

恩慈治療案件審查原則與程序簡介

文 / 臺大醫院倫理中心 陳依煜

壹、前言

隨著全球醫療科技的快速發展，許多創新藥物與醫療器材陸續問世，為疾病治療帶來新的契機。然而，對部分罕見疾病、重症或急重症患者而言，現行可使用的治療手段仍可能不足，或無其他替代療法可供選擇。此時，使用尚未在國內核准上市的藥品或醫療器材，便可能成為患者獲得治療的最後機會。

目前臺灣對於病情危急或重大而無常規療法可使用之治療，臨床實務上有兩種情形：其一為「恩慈治療（compassionate use）」，係指申請使用經科學性研究，但於全球尚未核准上市之試驗用的藥品、放射性藥品、醫療器材或新醫療技術等，於臨床試驗外進行治療使用。其二為「專案申請藥品、醫療器材」，係指國內尚無衛生福利部許可證，但已於醫藥先進國家上市之藥品（含放射性藥品）或醫療器材；或本院原有品項，但廠商因故無法供貨或停產，國內亦無其他可替代藥物，經醫師確定有醫療需求而提出申請。無論是恩慈治療或專案藥品／醫療器材，因產品尚未上市，均涉及醫療風險，使用上需經倫理審查及遵循法規，以在保障病人權益、確保治療安全性與促進臨床創新之間取得平衡。

為保障依現行常規醫療無法獲得有效治療，而須接受施行特定非常規醫療之罹患危急、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，衛生福利部於 113 年訂定「醫院施行恩慈治療參考原則」[1]，以利醫院施行恩慈治療時得參考本原則建議內容，並供各院人體研究（人體試驗）倫理審查委員會或醫學（臨床）倫理委員會進行審查之參考。

臺大醫院自民國 98 年已訂有恩慈使用藥品及專案藥品使用相關規範，倫理中

心依據衛生福利部 113 年訂定之「醫院施行恩慈治療參考原則」修訂「臺大醫院恩慈治療案件之審查原則及作業程序書」[2]、「專案藥品、醫療器材案件之審查原則及作業程序書」[3]，協助臨床醫師在特殊情況下，妥善取得病人治療所需的藥品或醫療器材，並明確規範研究倫理委員會受理此類案件的審查及作業流程。此程序旨在確保申請案件之必要性、合法性與符合倫理，並在保障病人安全與權益的前提下進行審查，提供合宜的治療機會。本文將簡介臺大醫院所訂定的審查原則與作業程序書重點供參考。

貳、申請恩慈治療需要什麼條件？

申請恩慈治療者，需從以下三方面確認是否符合申請條件：

一、申請人方面：必須為病人所罹患該疾病相關領域之主治醫師，以確保申請案由具備完整臨床訓練與專業責任之醫師提出，以維持醫療決策的專業性與合理性。

二、病人方面：病人必須屬於病情危急、病情重大或罹患罕見疾病之範疇。依「醫院施行恩慈治療參考原則」，病情危急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。病情重大係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。但以上不包含短暫或自限性的後遺症或併發症。至於罕見疾病，則指罕見疾病防治及藥物法所稱之罕見疾病。

三、申請之產品或醫療技術方面：

使用之產品或醫療技術仍以安全為最優先，因此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。

參、申請恩慈治療需要準備什麼文件？

在申請文件的準備方面，申請人須提出完整的簽文或申請書，依院內流程送審，包含：科部主任、相關權責單位如藥劑部（如屬專案藥品）、研究倫理委員會與院方核定。申請內容需具體說明申請理由，詳列病人姓名、病歷號、診斷，並須撰寫病情危急或重大，或罹患罕見疾病之說明，同時須說明有關國內無任何可替代之治療，或經所有可使用的治療仍沒有反應、疾病復發，或為治療禁忌之病情實際狀況。此外，申請人必須檢附擬使用之藥品、醫療器材或醫療技術的完整資訊，包含：擬使用之藥品或技術之名稱（含規格含量）、廠牌、製造廠、製造國家及國內委託之廠商、數量，並說明擬使用藥品或技術之治療/用藥期程及國內外上市情形，以利研究倫理委員會審查其合理性。

除上述文件外，治療計畫書也是必備文件之一，內容需呈現完整的治療方案，包含：使用劑量、給藥途徑、療程期間等，以便評估治療的可行性與安全性；病歷摘要則提供委員/專家了解病人過往病史及目前狀況，輔助審查決策；告知同意書亦不可或缺，須清楚載明病人基本資料、藥品資料、可能產生之副作用、病人應注意事項，並由病人或其法定代理人簽章確認，確保病人知情並同意接受治療。

藥品、醫療器材的詳細資料亦需一併檢附，包含：調劑方法、使用說明書、包裝標示、國內外上市資訊，以及臨床試驗或相關研究報告，且需含有正面的療效與安全性證據。若為醫療器材，須提供結構、規格、性能、用途、圖樣、製造品質資料、安全性與效能試驗報告、人體使用資料及風險利益評估報告。

整體而言，恩慈療法、專案藥品或醫療器材的申請文件，是研究倫理委員會審查案件時最核心的依據，也是確保病人權益、治療安全與法規遵循的重要保障。透過完整且詳實的文件，研究倫理委員會得以全面掌握病人病情、治療需求、既往治療反應以及擬使用藥品或醫材的來源、品質與安全性資料。文件的充分與否，直接影響審查判斷的準確性與效率，因此申請人必須謹慎準備，以便委員會能從臨床必要性、風險與效益、法規符合性等多面向進行審酌。透過嚴謹的文件要求與審查機制，才能在協助病人獲得治療機會的同時，兼顧醫療品質、降低潛在風險，並累積後續決策所需的科學與倫理依據，使此類治療得以在制度化且安全的架構下執行。

肆、研究倫理委員會審查恩慈治療之重點為何？

以臺大醫院為例，研究倫理委員會之審查重點如下：

- 一、病人是否符合病情危急或重大，或罹患罕見疾病。
- 二、確認無其他可比較或適宜之替代治療。

- 三、是否有科學上之實證，說明其效用及安全性。
- 四、技術操作者之資格及訓練。
- 五、須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。
- 六、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。

由於國外已上市但國內因尚未上市或國內原有藥品或醫療器皿品項，但廠商因故無法供貨或停產，而國內亦無其他可替代品，故亦有申請之需求，此屬專案進口類別，亦需由主治醫師提出，審查重點與恩慈療法相同。透過上述審查重點，研究倫理委員會能確保案件申請的正當性與合法性，保障病人安全與知情權，並協助臨床醫師在符合倫理與法規的前提下，提供最適切的治療方案。

另外，衛生福利部所訂「醫院施行恩慈治療參考原則」[1] 中特別提出建議審查心理、社會及醫學評估，有無違反醫學倫理之處，以及建議評估病人臨床情況已進入瀕死狀態宜採安寧療護之審查重點，在倫理角度確實為執行審查時需考量之處，因為病人即使符合病情危急或重大，但醫療措施仍需評估是否為病人之最大利益，如病人已達臨床情況進入瀕死，再嘗試新的治療方式效益不大時，仍應建議改採安寧療護，而不執行恩慈治療。

伍、恩慈案件審查通過後之追蹤程序

當恩慈療法案件經研究倫理委員會審查通過後，後續的追蹤管理是保障病人安全與維護醫療倫理的重要步驟。由於此類案件多涉及尚未上市或仍在研究階段的藥品、醫療器材或治療方法，執行過程需要更嚴謹的監督，以確保符合倫理原則並降低病人風險。研究倫理委員會在整個治療期間持續扮演監督者的角色，透過要求書面報告或實地訪查，隨時掌握案件進展。

在執行期間，研究倫理委員會可視需要要求申請人提交書面進度報告，說明治療進度、病人反應與安全性監測狀況。必要時，亦可指派委員進行實地訪查，直接

了解治療執行情形及文件紀錄的完整性。透過這樣的機制，確保治療執行透明且符合核准之治療計畫。

如同執行臨床試驗之風險監測，衛生福利部「醫院施行恩慈治療參考原則」亦建議病人在恩慈治療過程中導致未預期的嚴重不良反應，申請人應於得知日起十五日內通報研究倫理委員會，並提交詳細書面資料。倘若發生未預期之死亡或危及生命的不良反應，應於七日內先行通報委員會，並於十五日內補提詳細報告，這些規範有助於確保病人安全，以便委員會即時掌握事件情形，及早評估風險並採取必要措施。

治療執行結束或核准期間屆滿後，申請人需於四週內向研究倫理委員會提交完整結案報告（含病人名冊）。留存之結案報告紀錄，當衛生福利部查核或評鑑有需要時提供審閱。病人同意書正本併同病歷保存。

整體而言，這套追蹤機制使研究倫理委員會不僅僅是事前審查的把關者，亦具治療全程監督的重要角色。透過進度報告、實地訪查、不良事件通報與結案報告，確保恩慈療法及專案藥品、醫療器材治療能在合法、合乎倫理且安全的環境下進行，最大程度保護病人權益，同時累積寶貴經驗，促進未來同類案件的審查與執行更為完善。

參考文獻

1. 衛生福利部：醫院施行恩慈治療參考原則。
2. 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。
3. 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。