

仿單外使用 (off-label) : 醫師為什麼會建議? 病人能不能用?

Off-label drug use in oncology: why doctors prescribe and what patients should know

林協霆, MD, 內科專科醫師, 腫瘤內科專科醫師

醫療財團法人辜公亮基金會和信治癌中心醫院 腫瘤內科部 · ORCID: [0009-0002-3974-4528](https://orcid.org/0009-0002-3974-4528)

發表日期: 2026/05/12 · 最後更新: 2026/05/12 · 審稿: 林協霆 (2026/05/12) · 主題: 腫瘤藥物仿單外使用 (Off-label drug use in oncology)

DOI: 10.5281/zenodo.20131237 · 此版本 10.5281/zenodo.20131238 · <https://lin.hsiehting.com/posts/2026/off-label-cancer-drug-use>

摘要 · ABSTRACT

off-label = 藥物用於「未經主管機關核准的適應症、劑量、年齡或給藥途徑」。腫瘤領域 off-label 比例極高 (30–50%)，原因包括 NCCN compendium 已收錄但 FDA/TFDA 尚未核准、罕見癌缺臨床試驗、新適應症在他國已核准。本文整理 off-label 與 unapproved 的差別、健保 / 自費 / PAP 給付邏輯、IRB 與 informed consent。

Off-label (仿單外使用) = 藥物已合法核准、但用於未列入仿單的適應症、劑量、年齡或給藥途徑。 腫瘤領域 off-label 比例極高 (30–50%)，多有 NCCN compendium、大型試驗或 case series 支持。本文釐清 off-label 與 unapproved 的差別、為什麼腫瘤特別多 off-label、健保 / 自費 / PAP / 恩慈的給付路徑、與「醫師建議 off-label 時該問什麼」。

閱讀對象

本文設定讀者為被主治醫師建議 off-label 用藥的病友與家屬。實際處方決策由主治醫師依個案判斷；本文不取代專業諮詢。



off-label vs. unapproved : 兩個常被混淆的概念

概念	藥物是否核准？	用法是否列在仿單？	例子
on-label	✓	✓	trastuzumab 用於 HER2+ 乳癌
off-label	✓	✗	trastuzumab 用於 HER2+ 胃癌（部分線數）、salivary gland
investigational / unapproved	✗	—	試驗藥；新分子
compassionate use	✗ 在台灣	—	透過 TFDA 個案申請

為什麼腫瘤特別多 off-label ?

1. **NCCN compendium** : NCCN (美國最大腫瘤指引組織) 收錄了大量「有實證但仿單未列」的用法。例如：rituximab 用於眾多 B 細胞淋巴瘤亞型、bevacizumab 用於多種癌、TKI 跨適應症使用。
2. **罕見癌缺試驗** : 罕見癌人數少，無法做隨機試驗證明適應症；只能靠 case series 與小型試驗。
3. **新適應症在他國已核准** : FDA 早台灣 1-2 年核准新適應症的情形常見。
4. **NGS 後罕見變異** : NTRK、ROS1、RET、BRAF、HER2 等變異跨多癌別有效，但每個小亞群人數少，仿單不一定逐一收錄。

常見 off-label 範例 (腫瘤)

藥物	仿單適應症	常見 off-label
Trastuzumab	HER2+ 乳癌	HER2+ 胃癌（部分線數）、唾液腺癌、肺癌 HER2+
Rituximab	B 細胞 NHL、CLL	多種自體免疫疾病、Waldenström macroglobulinemia
Bevacizumab	大腸、肺、卵巢、腎細胞癌	第二線後使用、罕見肉瘤
Pembrolizumab	多適應症	MSI-H / dMMR 跨癌（部分已轉 on-label）
Olaparib	BRCA+ 乳卵巢攝護腺	HRD+ 其他癌
Sotorasib / Adagrasib	KRAS G12C 肺癌	KRAS G12C 大腸（部分線數已轉 on-label）
Cetuximab / Panitumumab	RAS WT 大腸	頭頸癌維持線數

法源與規範

國家 / 機構	規範
美國 FDA	「FDA 不規範醫師處方」；藥廠不可廣告 off-label；但醫師可依專業判斷處方
台灣 TFDA	同上，醫師依《醫師法》得個案判斷
健保署	給付限「列載適應症」；off-label 多需自費或個案專案
NCCN compendium	美國多數保險公司以此為核退依據；台灣健保部分認可
IRB	off-label 用於系統性研究時需 IRB 審查

健保給付路徑 (台灣 2026)

第一步 — 確認是否屬「擴大適應症」

健保署藥品共擬會議會逐年擴大部分藥的適應症。例如 trastuzumab 從乳癌擴大到胃癌、rituximab 從濾泡淋巴瘤擴大到 DLBCL。

第二步 — 事前審查送件

主治醫師依 NCCN compendium、實證資料、生物標記送審。多數高價標靶 / 免疫藥都需事前審查。

第三步 — 不通過則探索其他路徑

自費、PAP 病人扶助、藥廠恩慈、商業保險、臨床試驗。

第四步 — Informed consent

主治醫師應書面告知 off-label 性質、實證依據、可能副作用、費用結構。

off-label 的風險

風險	說明
療效不確定性	多數 off-label 證據強度低於 on-label (case series、小型試驗)
副作用差異	用於不同癌別、不同病人族群，副作用譜可能不同
健保拒絕給付	經濟負擔大
保險核退爭議	商業保險核退可能挑戰 off-label 合理性
不良事件責任	醫師與醫療團隊承擔 (有 informed consent 為前提)

該問醫師的 5 個問題

1. 這個 off-label 用法有哪些證據？

請主治醫師列出 NCCN compendium、PubMed 文獻、機構經驗。

2. 與標準療法的療效預期差別？

ORR、PFS、OS 的合理估計。

3. 副作用與標準療法相比？

特別是少見、長期副作用。

4. 費用怎麼算？哪些單位會付？

健保事前審查、自費、PAP、商業保險、試驗。

5. 如果不做這個 off-label，標準替代方案是什麼？

Plan B 與其差別。

與「臨床試驗」「藥廠恩慈」的區別

路徑	性質	費用
on-label 健保給付	標準	健保部分負擔（重大傷病可免）
off-label 健保給付（事前審查）	NCCN compendium 等支持	健保部分負擔
off-label 自費	已上市藥用於未核准適應症	自費
臨床試驗	研究藥 / 研究適應症	多免費（試驗贊助）
藥廠恩慈用藥	未上市藥個案使用	多免費（藥廠提供）

適用對象 / 不適用對象

本文適用

- 被建議 off-label 用藥的病友與家屬
- 想了解 off-label 法規架構的同業
- 第一線住院醫師、家醫科衛教

本文不適用

- 取代主治醫師對個案的處方判斷
- 個別藥物的詳細副作用清單（請查仿單與 NCCN）

副作用 / 風險揭露

每種 off-label 用法的副作用譜不同。通用原則：

- 在開始 off-label 前，主治醫師應給予 informed consent
- 監測頻率多需較密集
- 出現非預期副作用立刻回報
- 保留書面 informed consent 與診療紀錄

主要禁忌

- 對該藥已知過敏
- 嚴重共病、ECOG 3-4
- 懷孕（依藥物個別評估）
- 與其他藥物嚴重交互作用



參考文獻

1. Stafford RS. **Regulating Off-Label Drug Use — Rethinking the Role of the FDA.** *N Engl J Med.* 2008;358(14):1427–1429. doi:10.1056/NEJMp0802107
2. Conti RM, et al. **Prevalence of Off-Label Use and Spending in 2010 Among Patent-Protected Chemotherapies in a Population-Based Cohort of Medical Oncologists.** *J Clin Oncol.* 2013;31(9):1134–1139. doi:10.1200/JCO.2012.42.7252
3. Eguale T, et al. **Association of Off-label Drug Use and Adverse Drug Events in an Adult Population.** *JAMA Intern Med.* 2016;176(1):55–63. doi:10.1001/jamainternmed.2015.6058
4. National Comprehensive Cancer Network. **NCCN Drugs & Biologics Compendium.** nccn.org/professionals/drug_compendium
5. Saiyed MM, et al. **Off-Label Drug Use in Oncology: A Systematic Review of Literature.** *J Clin Pharm Ther.* 2017;42(3):251–258. doi:10.1111/jcpt.12507
6. 衛生福利部食品藥物管理署. **藥品仿單核准適應症外使用 (off-label use) 參考原則.** fda.gov.tw

引用整理協力：NCCN compendium、ASCO Off-Label Policy、Conti 2013 JCO、Eguale 2016 JAMA Intern Med、TFDA off-label 參考原則 (2026/05/12)。

SOURCE <https://lin.hsiehting.com/posts/2026/off-label-cancer-drug-use>

CITATION 林協霆. 仿單外使用 (off-label)：醫師為什麼會建議？病人能不能用？. 林協霆·臨床筆記. 2026/05/12. doi:10.5281/zenodo.20131237

LICENSE CC BY-NC-ND 4.0 — 文章內容依 [Creative Commons 姓名標示-非商業性-禁止改作 4.0 國際](https://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/) 授權公開使用。

DISCLAIMER 本文整理公開發表之臨床試驗結果與 NCCN/ASCO/ESMO 治療指引，僅供醫學新知與病人衛生教育參考，不構成個別醫療建議，亦不取代主治醫師之診療判斷。實際治療決策請與您的主治團隊面對面討論。