有限公司
		中國醫藥大學附設醫院	長聖國際生技股份有限公司
		臺北市立萬芳醫院 - 委託 財團法人臺北醫學大學辦理	博惠生技股份有限公司
		義大醫療財團法人 義大癌治療醫院	長聖國際生技股份有限公司
佛教慈濟醫療財團法人 台中慈濟醫院	長聖國際生技股份有限公司		
自體免疫細胞治療 gamma- delta T	實體癌 第四期	中國醫藥大學附設醫院	長聖國際生技股份有限公司
		亞洲大學附屬醫院	長聖國際生技股份有限公司
		光田醫療社團法人 光田綜合醫院	長聖國際生技股份有限公司
自體脂肪 幹細胞 移植	退化性關節炎及膝 關節軟 骨缺損	臺中榮民總醫院	訊聯生物科技股份有限公司
		中正脊椎骨科醫院	沛爾生技醫藥股份有限公司 高雄分公司
		三軍總醫院附設 民眾診療服務處	向榮生醫科技股份有限公司
		景美醫院	向榮生醫科技股份有限公司
		屏基醫療財團法人 屏東基督教醫院	沛爾生技醫藥股份有限公司 高雄分公司
		臺北市立萬芳醫院 - 委託 財團法人臺北醫學大學辦理	訊聯生物科技股份有限公司

		佛教慈濟醫療財團法人 花蓮慈濟醫院	艾默生物醫學股份有限公司
		臺北醫學大學附設醫院	喜躍生醫股份有限公司
		中山醫學大學附設醫院	訊聯生物科技股份有限公司
		博田國際醫院	沛爾生技醫藥股份有限公司 高雄分公司
		活力得中山脊椎外科醫院	沛爾生技醫藥股份有限公司 高雄分公司
		長庚醫療財團法人 高雄長庚紀念醫院	向榮生醫科技股份有限公司
		醫療財團法人徐元智先生 醫藥基金會亞東紀念醫院	艾默生物醫學股份有限公司
		童綜合醫療社團法人 童綜合醫院	訊聯生物科技股份有限公司
		惠來醫療社團法人宏仁醫院	訊聯生物科技股份有限公司
		佛教慈濟醫療財團法人 大林慈濟醫院	訊聯生物科技股份有限公司
		佛教慈濟醫療財團法人 大林慈濟醫院	沛爾生技醫藥股份有限公司 高雄分公司
	皮下及軟 組織缺損	國軍高雄總醫院附設民眾診 療服務處	國璽幹細胞應用技術 股份有限公司
		麗晶診所	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	佛教慈濟醫療財團法人 花蓮慈濟醫院	訊聯生物科技股份有限公司
		財團法人私立高雄醫學大學 附設中和紀念醫院	博惠生技股份有限公司
		中國醫藥大學附設醫院	長聖國際生技股份有限公司
		臺北市立萬芳醫院 - 委託 財團法人臺北醫學大學辦理	訊聯生物科技股份有限公司
自體軟骨 細胞	膝關節軟 骨缺損	寶建醫療社團法人寶建醫院	三顧股份有限公司

自體纖維母細胞治療	皮膚缺陷：皺紋、凹洞及疤痕之填補及修復	國泰醫療財團法人 國泰綜合醫院	瑪旺幹細胞醫學生物科技 股份有限公司
		佛教慈濟醫療財團法人 花蓮慈濟醫院	三顧股份有限公司
		基督復臨安息日會醫療 財團法人臺安醫院	三顧股份有限公司
自體骨髓間質幹細胞治療	退化性關節炎及膝關節軟骨缺損	醫療財團法人徐元智先生醫 藥基金會亞東紀念醫院	華元生醫股份有限公司
		亞洲大學附屬醫院	長聖國際生技股份有限公司
		中國醫藥大學北港附設醫院	長聖國際生技股份有限公司
		臺南市立安南醫院 - 委託 中國醫藥大學興建經營	長聖國際生技股份有限公司
		中國醫藥大學新竹附設醫院	長聖國際生技股份有限公司
		中國醫藥大學附設醫院 臺北分院	長聖國際生技股份有限公司
	脊髓損傷	光田醫療社團法人 光田綜合醫院	長聖國際生技股份有限公司
		國軍高雄總醫院 附設民眾診療服務處	國璽幹細胞應用技術股份有限 公司
		佛教慈濟醫療財團法人 花蓮慈濟醫院	佛教慈濟醫療財團法人花蓮慈 濟醫院
		佛教慈濟醫療財團法人 台中慈濟醫院	台灣尖端先進生技醫藥股份有 限公司
		亞洲大學附屬醫院	長聖國際生技股份有限公司
		臺南市立安南醫院 - 委託 中國醫藥大學興建經營	長聖國際生技股份有限公司
		中國醫藥大學新竹附設醫院	長聖國際生技股份有限公司
		秀傳醫療財團法人 彰濱秀傳紀念醫院	長聖國際生技股份有限公司

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、付費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，查驗中心陸續接受衛生福利部、經濟部、國家科學及技術委員會（以下簡稱國科會；前稱「科技部」，於 2022 年 7 月 27 日改制）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。

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

2022 年查驗中心完成藥品法規諮詢案共計 505 件。

1. 以申請者類別區分

查驗中心完成藥品法規諮詢案 505 件，除了食藥署請辦案計有 120 件外，其餘 385 件中以國內生技醫藥廠商（包含國資藥廠 / 生技業者）189 件最多，其次為代理商 83 件，外資藥廠 71 件，醫界 / 學界 28 件，CRO 顧問公司 8 件，法人機構 6 件。案件數及所占百分比如圖 19。

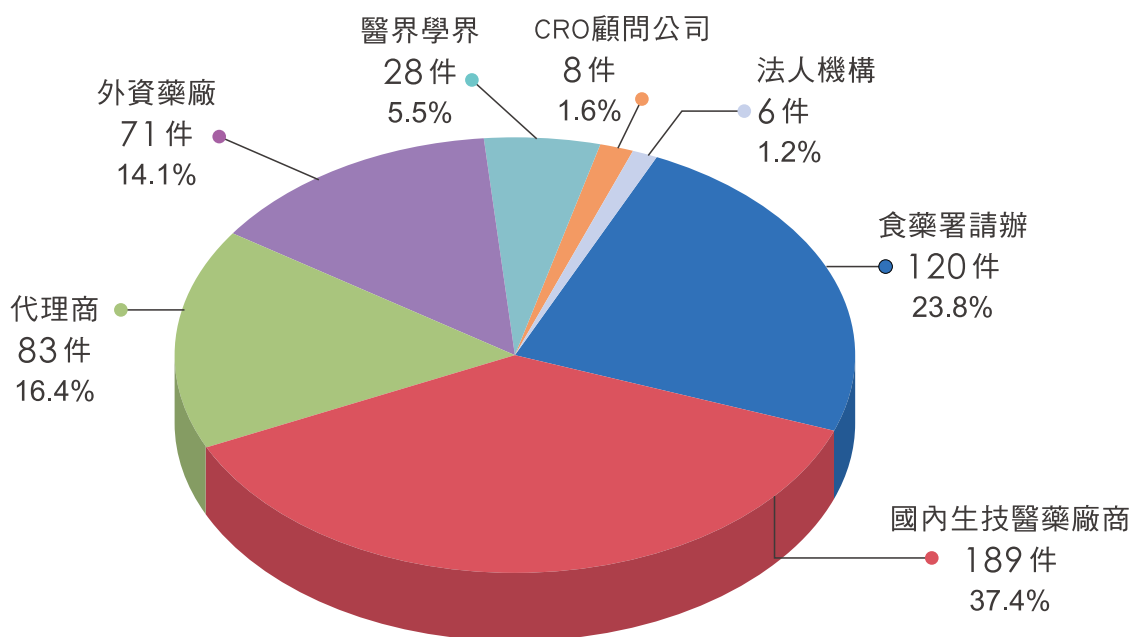


圖 19、2022 年藥品一般諮詢服務（以申請者類別區分）

2. 以藥品類別區分

依諮詢藥品類別分析，計有化學藥品 408 件，生物藥品 71 件，基因 / 細胞治療產品 22 件，植物新藥 3 件，複合性醫藥產品 1 件。案件數及所占百分比如圖 20。

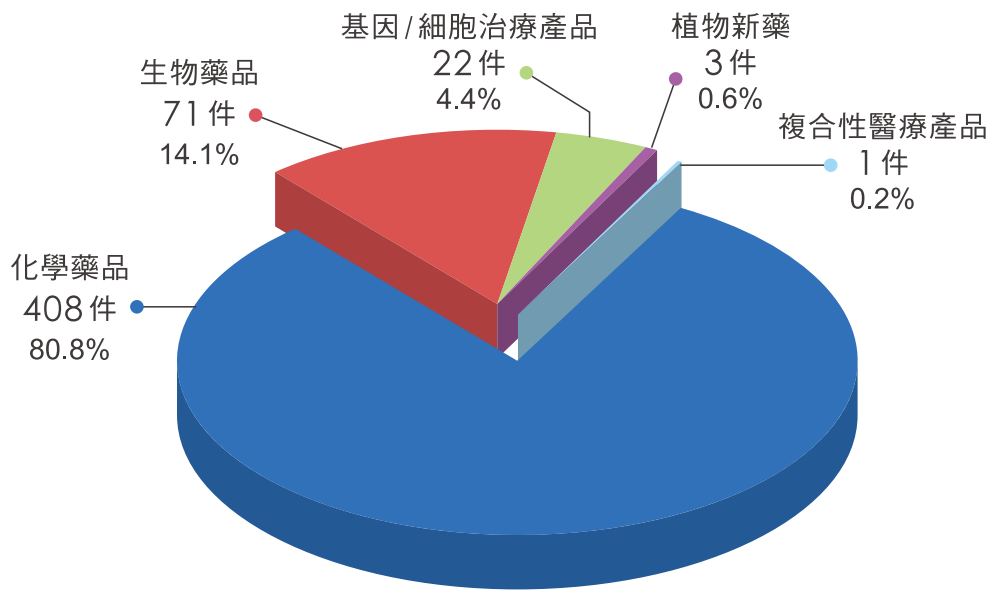


圖 20、2022 年藥品一般諮詢服務 (以藥品類別區分)

(二) 醫療器材一般諮詢服務

1. 線上申請諮詢

2022 年受理醫療器材法規一般諮詢線上申請案共計 221 件。

(1) 以申請者類別區分

主要以醫材業者諮詢 123 件最多，其次為醫界 / 學界 77 件，政府機關轉介 7 件，法人機構 5 件，生技業者 5 件，代理商 2 件，其他 2 件。案件數及所占百分比如圖 21。

(2) 以案件類別區分

醫療器材相關諮詢案件 221 件中，醫材相關法規驗證諮詢 115 件、一般法規諮詢 53 件、臨床試驗設計 37 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 8 件、函文解釋 5 件及查驗登記送件前諮詢 3 件。案件數及所占百分比如圖 22。

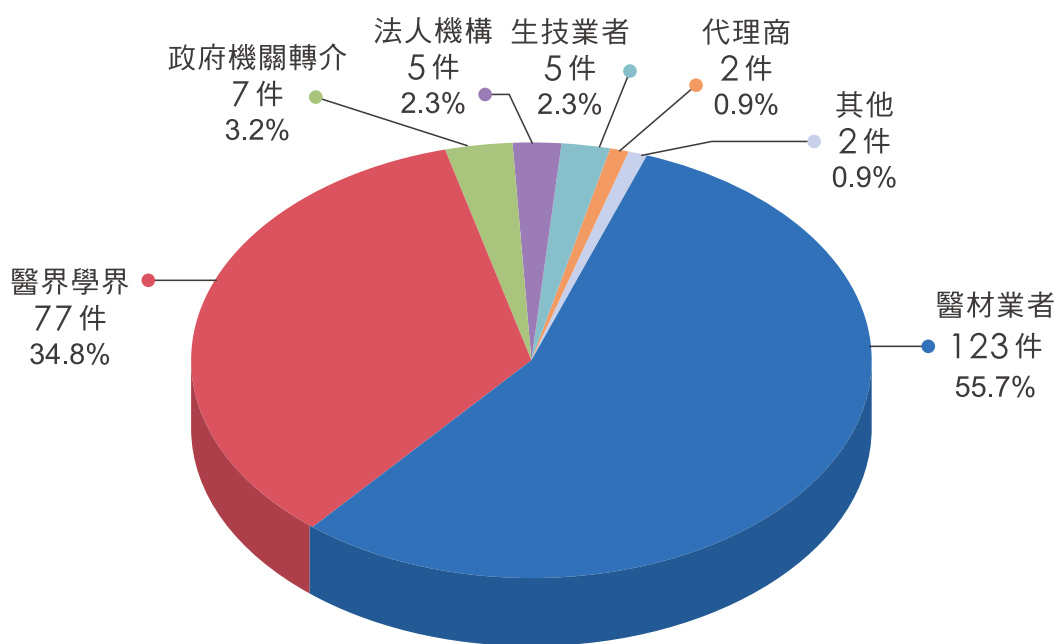


圖 21、2022 年醫療器材一般諮詢服務 (以申請者類別區分)

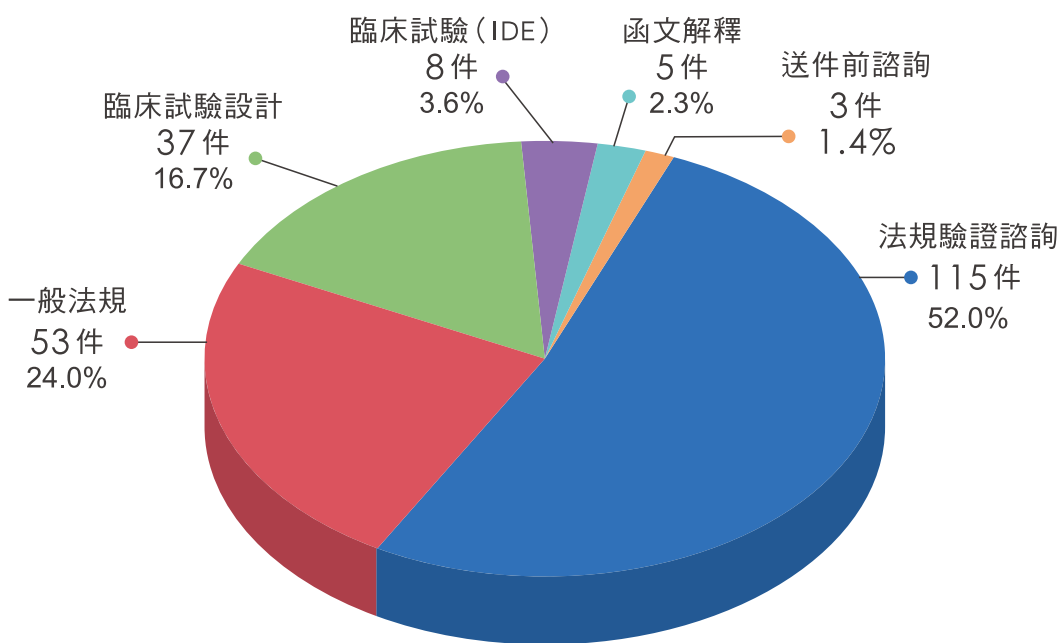


圖 22、2022 年醫療器材一般諮詢服務 (以案件類別區分)

2. 醫療器材諮詢專線

2022 年共接獲 30,964 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 23。

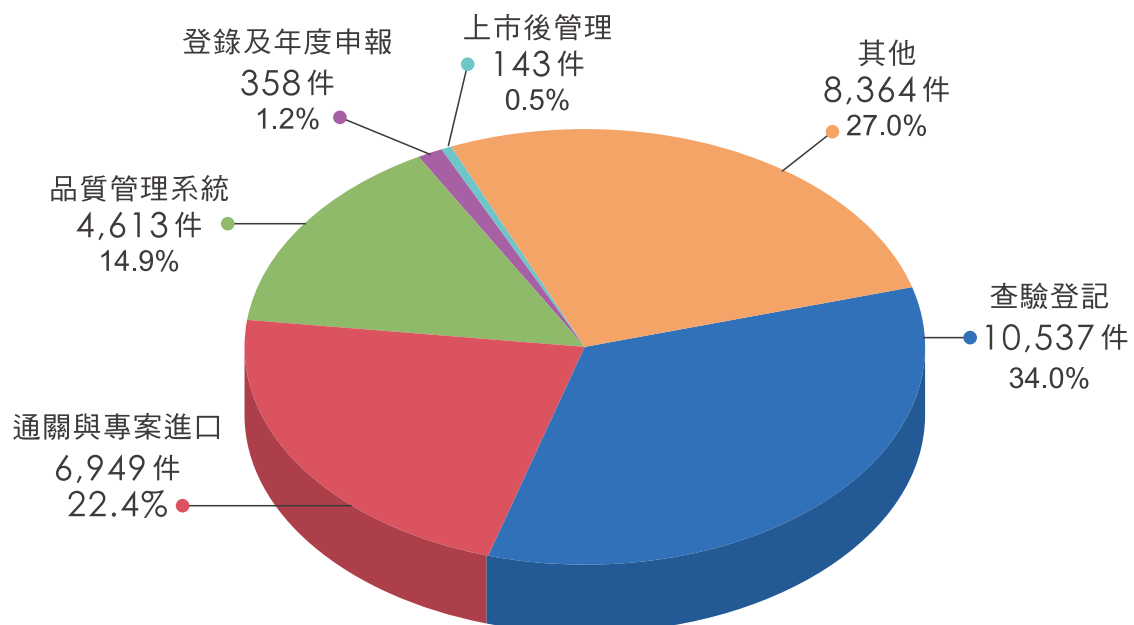


圖 23、2022 年醫療器材法規諮詢專線件數（以案件類別區分）

其中 10,537 件醫材查驗登記相關諮詢中，以許可證申請 5,231

件最多，其次為許可證變更 1,948 件，屬性管理諮詢 1,549 件，許可證展延 1,126 件，製售證明申請 187 件，其他 496 件。案件數及所占百分比如圖 24。

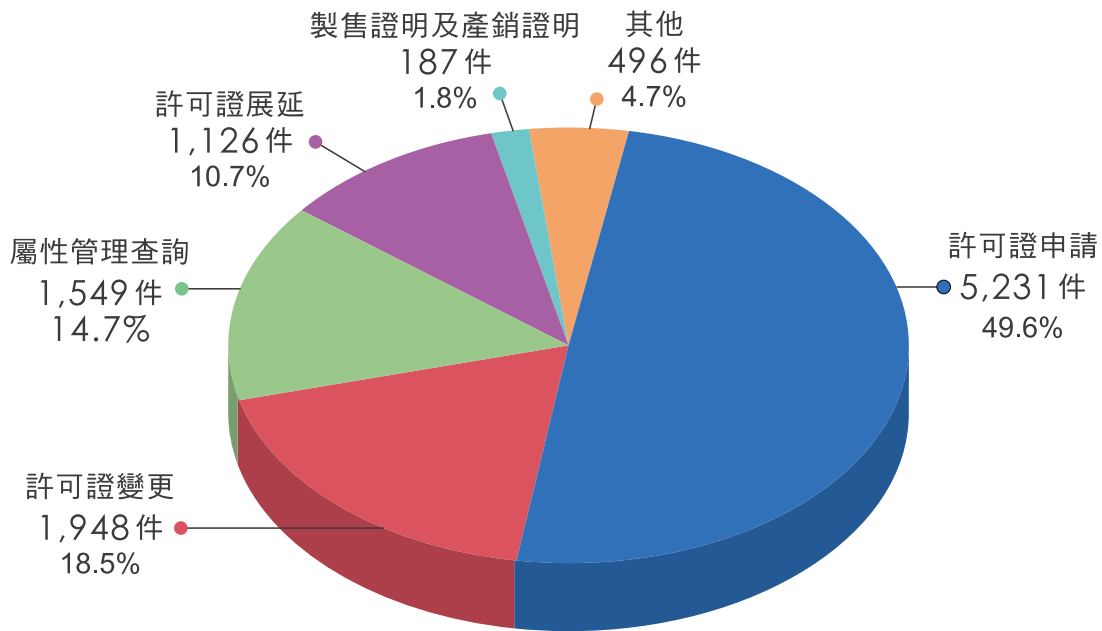


圖 24、2022 年與查驗登記相關之醫療器材法規諮詢專線案件分析
(以案件類別區分)

(三) 健康食品諮詢服務

1. 線上申請諮詢

2022 年受理健康食品線上申請諮詢共 93 件，其中諮詢類別多寡依序為安全性評估 54 件，包括安全性分類判定 51 件及安全性相關議題請辦單 3 件，安定性評估 32 件，包括延長保存期限 27 件及安定性相關議題請辦單 5 件，以及功效性評估 7 件；各類諮詢案案件數及所占百分比如圖 25。

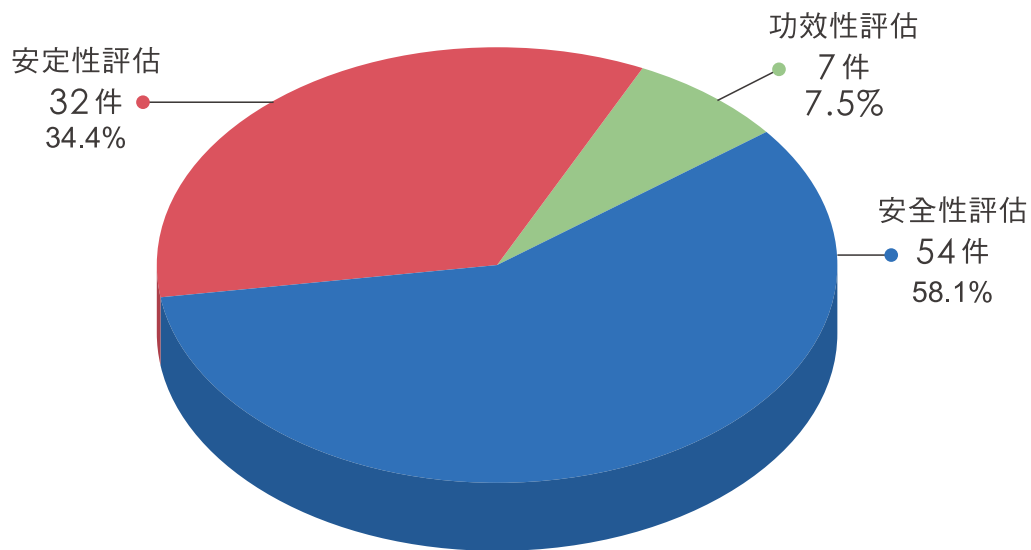


圖 25、2022 年健康食品線上諮詢服務 (以案件類別區分)

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。

2022 年受理健康食品電話諮詢 275 件及電子郵件諮詢 35 件。

(1) 以案件類別區分

依諮詢內容分類：許可證展延及變更 65 件、新案申請流程及費用 53 件、安定性評估 34 件、包裝標籤 23 件、健康食品管理法規 21 件、功效性評估 19 件、原料文件 14 件、衛生檢驗 8 件、安全性評估 7 件、確效及檢驗 6 件、製程良好作業規範 6 件，而其他類別則有 54 件。案件數及所占百分比如圖 26。

(2) 以申請者區分

以諮詢申請者區分：廠商 307 件，醫界 / 學界 2 件，其他 1 件。

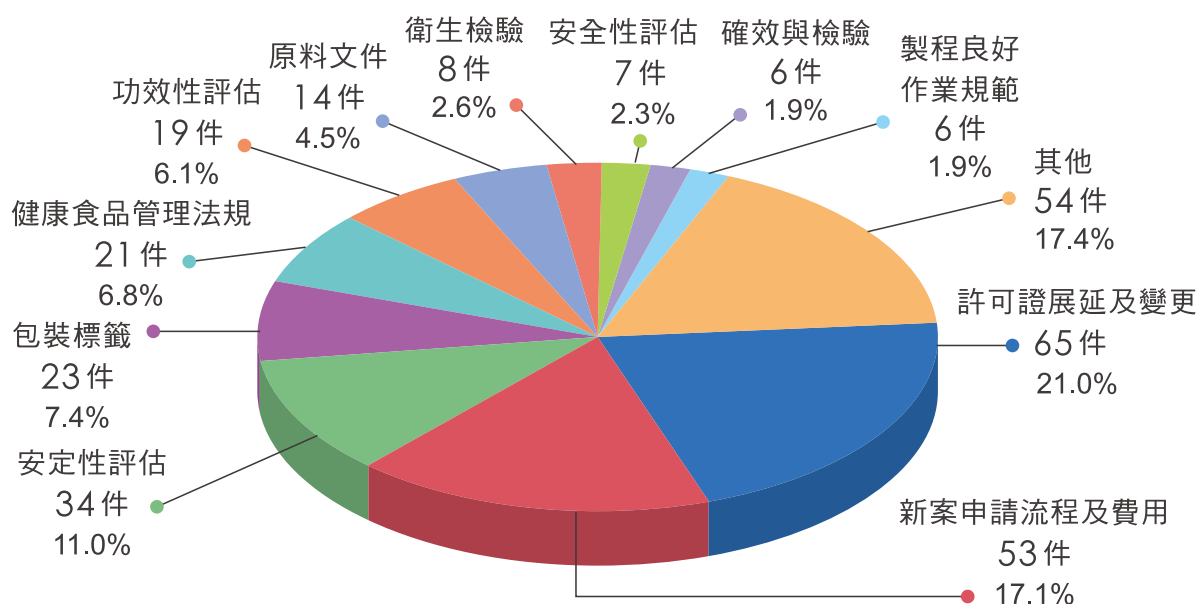


圖 26、2022 年健康食品電話及電子郵件諮詢服務 (以案件類別區分)

(四) 特殊營養食品諮詢服務

1. 線上申請諮詢

2022 年線上申請諮詢共 1 件，為食藥署請辦單。

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。

2022 年受理特殊營養食品電話諮詢 93 件，電子郵件回復共 10 件，回復內容包含審查相關案件及特殊營養食品管理相關法規諮詢。

(1) 以案件類別區分

依諮詢內容分類：特殊營養食品查驗登記新案申請與相關法規

48 件、展延變更轉移申請 18 件、包裝標籤 (含營養標示) 8 件、國外販售證明及產品試用報告 6 件、產品規格表及營養成分分析報告 6 件、原料成分含量表及原料相關文件 2 件、及其他類別 15 件。案件數及所占百分比如圖 27。

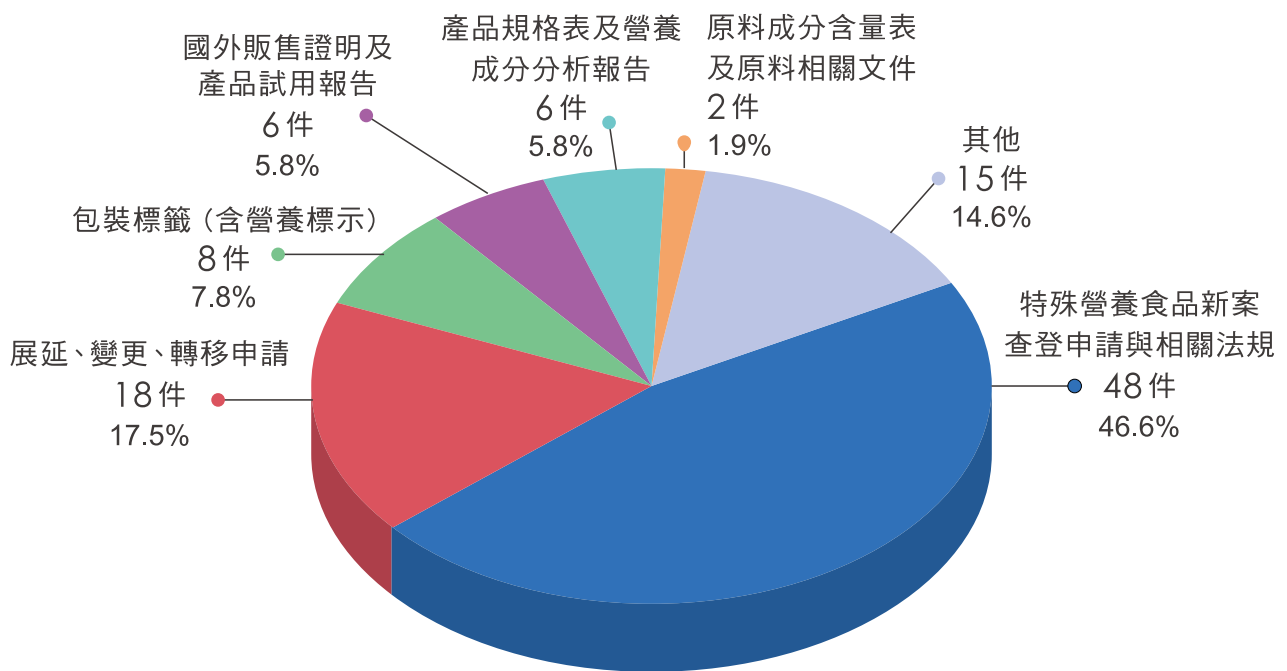


圖 27、2022 年特殊營養食品電話及電子郵件諮詢服務 (以案件類別區分)

(2) 以申請者區分

以諮詢申請者區分：2022 年之諮詢申請者皆為廠商。

(五) 醫藥科技評估諮詢服務

一般諮詢服務範圍為新特材或新醫療服務申請健保給付前之醫療科技評估諮詢，2022 年完成 7 件諮詢案件，包含特材 6 件及醫療服務 1 件。諮詢議題主要為申請健保給付之建議案資料如何填寫、資料準備方向、行政程序等。

(六) 細胞治療技術施行計畫諮詢服務

2022 年完成 11 件細胞治療技術施行計畫之諮詢案件，依案件類型區分，6 件為審查案件函文釋疑，5 件為行政法規諮詢。

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

2022 年間持續輔導的藥品指標案件總計 75 件，其中有 14 件為 2022 年新增指標案。2022 年提供法規科學諮詢的次數總計有 32 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 26 件，在一期臨床試驗階段 17 件，在二期臨床試驗階段 11 件，在三期臨床試驗階段 14 件，申請查驗登記階段 4 件，查驗登記核准函 3 件。各期程件數及所占百分比如圖 28。

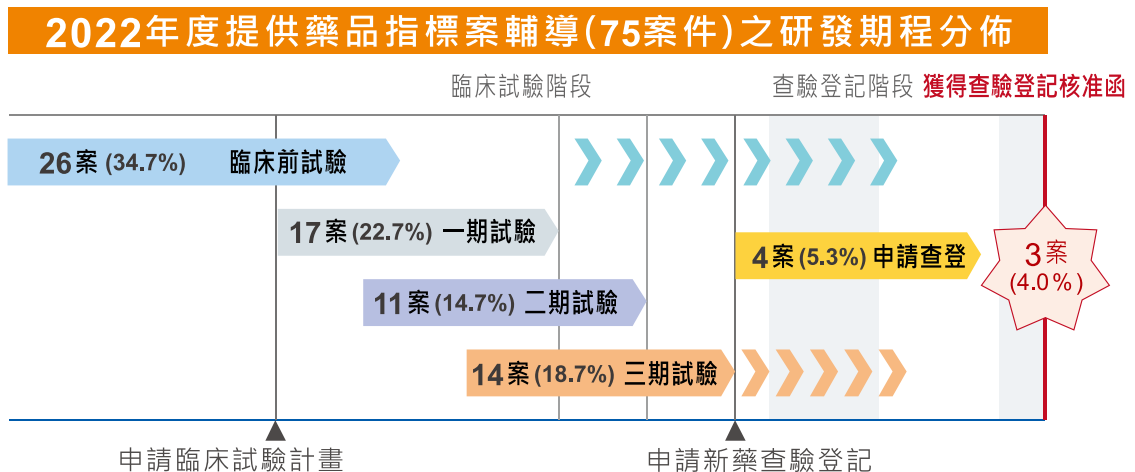


圖 28、2022 年藥品指標案件 (以研發期程分析)

(2) 以藥品類別區分

化學藥品 31 件最多，其次為生物藥品 25 件，細胞及基因治療產品 10 件，植物新藥 5 件，複合性醫藥產品 1 件，其他 3 件。案件數及所占百分比如圖 29。

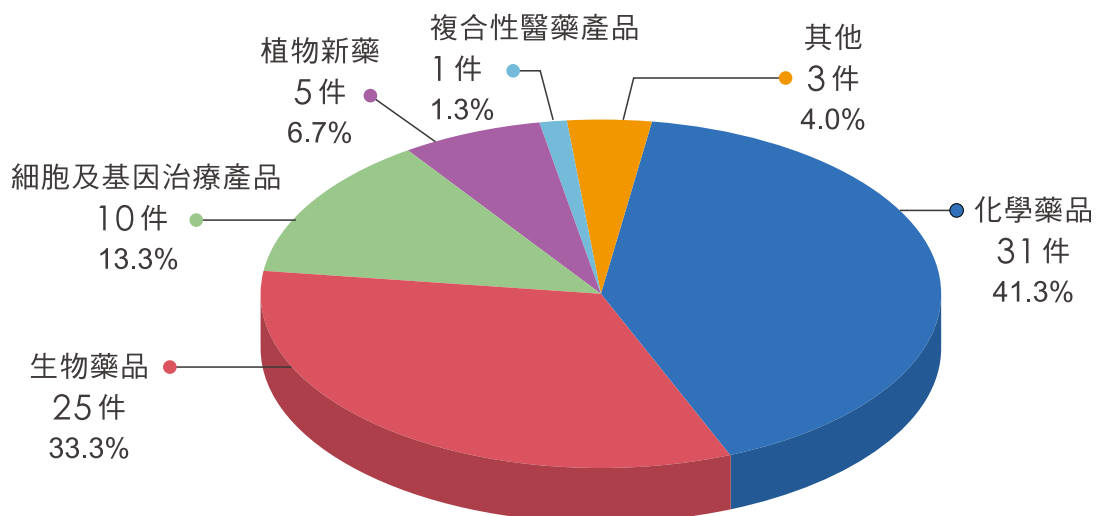


圖 29、2022 年藥品指標案件 (以藥品類別區分)

(3) 以申請者類別區分

國資藥廠 / 生技業者 56 件、法人機構 15 件、醫界 / 學界 4 件。案件數及所占百分比如圖 30。

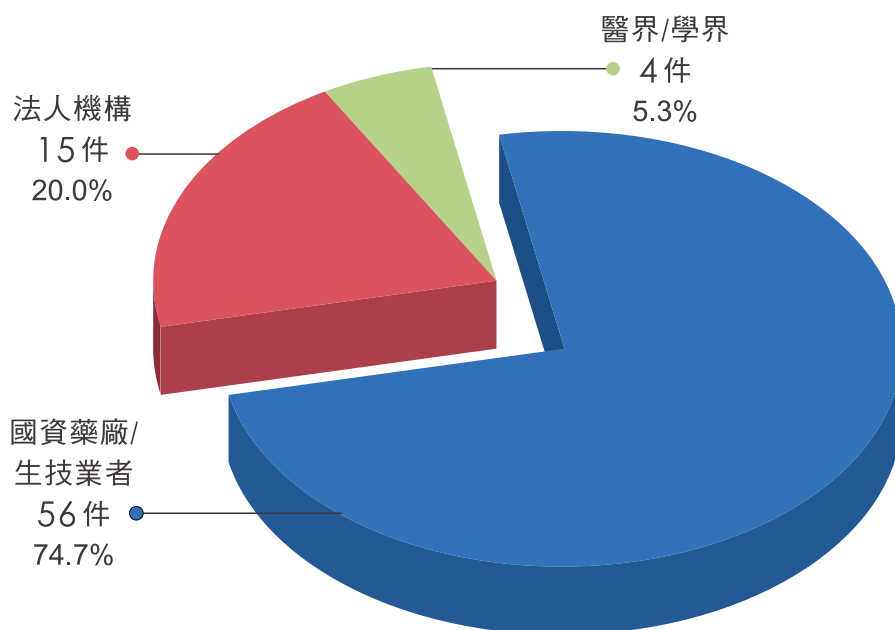


圖 30、2022 年藥品指標案件 (以申請者類別區分)

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。2022 年度成功達成上述里程碑者計有 11 件：獲得一期臨床試驗核准 3 件，獲得二期臨床試驗核准 5 件，獲得三期臨床試驗核准 1 件，申請新藥查驗登記 1 件及獲得查驗登記核准函 1 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，查驗中心積極與業者討論有關製劑國產化所面臨的化學製造管制議題與生體相等性試驗設計議題，協助審視目標族群適應症之樞紐性試驗設計，此外考量本品執行之多國多中心臨床試驗可能提早解盲，查驗中心亦提供臨床試驗變更建議及查驗登記技術性資料準備方向，協助調整本品整體查驗登記送件策略。本品開發多個適應症，分別於 2022 年 3 月及 11 月獲准執行一期臨床試驗及二期臨床試驗，2022 年總計達成二件輔導成果里程碑。

案例二 化學藥品研發案

本案自 2018 年列入指標案，歷經 1 次諮詢、14 次主動追蹤。查驗中心輔導化學製造管制相關議題，提醒藥品調製具潛在的風險性，業者應對藥品之品質與安全負責，建議以資料證明經無菌調製流程後之藥品具無菌性，確保該藥品經調製後仍屬安全，有助於申請者了解法規單位審查觀點，及早準備查驗登記時的技術性資料。本品一期臨床試驗於 2022 年 8 月獲食藥署准予執行。

案例三 生物藥品研發案

本案自 2022 年列入指標案，歷經 1 次諮詢、1 次主動追蹤。查驗中心輔導製造管制、藥毒理、臨床等相關議題，提供包含藥品

標籤內容及安定性試驗設計、起始劑量及預期有效劑量的合理性評估、加速調升及 **intra-patient dose escalation** 等建議與方向，協助業者鑑別並降低人體首次臨床試驗之風險，以確保受試者安全。本品一期臨床試驗於 2022 年 11 月獲食藥署准予執行。

案例四 化學藥品研發案

本案自 2012 年列入指標案，歷經 19 次諮詢、26 次主動追蹤。查驗中心針對化學製造管制、藥毒理、醫療器材及臨床等議題，提供原料藥變更銜接性比對試驗、容器封蓋系統安全性評估、非臨床試驗資料評估、併用醫療器材技術性資料準備、適應症擬定與臨床試驗設計等建議，密切與申請者溝通與討論，積極協助業者符合法規科學要求，突破法規科學障礙。本品已有一個適應症完成二期臨床試驗，業者於 2022 年 7 月獲食藥署准予執行不同適應症之二期臨床試驗。

案例五 細胞治療產品研發案

本案自 2016 年列入指標案，歷經 13 次諮詢、18 次主動追蹤。由於申請者對於細胞製程變更及製造廠變更須執行之比較試驗較不熟稔，查驗中心在輔導歷程中多次與業者針對本品之製程變更比較性試驗規劃項目評估進行討論，並提供非臨床試驗設計與資料評估、臨床試驗設計等專業法規科學建議，積極追蹤本品不同適應症之研發進程。本品已有二個適應症分別完成一期臨床試驗，其中一個適應症於 2021 年進入二期臨床試驗。本品再於 2022 年 3 月獲食藥署准予執行另一適應症之二期臨床試驗。

案例六 化學藥品研發案

本案自 2016 年列入指標案，歷經 15 次諮詢、16 次主動追蹤。查驗中心針對化學製造管制、藥毒理、臨床等議題與申請者進行多次討論，提供諸如 GLP 毒理試驗之試驗動物選擇與隻數、試驗設計、執行基因毒性試驗之必要性評估、生體分布、臨床試驗之劑量選擇與試驗設計、化學製造管制資料完備性評估等多項建議，調整本品一期及二期臨床試驗設計，同時協助申請者了解送件程序與法規科學審查要求，以期優化臨床試驗申請資料品質，縮短整體研發時程。本品二期臨床試驗於 2022 年 8 月獲食藥署准予執行。

案例七 化學藥品研發案

本案自 2014 年列入指標案，歷經 1 次諮詢、24 次主動追蹤。查驗中心針對化學製造管制、藥毒理、臨床等議題與申請者進行討論，協助訂定原料藥及製劑規格、評估新充填量之安定性試驗規劃、評估基因毒性試驗和生殖與發育毒性試驗的執行時間點、提供臨床試驗細部試驗設計調整建議，幫助業者加速臨床試驗核准進程。本品二期臨床試驗於 2022 年 3 月獲食藥署准予執行。

案例八 化學藥品研發案

本案自 2013 年列入指標案，歷經 1 次諮詢、25 次主動追蹤。查驗中心與業者討論本品之三期臨床試驗設計，提供受試者人數要求、主要療效指標及次要療效指標選取等建議，同時提醒本品使用之賦形劑、人體藥動學結果等注意事項，有助其了解法規單位審查

觀點，此外亦說明新藥查驗登記加速核准機制之認定評估要項，提供臨床試驗技術性資料準備方向，協助業者提前規劃產品查驗登記送件策略及下一步應進行事項。本品三期臨床試驗於 2022 年 4 月獲食藥署准予執行。

案例九 化學藥品研發案

本案自 2017 年列入指標案，歷經 1 次諮詢、14 次主動追蹤。查驗中心提供業者有關銜接性試驗評估及查驗登記送件資料準備方向，包含建議依照通用技術文件格式準備技術性資料、原料藥及成品安定性試驗、容器封蓋系統相容性測試、產品檢驗規格項目、藥動藥效資料注意事項、評估非臨床試驗資料、提供三期臨床試驗設計及主要療效指標選定等建議，並提醒查驗登記時應提供十大醫藥先進國家中一國採用證明之相關規定，有助於業者及早擬定全球上市策略及時程規劃。本品於 2022 年 6 月申請查驗登記。

案例十 疫苗研發案

本案自 2014 年列入指標案，歷經 10 次諮詢、24 次主動追蹤。查驗中心提供臨床試驗之納入排除條件、受試者人數評估、劑量選擇等建議，說明製造管制之批次製造紀錄與安定性試驗要求，並針對變更適應年齡層之三期臨床試驗，與業者討論臨床試驗設計、主要及次要療效指標選定、接種劑數評估、送件策略等議題。本品於 2022 年 7 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

2022 年醫療器材專案輔導之指標案件共計有 34 件，依研發階段分類，在臨床前階段有 27 件，在臨床試驗階段有 4 件，在查驗登記階段有 1 件，其中有 2 件取得醫療器材上市許可。

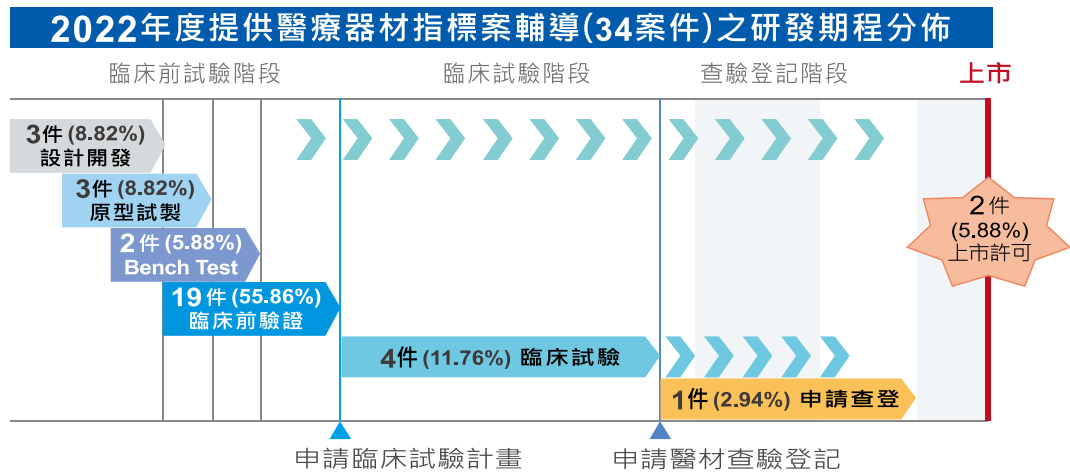


圖 31、2022 年醫療器材指標案件 (以研發階段區分)

(2) 以產品等級區分

34 件醫療器材指標案件中，包含第一等級醫療器材 2 件、第二等級醫療器材 16 件，第三等級醫療器材 9 件，新醫療器材 5 件及 2 件尚待評估醫療器材之屬性及其列管等級。

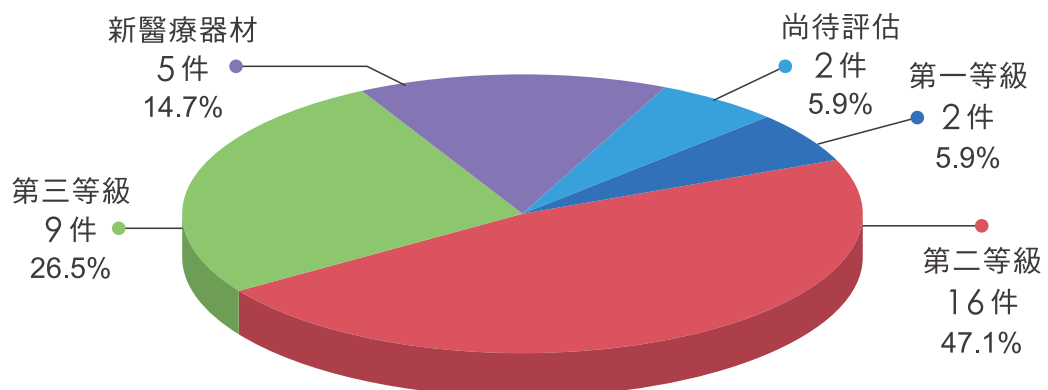


圖 32、2022 年醫療器材指標案件 (以產品等級區分)

2. 醫療器材指標案件法規科學諮詢輔導主要成果

34 件醫療器材指標案件諮詢輔導案件中，於 2022 年有 1 件申請臨床試驗案、有 1 件臨床試驗案獲核准、有 1 件申請產品查驗登記、有 2 件取得國內醫材上市許可。

醫材輔導成效案例說明

案例一 超音波電腦輔助診斷系統

本案自 2019 年列入指標案件輔導，廠商於 2019 年中諮詢臺灣及美國申請查驗登記用臨床試驗申請之內容。中心輔導團隊針對試驗設計、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，至 2021 年底取得美國 510(k)，並於 2022 年 7 月取得我國醫療器材許可證。

案例二 多階段智慧影像輔助診治醫材軟體

本案自 2020 年底列入指標案件輔導，中心輔導團隊提供相關法規意見，包含臨床前測試、臨床試驗統計評估、及產品分類管理等法規途徑等。於 2022 年 7 月通過醫院 IRB 臨床試驗核准，並於同年 8 月申請查驗登記。本案產品於 2022 年 11 月正式取得醫療器材上市許可證。

案例三 體置換裝置

本案自 2021 年中列入指標案件輔導，中心輔導團隊針對臨床試驗計畫書內容、試驗設計、臨床試驗申請及查驗登記之諮詢給予建議。諮詢團隊於 2022 年 7 月向食藥署申請學術研究用臨床試驗，於同年 11 月取得核准並予以執行。

三、付費諮詢服務

為促進產業發展，查驗中心彙整累積多年的審查經驗，於 2018 年起陸續推出藥品、細胞治療技術、醫療科技評估、醫療器材等各類型之付費諮詢服務，以協助廠商擬定研發策略、於規劃階段即可了解技術性資料要求、於研發過程中及早納入法規的考量與規劃、及早釐清案件資料的潛在缺失、優化送件資料品質，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。

(一) 藥品付費諮詢服務

查驗中心以促進產業發展、增加國際競爭優勢及建立諮詢服務之品質、透明化及一致性為目的，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：

1. 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。

2. 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。
3. 研發策略諮詢 (Regulatory consultation services) : 包含銜接性試驗策略評估、查驗登記策略評估、其他計畫書諮詢等項目。

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，依據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、策略商談、查驗中心受理後成立諮詢團隊提供深入之法規科學建議、以書面意見及諮詢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。

2022 年新制付費諮詢案件結案共有 53 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：

2022 年藥品付費諮詢案件結案計有 53 件。新藥查驗登記策略評估 21 件，臨床試驗諮詢 22 件，臨床試驗預審 2 件，銜接性試驗策略評估 3 件，其他計畫書諮詢 5 件。案件數及所占百分比如圖 33。

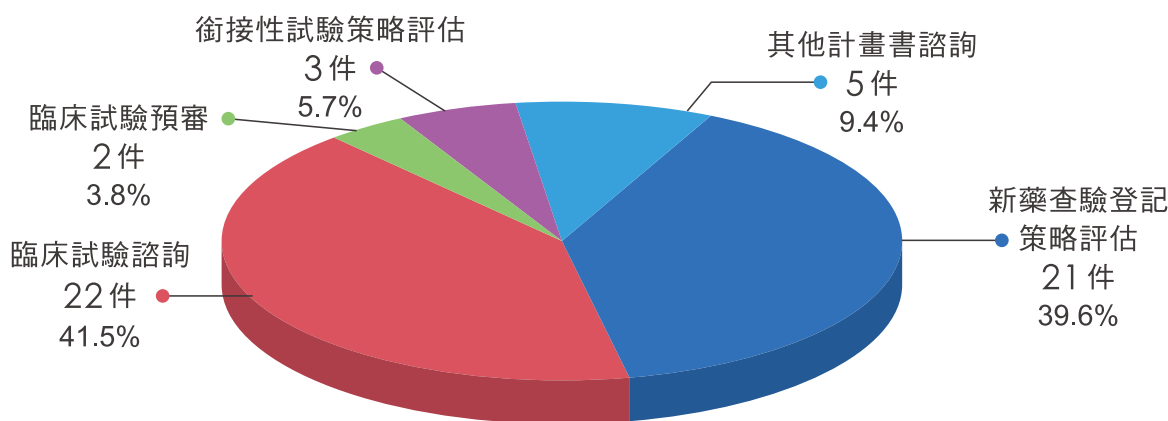


圖 33、2022 年藥品付費諮詢案 (以案件類別區分)

(2) 以藥品類別區分：

2022 年藥品付費諮詢案件結案計有 53 件。化學藥品 28 件，生物藥品 16 件，細胞治療產品 8 件，複合式醫藥產品 1 件。案件數及所占百分比如圖 34。

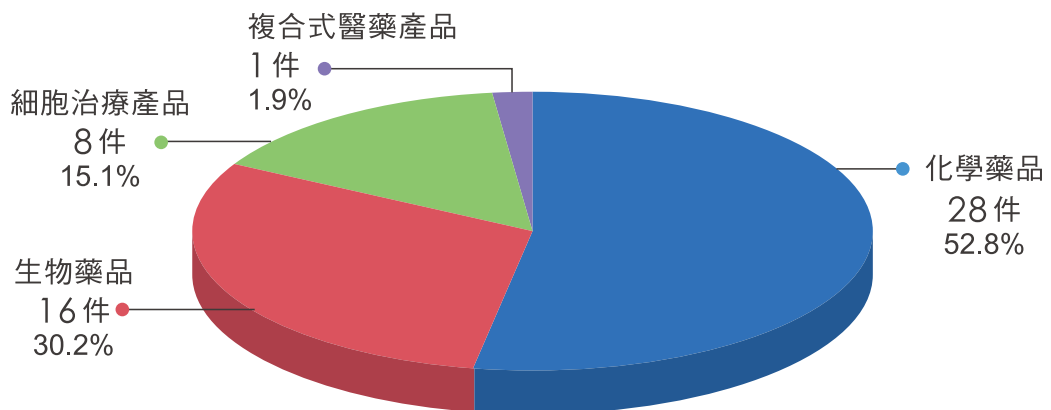


圖 34、2022 年藥品付費諮詢案 (以藥品類別區分)

(3) 以申請者類別區分：

2022 年藥品付費諮詢案件結案計有 53 件。國資藥廠 / 生技業者 34 件，外資廠商 12 件，CRO / 顧問公司 5 件，代理商 1 件，法人機構 1 件。案件數及所占百分比如圖 35。

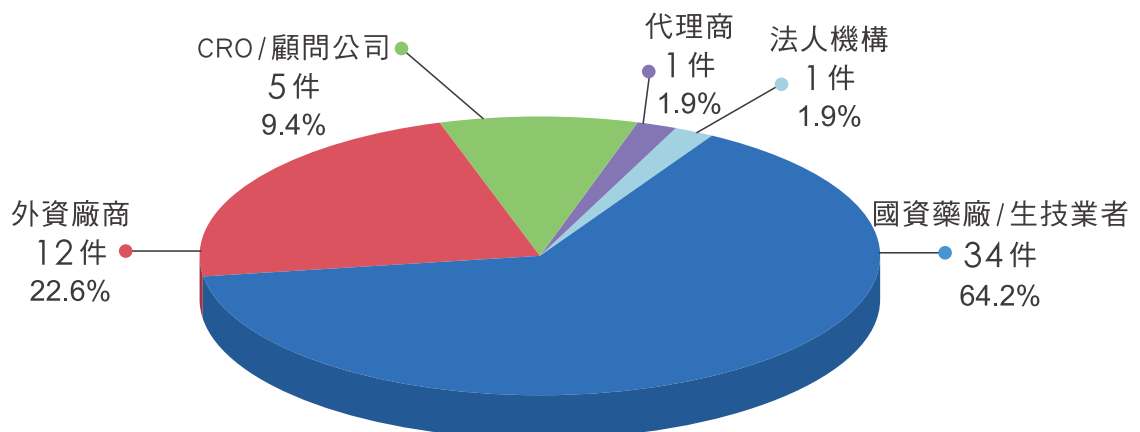


圖 35、2022 年藥品付費諮詢案 (以申請者類別區分)

(4) 學名藥查驗登記付費諮詢：

2022 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 11 件，包含學名藥策略諮詢服務 6 件、學名藥查驗登記案諮詢服務 4 件及學名藥查驗登記送件前諮詢會議 1 件。

(二) 細胞治療技術付費諮詢服務

為促進細胞治療技術研發與產業發展，查驗中心於 2021 年建立「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，而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，期藉由此機制協助申請者於規劃階段即可了解並完善齊備技術性資料。

(三) 醫療科技評估付費諮詢服務

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 (方案 A)：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 (方案 B)：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（方案 C）：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。

2022 年醫療科技評估付費諮詢案件結案計有 6 件，申請單位均為外資廠商，申請諮詢方案均為方案 C。以諮詢藥品類別區分，新成分新藥 1 件、給付條件修訂藥品 1 件、執行本土藥物經濟學研究藥品 4 件。

（四）醫療器材付費諮詢服務

查驗中心為促進醫療器材產業發展，於 2022 年建立「醫療器材付費諮詢」協助產學研各界於醫療器材研發的過程，及早納入法規的考量與規劃，以符合上市法規的要求，從產品上市的法規科學策略、臨床前試驗，以及臨床試驗等三大面向，給予法規科學的評估建議，使協助開發的醫材產品，盡快找到合適的法規定位，對應準備完整及合理的臨床前及臨床試驗規劃與文件。明訂諮詢服務項目包含五大項目：

1. 法規科學策略諮詢：提供產品上市法規途徑之分析，包含產品屬性與分類分級評估、類似品評估（搜尋與列舉）、是否需臨床試驗與臨床前測試項目建議，以及預期用途或適應症評估。
2. 臨床前試驗設計諮詢：提供醫療器材臨床試驗設計（計畫書）之缺失診斷及建議。

3. 臨床前測試報告評估諮詢：提供醫療器材臨床前測試報告之缺失診斷及建議。
4. 臨床試驗設計諮詢：依個案試驗設計給予建議，著重討論臨床試驗設計以及支持臨床試驗之技術性資料要求。
5. 臨床試驗送審技術性資料評估諮詢：醫療器材臨床試驗申請案送審技術性資料評估。

申請者可在醫療器材開發期間、申請臨床試驗前及申請查驗登記前等各種時程，依據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）、查驗中心受理後成立諮詢團隊提供深入之法規科學建議、以書面意見與諮詢會議形式回覆申請者。

2022 年付費諮詢案件共有 8 案，依諮詢議題分別為上市法規途徑建議 2 案、臨床試驗設計 4 案、適應症評估 1 案及查驗登記送審文件評估 1 案；申請者類別包含醫材業者 4 件、醫界 / 學界單位 4 件，產品包含超音波熱治療系統、細胞影像與生化分析系統、腦刺激體外機、運動心電圖冠狀動脈阻塞偵測軟體、經肝動脈放射性栓塞治療系統、青光眼治療系統、髓內釘螺孔定位器等。

四、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 / 國科會、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。透過計畫審查與計畫執行進度評估時提供法規建議，以作為科技部/國科會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 2022 年執行轉譯臨床主軸 - 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 13 件、醫療器材類案件 74 件。各類案件之件數統計如表 8。

表 8、2022 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 / 國科會及衛生福利部相關計畫審查	12	69	81
科技部 / 國科會及衛生福利部相關計畫進度評估	1	5	6
合計	13	74	87

計畫審查及進度評估案件來源包含：(1) 科技部運用法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、(8) 國科會之超高齡社會之精準再生醫學啓航計畫。

(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)」，介紹當今生技醫藥與藥物研發的法規科學新知。

2022 年共完成 205 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 103 件、法人科專 79 件、學界科專 23 件)，各類案件之件數統計如表 9。

表 9、2022 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	0
	計畫書審查	5	13
	期中查證	2	3
	期末查證	0	0
	全程查證	0	0
法人科專	構想書審查	0	0

	計畫書審查	17	16
	期中查證	12	7
	期末查證	13	4
	全程查證	4	6
業界科專	快速審查臨床試驗計畫送件資料檢查	8	0
	構想書審查	5	8
	計畫書審查	17	13
	期中查證	26	13
	期末查證	0	1
	全程查證	6	6
	營運計畫審查	0	0
總計		115	90

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。

2022 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) 修訂「人類細胞治療產品捐贈者合適性判定基準」草案
- (二) 修訂「生理藥動學分析報告指引基準」草案
- (三) 修訂「藥品臨床試驗納入性別考量指引基準」草案
- (四) 修訂「生物相似性藥品查驗登記基準」草案
- (五) 修訂「植物藥新藥查驗登記審查基準」草案
- (六) 修訂「人類基因治療製劑查驗登記審查基準」草案
- (七) 修訂「人類細胞治療製劑查驗登記審查基準」草案
- (八) 研擬「再生醫療製劑製程中使用生物性原料之規範」
- (九) 研擬「嵌合抗原受體 (Chimeric Antigen Receptor, CAR) T 細胞產品研發策略基準」
- (十) 評估以電子健康記錄和醫療給付資料支持藥品與生物製劑的法規決策指引
- (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
- (十六) 模型輔助藥物開發之藥物動力學考量重點
- (十七) 於 NDA 與 IND 的生體可用率試驗之研發策略指導原則
- (十八) 開發新型冠狀病毒緊急使用授權之單株抗體藥品的品質法規考量重點
- (十九) 小兒藥品之非臨床安全性測試指導原則
- (二十) 臨床試驗調整設計之統計指導原則
- (二十一) 疫苗產品之臨床研發策略指導原則
- (二十二) 單臂試驗採用外部對照組之研發策略指導原則

二、醫療器材類：

- (一) 研擬「皮膚表面黏合用之組織黏合劑與傷口閉合裝置臨床前測試基準」草案
- (二) 研擬「人工水晶體臨床前測試基準」草案
- (三) 研擬「隱形眼鏡用保存產品臨床前測試基準」草案

三、健康食品類：

- (一) 公告「健康食品之輔助調節血壓保健功效評估方法」
- (二) 預告「健康食品之牙齒保健功效評估方法」

陸、審查業務品質管

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

查驗中心為管控各項審查案件推進之時程，確實落實各類案件依照相關標準作業程序所訂定之審查時程、完成所定指標。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，以期審查案件品質管理機制能不斷精進、更加完善。

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，2022 年完成制定與更新之 SOP 及相關表單共 49 項，包含業務類 10 項及行政管理類 39 項。

三、辦理「審查報告品質評估」

每年邀請藥品、醫療器材等各專業領域之國內外專家擔任委員，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，交由委員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。

2022 年度已完成藥品查驗登記審查案 (NDA 臨床部分)、藥品查驗登記審查案生物製劑 (NDA Bio 部分)、學名藥品查驗登記審查案化學製造管制 (ANDA CMC 2)、醫療器材第二等級及第三等級查驗登記案 (C2D)、與藥物經濟與療效評估案 (HTA) 之外部委員評估作業。委員針對所抽查審查報告中呈現之分析與評估結論及報告結構與寫作方式之品質，給予肯定。認為報告中的陳述合理、適當與詳盡，對於案件的補充、修正都能給予建設性的建議，提供改進的方向。而委員對於審查報告與流程亦提出建議，如：報告部份欄位格式的一致性、跨多重領域的審查案件 (例如同時包含藥品與醫療器材之案件) 應建置相關協審流程、優質的審查報告可多做為內部教育訓練與分享等。委員之評估建議後續會列為中心審查作業與管理改進，及稽核實施成效評估之參考。

柒、厚植法規科學人才

一、受邀擔任外部研討活動講師

2022 年查驗中心同仁共有 80 人次受邀於國內各大研討會擔任講師，包括藥品相關主題 47 人次、醫藥科技評估相關主題 24 人次及醫療器材相關主題 9 人次。

表 10、2022 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
2022 藥物法規暨健保給付制度系列課程	財團法人 中華景康藥學基金會	簡伶蕤
台灣執行醫療科技再評估 (HTR) 之機制及研究成果說明	社團法人台灣藥物經濟暨效果研究學會	蔡欣宜
台灣臨床試驗資訊平台暨主持人資料庫介紹	國泰醫療財團法人 國泰綜合醫院	劉奕亭
如何撰寫研究計畫書	長庚醫療財團法人 林口長庚紀念醫院	陳怡安
疫苗臨床試驗	中央研究院	詹明曉
特管辦法細胞治療技術現況	財團法人中國生產力中心	湯依寧
國際對於個人化醫療給付策略及模式經驗摘要	社團法人台灣分子醫學會	黃莉茵
癌症免疫療法對免疫系統的影響及感染症的新挑戰	財團法人國家衛生研究院	陳怡安

臨床前新藥開發之策略與實務	財團法人 自強工業科學基金會	葉嘉新
臨床試驗法規	台灣放射腫瘤學會	陳怡安
醫療器材臨床試驗 相關法規及申請	台灣臨床研究 倫理審查學會	倪子訓
藥品元素不純物管控 - 審查要求	社團法人 台灣藥物品質協會	廖姿雅
健康食品查驗登記法規 暨常見缺失說明	財團法人 生物技術開發中心	許育宏

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至國防醫學院，擔任「新藥管理審查實務」課程講師、新藥科技組詹明曉組長至臺灣大學，擔任「守護健康 - 談藥品法規科學」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輔仁大學，擔任「生技製藥法規與管理」課程講師；藥劑科技組楊詩盈小組長至成功大學，擔任「種族銜接性試驗與藥品許可證申請」之課程講師；諮詢輔導中心湯依寧副主任至臺灣大學，擔任「台灣細胞與基因治療法規管理現況」課程講師；諮詢輔導中心徐立峰審查員至臺北醫學大學，擔任「藥物動力學」課程講師；醫藥科技評估組黃莉茵組長至高雄醫學大學，擔任「醫療科技評估 (HTA)：過去、現在與未來」課程講師；醫藥科技評估組謝斯婷小組長至陽明交通大學，擔任「藥物流行病學」課程講師；醫療器材組倪子訓審查員至國防醫學院，擔任「醫療器材臨床試驗相關法規及申請」及「新醫療技術人體試驗相關法規及申請」課程講師；醫療器材組蔡孟暄專案經理至中國醫藥大學，擔任「人工智慧與醫療器材之臨床試驗申請流程」課程講師。

二、受邀於國際會議演講、擔任主持人及論文發表

2022 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 11、2022 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

會議名稱		22 th Annual Meeting of Health Technology Assessment International, HTAi
出席同仁	擔任角色	題目
黃莉茵	Speaker	Integrating Patient & Citizen Perspectives: Resources and Challenges for a Lifecycle Approach
	Panelist	Can Social Media Research Help to Improve Public Confidence in Health Technology Assessment (HTA) and Healthcare Decision Making?
	Panelist	HTA in Asia Post-COVID-19: HTAi Asia Policy Forum 2021 Findings
	Panelist	Beyond Checking The Boxes - Guidance of the Joint HTAi – ISPOR Task Force on Deliberative Processes for HTA
會議名稱		10 th HTAsiaLink
出席同仁	擔任角色	題目
陳膺立	Panelist	Reimagining the Post COVID-19 Health System and HTA
	Moderator	Oral Presentation: Other Topics (Evidence Synthesis, Real-world Evidence, etc.)

賴美祜	Poster	Development of Risk-Adjusted Capitation Model Based for the Dental Outpatient Medical Expenses of Children with Intellectual Disability
會議名稱		ISPOR Europe 2022
出席同仁	擔任角色	題 目
簡伶蓁	Poster	Real-World Results of Reimbursed Immune Checkpoint Inhibitors in Taiwan' s Health Insurance System
會議名稱		DIA-APACMed Joint Conference 2022
出席同仁	擔任角色	題 目
蔡貴鳳	Speaker 與 Panelist	RWD/RWE in Taiwan – Regulatory Perspective

三、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。

2022 年共延攬新進人員 51 名，包括醫學士 1 名、博士 10 名、碩士 26 名及學士 14 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。

2022 年查驗中心主辦之國內研討會或法規說明會共 73 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 260 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，建有良好的互動關係，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。2022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」。

四、外部人才培訓

(一) 在校生培訓

1. 在校生實習

為促進醫學、藥學、公共衛生、健康食品、醫療器材相關人才培育，接受國內公、私立大學院校選送學生至查驗中心實習，認識我國醫藥品管理體系及各單位職掌等；特規劃為期六週之實習內容，實習生可依選擇之實習專業領域進行學習，實習專業領域類別：化學製造管制（CMC）、藥動（PK）、藥毒理、統計、臨床、醫療科技評估（HTA）、健康食品、諮輔專案管理、行政法規與案件管理、醫療器材等。

(1) 實習課程：

課程內容分為「基礎課程」與「進階課程」：

- (I) 「基礎課程」（第一至第二週）：包含線上學習課程、參與部門會議、參與審查會議及查驗中心安排之訓練課程。
- (II) 「進階課程」（第三至第六週）：提供各專業領域類別實習：包含化學製造管制（CMC）、藥動（PK）、藥毒理、統計、臨床、

醫療科技評估 (HTA)、健康食品、諮輔專案管理、行政法規與案件管理、醫療器材等類別，實習生選擇一項作為進階課程主題，進行實際案件審查學習。完成至少一項指定實習研究報告及實習心得報告，並於結束時，發表口頭報告。

(2) 學生實習教學成果

2022 年學生實習人數為 2 人，進階課程參與醫療科技評估 (HTA) 者 1 人、參與統計者 1 人。

2. 醫療科技評估挑戰營

查驗中心與台灣藥物經濟暨效果研究學會於 2022 年 1 月 22 日至 1 月 23 日共同攜手舉辦二天的「醫療科技評估挑戰營」，主要招收對象為大專院校在校生 (大學、碩博士生，不含推廣部及在職專班)，希望藉由這個活動培育臺灣醫療科技評估 (HTA) 領域人才，因此課程特別邀請了產官學界專家進行演講，並安排個案評估演練及小組競賽，藉由做中學之過程，希望讓參與的同學可以更了解醫療科技評估。

活動中，林首愈副執行長也特別運用 DISC 人格特質分析工具，讓參與的同學能了解與善用個人特質風格，以在職場上打造卓越溝通；此外，活動中也安排職涯分享，讓學生可以更了解 HTA 的工作內容和工作場域。此次活動共計 33 位同學參與，涵蓋台大、成大、陽明交大、國防醫學院、高醫、北醫及長庚等學校的同學。活動後，多數同學對此活動表示高度的支持與肯定，並對查驗中心 HTA 組的工作抱持高度的興趣。

(二) 藥品審查外審專家群培訓

為擴展臺灣醫藥品審查效能，2022 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，並有計畫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。

1. 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：

- 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)。
- 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，參與的外審專家達 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，培訓臨床醫師種子審查 11 人次。

2. 培訓成果

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，完成外部審查專家培訓 9 名。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。

(三) 醫師培訓

為了增進臨床試驗執行者（試驗主持人 / 協同主持人）與法規單位之交流，2022 年查驗中心透過建置早期臨床試驗法規科學研發策略指導原則計畫，與國內醫學中心合作，由國內醫學中心所推薦之國內外醫學系畢業之專科醫師參與培訓，透過一個月全職時間接受培訓，期待能促進臨床醫師於醫藥法規專業領域涵蓋範圍及深度，並有計畫的提供臨床試驗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。

1. 訓練課程

醫師培訓課程分為「基礎課程」和「進階實務審查課程」；

(1) 「基礎課程」（第一週）：

藉由查驗中心 e-Learning 線上學習課程、參與相關臨床試驗審查會議、個案討論會議和實體課程進行培訓。

(2) 「進階實務審查課程」（第二至第四週）：

加入臨床試驗（IND）審查團隊，以仿照臨床審查員初審角色，參與相關審查會議及個案討論會議，研讀相關法規規範及相關案例技術文件，並在複審審查員和小組長指導下，撰寫 IND 案件審查報告。

2. 培訓成果

2022 年共計 2 位專科醫師參與查驗中心的醫師培訓課程，並完成線上課程及實體課程學習紀錄表、教育訓練紀錄評估表與培訓醫師 IND 審查案件評估表等文件。

辦理培訓醫師課程之重要成果包括理解法規概要及審查流程、熟悉國內外資料庫之使用、理解臨床試驗申請技術性資料臨床審查重點、完成 1 件 IND 案件之審查會議口頭報告與撰寫初步書面審查報告。

培訓醫師於培訓完成提供許多正向回饋，包含藉由一系列的課程安排能快速理解審查之工作內容，且透過實際案例的演練與實際操作，體驗從試驗主持人 / 協同主持人的角色轉換至審查員的角色，並從中找出問題、蒐集資料與團隊合作討論，很有參與感與受益良多。

(四) 產學研界人才培訓

查驗中心致力於保障國人儘速取得安全有效的醫藥品，除精進審查之品質與效率、發展醫藥科技評估專業及建立法規諮詢輔導機制外，期能藉由辦理人才培訓課程，主動傳遞醫藥品開發法規科學與醫藥科技評估相關知識與技能，提升產學研各界申請臨床試驗與查驗登記技術性資料之送件品質與法規扣合度，並增進新醫藥品之研發速度及提升核准效率與成功率。鑑此，CDE 學苑於 2022 年 2 月正式成立，針對不同領域需求及不同程度之對象，提供多元的訓練課程模式，如一般課程、系統課程、實作班、研討會及實習參訪等不同教學形式，以達成不同之培訓目的與成果。

有關 2022 年 CDE 學苑在外部人才培訓之辦訓成果，辦理 9 場次小班制深度實作訓練課程，共計培育 115 人次；另辦理藥品開發、醫療器材及醫療科技評估等 3 大領域之初階系統課程，共計 17 堂課，培育 390 人次。2022 年 CDE 學苑課程辦理詳見下表。

表 12、2022 年 CDE 學苑課程辦理總表

時間	課程類別	課程名稱	講師 (職稱略)	時數	課程平均滿意度
4/28	實作課程	健康食品查驗登記及申請文件之準備重點訓練課程	許育宏 戴嘉言	4	90%
5/11	實作課程	特管案件申請之細胞製造管制 (CMC) 資料撰寫訓練課程	黃豐淳 李倍慈	6	97%
6/2	實作課程	臨床試驗之樣本數計算訓練課程	林資荃 宮玫芬	4	93%
8/9	實作課程	健保新藥案與共擬會議之觀察課程	鄭燕淑	1.5	97%
9/8	實作課程	原料藥主檔案 (DMF) 案件廠商自評報告撰寫訓練課程	楊庭軒 王俊超	7	98%
9/15	實作課程	臨床試驗之樣本數計算訓練課程	林資荃 宮玫芬	4	90%
9/16	實作課程	財務影響推估概論實作訓練課程	賴美祁 簡伶蓁	6	100%
9/23	實作課程	藥物經濟模型建構實作訓練課程	張慧如 許淑美 陳奎安	7	98%

11/2	實作課程	學名藥查驗登記 (ANDA) 案件之行政 / CMC 部份廠商自評報告撰寫訓練課程	黃孟雯 白書睿 洪精樺	7	100%
6/17-8/26 每周五	系統課程 【藥品開發的法規科學與藥政管理】 (3單元, 共10堂課)	【單元一】 新藥開發之法規科學	徐麗娟 陳恒德 陳玲貴 葉嘉新 賴怡君	12	93%
		【單元二】 藥品開發之路徑與法規考量	孫懿真 葉嘉新 詹明曉 吳彥慧	12	92%
		【單元三】 生物技術產品開發的法規考量	盧青佑 湯依寧	6	93%
8/3-8/31 每週三	系統課程 【醫療器材全領域臨床試驗與查驗登記審查總論】 (5單元, 共12堂課)	【單元一】 醫材臨床試驗申請 / 查核實務	倪子訓 簡鈴	3	91%
		【單元二】 材料類產品管理法規總論	陳佳燕 葉錫誼	3	90%
		【單元三】 醫電 / AI 產品管理法規總論	劉靜宜 楊惇筑 簡廷翰	3	91%
		【單元四】 體外診斷產品管理法規總論	林事曄 范文佳	3	89%
		【單元五】 醫材臨床試驗臨床與統計觀點	李欣融 吳雅琪	3	90%

10/28-11/4 每周五	系統課程 【醫療科技評估機制暨方法學系列課程】（2單元，共6堂課）	【單元一】 HTA 評估機制、核價及送件要點	黃莉茵 賴美祁 鄭燕淑	4	91%
		【單元二】 HTA 評估之基礎方法學	柯靜華 張慧如 謝斯婷	4	92%

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。2022 年隨著 COVID-19 疫情趨緩，部分國際會議恢復實體或合併線上會議形式辦理。2022 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) 第十屆台日醫藥交流會議

「台日醫藥交流會議」緣自 2013 年 11 月由「臺灣日本關係協會」及「日本台灣交流協會」簽署「台日藥物法規合作框架協議」建立交流平台，每年由臺灣及日本輪流主辦會議。2022 年邁入第十年，因疫情影響，同時於日本東京辦理實體與線上公開研討會，台日雙方共計逾 500 人共襄盛舉。

會議由台日雙方分享交流藥品及醫療器材法規進展、臨床試驗數位工具的應用、因應 COVID-19 措施、並對臺灣醫療器材新法發表演說。本屆欣逢台日雙邊交流屆滿十周年，特於大會演講分享台日雙邊法規進展之後，由日本厚生勞動省安田尚之室長 (Mr. YASUDA Naoyuki) 與查驗中心林時宜執行長共同主持十周年回顧時段，食藥署暨查驗中心董事長吳秀梅署長回顧歷屆的豐碩成果。

(二) 2022 ICH 工作小組 (Working Group) 視訊會議

國際藥品法規協和會 (International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use , 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，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。2022 年查驗中心同仁配合 ICH 工作組實體及線上參與討論共計 373 人次，大會每半年辦理的面對面會議，上半年因疫情採線上參與，下半年在韓國仁川辦理實體會議，共計有 Q3E、Q9 (R1)、M4Q (R2)、M15、E11A、E2D (R1)、M13 工作組召開面對面會議，查驗中心由盧青佑副組長、林憶珊審查員、林宜穎小組長、杜建龍審查員及王亞蕾資深臨床審查員實體出席，王竣鋒審查員、張貽婷審查員及王藝琳資深藥動審查員線上出席，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. 22th Annual Meeting of HTAi

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，會員藉由論壇分享相關資訊及專業知識。HTAi 的會員含括六大洲及超過 65 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。

隨著 COVID-19 疫情趨緩，2022 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) 年會皆為實體及線上併行辦理，實體會議於荷蘭烏特勒支 (Utrecht) 舉行，由醫藥科技組黃莉茵組長代表出席，陳膺立研究員、賴美祁研究員及蔡欣怡研究員代表線上參與。

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 22 屆 HTAi Annual Meeting 會議主軸為「Lifecycle Approach: Coming Together to Make It Happen (生命週期法：共襄盛舉，加以實現)」，因應創新與嶄新科技、多方的利害關係人和數據要求、大眾期望，以及實現衛生體系以病人為中心等挑戰，在評估藥品、醫材和其他醫療服務的價值時可採用生命週期法。HTAi 2022 年會提供一個全球平台，藉此探討從上市前、上市核准、上市後一直到下市 (Disinvestment) 採用 HTA 生命週期法所造成的影響，深化相關意識，增進對適當方法和流程的認識，並強化利害關係人之間的連結及排定各項活動的優先順序。因此，此次大會相關議題包括：(1) Adopting a Lifecycle Approach in HTA: Consequences for Priority-

Setting and International Collaboration ; (2) Public Confidence in Healthcare Decision-Making ; (3) Running Around in Circles; Time for Real Collaboration between Regulators, HTA Bodies and Clinicians。黃莉茵組長受大會邀請，受邀擔任 1 場 HTAi Working Group 講者及 3 場 Panels 擔任與談人，分享我國的醫療科技評估經驗。

2. INAHTA Annual Meeting 2022

INAHTA 為一非營利性的國際聯盟，INAHTA 的會員包括超過 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。2022 年 INAHTA 會議的主題為「Exchanging Solutions in A Changing Environment」，分二天進行討論：(1) 第一天為 Interactions between Guideline and HTA Communities-What Can We Learn from Guidelines and Vice Versa? ; (2) 第二天會議主軸為：Moving towards an INAHTA Position Statement on Real World Evidence，尤其真實世界證據的運用，各國 HTA 組織如何蒐集及評估真實世界證據資料品質及分析等議題，藉由會員間的經驗分享及互相學習合作，大家一起面對及解決未來的挑戰。

3. 第十屆 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。第十屆年會於 11 月 29 日至 12 月 3 日於泰國芭達雅舉辦，查驗中心由陳膺立研究員、賴美祁研究員代表出席參與。陳研究員亦擔任臺灣代表並榮獲續任理事一職，將可以增進臺灣與亞洲 HTA 組織有更深入的交流與合作機會。

本次會議主題為「在新常態下 HTA 的角色：透過循證決策推動 COVID 疫情後的衛生體系」，由於 COVID-19 仍然重創各國衛生體系，治療和流行病學典範受到挑戰和改變，因此此次年會透過相關專題演講及議題討論，了解各國面對 COVID-19 疫情，HTA 組織所做的改變及創新作法。

查驗中心陳研究員於會議中，分享疫情下臺灣病友參與 HTA 歷程變化的經驗以及臺灣 HTA 決策流程，並擔任一場口頭發表主題之主持人及海報發表之評論人；賴研究員以海報發表分享臺灣政策之 HTA 議題。透過此次議題可以學習其他國家在疫情下創新的 HTA 經驗，雖然因衛生體制的差異，國情的不同，各國 HTA 所面對的問題也不一定相同，但可以看到一個重大的傳染病疫情下，各國如何以快速的 HTA 報告回應政策需求。

(四) 出席藥品、醫材相關之國際會議

2022 RAPS Annual Conference

美國醫療法規協會 (Regulatory Affairs Professionals 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。本年度會議主題有關生物藥品、醫療器材、體外診斷、軟技能、或法規單位論壇等，藥品相關的議題主要以真實世界數據 / 證據、美國所推動的政策與歐盟最新發展相關的議題為主。繼 2020 與 2021 線上會議後，本次會議於 9 月 9 日至 15 日於美國鳳凰城舉行，此次來自五大洲 41 個國家，共計 1,700 位參加者實體與會，查驗中心由孫懿真專門委員代表參加。透過本會議可了解美歐最新政策與法規發展，可做為對我國政策規劃與產業發展方向推動參考，其中包括美國對於新適應症之申請，當真實世界證據 (Real World Evidence) 證據力足夠堅實 (robustness) 時，可以接受沒有隨機對照試驗 (Randomized Controlled Trial) 證據，僅靠 RWE 亦可核准；US FDA 公布新草案 “Additional Conditions of Nonprescription Use” (ACNU)，未來預期可擴大非處方藥 (Over-the-Counter Drug, OTC) OTC 的使用；歐盟發表實施 Clinical Trial Regulation，臨床試驗由單一窗口平台申請，無須再經各國申請。

二、赴重要國外單位受訓及參訪

(一) 2022 年 DIA/FDA Biostatistics Industry and Regulator Forum 線上會議

DIA/FDA Biostatistics Industry and Regulator Forum 為 DIA 及 FDA 共同舉辦的統計論壇，此論壇聚焦於討論發展中的藥物及醫療產品所面臨的統計相關議題，並增進產官學界在政策、法規、醫療產品發展及審查等議題在法規科學上的交流。本次會議於 3 月 29 日至 4 月 8 日以線上會議的形式舉行，本次討論議題包括「Design, Analysis and Evaluation of Confounding Bias Using RWD」、 「Challenges in

COVID-19 Vaccine Development for Adults and Pediatrics: A Journey from Clinical Trials to Real-World」、「Advancing Decentralized Clinical Trials in Drug Development: Challenges, Opportunities, and Future Directions」與「Digital Health in Clinical Development」等主題，分別就產官學不同面向進行討論交流。本次會議中邀請多位藥物流行病學專家談論不同類型的真實世界資料處理時的各種注意事項、試驗設計時產生系統性誤差可能的原因等，查驗中心由李雅巽統計審查員線上參與，透過專家們的分享交流，產官學界都對於臨床試驗與真實世界數據的聯結有更多的了解，對於全球在疫情後臨床試驗的發展方向有很好的認識。

(二) 藥物資訊協會 CoRE 新加坡第 5 屆年會 (線上會議)

藥物資訊協會 DIA (Drug Information Association) 於 2018 年開始與新加坡大學及杜克大學一起成立的 CoRE (Duke-NUS Medical School Education Centre of Regulatory Excellence) 合作，每年在新加坡舉辦 DIA CoRE 年會，依據醫療及藥物科學相關之各專業領域分門別類安排研討議題。本次年會於 7 月 12 日至 13 日舉行，主題是「對未來醫療照護的願景—將概念轉化成行動」，分享東協國成員與亞太區域最新的法規變革，有效提升法規科學研究之專業素養，開啟交流與對話。大會邀請 45 位講者多來自產學研界，會議領域橫跨藥品、醫材、再生醫療、數位科技與醫療照護，有 9 位法規講者來自臺灣、日本、新加坡、沙烏地阿拉伯、瑞士 WHO、澳洲、馬來西亞與菲律賓。查驗中心由王竣鋒審查員線上參與，透過本次會議掌握亞太區域在新冠疫情下，不論廠商或主管機關，在法規及科學上的因應趨勢。

(三) 2022 年 ASA Biopharmaceutical Section Regulatory-Industry Statistics Workshop

美國統計協會生物醫藥之法規 - 業界統計研討會 (ASA Biopharmaceutical Section Regulatory-Industry Statistics Workshop) 為美國統計協會 (ASA) 與美國 FDA 共同舉辦的統計研討會，今年 9 月 17 日至 29 日於美國華盛頓舉行，討論聚焦於藥物及醫療產品發展時的統計相關議題。

本次討論議題包括臨床試驗中的共變數校正、癌症新藥研發時劑量的選擇與優化、機器學習及人工智慧於臨床試驗中的應用、調整試驗設計等許多備受關注的統計主題，分別就產官學不同面向進行討論交流。查驗中心由李雅異統計審查員參與本次會議，瞭解各國藥廠及不同法規單位對統計審查的考量，並針對不同意見進行交流分享與討論。

(四) 2022 TOPRA 年會

法規專業人事組織 (The Organisation for Professionals in Regulatory Affairs, TOPRA) 成立於 1978 年，自 2004 年起每年舉辦年會，是歐洲致力於醫療法規的重要會議，會議涵蓋與藥物、醫療器械或 IVD 相關議題。本次會議於 10 月 16 日至 21 日於奧地利維也納舉行，邀請美國及歐盟法規單位以及業界主管或法規人員，針對數位醫療的最新發展及應用、人工智慧與醫療器材 / 網絡的資訊安全之複雜性及不確定性、以虛擬化環境 / 線上設備裝置進行臨床研究、體外診斷醫材臨床性能評估的挑戰、上市後醫材產品的維護及監管等領域的技術發展及全球法規政策，進行介紹及深入討論。查驗中心由林祐薇審查員代表參與，從國際專家的分享中可以了解，數位醫療不只影響醫療單位與醫師

的臨床決策，也改變病患的生活方式及行為模式，廠商、醫療人員、法規管理單位、病患之間必須相互信任，才能創造雙贏的局面。新興科技醫療器材的臨床評估，常與實際應用存在鴻溝，因此必須針對相關的法規要求，制定務實的計畫。

(五) ISPOR Europe 2022 會議

國際藥物經濟暨效果研究委員會 (International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research, ISPOR) 自 1995 年成立，是健康經濟暨效果研究 (Health Economics and Outcomes Research, HEOR) 領域的專業性組織，其目標為促進全球 HEOR 在科學及實務上的應用。ISPOR 至今已有 14,000 名會員，遍及全球 100 多個國家，並在全球設有 85 個分會。本次參加 2022 歐洲年會，在奧地利維也納舉辦，會議主題為「 Collaborating Across Borders: Building & Using Evidence to Enable Access (跨界合作：建立並運用實證資料達到醫藥可近性) 」。第一場全場會議的主題圍繞在 HTA 組織與醫藥法規單位之間的聚合及合作，新的歐盟 HTA 法規 (Regulation (EU) 2021/2282 on Health Technology Assessment, 簡稱 HTAR) 自 2022 年 1 月通過生效，並將於 2025 年 1 月實施。HTAR 旨在提升歐盟國病人對於創新醫療科技的可近性，減少 HTA 組織及廠商的重複作業以確保 HTA 資源的使用效益。隨著新 HTAR 的實施，歐盟的 HTA 機構與醫藥法規單位 (EMA) 必須更有系統地協同合作。有鑑於 EMA 與 FDA 皆致力於運用 RWE 來支持審查決策，且開始注重以病人為中心的療效指標 (Patient-Centered Endpoints)，第二場全場會議的主題為討論各國之間如何合作來收集真實世界的病人資料「 Real-World Patient-Centered Research: Is It Possible Across Countries? 」。第三場全體會議主題為「 Innovative Methods for Integrating Data Across Outcomes

and Borders」討論如何用新穎的方法來跨界整合 RWD，在聯合進行 HTA 的世代，有哪些方法能跨界整合、產生、分析、解讀這些健康數據，成為重要議題。

查驗中心由簡伶蓁小組長代表參加此會議，並發表研究主題為「Real-World Results of Reimbursed Immune Checkpoint Inhibitors in Taiwan's Health Insurance System」（臺灣健保體制下已給付免疫檢查點抑制劑之真實世界結果），以癌症免疫療法為例，分享我國 RWE 在健保給付評估上的運用，提升我國 HTA 於國際上的能見度。

三、舉辦大型國際研討會

（一）藥品銜接性試驗 20 周年國際研討會

臺灣係亞太地區除日本之外，自 2000 年 12 月 12 日起，為第一個參考國際醫藥法規協和會訂定之 ICH E5 指引對新藥查驗登記進行銜接性試驗評估（Bridging Study Evaluation）的國家。過去 20 年，藉由相關法規與實務操作落實了銜接性試驗評估，進而加速新藥在我國開發、審查及核准。本會議旨在概述 ICH E5 指引現況、回顧過去 20 年我國政策執行現況，從法規管理面分享當前考量與法規架構，並以案例討論法規單位的審查觀點及分享 ICH E5 在亞洲地區實施情形。

查驗中心於 5 月 6 日假臺大醫院國際會議中心舉行，會議以實體與同步線上辦理，會議邀請日本 PMDA 的 Dr. Junko Sato、陽明交通大學郭文華教授、新加坡諾華公司 Ms. Louise Watt 及台睿生技簡督憲董事等分享相關經驗與展望，查驗中心由陳恒德醫師、楊己任專案經理、

王藝琳審查員、陳紀勳醫師分享 ICH E5 之案例及執行等議題。本次會議共計有約 700 人實體及線上參與。

(二) 應用真實世界數據 / 證據於藥品研發之資料管理研討會

查驗中心於 9 月 21 日線上舉辦「應用真實世界數據 / 證據於藥品研發之資料管理研討會」，邀請已有應用 RWD/RWE 於藥品研發之藥廠分享在臨床試驗過程中相關資料管理或串接應用之實作經驗與考量，及國立高雄科技大學電機工程學系戴鴻傑教授，分享健康數據收集與資料庫管理，應用真實世界數據創新研發機會及如何應用自然語言技術於臨床研究。本次會議受產業界及學研界關注，參加線上會議共計有 352 人，其中有 78% 為產業界、14% 為學研機構。

(三) 精準醫療價值評價及真實世界證據於醫療科技評估國際研討會

查驗中心於 11 月 28 日線上舉辦醫療科技評估線上國際研討會以「真實世界證據於醫療科技評估國際經驗分享」為主題，邀請國際 HTA 專家，前 HTAi 主席 Dr. Iñaki Gutierrez Ibarluzea 同時為西班牙 HTA 機構 Knowledge Management and Evaluation, Basque Foundation for Health Innovation and Research 主管，分享如何運用相關方法學將真實世界證據運用於藥物給付審議過程中等經驗分享，未來或可供臺灣政策規劃的參考及借鏡。並請查驗中心醫藥科技評估組侯雨辰研究員就精準醫療價值評價的議題分享研究成果，讓產官學研了解國際執行現況，會議共有 216 人線上參加。

2022 大事紀

-
- | | |
|------------------|--|
| 2022.01.19 | 辦理「創新生物製造 CDMO 法規座談會」 |
| 2022.01.25 | 辦理「疫苗研發的臨床觀點視訊會議」 |
| 2022.01.25 | 辦理「COVID-19 疫苗之非臨床藥毒理要求視訊會議」 |
| 2022.01.26 | 召開第八屆第十次董事會 |
| 2022.02.01 | 成立 CDE 學苑 |
| 2022.02.14 | 辦理「楊奕馨研究員特別演講：國家生醫大數據資料庫平台建構之發展與應用」 |
| 2022.02.22、24 | 辦理「銜接性試驗歷史回顧座談會」 |
| 2022.03.10 | 辦理「111 年度細胞治療技術施行計畫說明會 - 行政部分」 |
| 2022.03.16 | 辦理「111 年度特定疾病配方食品審議小組全體委員業務聯繫與共識會議」 |
| 2022.03.25 | 辦理「111 年度細胞治療技術施行計畫說明會 - 臨床部分」 |
| 2022.03.28 | 召開第八屆第十一次董事會 |
| 2022.03.29~04.08 | 參加「DIA/FDA 生物統計論壇」線上會議 |
| 2022.04.07 | 參加第 5 屆亞太區域再生醫療論壇 (Asia Partnership Conference of Regenerative Medicine, APACRM) |
| 2022.04.12 | 辦理「各先進國家智慧醫材軟體變更與加速審查機制之法規管理方向法規科學座談會」 |
-

- 2022.04.14 辦理「重處理之單次使用醫療器材上市前管理說明會」
-
- 2022.04.15 辦理「111 年度細胞治療技術施行計畫說明會 -Bio 部分」
-
- 2022.04.19 辦理「111 年度醫療科技評估與業界溝通會議」
-
- 2022.04.22 辦理「核酸藥物創新產品發展趨勢與審查法規考量經驗分享」
-
- 2022.04.22 辦理「c-IRB 主審共識會議」
-
- 2022.04.25 辦理「111 年度產官學溝通會議 (藥品類業務) 」
-
- 2022.04.25 辦理「專題演講【智慧醫療：現況與未來】」
-
- 2022.04.26 辦理「111 年度健康食品審議小組全體委員業務聯繫與共識會議」
-
- 2022.04.27 辦理「台灣臨床試驗主持人資料庫 (TPIDB) 說明會」
-
- 2022.04.28 辦理「再生醫療政策共識會議」
-
- 2022.04.28 辦理「健康食品查驗登記及申請文件之準備重點訓練課程」
-
- 2022.05.06 辦理「藥品銜接性試驗評估 20 周年國際研討會」
-
- 2022.05.11 辦理「特管案件申請之細胞製造管制 (CMC) 資料撰寫訓練課程」
-
- 2022.05.17 辦理「細胞治療技術開發之法規審查重點分享座談會」
-
- 2022.05.20 辦理「111 年度生技醫藥法規科學訓練課程 (1) -- 智慧醫材產品開發策略與法規途徑案例分析」
-
- 2022.05.22~25 參加 ICH Assembly Virtual Meeting
-

2022.05.25	辦理「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說明教育訓練」
2022.05.25	辦理「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說明教育訓練」
2022.05.26	辦理「原料藥及學名藥查驗登記技術資料相關之法規人員教育訓練(原料藥第1場): Nitrosamines 限量計算方式」
2022.05.27	辦理「愛滋病治療藥品之臨床研發策略指導原則法規交流座談會」
2022.05.31	辦理「ICH Q6B 產業教育訓練課程」
2022.06.01	辦理「創新生物製造整合技術運用藥物研發聯盟第一次籌備會議」
2022.06.02	辦理「臨床試驗之樣本數計算訓練課程」
2022.06.07	辦理「ICH E8 (R1) 產業教育訓練課程」
2022.06.09	辦理「111年申請醫療器材查驗登記送件品質工作坊(第一場)」
2022.06.10	辦理「111年度生技醫藥法規科學訓練課程(2)--抗體藥物複合體(Antibody-drug conjugate, ADC)【I】台北場」
2022.06.10	辦理「臺灣特定疾病臨床試驗合作聯盟(TCTC)執行成果進度會議」
2022.06.13	辦理「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法規交流座談會」
2022.06.14	辦理「111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1場)」

- 2022.06.16 辦理「細胞製劑產品發展趨勢與審查法規考量經驗分享」
-
- 2022.06.17 辦理「111 年度藥品查驗登記說明會初階班(台南場)」
-
- 2022.06.17~08.26 辦理「藥品開發的法規科學與藥政管理」初階系統課程
-
- 2022.06.21 辦理「新興科技應用之醫材模組開發趨勢與法規途徑解析分享座談會」
-
- 2022.06.23 辦理「111 年度藥品查驗登記說明會初階班(台北場)」
-
- 2022.06.25~29 參加荷蘭 HTAi 2022 年會、INTAHTA 2022 年會並拜會(EMA)科學證據處處長
-
- 2022.06.27 召開第八屆第十二次董事會
-
- 2022.07.08 辦理「111 年度生技醫藥法規科學訓練課程(3)--抗體藥物複合體(Antibody-drug conjugate, ADC)【II】台南場」
-
- 2022.07.12~13 參加「藥物資訊協 CoRE 新加坡第 5 屆年會」線上會議
-
- 2022.07.15 辦理「111 年度生技醫藥法規科學訓練課程(4)--抗體藥物複合體(Antibody-drug conjugate, ADC)【I】台中場」
-
- 2022.07.19 赴工研院生醫所實地參訪交流「TIBIC 生醫產業跨域整合實驗場域」(Taiwan Integrated Biomedical Industrial Center, TIBIC)
-
- 2022.07.21 辦理「111 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)」
-
- 2022.07.22 辦理「111 年度藥品查驗登記說明會進階班(台南場)」
-
- 2022.07.26 辦理「臨床試驗競爭力強化方案專家會議」
-
- 2022.07.29 辦理「ICH E9(R1)指引產業教育訓練課程」
-

2022.08.03	辦理「111 年度藥品查驗登記說明會進階班(台北場)」
2022.08.03~31	辦理「醫療器材全領域臨床試驗與查驗登記審查總論」初階系統課程
2022.08.05	辦理「111 年度生技醫藥法規科學訓練課程(5) -- 抗體藥物複合體 (Antibody-drug conjugate, ADC) 【II】台北場」
2022.08.09	辦理「ICH Q6A 指引產業教育訓練課程」
2022.08.09	辦理「健保新藥案與共擬會議之觀察課程」
2022.08.10	辦理法規科學座談會「核酸藥物產品發展趨勢與審查法規考量經驗分享」
2022.08.10	辦理「政策 HTA 方法學研討會 - 疾病負擔於健康政策評估扮演的角色」
2022.08.16	辦理「111 年度醫療器材上市前審查教育訓練暨醫療器材臨床前測試基準(草案)說明會」
2022.08.16	辦理「111 年度改善醫療器材查驗登記送件品質工作坊(第二場)」
2022.08.17	辦理「國家生醫大數據資料庫平台建構之發展與應用教育訓練」
2022.08.18	辦理「111 年度管制藥品製藥工廠教育訓練(1. 學名藥藥動及 CMC 技術性資料 2. 管制藥品 CMC 法規及 CMC 案例討論)」
2022.08.18	辦理「111 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)」
2022.08.19	辦理「111 年度生技醫藥法規科學訓練課程(6) -- 後疫情時代之精準診斷與創新智慧應用」

2022.08.24	召開第九屆第一次董事會
2022.08.24	辦理「111 年度管制藥品製藥工廠教育訓練 (1. 學名藥藥動及 CMC 技術性資料 2. 管制藥品 CMC 法規及 CMC 案例討論) 」
2022.08.25	辦理「創新生物製造整合技術運用藥物研發聯盟」成立大會暨交流分享活動
2022.08.31	召開第九屆第二次董事會
2022.09.02	辦理「111 年度生技醫藥法規科學訓練課程 (7) -- 臨床試驗統計」
2022.09.07	辦理 111 年度臨床試驗中心合作平台第二次會議：專題演講「Decentralized Clinical Trial 分散式臨床試驗」
2022.09.07	辦理「應用真實世界數據 / 證據於智慧醫材研發之資料管理與法規考量研討會」
2022.09.08	辦理「原料藥主檔案 (DMF) 案件廠商自評報告撰寫訓練課程」
2022.09.09~15	參加「美國醫療法規協會 (RAPS) 年會」
2022.09.12	辦理「調整設計應用於臨床試驗之探討」專家會議
2022.09.12	辦理「用於治療嚴重衰弱或危及生命疾病之個人化反義寡核苷酸藥品於臨床試驗階段之化學製造管制指導原則 (草案) 」專家會議
2022.09.12	辦理「重處理之單次使用醫療器材上市前技術審查說明會」
2022.09.13	辦理「早期臨床計畫 - 新疫苗產品之臨床研發策略指導原則」專家會議

2022.09.14	辦理法規科學座談會「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」
2022.09.15	辦理「臨床試驗之樣本數計算訓練課程」
2022.09.16	辦理「財務影響推估概論實作訓練課程」
2022.09.17~29	參加「美國統計協會生物醫藥之法規 - 業界統計研討會」
2022.09.19	辦理「單臂試驗採用外部對照組之研發策略指導原則」專家會議
2022.09.21	辦理「應用真實世界數據 / 證據於藥品研發之資料管理線上研討會」
2022.09.22	辦理「2022 年 c-IRB 機制精進研討會」
2022.09.23	辦理「藥物經濟模型建構實作訓練課程」
2022.09.23	辦理「111 年基因治療製劑法規業界說明會」
2022.09.26	辦理「111 年度第二次產官學溝通會議 (藥品類業務)」
2022.09.29	辦理「111 年度細胞治療技術施行審查人員教育訓練 - 診所細胞治療品質認證經驗分享」
2022.09.30	召開第九屆第三次董事會
2022.10.01	臺北醫學大學林時宜教授借調擔任本中心執行長
2022.10.06	辦理「國際創新生物產品製程開發與審查考量經驗分享」研討會
2022.10.07	辦理「111 年度細胞治療技術施行計畫說明會 -GTP 查核常見缺失」說明會

- 2022.10.13 辦理「111 年度醫療器材臨床前測試基準(草案)教育訓練」
-
- 2022.10.16~21 參加 TOPRA 法規專業人士組織年會 - 醫療器材 / 體外診斷醫材座談會
-
- 2022.10.20~21 與食藥署以及日本 MHLW/PMDA 合作主辦第十屆台日醫藥交流會議
-
- 2022.10.17 辦辦法規科學座談會「新興科技應用之醫材產品法規科學評估考量」
-
- 2022.10.25 辦理「111 年度特殊營養食品查驗登記業者說明會」
-
- 2022.10.28~11.04 辦理「醫療科技評估機制暨方法學系列課程」初階系統課程
-
- 2022.11.02 辦理「學名藥查驗登記 (ANDA) 案件之行政 /CMC 部份廠商自評報告撰寫訓練課程」
-
- 2022.11.02~05 出席 HTAi 亞洲政策論壇 (HTAi Asia Policy Forum)
-
- 2022.11.06~09 參加國際藥物經濟暨效果研究委員會 (ISPOR) 歐洲年會
-
- 2022.11.12~17 參加 ICH 第 45 屆韓國仁川面對面會議之 Q3E、Q9 (R1)、M4Q (R2)、M15、E11A 專家工作會議
-
- 2022.11.18 由 ISO 27001 指定之第三方驗證單位：德國 TÜV NORD，進行資訊安全管理系統稽核。本次稽核結果無缺失，通過重新審查及認證。
-
- 2022.11.28 辦理「精準醫療價值評價及真實世界證據於醫療科技評估國際研討會」
-
- 2022.11.29~12.03 參加「第十屆 HTAsiaLink 年會」
-
- 2022.12.30 召開第九屆第四次董事會
-



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>