

美國食品及藥物管理局發布《細胞和基因治療產品效價保證指引草案》



由於起始材料（starting material）與其作用機制的複雜性，如何評估細胞和基因治療（Cell and Gene Therapy, CGT）產品的效價，並且確保產品效價有一致性，是一項複雜的工作。因應近年CGT產品的發展，美國食品及藥物管理局（U.S. Food and Drug Administration, FDA）於2023年12月28日發布《細胞和基因治療產品效價保證指引草案》（Potency Assurance for Cellular and Gene Therapy Products Draft Guidance for Industry），旨在提供廠商基於科學與風險評估的效價確保策略。

指引草案重點如下：

1. 確立效價測試基準：納入2011年《細胞和基因治療產品的效價測試指引》（Potency Tests for Cellular and Gene Therapy Products Guidance for Industry）中關於效價測試設計的具體建議，包括專一性、準確性和精確性等要求。
2. 建立涵蓋產品生命週期的效價保證策略：強調在整個產品生命週期中，進行效價測試的重要性，涵蓋製程設計、製程控制、物料控制與批次檢測等多個環節。
3. 導入風險管理評估概念：包括根據CGT產品的作用機制、臨床指示和給藥途徑來訂定目標產品品質（Quality Target Product Profile, QTPP），確定與效價相關的關鍵品質因素（Critical Quality Attributes, CQA）、以及影響CQA的關鍵性製程因素（Critical Process Parameter, CPP）等，並應用到效價保證策略中。

依照這份指引草案，未來廠商在產品開發早期階段就需要進行產品性質與作用機制的風險評估，在製造過程中持續進行品質監控，並詳細記錄其效價測試方法。這樣能確保產品在每個生產階段都符合FDA的安全性和效價標準，從而減少市場准入的障礙，也增強了公眾對CGT產品安全性和療效的信心，加快創新治療方法的推廣，而後續亦值得關注2024年3月27日所徵集的意見。

相關連結

[U.S. FOOD AND DRUG ADMINISTRATION \[FDA\], Potency Assurance for Cellular and Gene Therapy Products \(2023\)](#)

你可能會想參加

- 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」

楊子平 編譯整理

上稿時間：2024年04月

資料來源：

U.S. FOOD AND DRUG ADMINISTRATION [FDA], *Potency Assurance for Cellular and Gene Therapy Products* (2023), <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/potency-assurance-cellular-and-gene-therapy-products> (last visited Jan. 30, 2024).

延伸閱讀：

U.S. FOOD AND DRUG ADMINISTRATION [FDA], *Potency Tests for Cellular and Gene Therapy Products* (2011), <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/potency-tests-cellular-and-gene-therapy-products> (last visited Jan. 30, 2024).

文章標籤

推薦文章