

恩慈療法在我國與國際之法制比較

A Comparative Study on Compassionate Treatment

李崇僖*

摘要

自 2020 年以來，COVID19 疫情蔓延全球，不僅造成百萬人死亡，確診病患人數更是難以估計。截至 2021 年前半尚無有效可治療確診病患之藥物，因此藉由細胞治療此一新療法來治療 COVID19 病患乃成值得研究之議題。

關於細胞治療用於恩慈療法或緊急授權使用之議題，涉及我國多項法規，至少包括如下：

1. 醫療法第 78、79 條的人體試驗規範
2. 醫療法授權制訂之人體試驗管理辦法上有關恩慈療法規範
3. 醫療法第 62 條第 2 項授權制訂特管辦法上之細胞治療申請核准
4. 藥事法第 48-2 條之緊急重大醫療需求可申請藥品專案進口

恩慈療法並非在世界各國有長久歷史之制度，除了美國從 1987 年開始有制度化的管道外，歐盟及日本都是近年來才加以法制化。另一方面，細胞治療亦是新興醫療技術中具高度治理困難之議題，各國制度皆尚在摸索中。

本文擬對恩慈療法(compassionate use)之主題，分別簡述美國、歐盟、日本目前之制度化模式。提供我國規範應考量之三個面向，主要是恩慈療法之適用範圍與條件、細胞治療之技術特性與管制模式、緊急醫療需求之因應方式。分別說明應考量之問題點，並同時納入台灣特殊治理情境之考量，建議相關法規修訂之政策方向。

關鍵字：恩慈療法、細胞治療、緊急授權使用、人體試驗、醫療法、藥事法、特管辦法

Key words: Compassionate use, cellular therapy, Emergency Use Authorization, Emergency Use Authorization, Medical Care Act, Pharmaceutical Affairs Act

* 臺北醫學大學醫療暨生物科技法律研究所教授，衛生福利政策研究中心副主任。

目次

- 壹、議題背景
- 貳、我國相關法規與適用競合
- 參、恩慈療法之外國法制
 - 一、美國制度
 - 二、歐盟制度
 - 三、日本制度
- 肆、法政策考量因素與建議

壹、 議題背景

自 2020 年以來，COVID19 疫情蔓延全球，不僅造成百萬人死亡，確診病患人數更是難以估計。截至 2021 年前半尚無有效可治療確診病患之藥物，因此藉由細胞治療此一新療法來治療 COVID19 病患乃成值得研究之議題。在國際上已有上百家業者進行將細胞治療應用於 COVID19 病患治療之試驗案，其主要大分為兩類，一是以幹細胞於人體中可分泌大量細胞生長因子、血管生成素-1、前列腺素 E2 和其他營養細胞因子用以調節肺內皮細胞通透性、促進內皮修復及減少發炎反應，可以用來減輕肺部急性呼吸窘迫症候群（Acute Respiratory Distress Syndrome, ARDS）患者的身體傷害；另一是以經基因修飾之免疫細胞，主要是為嵌合抗原受體（Chimeric Antigen Receptor T cell, CAR）T 細胞或自然殺手（Natural Killer cell, NK 細胞），透過功能更強大的基因修飾之免疫細胞一舉消滅於體內的病毒¹。在台灣同樣有多家醫院已經與細胞治療產品公司合作，申請此一特殊之治療方式²。根據報載多稱此為 COVID 病患之細胞治療恩慈療法，然而恩慈療法依法應以附屬計畫形式申請，因此必須先有進行中之人體試驗計畫案才有附屬計畫。以幹細胞治療 COVID19 病患通常不會先有人體試驗計畫存在，因為疫情是突發性的，不在相關業者原本規劃之申請中。另一方面亦有業者呼籲政府應考慮比照檢測試劑、疫苗等產品採取緊急授權（類似美國 EUA）方式核准使用，然而我國緊急授權法制乃是規定於藥事法，該制度是否合適用於細胞治療此種兼具新療法與新產品性質的審核，亦非無疑問。因此從法規角度言，此事件衍生出我國的恩慈療法制度、細胞治療管理、緊急狀況因應等多面向的制度檢討必要，乃做此法規面之盤點分析，以利後續制度建議。

貳、 我國相關法規與適用競合

關於細胞治療用於恩慈療法或緊急授權使用之議題，涉及我國多項法規，至少包括如下：

1. 醫療法第 78、79 條的人體試驗規範³。

¹ 王意婷，全球細胞治療產業於 COVID-19 治療發展現況，經濟部技術處網站，2021 年 8 月 25 日，https://www.moea.gov.tw/MNS/doi/industrytech/IndustryTech.aspx?menu_id=13545&it_id=378（最後瀏覽日：2021 年 12 月 28 日）。

² 因應此次疫情之醫藥品緊急開發需求，醫藥品查驗中心於 2020 年 4 月成立了「CDE can Help：COVID-19 專案法規科學輔導計畫」，協助解決業者之法規阻礙，加入能因應疫情的新醫藥品提供使用。詳見葉嘉欣等，CDE can Help：新型態法規科學輔導與評估，財團法人醫藥品查驗中心網站，2021 年 6 月 10 日，https://www.cde.org.tw/news/news_more?id=254（最後瀏覽日：2021 年 12 月 28 日）。

³ 醫療法第 78 條：「為提高國內醫療技術水準或預防疾病上之需要，**教學醫院經擬定計畫，報請中央主管機關核准，或經中央主管機關委託者，得施行人體試驗。**但學名藥生體可用率、生體相等性之人體試驗研究得免經中央主管機關之核准。

非教學醫院不得施行人體試驗。但醫療機構有特殊專長，經中央主管機關同意者，得準用前項規定。

醫療機構施行人體試驗應先將人體試驗計畫，提經醫療科技人員、法律專家及社會公正人士或民間團體代表，且任一性別不得低於三分之一之人員會同審查通過。審查人員並應遵守利益迴

2. 醫療法授權制訂之人體試驗管理辦法上有關恩慈療法規範⁴。
3. 醫療法第 62 條第 2 項授權制訂特管辦法上之細胞治療申請核准⁵。
4. 藥事法第 48 條之 2 之緊急重大醫療需求可申請藥品專案進口⁶。

以下分別說明這幾項法規之規範競合關係以及其在此次 COVID 病患治療上之可能影響：

現行恩慈療法規定於人體試驗管理辦法，而該管理辦法又是依據醫療法上人體試驗之規定而制訂，所以恩慈療法變成與人體試驗必然結合。沒有人體試驗就沒有恩慈療法申請空間，此乃基於該辦法規定恩慈療法必須以附屬計畫方式為之。此外，該辦法所定義之恩慈療法僅限於細胞治療相關治療，因此若不涉細胞治療之恩慈療法，亦即在臨床試驗中的新藥想讓收案對象外的病患使用該新藥，就不是該管理辦法中之恩慈療法所能適用。此點與國外所謂恩慈療法明顯不同，國外主要針對試驗中新藥的例外提供收案對象外使用。依據我國目前相關法律，此種情形較可能適用藥事法第 48 條之 2 第 1 項第 1 款的緊急專案進口。由此可見，這裡有兩個與恩慈療法有關之途徑，一是人體試驗案的管理架構衍生的恩慈療法，其僅開放細胞治療之恩慈療法；另一是未有人體試驗案，以專案申請進口方式，不限細胞治療，且通常為一般藥品醫材之專案進口。

恩慈療法在美國主要是針對試驗中新藥的例外提供，而藥品之管理機關食品藥物管理局 (Food and Drug Administration, 以下簡稱 FDA) 有直接管理權限，故 compassionate use 是 FDA 管理範圍 (詳如後述)。而我國是從醫療法上的人體試驗規範衍生，且所開放之恩慈療法限於細胞治療。細胞治療之技術特性涉及產品與療法的整體計畫，不是單純的產品，因此管理架構明顯不同於一般藥

避原則。

人體試驗計畫內容變更時，應依前三項規定經審查及核准或同意後，始得施行。」

醫療法第 79 條第 1 項：「醫療機構施行人體試驗時，應善盡醫療上必要之注意，並應先取得接受試驗者之書面同意；接受試驗者以有意思能力之成年人為限。但顯有益於特定人口群或特殊疾病罹患者健康權益之試驗，不在此限。」

- 4 醫療法第 79 條之 1：「除本法另有規定者外，前二條有關人體試驗之申請程序、審查作業基準及利益迴避原則、資訊揭露、監督管理、查核、其他告知內容等事項，由中央主管機關定之。」
人體試驗管理辦法第 3 條之 1 第 1、2 項：「醫療機構為治療危及生命或嚴重失能，且國內尚無具有療效之藥品、醫療器材或醫療技術可資適用之特定病人，**得就經中央主管機關核准，且累積相當安全數據之人類細胞治療人體試驗，擬訂附屬計畫**，連同已核准之原人體試驗計畫影本，依本法第七十八條第三項規定審查通過後，向中央主管機關申請核准使用於**符合相當適應症而未能符合原人體試驗受試者資格者**。

醫療機構得向前項特定病人收取費用，不適用第十一條規定。但其收取之費額，以足資處理、製造、取得、運送或貯存該特定病人施行人類細胞治療所需藥品、醫療器材或醫療技術之費用為限。」

- 5 醫療法第 62 條第 2 項：「為提升醫療服務品質，中央主管機關得訂定辦法，就**特定醫療技術、檢查、檢驗或醫療儀器**，規定其適應症、操作人員資格、條件及其他應遵行事項。」
- 6 藥事法第 48 條之 2 第 1 項：「有下列情形之一者，中央衛生主管機關得專案核准特定藥物之製造或輸入，不受第三十九條及第四十條之限制：

- 一、**為預防、診治危及生命或嚴重失能之疾病，且國內尚無適當藥物或合適替代療法。**
- 二、**因應緊急公共衛生情事之需要。**」

類似規定在醫療器材之專案製造或輸入亦規定於醫療器材管理法第 35 條。

品或醫療器材。而且我國衛福部所制訂之「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),已於 2018 年將細胞治療列入,亦即形成細胞治療被列管之狀況,理論上沒經過特管辦法核准者不得施行細胞治療,如此一來特管辦法與人體試驗管理辦法亦會產生適用競合問題。依據特管辦法第 3 條規定:「醫療機構施行非人體試驗之細胞治療技術,應檢具下列文件、資料,向中央主管機關申請核准後,經直轄市、縣(市)主管機關登記,始得為之...」,因此特管辦法已明確區隔人體試驗與非人體試驗目的之細胞治療操作,前者屬於醫療法其相關人體試驗管理範疇,後者才屬於特管辦法之管理範疇。因此若有業者想要將細胞治療與相關產品進行人體試驗案之申請,可以循人體試驗規範申請正式試驗案,不須按照特管辦法之管道申請核准。此又區分為醫療法上之新療法試驗,或是藥事法上之細胞製劑臨床試驗⁷,但兩者都是受人體試驗管理辦法規範,因此都可衍生出細胞治療的附屬計畫申請。如果沒有申請細胞治療人體試驗案,就不會有衍生恩慈療法機會,而且細胞治療又是特管辦法管制對象,因此也不能任意施行之。

此次 COVID19 病患之細胞治療,有些是以申請主管機關核准,並取得醫院倫理審查與病患同意之方式為之,因此在法律路徑上應是一種人體試驗案(不是附屬計畫,而是試驗案本身)。但人體試驗案理論上應有較嚴格之審查規範,且試驗案必須備齊計畫書與收案標準、試驗之預期效果等(醫療法第 79 條),而如 COVID19 此種緊急狀態需求下的申請使用較難能完全按照臨床試驗案審查的科學標準進行要求。此次的核准通過應視為一種例外,完全是基於緊急需求在別無其他治療手段下而予以核准。此次案例之審查主要考量不是一般試驗案的科學標準,而是緊急重大醫療需求,無其他有效療法之下的例外使用。而基於緊急需求而使用的醫療手段,在現行法制上僅有藥事法第 48 條之 2 的專案申請進口管道,但細胞治療之特性未必能透過專案進口藥品解決。在 2015 年發生的八仙樂園塵爆事件,確實有緊急專案進口日本公司提供之皮膚細胞產品修復燒燙傷患者⁸,但若是運用自體免疫細胞治療,或是我國業者所培養之幹細胞,就無法適用專案進口管道。

由上述可知,相關法律之適用範圍各有其侷限性,為整體建構我國恩慈療法、緊急醫療需求制度,並將細胞治療之管理納入前述制度中,有必要全面檢討我國恩慈療法、細胞治療、緊急醫療需求這三者的法律適用關係並進行修訂。以下先從外國與恩慈療法相關之法制進行分析,在歸納我國立法政策上應有之考量與對現行法制提出建議。

參、 恩慈療法之外國法制

⁷ 食藥署訂有「人類細胞治療製劑臨床試驗申請作業及審查基準」,此基準於 2013 年制訂,於 2020 年最新修訂。

⁸ 黃美月、劉韋博,國際醫療合作促進國人健康—以八仙塵爆為例,台灣醫界雜誌,61 卷 1 期,頁 34-37 (2018 年)。

恩慈療法並非在世界各國有長久歷史之制度，除了美國從 1987 年開始有制度化的管道外，歐盟及日本都是近年來才加以法制化。另一方面，細胞治療亦是新興醫療技術中具高度治理困難之議題，各國制度皆尚在摸索中。基於此，我國相關法制有前述混亂亦在所難免。有關各國之細胞治療管理制度目前已有不少論文加以探討引介，於此不予贅述。本文擬對恩慈療法(*compassionate use*)此一較少被引介之主題，分別簡述美國、歐盟、日本目前之制度化模式。

一、 美國制度

關於提供試驗中新藥給予重大且無合適藥物之病患使用，在美國稱為「擴增使用途徑」(*Expanded Access Program*，簡稱 *EA*)，至於恩慈使用(*compassionate use*)則是別稱，並非法規上正式用語。美國 *FDA* 在 1987 年正式將此途徑列入規定，取得制度化地位⁹。*FDA* 對於循此管道申請使用藥品醫材之案例的核准率高達 99%，在 2010 年以來的五年間核准了 9000 件申請案，可見 *FDA* 對於此制度相當支持，且該制度所能適用之情形亦較為廣泛¹⁰。

EA 之精神就是尚未獲得許可證的醫藥品可以例外給予使用，前提是罹患重大危及生命疾病(*life-threatening disease*)的病患，在既有的醫藥品已無法給予有效治療時，此制度可適用於藥品或醫療器材。在藥品方面又可分為三種情形，分別是單一病患需用、少數病患需用、廣泛的例外使用。在單一病患需用之情形就是典型的恩慈使用，需由其主治醫師提出使用計畫(*protocol*)之申請，若是情形緊急則可用電話向 *FDA* 申請，並在核准後 15 日內補書面申請¹¹。至於少數病患(*intermediate-sized*)的申請利用情形，則是針對有時某些臨床試驗中的藥品，因商業考量而停止開發了，此時可例外申請 *EA* 模式以使用該藥。廣泛的例外使用則不是基於恩慈使用，而主要是對既有的臨床試驗案要增加新的適應症所進行的變更¹²。

值得注意的是，以上制度無論個人使用或少數病患同時申請，藥廠都無義務要提供藥品，尤其是藥廠可能會擔心臨床試驗中的藥品提供給試驗對象以外之人使用，若出現不良反應或療效不佳，在缺乏有效比較統計基礎下，可能對其進行之試驗產生負面影響。再則，已經停止研發計畫的藥品，藥廠也未必有存貨可以提供 *EA* 管道核准下的病患使用。為此，美國國會在 2018 年又制訂了「嘗試權法」(*Right to Try Law*)，以強化病患取得臨床試驗中藥品的機會（在此之前美國已經有許多州通過該州的嘗試權法）。依據該法律，申請臨床試驗中的藥品使用將不需要經過 *FDA* 的審核，也就是成為一種法律上的權利。但藥廠是否願意提供此藥品，則不是該法律所能強制。換言之，美國目前的恩慈藥品使用有兩個管道，一是經向 *FDA* 申請並獲核准的「擴增使用途徑」，另一是依

⁹ *FDA, EXPANDED ACCESS PROGRAM REPORT 2 (2018)*

¹⁰ *Id.* at 2.

¹¹ *Id.* at 6.

¹² 第三類屬於“used for widespread treatment use or to bridge the gap between the completion of clinical trials and marketing of the product”。*Id.* at 7.

據嘗試權法可在一定條件下主張使用臨床試驗中的藥品，而 FDA 在此途徑中僅扮演提供資訊與協助的角色，並不進行審核。

二、 歐盟制度

歐盟的醫藥品審核機關為歐洲醫藥局(European Medicine Agency，簡稱 EMA)，但關於醫藥品之恩慈使用並非由 EMA 審核決定，而是由各會員國的主管機關核准。此乃因醫藥品審核屬於 EMA 統一職權，但醫療臨床行為則是各國主管機關所管轄，而恩慈使用比較屬於臨床上之治療需求，不是醫藥品審核程序之一環，故由各會員國決定亦屬合理。在 2001 年制定的歐盟指令中¹³，第 6 條規定各會員國必須依據 EMA 之審核來管理醫藥品之上市使用，而第 5 條則針對恩慈使用之例外加以定義，因此這是賦予各會員國的權限。即使如此，在 2004 年頒佈的規則中¹⁴，第 83 條則進一步規範恩慈使用之核准條件。2004 年歐盟規則主要適用於已經在臨床試驗中或申請中的新藥品或醫材，並且適用對象為一群病患(group of patients)而非單一病患，此稱為 Cohort programme。至於針對單一病患給予恩慈使用的方式，則是前述 2001 年歐盟指令第 5 條所賦予各會員國自行規範之事項，因為比較偏向臨床醫療決策¹⁵。

在此次 COVID19 疫情期間，歐盟核准瑞德西韋(Remdesivir)用於治療確診病患，就是由各會員國依據 2004 年規則所核發的例外使用¹⁶。依據該規則雖然訂有核准要件，但實際使用核准還是由各會員國主管機關為之。該規則僅規定各會員國針對此種多數病患的恩慈藥品使用，應先諮詢 EMA 所設的「人類使用醫藥品委員會」(Committee for Medical Products for Human Use，簡稱 CMHP)，以期 CMHP 可促成整體歐盟在恩慈藥品使用上之原則一致。

三、 日本制度

日本的醫藥品恩慈使用制度是規定於 2016 年的「醫藥品臨床試驗審查基準」修訂中¹⁷，其規定要件與前述歐美之情形類似。比較值得注意者，日本在此之前即有「擴增試驗」、「先進醫療」等制度管道可提供病患嘗試新療法之機會，因此理解日本相關制度不能只看 2016 年的恩慈療法制度，同時也要看其他相關制度。所謂「擴增試驗」仍是醫藥品臨床試驗的一部份，只是在原本試驗收案範圍之外，透過主治醫師的申請與主管機關核准，可允許病患加入此試驗，並受到試驗主管單位 Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (以下簡

¹³ Directive 2001/83/EC.

¹⁴ Regulation (EC) No 726/2004.

¹⁵ Directive 2001/83/EC, Article 5: [A Member State may, in accordance with legislation in force and to fulfil special needs, exclude from the provisions of this Directive [requirement for a marketing authorisation] medicinal products supplied in response to a bona fide unsolicited order, formulated in accordance with the specifications of an authorized health-care professional and for use by an individual patient under his direct personal responsibility].

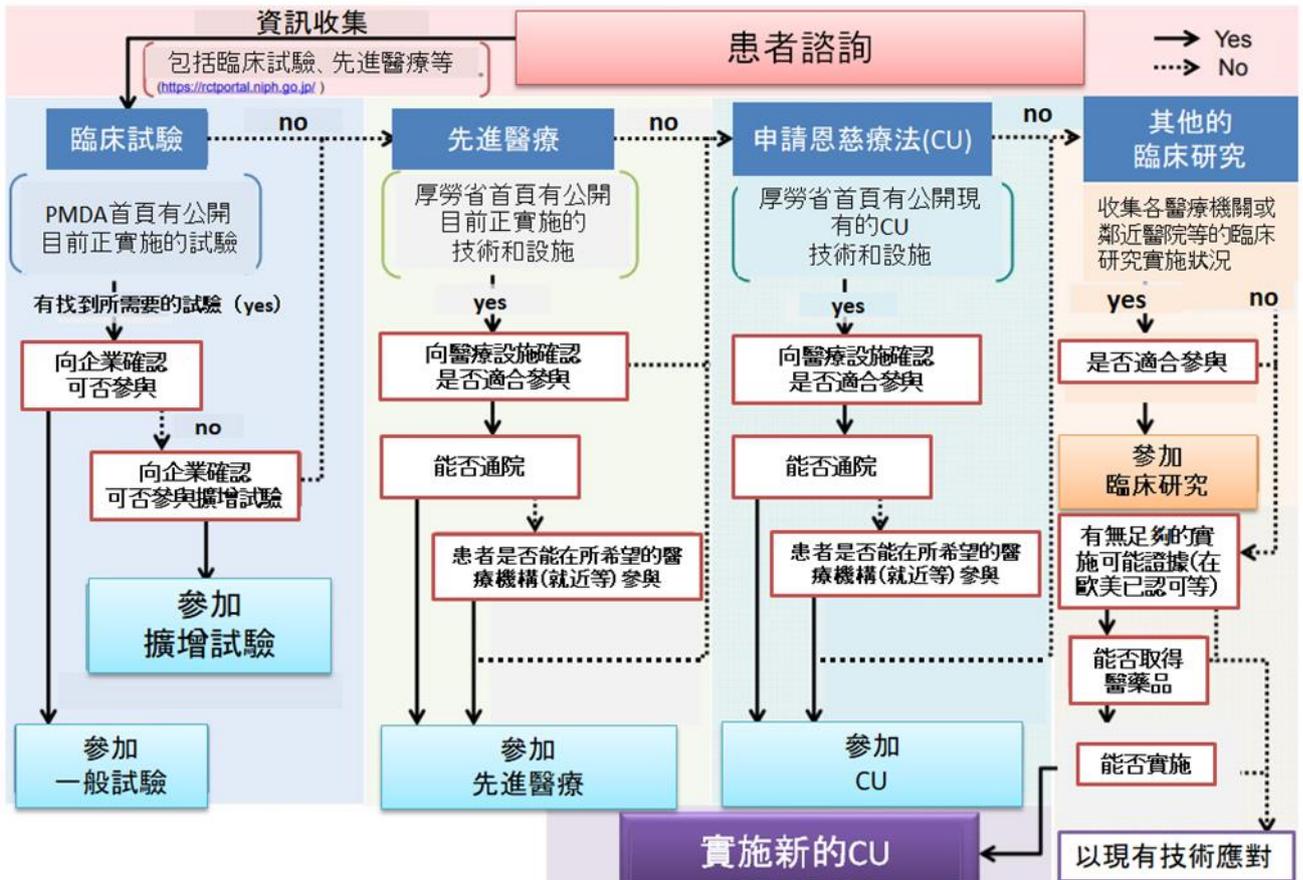
¹⁶ European Medicines Agency, <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/compassionate-use>(last visited Dec. 29, 2021).

¹⁷ 此修訂時間與我國人體試驗管理辦法增訂第 3 條之 1 納入細胞治療附屬計畫途徑的時間相同，兩者是否有相關性值得進一步研究。但主要差別是，我國僅開放細胞治療可透過附屬計畫施行，日本則是針對一般醫藥品的恩慈使用。

稱 PMDA) 的監管。相對的，所謂恩慈使用則是針對無法加入擴增試驗的病患（例如確實其病情與該試驗之收案標準不符）。另一方面日本為了鼓勵醫療技術發展，乃以先進醫療之名義，作為檢討該醫療技術是否療效足以納入健保給付範圍之研究，因此在 2006 年修訂健康保險法，納入先進醫療制度¹⁸。先進醫療區分為 A 與 B 兩類，A 類是使用已查驗登記的醫藥品進行治療，或者雖非合法醫藥品但風險性小；B 類則是使用未經查驗登記且風險較大之醫藥品。應注意者，日本很強調醫師有臨床自由診療空間，故法令原則上對醫療技術之發展並未干預。先進醫療制度之設計目的主要在銜接新醫療技術與健康保險給付之關係，是一種比較接近健康科技評估(Health Technology Assessment, 簡稱 HTA)目的之制度，並非管制新醫療技術是否可施行，因此精神上與我國的特管辦法並不相同。

在多種制度的適用順序上，日本厚生勞動省之政策為應先申請納入擴增試驗，若無法納入既有的試驗案，則看是否有已經政府公告的先進醫療試驗計畫可參加，若亦無相關先進醫療計畫在執行，或者病患所在之醫院無法執行該項先進醫療，才適用已經核准施行的恩慈療法管道使用特定醫藥品。若亦無經核准的恩慈療法可申請使用，日本尚有一種臨床研究管道可參加，此部分屬於新醫療技術之試驗。假設並無適合之臨床研究可參加，則進一步評估是否有國外的其他醫藥品是可引進的，進而考慮申請新案的醫藥品恩慈使用。此制度適用關係相當複雜，以下透過圖示加以呈現：

¹⁸ 厚生勞動省網站，https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iryuuohoken/sen-siniryoo/index.html（最後瀏覽日：2021 年 12 月 29 日）。



資料來源：厚生勞動省，「保險外併用療養制度について」¹⁹

肆、法政策考量因素與建議

前述分析比較美國、歐盟及日本關於恩慈療法之制度規範，而我國之規範則應考量三個面向，主要是恩慈療法之適用範圍與條件、細胞治療之技術特性與管制模式、緊急醫療需求之因應方式。以下分別說明應考量之問題點，並同時納入台灣特殊治理情境之考量。

恩慈療法管道：恩慈療法之主要意義在於臨床試驗中新藥由於收案標準所限，可能阻礙其他急迫用藥需求病人之機會，因此可例外申請使用，醫師開立此藥物不會違反藥事法。因此恩慈療法主要應在藥事法架構下規範，至於核准機關應是食藥署或衛福部醫事司則是較次要問題，例如歐盟就是由各會員國從醫療臨床需求角度審核，而非給藥證主管機關 EMA 審核。我國在開放恩慈療法時，可能基於細胞治療在當時缺乏管理機制，因此用恩慈療法管道來例外開放細胞治療施行，但細胞治療既是療法也有產品，因此就產生恩慈療法是對醫療技術管理之印象，且在人體試驗管理辦法下規定就使其適用管道受限，必須以附屬計畫申請。以附屬計畫行之固然是外國恩慈療法常見之規範，但結合了

¹⁹ 厚生勞動省網站，https://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-12400000-Hokenkyoku/0000118805.pdf (最後瀏覽日：2021 年 12 月 29 日)。

僅適用細胞治療此點就顯得格格不入。細胞治療之臨床試驗案成本高，業者申請難度高，因而使該條文之適用變得困難。另一方面亦應回復到恩慈療法之本質，是提供尚未合法上市之藥品或醫材使用機會，不需與細胞治療混為一談，至於是否應限定附屬計畫形式，則應考量台灣特殊情境，詳見下述。

細胞治療管制：細胞治療無論自體細胞或異體細胞，都需要外部商業公司實驗室進行培養提供，因此有產品管理層面；而細胞治療是一種新療法，其適用對象與療程設計都還在摸索試驗中，因此也應作為新醫療技術加以管理，此種管制上的雙重性是日前歐美國家在細胞治療管理上的難題，亦即藥政主管機關（美國 FDA，歐盟 EMA）是否有權力管理審核醫療院所施行細胞治療（醫療臨床行為），成為重大法律議題²⁰。我國由於醫療法第 62 條第 2 項有廣泛授權衛福部可對特定醫療技術制訂管理辦法，因此衛福部在 2018 年即以修訂特管辦法方式將細胞治療加以列管，此後必須經過核准的醫院與醫師才可施行此療法。特管辦法授權衛福部可管制特定醫療技術，固然讓衛福部免除歐美國家在細胞治療管理上之法制難題，但衍生之問題就是會限縮臨床專業裁量空間，當出現新型態的治療需求，不在已經特管辦法核准的操作規範適用範圍時，醫療團隊就必須以人體試驗案進行申請核准，但應歸類為醫療法上的人體試驗，或是藥事法（或將來的再生醫療製劑管理條例）途徑下的細胞治療產品臨床試驗，則需要再釐清。

緊急醫療需求：當面臨像 COVID19 這樣緊急狀況之醫療需求時，固然有藥事法上的專案進口管道，但並非所有緊急醫療需求都可透過專案進口解決，除了可能無法在國際疫情下搶得物資進口外，細胞治療的特性就未必能以進口方式解決。而專案進口僅限於藥品或醫材可進口，若是新醫療技術則不是進口問題，而是核准施行問題，就要回歸前述恩慈療法與試驗性醫療等管道。另一方面，由於全民健保之藥價給付低於國際水準，因此有些新藥並不急於在台灣申請上市，或者相關臨床試驗案較晚來台申請²¹。在此情形下，即使我國的恩慈療法規定修改為不限於細胞治療之施行，而是如外國主要針對試驗中藥品醫材之例外使用，也會因恩慈療法必須以附屬計畫申請，在缺乏該新藥之臨床試驗案情形下即無從申請附屬計畫恩慈療法。此種情形下將會擴大藥事法緊急專案進口條文之適用必要，亦即藥事法上的緊急專案進口將實質上是台灣的恩慈療法管道。目前我國已經有此實務趨勢，亦即主管機關動用藥事法該條文來專案進口外國藥廠沒有在台銷售之藥物，已成為常見模式。但此種管道與國外之恩慈療法又有不同，所申請者未必是試驗中新藥，常是在國外已取得藥品許可證者。至於在此次 COVID19 案例中，由於所使用之幹細胞並不是從國外進口，因此亦無法適用藥事法該條規定，但仍值得全面檢討以專案核准進口模式

²⁰ 何建志，細胞治療研發到產品：法律問題與管理制度研究，法律與生命科學期刊，6 卷 1 期，頁 1-19（2017 年）。

²¹ 林貞岑，健保調降藥價、原廠藥退出台灣，我吃的藥會受影響嗎？，康健雜誌網站，2019 年 3 月 26 日，<https://www.commonhealth.com.tw/article/79175>（最後瀏覽日：2021 年 12 月 29 日）。

作為恩慈療法管道之妥當性問題。

綜上所述，台灣目前在關於細胞治療與恩慈療法、緊急醫藥需求等不同面向之制度因應上，存有法制混淆與糾葛之處，茲以下列表格說明之：

	恩慈療法	藥品醫材專案進口	細胞治療技術列管
法律依據	醫療法第 79 條之 1 授權人體試驗管理辦法	藥事法第 48 條之 2 第 1 項第 1 款	醫療法第 62 條授權特管辦法
適用範圍	細胞治療人體試驗之附屬計畫	醫療重大需求且無適當藥物	經核准之醫院才可施行細胞治療
面臨緊急重大醫療之侷限性	細胞治療試驗案有限，亦無法適用於藥品醫材	僅能以進口方式解決緊急需求，適用情形有限	通案性審查，不適用於緊急重大醫療特例

本表為筆者自製

與恩慈療法有關之各項法規目前呈現複雜的競合關係，且在有緊急醫療需求情形下仍有缺少法律依據之問題存在，故有必要修訂相關法規，讓各制度回歸其原本宗旨，並配合台灣實際狀況以利施行。以下有幾點建議：

- 一、 **關於細胞治療之試驗性醫療應建立周延之審查基準，以補充特管辦法規範之不足。**試驗醫療之目的在於為特定病患需要而實施非常規醫療，同時又以試驗計畫案加以規範，以確保不被濫用。而以特管辦法列管細胞治療同樣有不希望細胞治療被濫用，並且在列管下透過案例累積而能驗證細胞治療效果之目的。兩者都是既有治療目的又有試驗目的，差別是特管辦法之核准較嚴格，人體試驗案則是基於試驗目的由醫界主動發起較易獲准。然而細胞治療由於背後並非大藥廠，多半難以立即投入成本高昂的臨床試驗申請，因此臨床試驗案較少，故會產生當有緊急醫療需求時，既非特管辦法核准之施行範圍，又沒有臨床試驗案存在，僅能以醫療法第 78 條之試驗性醫療方式申請，而面臨有限臨床證據下該如何審核此試驗案之難題。
- 二、 **關於尚未獲得許可證藥品醫材之使用，應釐清恩慈療法與藥事法專案進口之關係。**在人體試驗管理辦法上之恩慈療法是否必要限縮在細胞治療項目，其他藥品醫材之使用為何不能搭配藥品醫材臨床試驗案而以附屬計畫方式申請？反之，藥事法上專案進口之申請，其主要意義應針對未在我國申請臨床試驗之產品，在緊急需求下可申請進口使用，兩者意義不同。雖然都是針對醫療上使用需要的藥事法上例外（沒有許可證），但適用條件不同，前者是已經有臨床試驗案者，後者是未在我國進行臨床

試驗案者。

- 三、基於前述，建議修訂人體試驗管理辦法中有關恩慈療法之規定，納入藥品醫材之使用以放寬適用範圍，並建議修訂特管辦法以明確允許緊急情形下可例外申請施行，如此一來可讓例外使用藥品醫材獲得管道，並可讓細胞治療既能在需要時派上用場，又受到主管機關之把關。此方式既能維持恩慈療法必須為附屬計畫形式（需有臨床試驗案存在），又能兼顧細胞治療之臨床試驗申請困難之事實，不必以恩慈療法行之，直接納入特管辦法架構下管理即可。

參考文獻

王志嘉 (2020), 人體研究、人體試驗、臨床試驗的定義與內涵—兼談細胞治療的現況與展望, 臺灣醫界雜誌, 63 卷 2 期, 頁 27-32。

何建志 (2017), 細胞治療研發到產品: 法律問題與管理制度研究, 法律與生命科學期刊, 6 卷 1 期, 頁 1-19。

林志六 (2018), 特定細胞治療技術法規簡介, 月旦醫事法報告, 25 期, 頁 7-19。

林欣柔、鄒孟珍 (2016), 成全病人的最後一線生機? 擴大近用試驗中藥品之倫理考量及法律挑戰, 萬國法律雜誌, 209 期, 頁 55-63。

高尚志、林致凡、劉雅芳 (2020), 台灣特管辦法通過之免疫細胞治療, 臺灣醫界雜誌, 63 卷 4 期, 頁 26-36。

黃美月、劉韋博 (2018), 國際醫療合作促進國人健康—以八仙塵爆為例, 臺灣醫界雜誌, 61 卷 1 期, 頁 34-37。

施雅薰 (2020), 《特定醫療技術檢查檢驗醫療儀器施行或使用管理辦法》實際運作相關問題評析, 科技法律透析, 32 卷 2 期, 頁 48-72。

陳淵銓、李慧芳 (2018), 細胞及基因治療產品的發展, 科技政策觀點半年刊, 6 期, 頁 98-105。

何建志 (2017), 細胞治療法規鬆綁或更嚴厲管制? —評論臺灣 2017 年「細胞及基因治療產品管理法草案」, 法律與生命科學期刊, 6 卷 2 期, 頁 1-20。

FDA. (2021). Expanded Access Program Report. Retrieved from FDA Web site: <https://www.fda.gov/news-events/public-health-focus/expanded-access>.

Jonathan P. Jarow, Steven Lemery, Kevin Bugin, Sean Khozin, and Richard Moscicki, Expanded Access of Investigational Drugs: The Experience of the Center of Drug Evaluation and Research Over a 10-Year Period, *The Innovative Regulatory Science* 50(6):705-709.