

2023 年細胞及基因治療產業回顧

台灣亞太產業分析專業協進會 106 年認證產業分析師 王意婷

隨著細胞及基因治療產品廣泛被患者使用，滿足許多未被滿足的醫療需求，在創新產品逆轉或治療疾病下，改變許多患者的生活。2023 年遠離疫情影響之際，細胞及基因治療產業發展大有斬獲，共有 9 項全新上市的細胞及基因產品於美國、歐盟及日本等國家上市。其中美國食品暨藥物管理局 (Food and Drug Administration, FDA) 在政府支持產業創新發展下，總共核准 7 項細胞及基因治療產品，包含全球首款鎌狀細胞貧血症 (Sickle Cell Disease, SCD) 治療用基因藥物 Casgevy 和 Lyfgenia 之核准上市，這對細胞及基因治療產業而言無疑是迅速發展的一年。

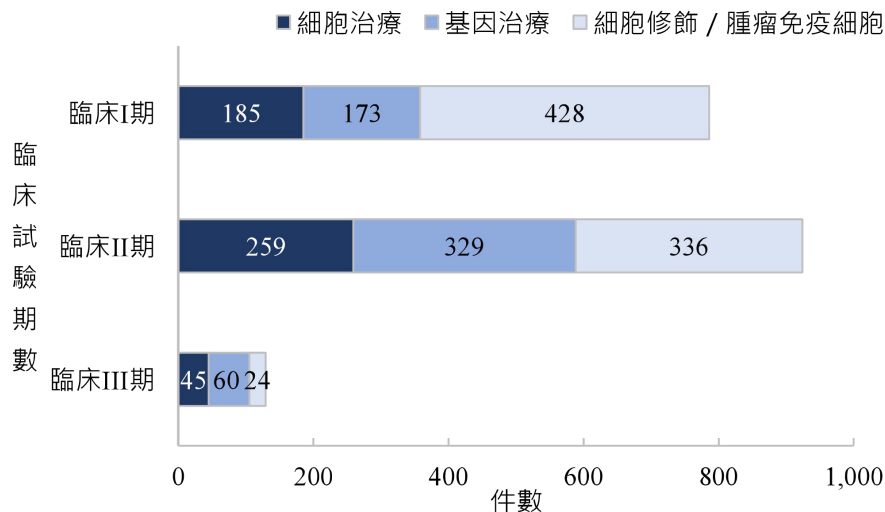
在各國政府放寬及制定新的再生醫療相關政策及法規下，帶動廠商加碼投入細胞及基因治療產業鏈，在此同時順應精準醫療及工業 4.0 的發展，廠商結合數位科技如人工智慧與大數據分析與數位化應用廠商跨域推動細胞製劑自動化生產製程，加速全球細胞及基因治療產業向上發展。

一、罕見疾病與實體腫瘤治療為細胞及基因治療產品發展方向

為能治療逐年增加癌症病患及醫療迫切需求者，近幾年細胞及基因治療公司無不在找尋合適的產品進行開發，2023 年共有 1 項自體細胞產品、3 項異體細胞產品及 5 項基因治療產品等 9 項全新細胞及基因產品於美國、歐盟及日本首次上市，美國核准上市的數量最多，包含外用塗抹式可重複給藥的基因治療產品及第一個 CRISPR 基因編輯產品，共核准的 7 項細胞及基因治療產品，包含 2 項異體細胞產品及 5 項基因治療產品。2 項異體細胞產品分別為 Gamida Cell 開發的 Omisirge，以加速回復接受臍帶血幹細胞移植治療後的血癌患者體內的嗜中性球，降低感染風險及由 CellTrans 開發的全球首款第一型糖尿病細胞療法 Lantidra；5 項基因治療產品分別為 Krystal Biotech 針對遺傳性失養性表皮分解性水皰症之可重複給藥的外用基因療法 Vyjuvek、Sarepta Therapeutics 治療杜氏肌肉營養不良症的重組基因療法 Elevidys、BioMarin Pharmaceutica 治療嚴重 A 型血友病患者的基因療法 Roctavian 及 Vertex Pharmaceuticals 和 CRISPR Therapeutic 與 Bluebird Bio 開發的 SCD 治療用基因藥物 Casgevy 和 Lyfgenia。這些創新產品上市意味著細胞及基因治療領域多樣化，正在逐步填補未滿足的醫療需求，改善患者的生活。

在多樣產品上市、多元治療需求及藥品保險給付等多重挹注下，2023 年全球細胞及基因治療市場為 181.2 億美元，預估至 2028 年將快速擴增至 412.1 億美元。全球從事細胞及基因治療相關產業的廠商家數超過 2,550 家，北美地區因政府政策支持及擁有創新研發的研究單位，因此成為廠商主要發展的地區，超過 1,000 家廠商設於此地區，其次是亞太地區 861 家。

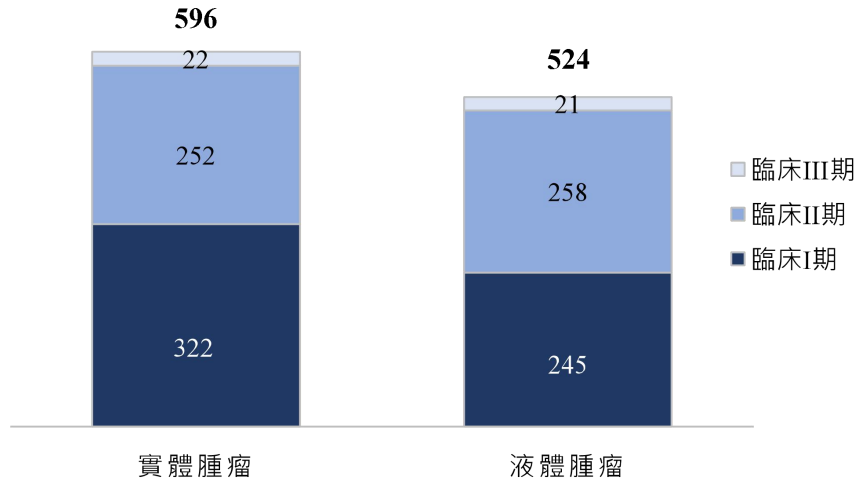
全球細胞及基因治療廠商於 2023 年執行約 1,800 件臨床試驗案，依產品類別劃分，以細胞修飾及腫瘤免疫細胞治療臨床試驗件數最多，超過 780 件，約占整體臨床試驗案的 42.8%，基因治療臨床試驗件數次之，約占三成；依臨床試驗期程劃分，以臨床試驗 II 期件數最多，超過五成臨床試驗案於該階段（圖 1）。



資料來源：Alliance for Regenerative Medicine；DCB 產資組 ITIS 研究團隊（2024/01）

圖 1 2023 年全球細胞及基因治療臨床試驗件數分布—依臨床試驗期程

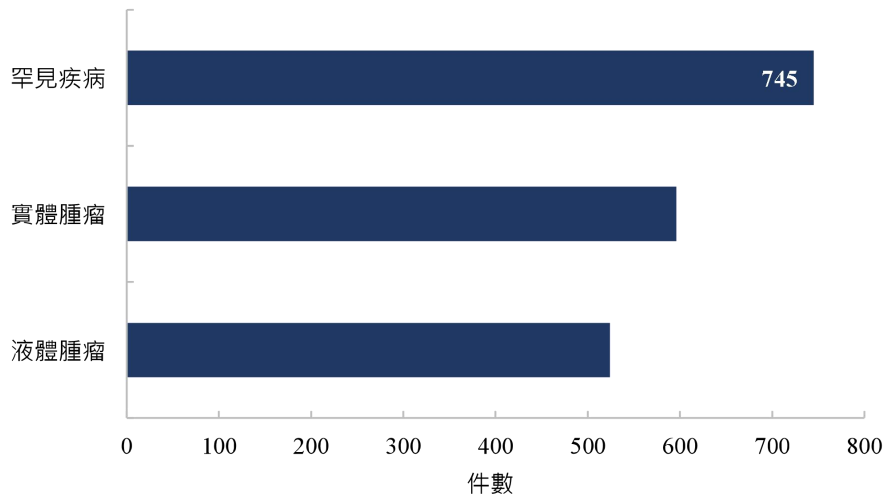
細胞及基因治療臨床試驗以腫瘤治療案件數為大宗，為解決未被滿足的醫療需求，近幾年廠商及學研單位對於實體腫瘤相關治療領域投入大量研究，2021 年實體腫瘤臨床試驗件數約占腫瘤治療中之 45%，而 2023 年實體腫瘤臨床試驗件數超過液體腫瘤件數，超過整體腫瘤治療臨床試驗案的五成，以臨床 I 期試驗案數最多，達 322 件（圖 2）。



資料來源：Alliance for Regenerative Medicine；DCB 產資組 ITIS 研究團隊（2024/01）

圖 2 2023 年全球細胞及基因治療臨床試驗件數分布—依適應症為腫瘤治療之腫瘤型態

全球已知的人類遺傳性疾病超過 1 萬多種，其中大多數為罕見疾病，罕見疾病雖然受眾少，但存在高度未被滿足的醫療需求，為數不少的廠商為此關注包含鐮刀型紅血球病、血友病、眼睛病變、代謝性疾病等罕見疾病治療，從 2023 年臨床試驗治療類別可以看出，包含罕見的癌症、遺傳性疾病等之罕見疾病的細胞及基因治療臨床試驗案件數遠遠超出實體腫瘤臨床試驗數量，超過 740 件罕見疾病臨床試驗案件正在進行中（圖 3）。



資料來源：Alliance for Regenerative Medicine；DCB 產資組 ITIS 研究團隊（2024/01）

圖 3 2023 年全球細胞及基因治療臨床試驗件數分布—依適應症類別

同時，面對高齡化社會來臨，廠商也針對濕性老年黃斑部病變、視網膜色素變性和糖尿病視網膜病變等常見的眼部疾病和糖尿病併發症，提供以基因治療作為解方，如 Regenxbio 治療濕性老年黃斑部病變及視網膜色素變性的 ABBV-RGX-314 與 Helixmith 治療糖尿病足潰瘍的 ENGENSIS 目前也進展到臨床試驗 III 期階段。

二、臺灣相關法規與時俱進，加速細胞及基因治療產業發展

回顧臺灣細胞及基因治療產業，衛生福利部（簡稱衛福部）為對細胞及基因治療產業有所規範，陸續公告《人體細胞組織優良操作規範》、《人體細胞治療產品臨床試驗申請與審查基準》等相關法規，且於 2018 年 9 月公告《特定醫療技術檢查檢驗醫療儀器施行或使用管理辦法》（簡稱《特管辦法》），為繼日本之後二個開啟再生醫療雙軌制管理的國家。

為使細胞及基因治療管理制度與國際主要國家接軌，經過不斷修正，行政院於 2023 年 2 月將包括《再生醫療法》及《再生醫療製劑條例》的「再生醫療雙法」草案送至立法院審議，除了對執行再生醫療技術的業者、醫院、實驗室等執行單位制定相關管理規範，以確保再生醫療技術施作之品質、安全及效果外，《再生醫療製劑管理條例》更是為能使危及生命或嚴重失能患者可即早使用再生醫療製劑，對於治療上述疾病的再生醫療製劑，在完成臨床 II 期試驗，並經風險效益評估後具安全性及初步療效下，給予不超過 5 年之「暫時性許可」。我國政府在細胞及基因治療相關法規制定方向已朝向國際法規規範，希能藉由訂立相關規範讓廠商得以遵循、讓患者有藥可醫及為產業發展奠定基礎。

其中自《特管辦法》實施以來，經過多年調整與修正，現階段總共核准包含自體免疫細胞、脂肪幹細胞及纖維母細胞等 53 項適應症項目，截至 2023 年 12 月底止超過 70 家醫療院所及 20 家細胞治療公司共提出 502 件申請案，核准 258 件細胞治療技術（扣除已終止項目），總收案人數達 1,398 人（表 1），現階段執行超過 10 件以上細胞治療計畫為包含長聖、長春藤、訊聯、鑫品、三顧等公司；經統計，核准之案件多為雙北之醫療院所，包含台北市 65 件、新北市 33 件，合作的醫療院所達 28 家，包含多家專科醫院及診所。

表 1 細胞治療施行計畫申請案件、核准案件及總收案人數統計

項目	申請案件數	核准案件數	總收案人數
自體免疫細胞治療	301	173	1,138
自體脂肪幹細胞治療	118	56	110
自體骨髓間質幹細胞治療	32	12	82
自體軟骨細胞治療	12	10	60
自體纖維母細胞治療	16	7	8
自體 CD 34+ selection	0	0	0
非附表所列細胞治療技術	23	0	0
總計	502	258	1,398

註：*申請案件數、總收案人數統計及核准案件數統計至 2023 年 12 月底
資料來源：衛福部醫事司；DCB 產資組 ITIS 研究團隊（2024/01）

在廠商爭相投入細胞及基因治療領域下，除了有 258 件細胞治療施行計畫外，衛福部食品藥物管理署（Taiwan Food and Drug Administration, TFDA）已核准 3 件細胞及基因治療產品上市，分別為 Novartis 的嵌合抗原受體 T 細胞（Chimeric Antigen Receptor T cell, CAR-T）CAR-T 細胞治療產品 Kymriah、基因治療產品 Zolgensma 及 Luxturna；儘管我國廠商未有細胞及基因治療產品上市，但由 TFDA 核准執行的細胞及基因治療臨床試驗案經統計至 2023 年 8 月底共有 132 件，其中近半數臨床試驗案為我國廠商自行開展或與教學醫院合作的案件，目前有 3 件產品達到臨床 III 期試驗階段，廠商發展的適應症領域以肝癌、肺癌等國人好發的腫瘤治療占多數。

隨著國內細胞及基因治療技術精進與配套之再生療法規逐步完善，廠商除自行細胞製劑生產製造外，亦有委託從事細胞製劑透過生產服務（Contract Manufacturing Organization, CMO）及研究開發暨生產服務（Contract Development and Manufacturing Organization, CDMO）公司協助相關製劑生產，產業價值鏈儼然形成，臺灣擁有國內自主開發上市之細胞及基因治療產品，將指日可待。

三、結語

細胞及基因治療產業所涵蓋的新興醫療技術及產品，被視為可滿足未被滿足的醫療需求的治療解方，在個人化精準醫療驅動下，超過 1,800 項臨床試驗於全球各地開展中。廠商不斷在實體腫瘤及罕見疾病之治療技術上不斷精進，隨著 AI 與數位科技發展，廠商跨域合作，以 AI、機器學習等方式尋找最適標的進行疾病精準治療或透過導入智慧自動化細胞生產設備生產質優、穩定供貨的產品，達到有

效性、安全性及即時提供治療的目標。

反觀臺灣細胞及基因治療產業隨著國際技術不斷創新，我國廠商在多年發展及政策法規支持下，透過與國內外廠商、機構技術合作，精進各項細胞治療技術及導入智慧自動化生產技術，發展如 $\gamma\delta$ -T 細胞或雙特异性抗體等新穎細胞／基因治療技術及產品及提供利自動化細胞製劑 CDMO 服務。我國累計迄至今有超過 130 項創新細胞及基因治療產品於臨床試驗階段，在廠商已具備開發及生產能力下，政府如能加速「再生醫療雙法」公告實施，應可加快異體細胞及基因治療產品上市時程，完善細胞及基因治療產業生態系，促進臺灣細胞及基因治療產業發展，推升產業之國際競爭力。

(本文作者為生技中心執行產業技術基磐研究與知識服務計畫產業分析師)

原文出處：ITIS 智網 <http://www.itis.org.tw/>