

美國 FDA 於 2026 年 5 月公告《開發供生物藥品許可申請之人類細胞與基因治療產品的化學、製造與管制彈性作法》指引

發表單位：美國 FDA

摘要整理：黃芳儀

發表時間：2026/05

內容歸類：生物製劑

類別：指引

關鍵字：cellular and gene therapy products、CMC flexibilities

資料來源：[Chemistry, Manufacturing, and Controls Flexibilities for Developing Human Cellular and Gene Therapy Products for a Biologics License Application](#)

重點內容：1. 本指引由美國食品藥物管理局管理局(United State Food and Drug Administration, U.S. FDA)發布，整合既有的人類細胞與基因治療 (cell and gene therapy, CGT)產品法規，說明申請生物藥品許可(biologics license applications, BLA)時，於化學、製造與管制 (chemistry, manufacturing, and controls, CMC)要求上所採取之彈性審查原則。

2. 臨床開發階段之彈性

第一期臨床試驗用藥，可豁免遵守 21 CFR Part 211 之規範，允許採用符合臨床階段之製程管制策略與較寬鬆的放行標準，申請者應隨著製程開發經驗，逐步優化製劑規格；針對次要且低風險的製程變更，可接受較不完整之可比性試驗數據。若具科學合理性，可引用相似 CGT 製劑或重要組成(critical components)之 CMC 知識，並鼓勵採用「再生醫學療法標準認可計畫(Standards Recognition

Program for Regenerative Medicine Therapies)」，以提高法規審查之可預期性，並減少申請送件所需之文件量。

3. 製程確效之彈性

考量 CGT 產品之生產限制，U.S. FDA 未明定製程效能確認 (process performance qualification, PPQ) 最低批次要求，允許依據製程複雜度與科學風險，決定適當 PPQ 批次數量；符合規格與架儲期的 PPQ 批次可用於臨床試驗，亦可透過併行性放行 (concurrent release) 供上市商業運銷。

4. 產品放行規格與方法確效之彈性

因病人規模有限，難以累積足夠數據建立放行規格時，在確保品質下 U.S. FDA 給予放行規格建立之彈性。分析方法確效無最低批次限制，具科學佐證之單一代表性批次確效數據亦可被接受。

5. 架儲期、留樣與檢驗方法之彈性

具代表性臨床批次之安定性數據，可支持產品架儲期。針對批量極小或為病患專屬製造的 CGT 產品，可考量豁免留樣。若數據證明替代分析方法符合準確度、靈敏度、專一性與再現性標準，允許取代傳統藥典方法以減少樣品量與檢驗時間。