

恩慈治療審查程序

文件編號	IRB-02-007	制定日期	102/06 /18
版次 / 頁數	第 7 版，共 5 頁	修訂日期	115/06/18

修訂記錄

版次	實施日期	修訂內容
第 2 版	104/07/20	修訂：4.1.7、4.1.8、4.1.10 新增：流程圖
第 3 版	108/05/20	修訂：審查委員 1 位、申請流程、載明送審資料及適用範圍
	110/01/08	檢視
第 4 版	111/11/30	文件編號原「IRB040」修訂為「IRB035」，因應標準作業程序「IRB020 及 IRB035」修改合併為「IRB020」，故修改編號往前遞補。緊急治療作業適用範圍及作業流程修正。 修訂：1、2、3.2、4.3.1、4.3.3、4.5.1.1、4.5.1.2、4.5.1.3、4.9、5.3、流程圖 刪除：4.3、5 新增：4.1.3、4.2.1、4.2.2、4.2.3、4.3.4、4.5.1、4.5.2、4.5.3、4.6.2、4.9.1
第 5 版	113/06/21	修訂：4.5、4.5.2 新增：4.5.3 審查結果選項名稱及流程修正，使流程更清楚明瞭
第 6 版	113/07/19	依據【醫院施行恩慈治療參考原則】113.05.22 衛部醫字第 1131662050 號函，修改文件名稱、原則與作業內容 修訂：1、2、3.1、4.2.1、4.2.2、4.2.3、4.3.1、4.3.2、4.3.3、4.4.3、 新增：3.4、3.5、3.6、3.7、4.2.2.1、4.2.2.2、4.6、4.8、5、5.1~5.4、6.6、7、7.1~7.4
第 7 版	115/06/24	修訂：2、3.6、4.3.1、4.6、4.8、4.9.1；新增 2.2、4.1.3、4.1.3.1；刪除：3.7。文件名稱修正為恩慈治療審查程序、修正錯字、新增再生醫療相關規範。 依據 114.06.16 討論決議，重新修訂標準作業程序之文件編號，分成 5 類項目(主項目編號:1. 委員會組成與規範、2.審查程序、3.追蹤審查、4.檔案管理、5.研究對象(受試者)保護)，每個主項目再分子項目編號(001、002……。原編號 IRB035 修訂為 IRB-02-007。

制定

核准

執行秘書陳正文

主任委員周定遠

- 1 目的：提供恩慈治療審查(含特定藥物/醫療器材專案核准輸入及製造/醫療技術)作業辦法，以維護依現行常規醫療無法獲得有效治療、而有施行特定非常規醫療需求之罹患危急、重大或特殊疾病之病人權益，並兼顧治療之安全、有效性及醫學倫理。
- 2 適用範圍：
 - 2.1 本標準作業程序適用於本院人體試驗委員會審查國內無許可證且因病患病情危急或重大需求需向衛生主管機關申請之特病藥物/醫療器材/醫療技術。
 - 2.2 醫療機構執行恩慈治療之文件、資料及其他資訊，不得作為人體試驗、臨床試驗或醫學研究用途，亦不得用於廣告或為其他宣傳。
- 3 職責：
 - 3.1 計畫申請人(病人的主治醫師)向人體試驗委員會提出有關恩慈治療之申請，並提供相關資料供人體試驗委員會審查。
 - 3.2 人體試驗委員會執行秘書：委派一名醫療委員(具備相關醫學背景)審查。
 - 3.3 審查委員：協助審查，並將審查結果送交人體試驗委員會。
 - 3.4 依特定醫療器材專案核准製造及輸入辦法第二十四條規定，由計畫申請人通知醫院權責單位，將未使用之醫療器材退運出口，並將海關退運出口證明文件送中央主管機關備查。
 - 3.5 因診治病情危急或重大，或罹患罕見疾病之病人需求而准予恩慈治療之產品或醫療技術，申請醫院及廠商皆不得以此作為產品或技術之宣傳。
 - 3.6 恩慈治療施行過程必須確實遵守「醫療院所及醫事人員發布醫學新知或研究報告倫理守則」，不得以媒體方式揭露。
- 4 作業說明：
 - 4.1 適用範圍：
 - 4.1.1 恩慈治療 (compassionate use)：係指提供病情危急或重大、或罹患罕見疾病之病人，其於國內尚無其他可比較或適宜之替代療法，或經所有可使用的常規治療仍沒有明顯療效或改善，或雖經治療仍一再復發，或為治療禁忌等，而申請使用於我國尚未核准上市但已於他國上市、或曾於他國或我國進行臨床試驗之藥品、醫療器材（以下合稱產品），或尚未經我國主管機關列為常規醫療之醫療技術等，於臨床試驗外，進行臨床診療使用。此申請僅供臨床治療不可作為臨床試驗研究用。
 - 4.1.2 孤兒藥(即罕見疾病用藥)：健保均以「專款專用」方式給付，如果所需的藥物，是尚未領取藥品許可證而經衛生福利部同意專案進口(或製造)且列入適用「罕見疾病防治及藥物法」之藥物，則須經健保署專案審查使用。其相關申報作業方式及流程，請參考健保署全球資訊網
<http://www.nhi.gov.tw/> 下載檔案/用藥品項中，「罕見疾病用藥申請全民健

康保險給付作業方式及流程」、「健保用藥且適用『罕見疾病防治及藥物法』之品項檔」。已依罕見疾病防治及藥物法規定取得罕見疾病藥物且仍在使用该藥物治療者，不得申請恩慈治療。

4.1.3 醫療機構申請執行再生技術治療危及生命或嚴重失能之疾病，且國內尚無適當之藥品、醫療器材或醫療技術時，免完成人體試驗，而依再生醫療法規定申請執行再生技術之治療（以下簡稱恩慈治療）；所執行再生技術，應已於醫藥十大先進國家進行人體試驗。

4.1.3.1 醫療機構申請執行恩慈治療，應檢具下列文件，逐案向中央主管機關申請核准後始得為之：

- （一）醫療機構已依再生醫療法第十二條第一項取得登記之證明。
- （二）操作醫師之資格證明：應為該疾病相關領域之專科醫師，且應完成中央主管機關公告之基礎課程；已完成者，後續得再次完成基礎課程或進階課程。
- （三）參與該恩慈治療之細胞操作場所已依再生醫療法第十四條取得細胞操作許可之證明。
- （四）恩慈治療執行計畫（應事先經人體試驗委員會或醫學（臨床）倫理委員會審查通過）。

4.2 申請條件：

4.2.1 申請使用之個案須為病情危急或重大，或罹患罕見疾病，其於國內尚無其他可比較或適宜之替代療法，或經常規治療仍沒有明顯療效或改善，或雖經治療仍一再復發，或為治療禁忌等。

4.2.2 擬申請之產品或醫療技術需符合下列其中之一：

4.2.2.1 對於擬治療之疾病曾執行臨床試驗且有正面治療效果及安全性報告。該臨床試驗之適應症對象，與擬治療之疾病相似。

4.2.2.2 在擬治療之疾病尚無臨床試驗，但在其他疾病曾執行臨床試驗且有正面治療效果及安全性報告，且擬治療之疾病與曾執行之臨床試驗適應症屬於同類。但單一醫院（總院、各分院區分別計算）同疾病申請恩慈治療之病人數累計逾3人者（係依該院累積3件不同對象為限），需改以人體試驗計畫案提出申請。

4.2.3 計畫主持人(病人的專任主治醫師)提出有關 恩慈治療之申請。

4.3 送審資料：

4.3.1 恩慈治療計畫書：須提及完整之治療方式及療程、敘明申請理由、使用數量、詳細資料(含品名、劑型、規格、規格含量、途徑、廠牌、製造廠、製造國家及國內委託之廠商)、期間、預期治療效益、費用及收費方式、

包裝型態及標示及調劑方法。

4.3.2 病人同意書：至少應刊載病人基本資料（姓名、年齡、地址等）、藥品資料及原產國人體試驗（及上市）情況、治療風險、可能產生之併發症與副作用、病人應注意事項、如發生不可預期之傷害或情事之處理、醫療照護、有無提供補償等、告知費用及收費方式及簽章等相關資訊。

4.3.3 其他：病摘、仿單、藥品詳細資料及調劑方法、相關文獻申請藥物樣品之適應症、擬使用之產品或技術之臨床試驗或相關臨床試驗報告，需含有正面治療效果及安全性報告、藥品包裝標示、其他文獻等資料。用法用量與原核定不符者，除前項各款規定資料外，中央衛生主管機關得令申請者檢附相關臨床文獻。

4.3.4 若前案有衛生福利部通過者須檢附衛生福利部核可公文；申請人所屬醫院就同疾病病人曾有申請恩慈治療並獲核准者，需說明其案件數量及執行情形。。

4.4 申請流程：

4.4.1 申請類型：

4.4.1.1 首例(新申請者+新病患、原申請者+不同適應症)：1 位 IRB 委員審查後，由主委決議核發 IRB 許可書。

4.4.1.2 續使用(原申請者+同適應症原病人、新申請者+同適應症原病人)：申請者替同適應症原申請病人提出申請，得由執行秘書行政審查、由主委決議核發許可書。

4.4.1.3 續申請(原申請者+同適應症不同病人)：原申請者依同藥品/醫材及同適應症，已通過前款審核者，若為不同病人申請時，得由執行秘書行政審查、由主委決議核發許可書。

4.4.2 工作人員確認繳齊所有文件後，於送審文件清單蓋上人體試驗委員會會章與日期。

4.4.3 送交執行秘書依照案件類型指派適合的醫療委員(具備相關醫學背景)1 位進行審查，審查期限為 5 個工作日，若被指派之委員無法於期限內完成審查，則另指派委員。

4.5 審查結果得為「同意」、「修正後複審」、「修正後入會議」及「不同意」：

4.5.1 同意：主任委員簽核後，自核准日起 14 個工作日內通知計畫主持人，並核發人體試驗許可書且提報會議核備。

4.5.2 修正後複審：工作人員將審查意見通知計畫主持人，待其回覆後送原審查委員進行複審。主持人應於 7 個工作日內回覆，若主持人有特殊原因得以電子郵件或書面通知人體試驗委員會將延後回覆。

- 4.5.2.1 工作人員依複審結果處理，如複審 2 次以上，工作人員得於通知審查時提醒委員是否逕提會議審查。
- 4.5.2.2 應繳交資料若逾期 2 個月，且尚未向人體試驗委員會提出延後回覆說明，人體試驗委員會得逕行撤案。
- 4.5.3 修正後入會議：工作人員將審查意見通知計畫主持人，待其回覆後將排入委員會會議討論。主持人應於 7 個工作日內回覆，若主持人有特殊原因得以電子郵件或書面通知人體試驗委員會將延後回覆。
- 4.5.3.1 應繳交資料若逾期 2 個月，且尚未向人體試驗委員會提出延後回覆說明，人體試驗委員會得逕行撤案。
- 4.5.4 不同意：工作人員將審查意見提報會議討論，會議決議依討論結果通知計畫主持人。
- 4.6 因恩慈治療導致未預期之嚴重不良反應，於獲知日起十五日內通報委員會，並提供詳細書面資料。但未預期之死亡或危及生命之嚴重不良反應，申請人於獲知日起七日內需先通報委員會，並在獲知日起十五日內補提供詳細書面資料。
- 4.7 經委員會審查同意後發予計畫主持人人體試驗委員會許可書；計畫主持人通報醫務部，由醫務部協助發函送主管機關審核。中央主管機關核可後，醫務部須通知計畫主持人、藥劑部、資材室及人體試驗委員會。
- 4.8 計畫主持人實施恩慈治療，應經委員會審查通過，並報中央主管機關核備及經醫院核可後實施。
- 4.9 監督(追蹤審查與結案)：計畫主持人應依照核准許可書上載明之應繳交報告時間繳交完整之報告，比照【IRB017 追蹤審查程序】【IRB019 結案審查】進行辦理。計畫主持人應加強不良反應之監視，如有發現不良反應，應立即通報藥物不良反應中心及人體試驗委員會。
- 4.9.1 恩慈治療案件應依許可書上期中報告繳交日期繳交報告，追蹤緊急治療案件執行狀況；於執行期限前完成應向人體試驗委員會繳交結案報告。
- 5 名詞解釋：
- 5.1 恩慈治療 (compassionate use)：係指提供病情危急或重大、或罹患罕見疾病之病人，其於國內尚無其他可比較或適宜之替代療法，或經所有可使用的常規治療仍沒有明顯療效或改善，或雖經治療仍一再復發，或為治療禁忌等，而申請使用於我國尚未核准上市但已於他國上市、或曾於他國或我國進行臨床試驗之藥品、醫療器材（以下合稱產品），或尚未經我國主管機關列為常規醫療之醫療技術等，於臨床試驗外，進行臨床診療使用。
- 5.2 病情危急之病人：係指疾病發展到某個階段，有合理的可能性，死亡將發生

於幾個月內；或若未早期治療將很可能過早死亡。

- 5.3 病情重大之病人：係指依醫師臨床專業判斷，疾病已嚴重損害病人之身體機能致影響其日常正常生活或已生活不能自理，以及若未治療，該疾病有發展至更嚴重情況的可能性。但短暫或自限性的後遺症或併發症，不包括在內。
- 5.4 罕見疾病：係指罕見疾病防治及藥物法所稱之罕見疾病。
- 5.5 再生醫療：指利用基因、細胞及其衍生物，用以治療、修復或替換人體細胞、組織及器官之製劑或技術。
- 5.6 再生醫療技術（以下簡稱再生技術）：指於人體執行再生醫療之技術。但下列技術不包括在內：
 - 5.6.1 輸血。
 - 5.6.2 使用血液製劑。
 - 5.6.3 骨髓造血幹細胞移植、周邊血造血幹細胞移植。
 - 5.6.4 人工生殖。
 - 5.6.5 其他經中央主管機關公告之技術。
- 6 參考文獻：
 - 6.1 人體研究法
 - 6.2 人體研究倫理委員會組織及運作辦法
 - 6.3 藥物樣品贈品管理辦法
 - 6.4 特定藥物專案核准製造及輸入辦法
 - 6.5 特定醫療器材專案核准製造及輸入辦法
 - 6.6 醫院實施恩慈治療參考原則
 - 6.7 再生醫療法
- 7 表單：
 - 7.1 恩慈治療送審文件清單(BFA3*091)
 - 7.2 恩慈治療計畫書(藥品) (BFA3*105)
 - 7.3 恩慈治療計畫書(醫材、醫療技術)(BFA3*106)
 - 7.4 恩慈治療計畫-病人同意書(BFA3*076)
- 8 流程圖：

恩慈治療審查程序流程圖

