

罕見疾病藥物查驗登記審查準則

(民國 89 年 08 月 07 日發布)

- 第一條 本準則依罕見疾病防治及藥物法(以下簡稱本法)第十五條及第二十二條之規定訂定之。
- 第二條 申請罕見疾病藥物查驗登記之藥商，應填具申請書，連同審查費及下列文件，送請中央主管機關核辦：
- 一、標籤、仿單及證照。
 - 二、相關療效、品質及安全性資料。
 - 三、申請輸入罕見疾病藥物查驗登記者，其原產國家核准製售及原廠授權登記之證明文件。
 - 四、其他經中央主管機關指定之文件，如(附表一)及(附表二)。
- 第三條 申請製造、輸入之罕見疾病藥物，如係新藥、新醫療器材或增加新醫療效能應用之醫療器材，除依前條規定辦理外，並應檢附下列文件：
- 一、學術理論依據與有關之研究報告及資料。
 - 二、安全性試驗報告及臨床試驗報告。
- 第四條 藥商無法於申請時檢附第三條第三款所規定之原產國家核准製售證明文件者，應於領取許可證前補齊。
- 第五條 藥商申請輸入、製造罕見疾病藥物查驗登記時，應檢附中央主管機關對其製造場所之核備文件，或該藥物製造場所符合藥品或醫療器材優良製造規範(GMP)之證明文件及相關資料，必要時，中央主管機關得派員訪查認定。
- 第六條 依本法第十八條第一項第二款至第四款規定申請查驗登記者，除檢送第三條所規定之書證資料外，並應檢送本法第十八條第一項第二款至第四款各款所規定之有關資料。
- 第七條 罕見疾病藥物申請查驗登記，其應繳之審查費用，依中央主管機關所定之收費標準。
- 第八條 本準則自中華民國八十九年八月九日施行。

附表一、罕見疾病藥物查驗登記應檢附資料

應 檢 送 資 料	罕見疾病藥品		罕見疾病醫療器材	
	國產	輸入	國產	輸入
規費	○	○	○	○
藥品查驗登記申請書正、副本	○	○	○	○
有關品名商標專利等規定之切結書(甲)	○	○	○	○
有關檢驗不合格等規定之切結書(乙)	○	○		
仿單標籤粘貼表二份	○	○	○	○
證照粘貼表	○	○	○	○
製造管制標準書或批次製造紀錄	○	○		
主成分檢驗規格與方法及成績書二份	○	○		
賦形劑檢驗規格與方法及成績書二份		△		
成/產品檢驗規格與方法及成績書二份	○	○	○	○
安定性試驗書面作業程序及其檢驗報告	○	○	△	△
採用證明				
原產國製售證明	△	○		○
委託書		○		○
藥品處方依據/醫療器材規格依據	△		△	△
藥品GMP後續查廠最近一次核准函影本/ 醫療器材GMP認可登錄證明函影本	○		○	○
製造場所符合優良藥品製造規範證明		○		
無菌製劑確效書面報告三份		△		
醫療器材依產品特性，檢附相關之物理、 化學、生物相容或電學等技術性資料。			△	△
療效、品質及安全性資料	見附表二			
醫療器材臨床試驗報告書(至少需三篇且 附其中文譯本)			△	△
送驗	○	○	△	△

○ 表示附該項目之資料， △表示視個案而定

附表二 罕見疾病藥品查驗登記應檢附之療效、品質、安全性資料

	起源、發現經過、國外使用情形			物化性質、檢驗方法、規格			安定性試驗報告		安全性試驗報告										藥理作用		吸收、分佈、代謝，排泄生體可用率/生體等性試驗報告						安全性試驗報告	
	起源發現經過	國外使用情形	性質比較	構造式	物理化學性質	檢驗規格方法			急性毒性	亞急性毒性	慢性毒性	胚胎試驗	依賴性	抗原性	變異原性	致癌性	局部刺激性	有效性證明	一般藥理	吸收	分佈	代謝	排泄	生體可用率	生體相等性	臨床試驗	醫學期刊	
新成分	○	△	○	○	○	○	○	○	○	△	△	△	△	△	△	△	○	○	△	△	△	△	△	△	○	○		
同類藥物	新投與途徑	○	△	○	×	×	○	○	○	○	△	△	×	×	×	×	×	×	△	△	△	△	○	×	○	○		
	新療效	○	△	○	×	×	×	×	×	×	×	×	×	×	×	×	×	○	×	△	△	△	△	△	×	○	○	
	新複方	○	△	○	×	×	○	○	○	○	△	×	×	×	×	×	△	○	○	△	△	△	△	○	×	○	△	
	新劑型	控釋製	○	△	○	×	×	○	○	△	△	△	×	×	×	×	×	×	×	×	×	×	×	○	×	○	△	
		速放製	○	△	○	×	×	○	○	×	×	×	×	×	×	×	×	×	×	×	×	×	×	○	×	○	△	
	新使用劑量	○	△	○	×	×	×	×	△	△	△	×	×	×	×	×	×	○	×	△	△	△	△	△	△	×	○	△
	新單位含量	○	△	○	×	×	○	○	△	△	△	×	×	×	×	×	×	△	×	×	×	×	×	○	○	○	×	
疫苗	○	△	○	×	×	○	○	△	△	△	×	×	○	△	×	△	×	×	×	×	×	×	×	×	○	○		

註：○表示須檢附該項目之資料。

◎表示依下述方法擇一辦理：

(1)生體相等性試驗。(2)生體可用率及臨床試驗。

×表示不須檢附該項目之資料。

△表示視個案而定。