



## 臺灣細胞治療技術法規簡介及現況

陳淑玲<sup>1</sup>

### 前言

細胞治療是將「自體(autologous)細胞」或「同種異體(allogeneic)細胞」，經過體外培養加工程序之後，再將這些處理過的細胞施打至病人體內，以達到治療或預防疾病之一種新興療法。

衛生福利部(以下簡稱衛福部)於 2018 年 9 月發布「特定醫療技術檢查檢驗醫療儀器施行或使用管理辦法」(以下簡稱特管辦法)修正條文<sup>[1]</sup>，有條件開放六項細胞治療技術，財團法人醫藥品查驗中心(以下簡稱查驗中心)亦自該年起接受衛生福利部委託，協助國內細胞治療技術申請案之技術審查，本篇文章將說明臺灣細胞治療技術法規概要及實施現況。

### 法規沿革

早期我國將細胞治療視為新醫療技術人體試驗，屬前行政院衛生署醫事處職掌之業務，前行政院衛生署於 2010 年 1 月 1 日成立食品藥物管理局<sup>2</sup> (Taiwan Food and Drug Administration，簡稱 TFDA)之後，細胞治療人體試驗轉由 TFDA 管理。根據此項政策變革，細胞治療管理屬性由「新醫療技術」改為「新醫療產品」，並比照藥品的管理方式。

考量細胞治療的特殊性，為使細胞治療技術可早日應用於有需要的病人，衛福部參考國際上其他國家細胞治療法規，將安全性可確定、療效可預期之細胞治療項目，納入特定醫療技術管理，並於 2018 年 9 月公告修訂特管辦法，依照醫療風險程度，開啟細胞治療技術與細胞治療產品雙軌管理之新頁，分別由衛福部醫事司及 TFDA 管理。

為提升醫療服務品質，衛福部於 2021 年 2 月 9 日再次公告修正特管辦法<sup>[1]</sup>，根

<sup>1</sup> 財團法人醫藥品查驗中心諮詢輔導中心

<sup>2</sup> 2010 年 1 月 1 日行政院衛生署成立「行政院衛生署食品藥物管理局」，於 2013 年 7 月改組為「衛生福利部食品藥物管理署」



據特管辦法修正總說明內附表三之對照表說明，其中與細胞治療技術相關之重點修正如下：

- 一、 「自體 CD34+ selection 周邊血幹細胞治療」治療「血液惡性腫瘤」涉及細胞製備部分僅有單純細胞分離，且其本質上屬血液惡性腫瘤之造血幹細胞移植治療，可認定為非特管辦法所定細胞治療技術，故刪除附表三「自體 CD34+ selection 周邊血幹細胞治療」治療「血液惡性腫瘤」。
- 二、 因特管辦法發布施行後，申請者多用於醫學美容類療程，非「疾病治療」，故刪除附表三「自體脂肪幹細胞治療」治療「其他表面性微創技術之合併或輔助療法」，以及「自體纖維母細胞治療」治療「皮下及軟組織缺損」及「其他表面性微創技術之合併或輔助療法」。
- 三、 經檢視現有人體試驗相關文獻證據，「自體骨髓間質幹細胞治療」治療「慢性缺血性腦中風」之試驗結果未呈現顯著療效，故刪除附表三「自體骨髓間質幹細胞治療」治療「慢性缺血性腦中風」。
- 四、 為維護醫療照護品質及病人安全，醫院須通過醫院評鑑，以確認具一定程度之品質及相關管理機制，但診所無類似之品質查核制度。為確保診所施行細胞治療技術之品質，新增診所須經主管機關或其委託專業機關辦理之相關評鑑或認證通過，始得申請施行細胞治療技術之規定。
- 五、 醫療機構申請施行非屬附表三所定之細胞治療技術，限定由完成該細胞治療技術第二期臨床試驗之治療團隊申請施行。因此，申請計畫書除提供該細胞治療技術之施用劑量或細胞數、施用途徑、治療週期、治療效果與安全性評估、人體細胞組織物之成分、製程及管控方式等相關實證文獻，亦須提供專任操作醫師自行或參與執行該人體試驗之成果報告，及已發表之國、內外相關文獻報告，證明其安全性及療效。



## 審查流程

依衛福部 2022 年 1 月 20 日公告「細胞治療技術施行計畫申請須知」<sup>[2]</sup>，細胞治療技術審查作業由衛福部主辦並委託查驗中心進行技術文件資料評估；細胞治療品質認證作業由財團法人醫院評鑑暨醫療品質策進會受託辦理診所進行認證；細胞製備場所人體細胞組織優良操作規範 (Good Tissue Practice，簡稱 GTP) 之查核則委由 TFDA 辦理。

衛福部確認申請案完成登錄及繳費後即進入案件受理，查驗中心於案件受理後，先就申請計畫書之格式與應登載內容之完整性進行行政審查，通過後方進行計畫內容之實質審查。行政審查及實質審查階段若申請單位接獲通知須補件之情形，應於函文所示之限期內完成，並以補件一次為原則；若未能於限期內完成補件，得申請展延補件，展延期間最多 2 個月。

施行計畫的實質審查除技術性資料的評估外，還有細胞製備場所的品質及收費方式須進行審查，故當審查達一定階段，衛福部將另行通知細胞製備場所所屬機構可向 TFDA 申請細胞製備場所 GTP 認可，細胞製備場所 GTP 認可申請之程序等注意事項，請參考「細胞製備場所人體細胞組織優良操作規範(GTP)認可申請注意事項」<sup>[2]</sup>；而施行計畫之收費方式為衛福部召集之「細胞治療技術收費審查小組」進行審查作業，主要審查收費方式的合理性。

非附表三之細胞治療技術施行計畫須待實質審查(含收費方式審查)完成，並提送衛福部再生醫學及細胞治療發展諮議委員會議(以下簡稱諮議會)審查通過後，再通知細胞製備場所所屬機構申請細胞製備場所 GTP 認可。

## 核准案件樣態分析

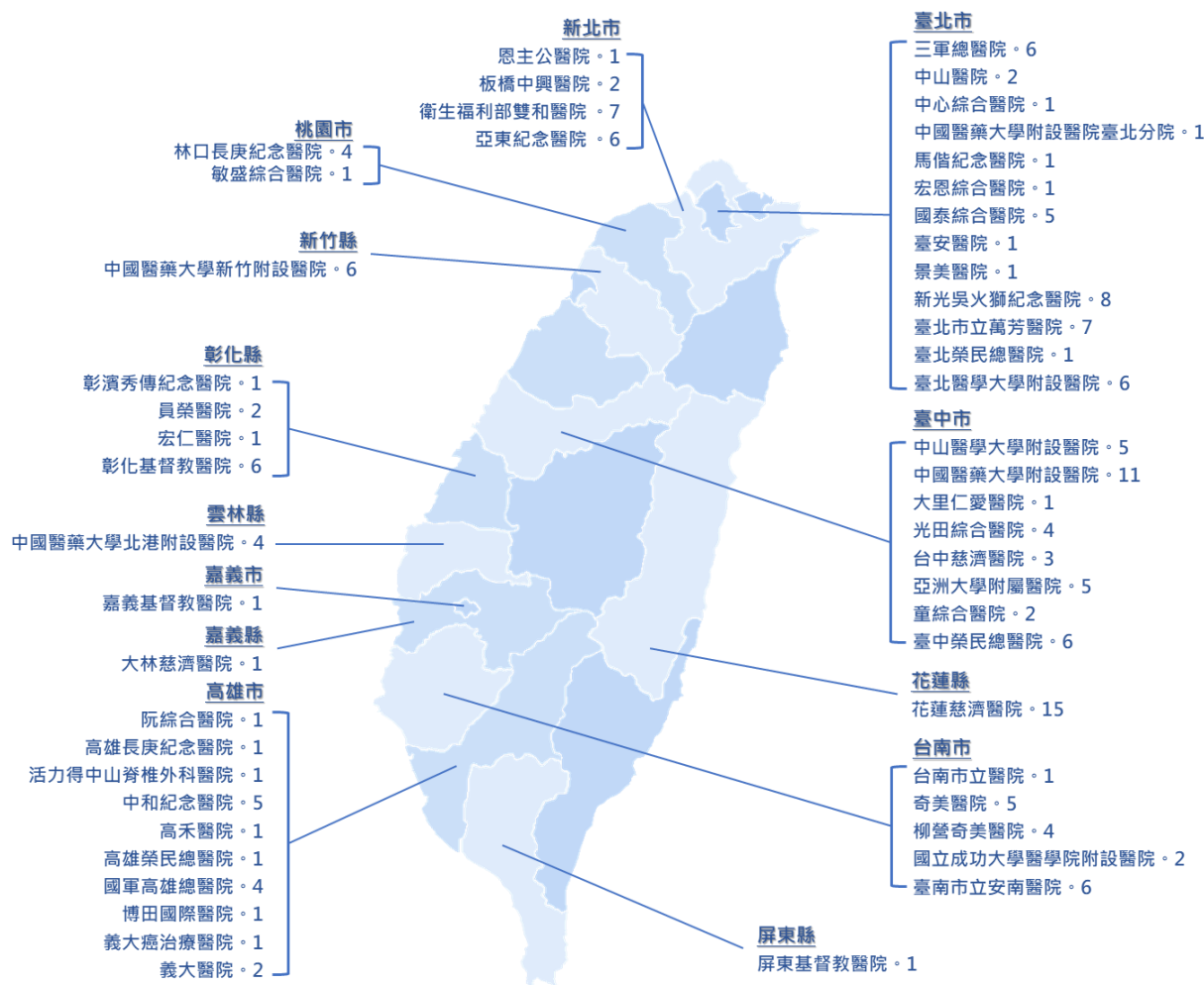
細胞治療技術自 2018 年 9 月上路，截至 2022 年 10 月 31 日止，共計核准細胞治



療技術案 173 件<sup>3</sup>，以下將針對 173 件核准案件之執行醫療機構、細胞製備場所所屬機構、細胞項目及適應症進行分析。

## 一、醫療機構

173 件核准之細胞治療技術案由 52 間醫療機構執行，以地理位置來看，52 間醫療機構中，以臺北市最多，共 13 間，其次為高雄市 10 間，依序為臺中市 8 間、台南市 5 間、新北市 4 間、彰化縣 4 間、桃園市 2 間、嘉義縣市 2 間、新竹縣 1 間、雲林縣 1 間、屏東縣 1 間、花蓮縣 1 間。(圖一)



圖一、醫療機構地理分布及核准案件數

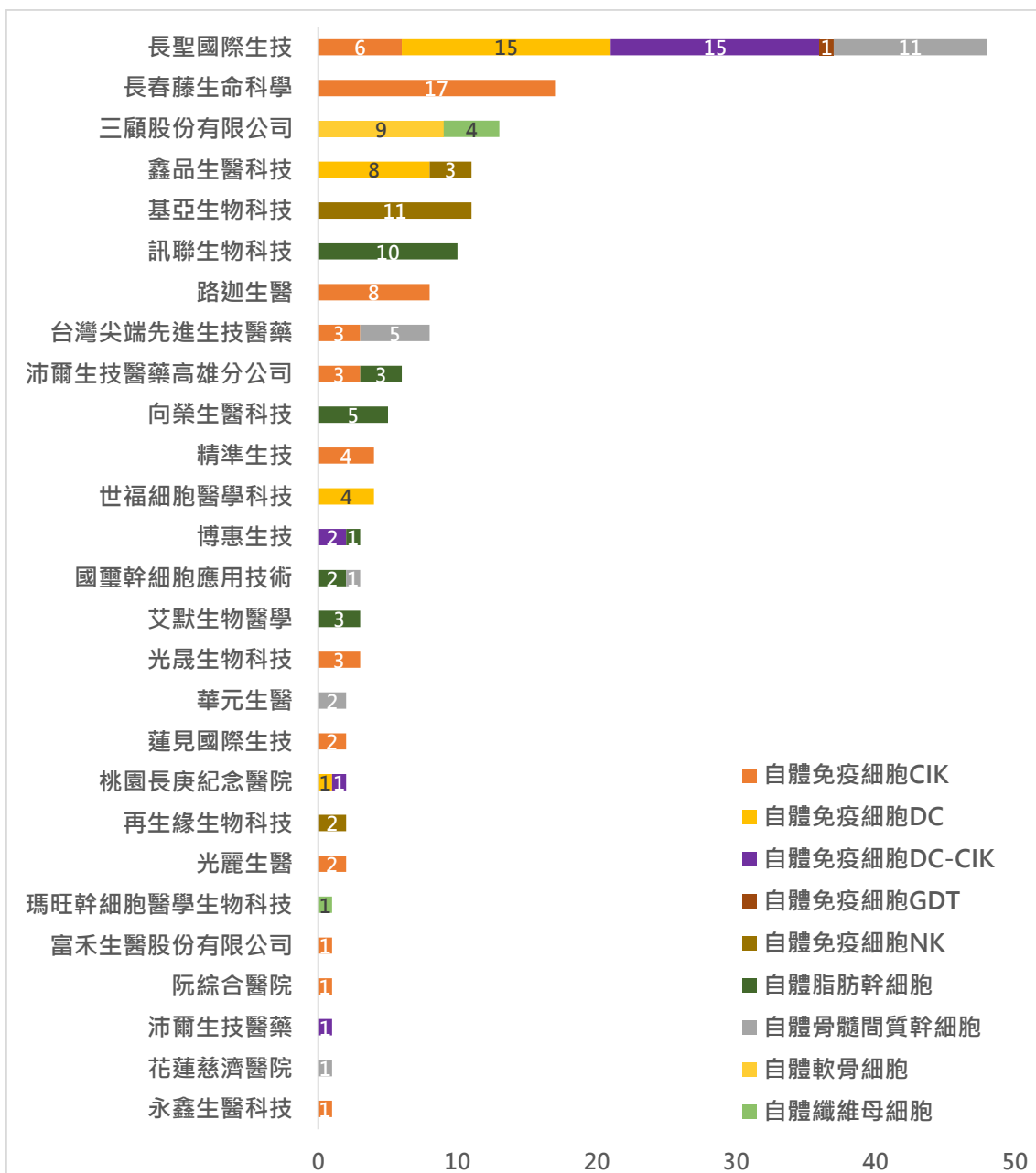
<sup>3</sup> 資料來源：衛生福利部醫事司





## 二、細胞製備場所所屬機構

173 件核准之細胞治療技術案所使用的細胞製品，由 27 間細胞製備場所所屬機構自行建置或委託之細胞製備場所製造，圖二為各細胞製備場所所屬機構所參與之核准案件數及細胞項目：



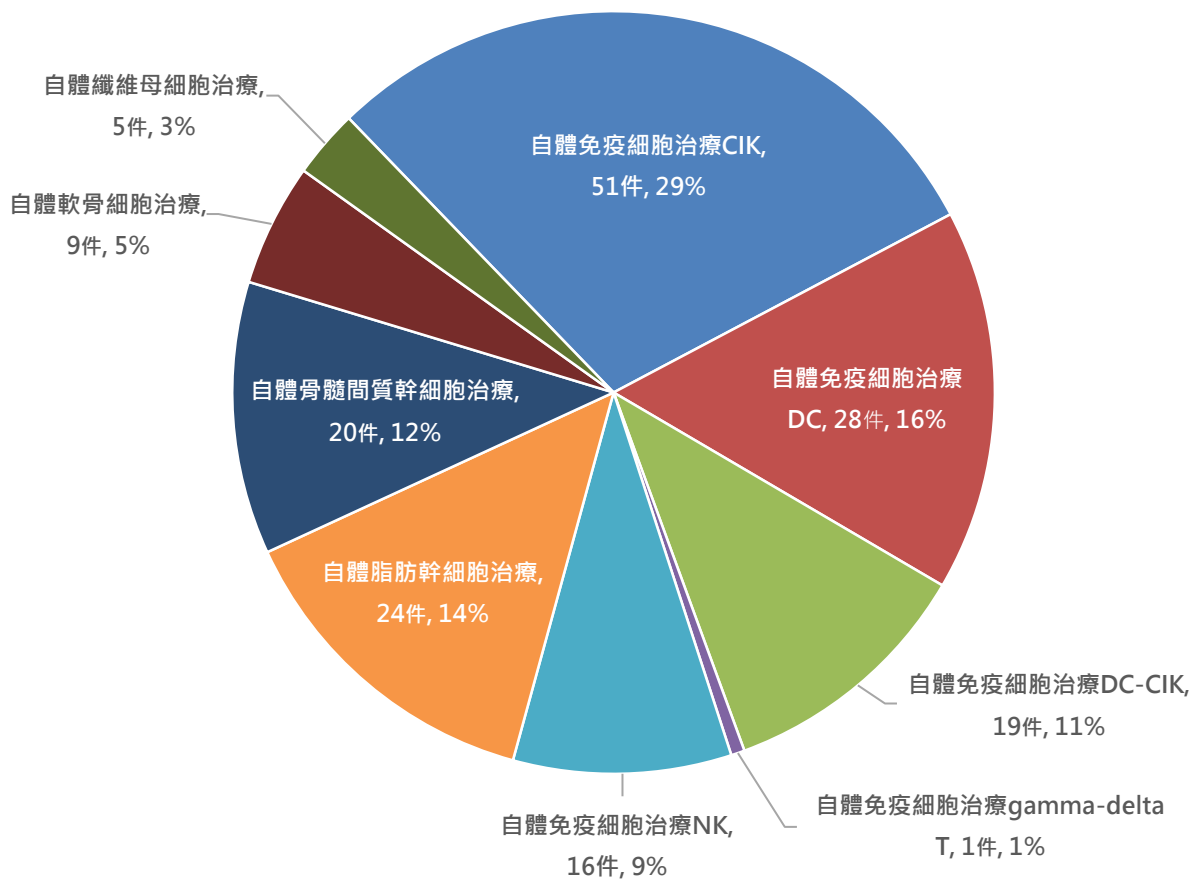
圖二、細胞製備場所所屬機構所參與之核准案件數及細胞項目

台灣藥物法規  
資訊網法規公告台灣藥品  
臨床試驗資訊TFDA 藥物  
食品安全週報致力法規科學  
守護生命健康

Regulatory Science, Service for Life

### 三、細胞項目及適應症

173 件核准之細胞治療技術案皆屬特管辦法附表三之案件，以自體免疫細胞 CIK 之核准案最多，共 51 件，其次為自體免疫細胞治療 DC，共 28 件，而後依序為自體脂肪幹細胞治療(24 件)、自體骨髓間質幹細胞治療(20 件)、自體免疫細胞治療 DC-CIK(19 件)、自體免疫細胞治療 NK(16 件)、自體軟骨細胞治療(9 件)、自體纖維母細胞治療(5 件)、自體免疫細胞治療 gamma-delta T(1 件) (圖三)。

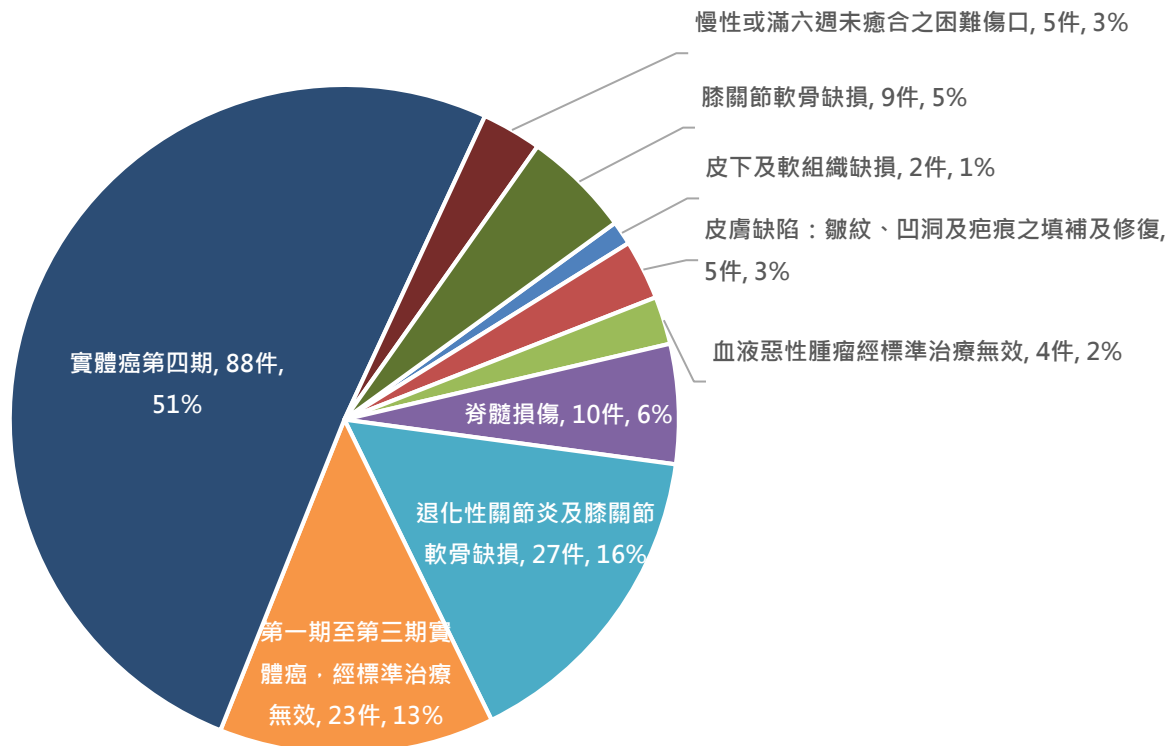


圖三、核准案件之細胞項目比例

此外，若以適應症類別分析 173 件核准之細胞治療技術案，以實體癌第四期最多，共 88 件，其次為退化性關節炎及膝關節軟骨缺損，共 27 件，而後依序為第一期至第三期實體癌，經標準治療無效(23 件)、脊髓損傷(10 件)、膝關節軟骨缺損(9 件)、慢性或滿六週未癒合之困難傷口(5 件)、皮膚缺陷：皺紋、凹洞及疤痕之填補及修復(5 件)、血



液惡性腫瘤經標準治療無效(4 件)、皮下及軟組織缺損(2 件)(圖四)。



圖四、核准案件之適應症比例

## 審查資料準備之建議

### 一、詳閱最新版細胞治療技術施行計畫申請須知及相關注意事項

衛福部醫事司網站不定期公告細胞治療技術相關資訊，建議申請方於送件前，詳閱最新版細胞治療技術施行計畫申請須知及相關注意事項，依申請須知各文件格式範本撰寫及準備計畫書、細胞製造管制資料及細胞製備場所 GTP 認可申請相關文件。

### 二、查驗中心定期舉辦說明會

查驗中心自 2018 年接受衛福部委託協助審查國內細胞治療技術申請案起，均依照衛福部指示，每年定期舉辦說明會，內容包含細胞治療技術之送件流程介紹、計畫書、細胞製造管制、細胞製備場所 GTP 認可申請等技術性資料準備及常見缺失說明。查驗



中心亦於會後，將說明會影片上傳「財團法人醫藥品查驗中心 Center for Drug Evaluation」YouTube 頻道，供醫療機構及業者參考。

### 三、細胞治療技術付費諮詢服務

為促進細胞治療技術研發與產業發展，查驗中心於 2021 年 4 月建置細胞治療技術相關法規諮詢輔導機制，提供醫療機構及業者在申請細胞治療技術審查案前，與查驗中心進行諮詢，希望藉此機制協助醫療機構及業者，提早了解技術性資料相關要求，本機制著重討論細胞治療技術計畫書與細胞製造管制資料之要求。

目前諮詢服務項目為以下四大類，詳細內容請參考查驗中心網頁：

- (一) 細胞治療技術計畫預審(限附表三)
- (二) 細胞製造管制資料諮詢
- (三) 安全性檢測項目之方法適用性計畫書
- (四) 國際醫療英文病人同意書(含細胞治療技術說明書)

### 結語

近年來，國內醫療機構及業者積極投入細胞治療的研究，期能為病人提供更多的治療選擇。查驗中心接受衛福部委託，協助細胞治療技術申請案之技術性審查，著重於細胞治療技術的品質、安全性以及潛在療效。

根據前述統計資料，截至 2022 年 10 月 31 日，累計核准細胞治療技術案 173 件中，癌症免疫治療比例最高(共 115 件)，其中治療實體癌第四期的細胞治療技術佔 88 件，除了癌症免疫治療外，治療退化性關節炎及膝關節軟骨缺損的施行計畫為 16 件，由此可初步觀察到國內細胞治療技術的需求趨勢。

為使申請單位及法規單位雙方能進行深度及有效的溝通，查驗中心每年舉辦說明會並建置付費諮詢機制，希望協助申請單位了解審查案送件資料的準備方向。今後查驗中





心將持續配合衛福部的指示，期能滿足病人對細胞治療技術之醫療需求。

## 參考文獻

1. 110年2月9日衛生福利部衛部醫字第1101660674號令。
2. 111年1月20日衛生福利部衛部醫字第1111660262A號公告。