

恩慈治療案件之申請與審查案例分享

文 / 臺大醫院倫理中心 陳依煜、戴君芳

壹、前言

在現代醫療環境中，對於部分罕見疾病、重症或治療選擇有限的病人，常規療法可能無法提供有效治療。面對這類病人，臨床醫師有時需要尋求尚未核准上市的藥品、放射性藥品、醫療器材或新醫療技術作為治療選項。為兼顧病人治療權益、醫療安全及倫理規範，建立明確且可操作的申請機制，是臨床及倫理審查管理的重要工作之一。

在實務上，臨床醫師常因病人病情因素面臨治療時間緊迫並需準備文件的挑戰，若申請資料不完整而需補件，可能延誤病人治療時機。研究倫理委員會則需在兼顧病人急迫需求與長期安全間取得平衡，確保資訊透明、風險可控，並符合相關法規要求。本文將透過案例分享與常見問題的整理，協助醫師及相關人員了解申請流程、掌握文件準備重點，以縮短審查時程並提升病人權益與醫療安全。

貳、案例與分析

為協助申請人順利提出恩慈治療、專案藥品或醫療器材案件，本期亦於另一篇文章「臺大醫院恩慈治療案件審查原則與程序簡介」介紹恩慈治療案件審查程序，歡迎讀者參考。本篇主要分享恩慈治療申請過程中常見的問題與審查重點，以供申請人準備申請案件時參考。

一、申請案文件不齊或同意書內容不完整

案例一：

病人 A 為罕見疾病個案，主治醫師提出恩慈治療申請，盼能使用尚未上市的藥

物作為治療方案。申請文件已包含申請書、病歷摘要及治療計畫書，以及病人知情同意書，但知情同意書未載明恩慈藥品在本國未上市，且未提及過去已執行之臨床試驗發生之相關副作用資訊，預期治療效果說明將大幅改善疾病情形等太過正向之敘述，申請書與治療計畫書所載的病名與使用藥物內容不一致...，因內容不齊備而需再補件。

案例一分析：

恩慈案件多屬急迫，申請文件之完整性與一致性至關重要，申請時請務必確認申請內容正確，且必要文件均已提供。申請文件中病人之同意書為審查重點之一，由於恩慈治療之藥品均尚未在國內上市，風險程度較高，有恩慈治療需求之病人更屬弱勢，因此知情同意書是讓病人了解治療風險與可能效益之重要依據，應依同意書各大項完整書寫，尤其須將已知副作用書寫清楚，預期效果亦須避免太過正向，避免病人誤解一定有效，使病人充分理解治療風險再接受治療。若申請時能準備完整且一致的文件，不僅可提升審查效率，也能保障病人權益，避免退件造成治療延誤。

二、未使用常規治療、試驗藥物臨床療效及安全資訊證據不足

案例二：

病人 B 的病情並非罕見疾病，且尚未完整接受現行可用之標準治療。申請醫師擬使用的試驗藥物，過去僅在少數臨床試驗中使用，尚缺乏大規模研究資料證實其安全性及療效。申請文件雖包含病歷摘要及治療計畫書，但由於缺乏標準治療失敗的病歷資料佐證及充分的臨床安全性資料，無法支持試驗藥物使用的必要性。

案例二分析：

研究倫理委員會審查之重點除病人是否符合重大或危急外，尚需確認是否已無其他替代療法，因恩慈治療畢竟非屬常規醫療，所申請之試驗藥物在缺乏足夠臨床證據下，無法確認其安全性與療效下，不宜在病人尚有標準治療情形下使用。本案例提醒申請人，恩慈治療或專案藥品申請需符合病人條件，包含疾病罕見性或危急性，並在標準治療無效或不適用時提出。同時，充分的臨床證據及治療必要性說明，對審查通過至關重要，以保障病人安全與治療合理性。

三、如何通過恩慈治療申請？

案例三：

病人 C 為高齡且具有多重共病病史的個案，合併嚴重主動脈逆流及左心功能下降，屬於重度心臟衰竭患者。由於年齡因素，開刀風險評分高，病人本身也抗拒手術。因國內現有瓣膜主要適應症為主動脈狹窄，對於未合併狹窄的病人不適用，且國外已有上市之適合瓣膜，經申請醫師提出至科部會議討論，評估後認為以國外認證的瓣膜置換心臟瓣膜為最適合選擇。主治醫師便向研究倫理委員會提出專案申請之審查，並附上完整病歷摘要、治療計畫書及病人知情同意書。

案例三分析：

本案經研究倫理委員會審查專家評估後，認為病人因主動脈瓣逆流導致心臟衰竭惡化，符合危急情形，且手術風險高，國內無合適替代瓣膜可用。考量醫師團隊具豐富的導管主動脈瓣膜置換經驗，且病人已充分了解此非本國已上市的醫療器材並簽署同意書，因此同意專案進口該瓣膜供病人使用。此案例申請醫師完整陳述病人之危及與重大狀態，並提供病人病歷詳細處置資料以呈現國內無替代使用器材之情形，以及提供醫療器材國外主管機關認證資訊，使研究倫理委員會可確認符合恩慈治療之條件並據以通過。

另在病人本身抗拒手術治療部分，由於申請恩慈治療之條件之一為確認病人是否已無其他替代療法，若對於病人接受標準治療如手術之風險較高，病人本身也抗拒手術，建議除可於恩慈治療同意書中說明已與病人討論標準治療外，或可在病歷紀錄中記載相關討論（例如：having discussed with the patient about treatment options, including xx, xx, and xx）以供研究倫理委員會審查。

四、執行恩慈治療可以宣傳嗎？

案例四：

醫師 D 申請之國外上市的某醫療器材通過恩慈治療申請，執行後病人獲得良好的效果，使疾病獲得緩解，D 醫師想要讓外界知道有這樣的醫療成果，因此想召開記者會讓大家知道。但 D 醫師不確定是否可以這樣做，故諮詢研究倫理委員會。

案例四分析：

恩慈治療之方式若未經完整之臨床試驗執行過程，其結果並無法作為治療之依據及宣傳，建議申請醫師宜依衛生福利部發布之「醫院施行恩慈治療參考原則」[3] 相關規範執行：

1. 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。

2. 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。
3. 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。

聲明：基於對審查案件的保密，本文之案例均經過改寫。

參考文獻

1. 國立臺灣大學醫學院附設醫院研究倫理委員會：恩慈治療案件之審查原則及作業程序書。
2. 國立臺灣大學醫學院附設醫院研究倫理委員會：專案藥品、醫療器材案件之審查原則及作業程序書。
3. 衛生福利部：醫院施行恩慈治療參考原則。