

FDA 將和 EMEA 將共同受理孤兒藥年報

美國食品藥物管理局 FDA(Food and Drug Administration)和歐盟的 EMA(European Medicines Agency)在 2010/2/28 罕見疾病日宣布將共同受理罕見疾病醫藥品審查，使流程更具一致性。由於罕見疾病的藥品審查流程與一般藥物不同，加上研發的特異性，此機制將可協助法規人員有效辨識問題並分享資訊。雙方都同意申請者只繳須交一份報告給 FDA 或 EMA。

罕見疾病通常是逐漸惡化且威脅生命的，歐盟對於罕見疾病的定義是 2000 人之中少於 1 人的發生率，美國則定義為境內罹病人數少於二十萬人的疾病。據估計，目前罕見疾病的種類有 6000 到 8000 種。由於醫藥品及特殊營養品的研發費用龐大，及患者人數少，銷售利潤低，並難以達成臨床顯著統計數據，讓廠商研發製造的意願極低，患者在醫療系統中常孤立無援，因此罕見疾病患者需要的藥物與特殊營養品也稱為「孤兒藥」。各國除了立法獎勵外，從審查到核可的時間也較一般醫藥品短，以拯救罕見疾病患者的生命。

之前即使是同一份報告，申請者仍需分別繳交報告給 FDA 和 EMA，不但增加作業時間，廠商也需耗時處理不同審查單位的法規要求。一次繳交

不僅可以縮短作業時間，也增加了 FDA 和 EMA 對孤兒藥要求的一致性，並可加強兩單位對孤兒醫藥品發展現況的了解，包含臨床試驗審核狀態，未來研發計畫描述、及其他影響孤兒藥認定的問題等。FDA 和 EMA 會經由安全的電子路徑交換年報，以確認資料能同時符合個別法規及安全與科學性要求。

此年報只適用於被 FDA 和 EMA 認定為孤兒藥的贊助商，並為自願繳交，FDA 和 EMA 不會產生額外的法規要求。由 2010/2/28 起，申請者只要繳交一份年報就可以同時送達給兩單位。

出處及延伸閱讀：

「International Collaboration: FDA and European Medicines Agency Agree to Accept a Single Orphan Drug Designation Annual Report」

-FDA NEWS RELEASE

Developing Products for Rare Diseases & Conditions

<http://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/default.htm1>

FDA International Programs – Europe

<http://www.fda.gov/InternationalPrograms/FDABeyondOurBordersForeignOffices/EuropeanUnion/default.htm>