

臺灣藥品早期臨床試驗 — 規範與現況

Regulations and Status of Early Clinical Trials
of Medicinal Products in Taiwan

陳映潔 Ying-Chieh Chen* 張連成 Lien-Cheng Chang**
潘香櫻 Shirley Pan***



摘要

藥品研發與使用攸關國民健康與生命安全，受法規高度管制，試驗用藥物進行人體試驗，依風險而有不同程度的管理。早期臨床試驗的設計與高品質執行，係藥品後續大型樞紐性臨床試驗的關鍵，故其量能視為生醫產業發展的一項指標。限於市場及研發規模，臺灣早期臨床試驗量能仍有待提升。基於前瞻性考量，主管機關修訂相關行政指導和規範，期許產業界能投入更多資源於臺灣執行藥品早期臨床試驗，促進新藥開發和登記上市，嘉惠民眾健康福祉。

The development and use of medicinal products are

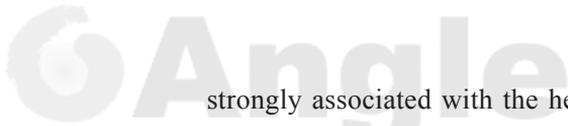
*食品藥物管理署藥品組審查員 (Reviewer, Taiwan Food and Drug Administration)

**食品藥物管理署藥品組科長 (Section Chief, Taiwan Food and Drug Administration)

***食品藥物管理署藥品組簡任技正 (Senior Technical Specialist, Taiwan Food and Drug Administration)

關鍵詞：早期臨床試驗 (early clinical trial)、首次使用於人體 (first in human)、試驗用新藥 (investigational new drug)

DOI : 10.3966/241553062020110049002



strongly associated with the health and safety of citizens and demand rigorous regulation. Investigational new drugs must be regulated at different levels according to risks if they are to be used in clinical trials. The design and high-quality conduction of early clinical trials is the key to the subsequent large-scale pivotal trials of investigational medicinal products and can be considered as an indicator to measure the biomedical innovation ecosystem. Limited by the scale of domestic market and the resources of research and development, the status of early clinical trials in Taiwan needs to be promoted. To facilitate the progress, the Taiwan Food and Drug Administration revised relevant guidelines and regulatory measures. It is expected that the industry will invest more resources in Taiwan to conduct early clinical trials and to develop new drugs, thereby benefiting the health and well-being of the public.

壹、前言

藥物開發與使用對國民健康和生命安全至關重要，受法規高度管制。新藥開發雖因研發時程長，需投入大量資源且風險高，卻具有高產業價值的特性，使得藥物研發成為各國產業政策重點推動項目。對於新藥上市許可所需之臨床前及臨床試驗資料的要求，先進國家都有一套嚴謹繁複的管理機制，務求核准新藥的品質、安全與有效性，有利於國民健康並符合公共衛生需求。

藥品生命週期自研發至上市許可包括基礎研究、非臨床試驗、臨床試驗、申請許可證，以及生產製造與上市流通，在各階段生命週期中，配合審查、稽查及檢驗等手段，搭配各項規範（GXP），形成完整的藥品生命週期管理架構，例

如應於非臨床試驗及臨床試驗階段進行「非臨床試驗優良操作規範」（Good Laboratory Practice, GLP）、「藥品優良臨床試驗作業準則」（Good Clinical Practice, GCP）查核以確保試驗品質；並稽查製造階段是否符合「優良製造規範」（Good Manufacturing Practice, GMP）；必要時進行上市前檢驗分析及上市後抽驗，並於上市後持續遵循「優良安全監視規範」（Good Pharmacovigilance Practice, GPvP），健全藥品品質安全監測，以全面達到藥品生命週期之管理目標¹。

藥品不同於一般消費性產品，必須取得中央衛生主管機關核發之藥品許可證才能上市販售。而研發階段的藥品如欲使用於人體進行臨床試驗，亦須依風險而有不同程度的管理，臺灣藥品臨床試驗係以醫療法²、藥事法³、人體研究法⁴及前述法律授權之子法規、行政規則為管理依據，並發布相關行政指導或指引提供醫療院所或產業界在規劃或進行臨床試驗時有所依循。

貳、藥品臨床試驗管理與計畫書審查

一、藥品研發與臨床前試驗

藥品研發是一個循序漸進的過程，在進入人體試驗之前，除必須先確認試驗用新藥具有穩定的品質、製造及管控外，申請人尚必須提供其安全性評估資料，包括非臨床動物試驗如藥理、毒理的試驗數據，或過去人體使用經驗，並推測可能有療

-
- 1 姜郁美，食品藥物管理署年報，衛生福利部食品藥物管理署，2016年10月，31-33頁。
 - 2 參照醫療法第8條、第70條、第78～80條、第102條、第105條、第107條、第115條；醫療法依行細則第2條、第55條之1。
 - 3 參照藥事法第5條、第7條、第44條、第55條、第57條之1、第92條；藥事法施行細則第2條。
 - 4 參照人體研究法第1～26條。

效及使用方法的評估等。臨床前試驗原則可參考「藥品非臨床試驗安全性規範」（Guideline for the Nonclinical Pharmacology/ Toxicology Studies for Medicinal Products Applications）⁵，在符合非臨床試驗優良操作規範（Good Laboratory Practice for Nonclinical Laboratory Studies, GLP）⁶之實驗室進行。

二、臺灣藥品早期臨床試驗管理及審查機制

藥物沒有絕對安全，對於病人而言可能是治療利益多於風險；但臨床試驗的本質並非為了病人的特定利益，是以追求醫學知識為目的，謀求廣大人群之利益⁷。藥事法⁸對於醫療效能及安全尚未經證實，專供動物毒性藥理評估或臨床試驗用之藥物稱為試驗用藥物。

依醫療法⁹認定之新藥，欲執行人體試驗前，須擬定計畫報請中央主管機關核准，或經中央主管機關委託者，得施行人體試驗。試驗計畫書亦須經人體試驗委員會（Institutional Review Board, IRB）或研究倫理委員會（Research Ethics Committee, REC）審查通過方得進行。有關人體試驗之申請程序及其他規定事項，則明定於人體試驗管理辦法¹⁰中，醫療機構或試驗主持人應詳讀其規定，在遵循GCP¹¹下完成試驗，確保數據的完整可信。

新藥臨床試驗通常分為三期，各期擔負不同目的，主要是

5 衛生福利部食品藥物管理署2014年7月7日FDA藥字第1031405812號函，公告「藥品非臨床試驗安全性規範」。

6 衛生福利部食品藥物管理署2019年2月26日FDA風字第1071107643號函，公告「非臨床試驗優良操作規範」（GLP）。

7 陳聰富，臨床試驗的法律責任與補償制度，收錄於：蔡甫昌編，我應該要參加臨床試驗嗎？健康世界，2017年3月，57頁。

8 參照藥事法第5條。

9 參照醫療法第8條、第78條；醫療法施行細則第2條參照。

10 參照醫療法第79條之1；人體試驗管理辦法第1～16條。

11 衛生福利部2020年8月28日衛授食字第1091407788號函，公告「藥品優良臨床試驗作業準則」（GCP）。