

方便營商諮詢委員會
批發及零售業工作小組

治療嚴重或罕見疾病新藥的新註冊機制（「1+」機制）及
「港澳藥械通」政策

目的

本文件旨在向委員匯報治療嚴重或罕見疾病新藥（即含有新的藥劑或生物元素的藥劑製品¹，下稱「新藥」）在香港的新註冊機制（一般稱為「1+」機制）及提供大灣區使用香港註冊藥物的最新資料。

背景

2. 根據《藥劑業及毒藥條例》（第138章），藥劑製品必須符合安全、效能及素質標準，並獲香港藥劑業及毒藥管理局（「管理局」）批准註冊，方可在香港銷售或供應。
3. 新藥註冊的申請人需要根據管理局出版的《新藥劑或生物元素藥劑製品註冊申請指南》（「指南」）提交所需文件。根據指南，新藥的註冊申請需要提交包括兩個或以上由指明參考國家的藥物監管機構發出的註冊證明文件作為支持該產品已獲嚴謹的審批上市證據（即「第二層審查」制度）。
4. 管理局不時檢視藥物規管的註冊要求，包括更新藥註冊的參考國家名單。巴西、中國內地、韓國和新加坡的藥物監管機構已於2022年11月1日加入「新藥」註冊的指明參考名單。目前，共有36個國家²在指明參考名單上。為優化現行的藥物註冊制度，行政長官在2023年施政報告中公布設立全新「1+」機制並於2023年11月1日實施。在「1+」機制下，有利於本地用以治療嚴重或罕見疾病的新藥註冊申請，在符合本地臨床數據支持等要求，並經

¹ 即含有未曾在本港註冊的有效成分

² 目前，36個參考國家包括：澳洲、巴西、加拿大、中國、26個歐盟國家、日本、南韓、新加坡、瑞士、英國及美國。

本地專家認可新藥的適用範圍後，只須提交一個（而非原來的兩個）參考國家藥物監管機構的許可證明。

5. 「1+」機制便利來自世界各地符合本地醫療需要的新藥來港註冊，讓病患者能更早使用新藥。新機制可吸引更多藥物研發及臨床試驗選擇於香港進行，當中有關本地臨床數據和專家認可的註冊申請要求（即「1+」中的「+」），將能繼續確保所有獲批准註冊的藥物均符合嚴謹的安全、效能和素質要求，更能強化本地的藥物評審能力和促進相關軟件和人才發展，長遠而言，作為有序邁向「第一層審批」³制度的重要一步。

「1+」機制的條件與要求

6. 在新的「1+」機制下，符合下列條件的新藥註冊申請如未能提交兩個或以上國家所發出之註冊證明，仍可按個別情況受理進行評審：

- (i) 為滿足本地的醫療需求，而使用該產品於危及生命或引致嚴重衰弱的疾病；
- (ii) 該產品已獲任何參考國家認定為罕見病藥物、突破性治療藥物、取得優先審核的藥物、或同等認定，並在該國家獲批准上市及正在銷售；及
- (iii) 提交該產品相關適應症和用法用量的本地臨床數據（如：臨牀研究、病例報告、病例系列、真實世界數據等）。

7. 申請人除了需要按指南提交一般在新藥註冊時所需的文件外，以「1+」機制的新藥申請需額外提交在指南上新增的資料包括支持理據、專家報告等。通過「1+」機制申請新藥註冊時須提交的額外資料的詳情，請參閱附件。

8. 「1+」機制下的註冊申請，如有需要時，將提交予管理局轄下的藥劑製品註冊專家顧問諮詢組（「專家組」），就其是否符合「1+」機制的評審資格進行初步諮詢。根據個別情況，符合

³ 「第一層審批」是指透過審核所有臨床前研究（即動物實驗）、臨床研究，以及有關製造和品質控制的原始數據及資料，全面審查藥物的安全性、效能和素質。

資格並提交了所需額外資料的申請可獲接納並進行評審。受理的新藥申請將徵求專家組對其安全、效能、素質以及風險管理方面的意見，隨後再提交予藥劑業及毒藥（藥劑製品及物質註冊：臨床試驗及藥物測試證明書）委員會（「註冊委員會」）審議。

9. 註冊委員會在考慮專家組的意見及申請的完整性後，可以有條件批准該註冊申請。

「1+」機制的實施

10. 衛生署藥物辦公室向管理局提供專業及行政支援，以落實「1+」機制。迄今為止採取的行動和便利措施包括：

- (i) 管理局通過的更新指南已上載於管理局（www.ppbhk.org.hk）和衛生署藥物辦公室（www.drugoffice.gov.hk）的網頁；
- (ii) 為協助持份者進一步了解「1+」機制的實施細節，藥物辦公室已於2023年10月26日發出了相關的新聞公報和發信給持份者，主動處理業界的查詢以及申請意向。「1+」機制生效以來（截至2024年3月17日），藥物辦公室已收到 57 間藥廠 129 個查詢，並積極跟進；及
- (iii) 藥物辦公室亦主動聯絡藥劑業界邀請他們把符合「1+」機制要求的產品根據新機制申請註冊，並於2023年11月裏共舉辦了4場線上講座簡介「1+」機制，合共有 175 位業界代表參與。

11. 在「1+」機制下已批准兩款治療癌症的新藥申請。該兩款癌症新藥是不同劑量的口服標靶藥，用作治療轉移性結直腸癌。此外，已有數間藥企表達透過「1+」機制提出註冊申請的意向，有待所需資料齊備後會向管理局提交申請。

優化「1+」機制的措施

12. 為了與國際監管慣例接軌，實現藥品評審管理的及時性、可預測性、透明度、明確性和效率，並為達至新藥註

冊申請「第一層審批」制度的目標鋪路，管理局最近還通過了以下優化「1+」機制的措施，並將於2024年5月1日實施：

- (i) 試行「計時」機制，在目標時限內處理於「1+」機制下的新藥註冊申請，以求便利管理申請文件的提交和適時的審核；
- (ii) 擴大專家組，就新藥的註冊申請給予安全、效能及素質方面的專家意見和對產品相關的風險管理提出建議，強化本地的藥物評審能力並為進行新藥註冊申請「第一層審批」鋪路；考慮到在特定專業領域上缺乏本地人材，同時希望進一步強化本港藥物監管制度以達到國際水平，專家組會加入具有相關學術背景和豐富藥物評審經驗的國際專家；及
- (iii) 對「1+」機制的新藥申請在審查階段設立「拒收」機制，以確保資源能集中運用於滿足本地的醫療需求，便利適時處理用於嚴重或罕見疾病的新藥註冊，避免處理不符合資格的申請而造成不必要的延誤⁴。

港澳藥械通

13. 為便利在大灣區工作及生活的香港人在當地就醫，國家藥品監督管理局於二〇二〇年十一月公布《粵港澳大灣區藥品醫療器械監管創新發展工作方案》，當中包括允許在粵港澳大灣區內地的指定醫療機構經廣東省人民政府審批後使用臨牀急需、已在本港註冊的藥劑製品，以及使用臨牀急需、本港公立醫院已採購使用的醫療儀器。

14. 特區政府一直與廣東省藥品監督管理局（廣東省藥監局）保持緊密聯繫和商討以香港大學深圳醫院（港大深圳醫院）為試點，落實「港澳藥械通」的工作。二〇二一年一月，廣東省藥監局在港大深圳醫院落實「港澳藥械通」的試點工作，試點工作已於二〇二一年七月三十一日結束。

⁴ 不符合上述第6段和第7段規定的條件和要求的申請將被拒絕受理。然而，在「1+」機制下拒絕受理的新藥申請並不妨礙申請人依第3段所述的要求重新提交註冊申請。

15. 二〇二一年八月，廣東省藥監局聯合廣東省衛生健康委員會宣布，為在粵港澳大灣區內地9市正式拓展實施「港澳藥械通」政策，並發布政策配套文件，如《廣東省粵港澳大灣區內地臨牀急需進口港澳藥品醫療器械管理暫行規定》。「港澳藥械通」已逐步由深圳擴展至大灣區其他符合要求的城市和指定醫療機構，首批已獲審核確定的五家指定醫院包括港大深圳醫院、廣州現代醫院、廣州和睦家醫院、珠海希瑪林順潮眼科醫院和中山陳星海醫院；第二批十四家指定醫療機構包括中山大學附屬第一醫院、廣東省人民醫院、深圳市前海蛇口自貿區醫院、珠海市人民醫院（橫琴院區）及東莞松山湖東華醫院等。

16. 截至二〇二四年一月十六日，經「港澳藥械通」已累計有28個藥品和28種醫療儀器獲得批准可在大灣區內地指定醫療機構使用。

17. 政府會繼續與廣東省藥監督局就「港澳藥械通」的工作保持緊密合作和溝通，以期盡快擴大適用的藥物和醫療儀器目錄，並逐步將有關安排擴展至其他大灣區城市符合要求的醫療機構。

18. 請委員備悉本文件內容。

衛生署
2024年4月

申請人通過「1+」機制註冊用於治療嚴重或罕見疾病新藥須提交的額外資料

- 未能符合提交由兩個或以上參考國家所發出之註冊證明的理據，並提供文件證明該產品符合使用新機制的要求；
- 由一名獲頒授院士名銜或相等資格的本地專家撰寫的評估報告，而該專家須具有至少 5 年和產品相關的醫學領域的經驗；該報告內容需包括：
 - 該疾病的全球和本地流行病學資料；
 - 國際和本地的治療模式；
 - 未滿足的本地醫療需求情況；
 - 該產品如何解決未滿足的本地醫療需求；及
 - 產品的安全與效能。

專家應同時提交對該產品在相關適應症和用法用量的本地臨牀數據（如：臨牀研究、病例報告、病例系列、真實世界數據等）作出的研究報告；

- 批准該產品上市的藥物監管機構發出的評估報告、所施加的上市後要求和上市條件；
- 定期安全性更新報告或安全摘要報告，或其同等報告（如有）；
- 註冊後的開發計劃（如：產品的全球監管規劃、已計劃的和正在進行的效能和安全性研究、本地臨牀研究、真實世界證據研究等）。