

醫院施行恩慈治療參考原則

113年5月22日衛部醫字第1131662050號函訂定

- 一、目的：為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，特訂定「醫院施行恩慈治療參考原則」(以下簡稱本原則)，醫院施行恩慈治療得參考本原則建議內容，並作為院內人體研究(人體試驗)倫理審查委員會或醫學(臨床)倫理委員會辦理相關作業之參考。
- 二、名詞定義：
 - (一) 本原則所稱恩慈治療 (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。
 - (二) 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。
 - (三) 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。
 - (四) 本原則所稱罕見疾病：係指罕見疾病防治及藥物法所稱之罕見疾病。
- 三、醫院醫師施行恩慈治療，經所屬醫院之科(部、系)同意後，得向醫院之人體研究(人體試驗)倫理審查委員會(含醫院合作或所隸屬學校設立之倫理審查委員會)或醫學(臨床)倫理委員會(以下合稱委員會)提出申請，經委員會審查通過，並報中央衛生主管機關備查及經醫院核可後實施。
- 四、恩慈治療使用之產品，需符合藥事法第四十八條之二第一項第一款及特定藥品專案核准製造及輸入辦法，或藥事法第五十五條第二項及藥物樣品贈品管理辦法，或醫療器材管理法第三十五條等規定。
- 五、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該藥物治療者，不得申請恩

慈治療。

六、申請人及申請方式：由病人所罹患該疾病相關領域之主治醫師，認定病人符合恩慈治療需求後，依本原則第三點提出申請。

七、申請條件：

(一) 病人為病情危急或重大，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。

(二) 擬申請之產品或醫療技術需符合下列其中之一：

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。
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。

八、檢附文件：委員會受理恩慈治療申請，申請人需檢附文件建議如下，申請案檢附文件參考自評表如附件一。

(一) 申請表，建議敘明下列事項：

1. 申請人及任職醫院、單位、職稱。
2. 申請之理由。
3. 病人姓名（含病歷號）、診斷。
4. 有關病情危急或重大，或罹患罕見疾病之說明。
5. 有關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，或為治療禁忌之說明。
6. 擬使用之產品或技術之名稱（含規格含量）、廠牌、製造廠、製造國家及國內委託之廠商、數量。
7. 擬使用產品或技術之治療/用藥療程。
8. 國內外上市情形及臨床試驗結果說明。

(二) 治療計畫書：提出完整之治療方式及療程，含使用之劑量、途徑、期間、預期治療效益、費用與收費方式等資訊，並載明藥品、醫療器材之名稱、型號、規格相關資訊。

- (三) 病歷摘要。
- (四) 告知同意書：向病人及家屬詳細說明恩慈治療使用之藥品、醫療器材或醫療技術，及其治療風險、併發症與副作用，以及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；並告知費用及收費方式。
- (五) 藥品詳細資料及調劑方法。
- (六) 藥品包裝標示。
- (七) 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等資料。
- (八) 其他文獻。
- (九) 若前案曾於申請人所屬醫院(不含其他總院或分院)審查通過，或曾受主管機關審查通過者，需檢附相關核可公文或證明；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。

九、委員會審查流程建議如下，參考審查表如附件二：

- (一) 委員會受理申請。
- (二) 委員會指派至少○○位委員或專家審查，原則上審查天數為○○個工作天。
- (三) 如有臨床倫理諮詢師或社工師，請評估知情同意程序及內容。
- (四) 由主任委員依前述專家之審查意見，核定同意執行並提會報備、或提會討論。審查之委員或專家達半數之審查結果為不同意或建議提會討論者，需提會討論。
- (五) 委員會回覆申請人審查結果。
- (六) 委員會將審查相關文件備存，供中央衛生主管機關於查核或評鑑時查閱。

十、委員會審查參考重點：

- (一) 心理、社會及醫學評估，有無違反醫學倫理之處。
- (二) 病人是否符合病情危急或重大，或罹患罕見疾病。
- (三) 確認無其他可比較或適宜之替代治療。
- (四) 是否有科學上之實證，說明其效用及安全性。
- (五) 病人臨床情況已進入瀕死狀態宜採安寧療護。
- (六) 技術操作者之資格及訓練。
- (七) 已向病人或其法定代理人、配偶、親屬或關係人說明，並經其同意，簽具同意書。

(八) 病人告知同意書包括下列事項：

1. 明確告知該治療之試驗性質，其效果與風險均具有不確定。
2. 明確告知可能之副作用與危險。
3. 合理引用文獻數據，及原產國人體試驗（及上市）情況。
4. 治療方法。
5. 其他治療方式之優劣比較。

(九) 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，是否已逾3件而需改依人體試驗規定辦理。

(十) 恩慈治療使用之產品，是否符合藥事法第四十八條之二第一項第一款及特定藥品專案核准製造及輸入辦法，或藥事法第五十五條第二項及藥物樣品贈品管理辦法，或醫療器材管理法第三十五條等規定。

十一、委員會審查通過之恩慈治療，其證明文件建議載明下列事項：

(一) 案件編號。

(二) 審查通過日期。

(三) 申請名稱：申請藥品，請填入學名/商品名/劑量/劑型等；申請醫療器材，請填入名稱等；申請醫療技術，請填入名稱等。

(四) 申請數量：申請藥品，請填入藥品總數；申請醫療器材，請填入醫療器材總數。

(五) 同意之範圍：包含「醫療醫院/部門/科別/主治醫師姓名」、「藥品或醫療器材名稱及數量/醫療技術名稱」、「簡述申請原因」、「預計執行期間」、「病人姓名」，若病人數超過1人，需檢附擬治療病人名冊。

(六) 委員會會戳及主任委員署名。

十二、審查通過後之追蹤流程建議：

(一) 申請人執行恩慈治療期間，委員會可視需要，指派委員實地訪查或要求繳交書面進度報告。

(二) 實地訪查之結果，需於委員會報告。必要時，委員會得邀請申請人出席報告執行狀況並備詢。

(三) 病人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。

十三、恩慈治療之結案作業建議如下，結案檢附文件參考自評表如附件三：

(一) 提交結案報告：

1. 申請人於恩慈治療執行完畢或核准執行期間屆滿後四週內向委員會提交完整之書面結案報告。
2. 結案報告留存紀錄於各醫院，供衛生福利部查核或評鑑有需要時提供查閱。
3. 病人告知同意書正本併同病歷保存。
4. 申請人提交病人名冊，供委員會彙整備查。
5. 委員會於接到書面結案報告後，即指派委員或專家審查，並以原審查委員或專家為優先。

(二) 結案審查程序：恩慈治療結案之審查，得比照新申請案之審查程序。

十四、恩慈治療相關檔案保存建議：

- (一) 委員會需保存執行案件清單及病人名冊備查。
- (二) 案件相關資料，含送審文件、核准函、結案報告、審查紀錄及其他相關資料，委員會需妥為保存備查。
- (三) 病人告知同意書正本併同病歷保存。
- (四) 案件所有原始資料(含核准函、結案申請書、審查意見及其他相關資料)歸檔保存管理，並於指定位位置存放。

十五、醫院及申請人需遵守事項：

- (一) 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。
- (二) 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。
- (三) 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。
- (四) 恩慈治療所衍生之臨床資料不得於未來相關查驗登記案引用為臨床試驗數據。

十六、違規處置流程建議：申請人違反計畫書、告知同意書、委員會核准時附帶條款或依本原

則或相關醫事法規所定應遵循事項，經委員會調查屬實者，由委員會視情節輕重給予處置。處置選項包括但不限於：暫停執行、中止執行、終止執行、暫不接受申請人之其他恩慈治療申請案、要求申請人接受相關教育訓練、移送人事單位懲處等。

十七、醫院施行恩慈治療相關事項得依本原則辦理，但其他法律有特別規定者，從其規定。

附件一、申請案檢附文件參考自評表

申請人：		連絡電話：	
聯絡人：		連絡電話：	
申請案檢附文件		檢附情形	備註
類別： <input type="checkbox"/> 藥品 <input type="checkbox"/> 醫療器材 <input type="checkbox"/> 新醫療技術			
一、申請表	1. 申請人及任職醫院、單位、職稱	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
	2. 申請之理由	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
	3. 病人姓名(含病歷號)、診斷	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
	4. 有關病情危急或重大，或罹患罕見疾病之說明	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
	5. 有關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，或為治療禁忌之說明	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
	6. 擬使用之產品或技術之名稱(含規格含量)、廠牌、製造廠、製造國家及國內委託之廠商、數量	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
	7. 擬使用產品或技術之治療/用藥期程	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
	8. 國內外上市情形及臨床試驗結果說明	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
二、治療計畫書：提出完整之治療方式及療程，含使用之劑量、途徑、期間、預期治療效益、費用與收費方式等資訊，並載明藥品、醫療器材之名稱、型號、規格相關資訊		<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	文件請註明版本日期
三、病歷摘要		<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
四、告知同意書：向病人及家屬詳細說明恩慈治療使用之藥品、醫療器材或醫療技術，及其治療風險、併發症與副作用，以及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；並告知費用及收費方式		<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
五、藥品詳細資料及調劑方法		<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
六、藥品包裝標示		<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
七、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等資料		<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
八、其他文獻		<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
九、若前案曾於申請人所屬醫院(不含其他總院或分院)審查通過，或曾受主管機關審查通過者，需檢附相關核可公文或證明；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		<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	

(本自評表內容僅供參考，委員會可視實際作業自行調整或參考運用)

附件二、恩慈治療參考審查表

一、基本資料：

院內案件編號：	聯絡人：	連絡電話：
類別： <input type="checkbox"/> 藥品 <input type="checkbox"/> 醫療器材 <input type="checkbox"/> 新醫療技術		
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，且已逾3件而需改依人體試驗規定辦理： <input type="checkbox"/> 是 <input type="checkbox"/> 否		
本恩慈療法費用與收費方式： <input type="checkbox"/> 病人全額自付 <input type="checkbox"/> 廠商無償提供 <input type="checkbox"/> 其他，請說明_____)		
交付審查日期：__年__月__日 (註：此日期係指承辦人指派專家審查之日期)		

二、醫學專家審查：

(註：審查期限，請於前述欄位中之「交付審查日期」後○○天內完成審查。)

審查重點	審核情形	備註
一、心理、社會及醫學評估，有無違反醫學倫理之處	<input type="checkbox"/> 符合 <input type="checkbox"/> 不符合	
二、病人是否符合病情危急或重大，或罹患罕見疾病	<input type="checkbox"/> 符合 <input type="checkbox"/> 不符合	
三、確認無其他可比較或適宜之替代治療	<input type="checkbox"/> 符合 <input type="checkbox"/> 不符合	
四、是否有科學上之實證，說明其效用及安全性	<input type="checkbox"/> 符合 <input type="checkbox"/> 不符合	
五、病人臨床情況已進入瀕死狀態宜採安寧療護	<input type="checkbox"/> 符合 <input type="checkbox"/> 不符合	
六、技術操作者之資格及訓練	<input type="checkbox"/> 符合 <input type="checkbox"/> 不符合	
七、使用之產品，是否符合藥事法第48-2條第1項第1款及特定藥品專案核准製造及輸入辦法，或藥事法第55條第2項及藥物樣品贈品管理辦法，或醫療器材管理法第35條等規定	<input type="checkbox"/> 符合 <input type="checkbox"/> 不符合	
審查結果： <input type="checkbox"/> 同意 <input type="checkbox"/> 建議修正 <input type="checkbox"/> 不同意		
審查意見：		
醫學專家簽名/日期：		

三、臨床倫理諮詢師、委員或社工師審查：

(註：審查期限，請於前述欄位中之「交付審查日期」後○○天內完成審查。)

審查重點	審核情形	備註
一、已向病人或其法定代理人、配偶、親屬或關係人說明，並經其同意，簽具同意書	<input type="checkbox"/> 符合 <input type="checkbox"/> 不符合	
二、病人告知同意書包括下列事項： (一)明確告知該治療之試驗性質，其效果與風險均具有不確定 (二)明確告知可能之副作用與危險 (三)合理引用文獻數據，及原產國人體試驗(及上市)情況 (四)治療方法 (五)其他治療方式之優劣比較	<input type="checkbox"/> 符合 <input type="checkbox"/> 不符合	
審查結果： <input type="checkbox"/> 同意 <input type="checkbox"/> 建議修正 <input type="checkbox"/> 不同意		
審查意見：		
臨床倫理諮詢師、委員或社工師簽名/日期：		

四、委員會簽辦程序：

承辦人簽名/聯絡電話：	單位主管簽名：
委員會主任委員簽名： <input type="checkbox"/> 同意核備 <input type="checkbox"/> 提會討論	

(本審查表內容僅供參考，委員會可視實際作業自行調整或參考運用)

附件三、結案檢附文件參考自評表

申請人：		連絡電話：
聯絡人：		連絡電話：
結案檢附文件	檢附情形	備註
類別： <input type="checkbox"/> 藥品 <input type="checkbox"/> 醫療器材 <input type="checkbox"/> 新醫療技術		
一、申請表： <ul style="list-style-type: none"> • 申請人及任職醫院、單位、職稱 • 申請之理由 • 病人姓名（含病歷號）、診斷。 • 使用之產品或技術之名稱（含規格含量）、廠牌、製造廠、製造國家及國內委託之廠商、數量 • 原申請表產品或技術之治療期間或用藥期程 	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
二、申請通過之核准函	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
三、恩慈療法執行期間之實地訪查紀錄或書面進度報告	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
四、書面結案報告	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
五、病人告知同意書正本併同病歷保存	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
六、申請人提交病人名冊，供委員會彙整備查	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
七、申請人接受相關違規處置(如:教育訓練、懲處等)之證明	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	
八、其他相關文件	<input type="checkbox"/> 已檢附 <input type="checkbox"/> 無須檢附	

(本自評表內容僅供參考，委員會可視實際作業自行調整或參考運用)