

## 美國食品及藥物管理局推動細胞治療新指引草案增加「傘狀試驗」加速細胞產品開發



美國食品及藥物管理局（U.S. Food and Drug Administration, USFDA）於2021年9月30日發佈了最新細胞與基因治療指南草案，提出細胞治療可透過「傘狀試驗」（umbrella trial）機制，使細胞治療於同一個臨床試驗計畫之下，針對同一類疾病，可進行兩種以上細胞治療技術試驗，來加速細胞治療臨床開發速度。

每個癌症病患實際上會有不同的基因變異，即使是相同類型的癌症也少有完全一樣的疾病機制（disease mechanism），因此，傳統臨床試驗僅能評估疾病機制較大族群的療效，但不同基因型的受試者對於相同藥物的反應可能有所差異，故難以預測病人是否將受益，亦或產生嚴重副作用，導致治癒效果不如預期。且現行的臨床治療規範中，即便醫師知道某標靶治療藥物對於特定基因體變異有效，但若此藥物未經USFDA核准於該腫瘤類型的適應症，醫師也無法使用。因此，透過傘狀實驗可提高細胞產品研發的靈活性與效率，並降低大量重複性工作，例如重複進行臨床前批次試驗、製程驗證、毒性測試...等等。若發生安全性疑慮，USFDA可針對個別研究組進行終止實驗，而不須將全部的臨床試驗計畫終止。

台灣未來可考慮將傘狀試驗納入細胞治療臨床試驗設計模式，並參考USFDA審核方式與標準，以加速台灣細胞治療或精準醫療發展。

### 相關連結

- [Studying Multiple Versions of a Cellular or Gene Therapy Product in an Early-Phase Clinical Trial](#)
- [CAR-T細胞治療產品Yescarta美國專利侵權訴訟逆轉勝，CAFC認定專利不符書面說明要件而無效](#)
- [《特定醫療技術檢查檢驗醫療儀器施行或使用管理辦法》110年修正重點—以細胞治療技術管制議題為核心](#)
- [For gene therapies, FDA drafts trial guidance, finalizes "sameness" for orphan exclusivity](#)

### 你可能會想參加

- 創新生物製造產業法遵議題工作坊—全盤掌握資金、控制權、稅務
- 創新生物製造產業法遵議題工作坊—併購的教戰守則
- 創新生物製造產業法遵議題工作坊—專利申請與授權實務
- 創新生物製造產業法遵議題工作坊—核心技術保護與營業秘密管理
- 精準健康法制研討會
- 2023「創新生物產業前瞻法制趨勢研討會」

### 蔡鏡堦

高級法律研究員 編譯整理

上稿時間：2022年01月

#### 資料來源：

Studying Multiple Versions of a Cellular or Gene Therapy Product in an Early-Phase Clinical Trial, FDA (Sept. 30, 2021), <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/studying-multiple-versions-cellular-or-gene-therapy-product-early-phase-clinical-trial> (last visited Dec. 2, 2021)

#### 延伸閱讀：

施雅薰，〈CAR-T細胞治療產品Yescarta美國專利侵權訴訟逆轉勝，CAFC認定專利不符書面說明要件而無效〉，（2021），<https://stli.iii.org.tw/article-detail.aspx?tp=1&d=8720&no=64>（最後瀏覽日：2021/12/2）。

李宗儒，〈《特定醫療技術檢查檢驗醫療儀器施行或使用管理辦法》110年修正重點－以細胞治療技術管制議題為核心〉，（2021），<https://stli.iii.org.tw/legal-details.aspx?no=65&d=7332&i=9506>（最後瀏覽日：2021/12/2）。

For gene therapies, FDA drafts trial guidance, finalizes "sameness" for orphan exclusivity, RAPS (Sept. 30, 2021), <https://www.raps.org/news-and-articles/news-articles/2021/9/for-gene-therapies-fda-drafts-trial-guidance-final> (last visited Dec. 2, 2021).

文章標籤

推薦文章