

先进疗法产品规管
咨询文件

卫生署

2018年4月3日

简称

工作小组	规管处理先进疗法产品处所工作小组
《条例》	《药剂业及毒药条例》（第 138 章）
《规例》	《药剂业及毒药规例》（第 138A 章）
专责组	规管香港先进疗法产品专责组
欧盟	欧洲联盟

目录

	页次
行政摘要	4
第一章 引言	6
第二章 其他司法管辖区的规管	8
第三章 先进疗法产品的规管建议	12
第四章 《药剂业及毒药条例》修订建议	16
第五章 低风险细胞和组织的规管	19
第六章 征询意见	20
附件 I 规管处理先进疗法产品处所工作小组的 职权范围及成员名单	22
附件 II 规管香港先进疗法产品专责组的职权范 围及成员名单	24
附件 III 其他司法管辖区对先进疗法的定义	25
附件 IV 在《药剂业及毒药条例》下先进疗法产 品的建议定义	30

行政摘要

政府在 2017 年成立规管香港先进疗法产品专责组，就制订框架规管细胞及组织产品，向政府提出意见。

政府在参考海外管辖区对供人类应用的细胞及组织的规管后，建议采取风险为本的方针，规管细胞及组织产品，并透过将先进疗法产品纳入药剂制品规管架构，以作规管，《药剂业及毒药条例》（下称《条例》）因而需要修订。

本咨询文件详列有关规管建议，包括在《条例》内药剂制品的定义中加入先进疗法产品的定义。有关产品注册、制造商及分销商发牌、进出口管制、临床试验批核、标签、纪录备存及报告不良事件等要求，将适用于先进疗法产品。

因应先进疗法产品的独特性质，除了上述适用于所有药剂制品的要求外，亦建议就先进疗法产品加入下列特定要求，为病人提供足够保障—

- 制造商就制造先进疗法产品所采用的细胞及组织的监控应符合有关指引或标准，并应遵守《生产质量管理规范》。「制造」将包括为临床试验用途或治疗特定病人而配制的先进疗法产品。
- 以药剂业及毒药管理局指明的格式，在先进疗法产品标示独立捐赠标识符或产品代码，及病人身份标识符。
- 先进疗法产品的制造及分销商须备存有关贮存、运输及负责施用产品医生的资料等纪录。为确保足够的监察及追查。这些纪录应备存为期不短于 30 年。

专责组将会继续讨论如何规管属低风险的细胞及组织，在相应法例订立前，当局将先行拟备及颁布有关指引。

欢迎公众及业界在为期两个月的公众咨询期内，就本咨询文件的建议提出意见。政府会参考所收到的意见，并制订最终立法建议。

第一章 引言

1.1 先进疗法产品是现时发展最迅速的医疗领域之一，先进疗法产品是指以基因、细胞及组织为主的创新医疗产品。在医学上，先进疗法产品可能具有巨大潜力，有关科学亦在急促发展，部分治疗功用仍在研究阶段，并未获得证实，而有关该类产品的长远副作用及并发症的资料亦是有限。鉴于先进疗法产品的性质和所涉及的风险，要保障公众健康，一套有效确认和管理有关研究及治疗应用的规管架构实属必不可少。

1.2 2012 年，食物及卫生局成立了私营医疗机构规管检讨督导委员会，并下设四个工作小组，就四个优先关注范畴进行深入研究。其中，规管处理先进疗法产品处所工作小组¹（下称「工作小组」）已在 2014 年提交报告²，并提出五项建议：

- (1) 作医疗和临床试验用途的细胞、组织和先进疗法医疗产品，应以规管架构进行规管，确保公众健康和安全。对供人类应用的细胞、组织和先进疗法医疗产品进行的所有程序，包括捐赠、采得、化验、处理、保存、贮存和配送，均应受到规管。
- (2) 细胞、组织和先进疗法医疗产品应根据其风险而受规管，其风险按该等产品的特征改变程度和拟作用途来决定。
- (3) 订立包罗各项相关权力的新法例，通过一套全面的规管措施，包括推行处所发牌规定、处所认证、遵守指引、呈报不良反应个案、指定负责人、人手要求和培训、进 / 出口管制，以及先进疗法医疗产品的注册，达至有效规管细胞、组织和先进疗法医疗产品。

¹ 工作小组的职权范围及成员名单载于本咨询文件的附件 I。

² 请浏览网址

<http://www.hpdo.gov.hk/doc/fhsd/Report on WG3 of Regulation of Premises Advanced Therapies 2014 c.pdf>

- (4) 处理非应用于人体研究的细胞和组织的处所、由注册专业人员为接受治疗中的病人作出诊断而须处理细胞和组织的处所，或由注册专业人员在同一外科手术程序内使用细胞和组织作自体移植而无须任何库存过程的处所，均应自有先进疗法的规管措施获得豁免。
- (5) 就处理细胞、组织和先进疗法医疗产品推行中期措施，以在新法例生效前加强保障公众健康。

1.3 政府认为在推进工作小组的建议时，应采取谨慎态度，并需要更多时间及精力，仔细研究拟议规管的各个范畴，并就落实细节咨询持份者。

1.4 作为中期措施，卫生署在 2016 年初发布了两份供消费者参考的教育资料³，其中一份关于脐带血库，另一份关于细胞治疗。在 2017 年 5 月，卫生署另外发布了两份相同题目的资料，供业界及研究人员参考。

1.5 在 2017 年 12 月，政府成立了规管香港先进疗法产品专责组（下称「专责组」），成员包括相关专家，就制订先进疗法产品的规管架构及其他相应事宜，向政府提供意见。专责组的职权范围及成员名单载于附件 II。

1.6 政府在考虑专责组的专业意见后，制备本文件，协助收集公众对先进疗法产品拟议规管架构的意见。

³ 请浏览网址 www.advancedtherapyinfo.gov.hk

第二章 其他司法管辖区的规管

2.1 经研究美国、欧洲联盟（下称「欧盟」）、新加坡、日本和韩国有关先进疗法产品的规管架构后，注意到这些不同司法管辖区的规管架构高度趋同。

风险为本方针

2.2 研究发现所有司法管辖区均采用风险为本的方针。先进疗法产品是指受超出「极微的特征改变」⁴（在某些司法管辖区称为「重大特征改变」），或拟作「非同种用途」⁵的细胞及组织产品。这些产品被视为属高风险，普遍以较严谨的药物及 / 或医疗仪器架构规管。除此之外，复合性产品（即结合了先进疗法产品及医疗仪器的产品）和基因治疗产品亦被视为属高风险，受更严格管制。

2.3 另一方面，仅受极微的特征改变并拟作同种用途的细胞或组织，通常被视为低风险细胞及组织疗法，受另一架构规管。

2.4 一般来说，以下类别不纳入先进疗法产品规管：

- (a) 拟作移植用途的人体器官
- (b) 拟作治疗血科病，且未受重大特征改变，并只拟作同种用途或非美学程序的全血或血液成分⁶
- (c) 用于牙科手术以充填牙洞的物质

⁴ 非改变细胞或组织的生物特征、生理机能或结构特性的特征改变通常被视为受极微的特征改变。

⁵ 同种应用指使用一种在接受者体内执行如同在捐赠者体内一样的基本功能的产品，藉以修补、重建、置换或补充接受者的细胞或组织。

⁶ 由血液提取产品，如凝血因子、白蛋白、免疫球蛋白，均被视为药剂制品。

- (d) 作灭菌用途的绷带及其他外科敷料
- (e) 生殖医学或辅助生殖医疗
- (f) 仅含有非活性人类或动物细胞及 / 或组织，或由其组成，不含有任何活性细胞或组织，且非透过药理、免疫或新陈代谢为主要作用的产品

2.5 不过，不同司法管辖区对先进疗法的确实规管范围略有不同，详情列于附件 III。

2.6 此外，研究中所有司法管辖区对先进疗法产品的规管架构只涵盖供人类应用的产品，并没有发现有适用于规管供动物应用的先进疗法产品的模式可供参考。

产品推出市场前的批核

2.7 鉴于先进疗法产品的风险及特性，在海外以药物及 / 或医疗仪器的架构规管的先进疗法产品，在推出市场前，必须经过评估及获得批准。产品的安全、效能及素质必须得到证明，以获取销售许可。

2.8 与其他药品相似，病人可遁恩恤计划，得到先进疗法产品治疗。恩恤计划是指在有临床需要时，容许注册医生应用未经注册产品治疗病人。在某些司法管辖区亦设有特定豁免计划，容许利用未经注册的先进疗法产品治疗特定病人，例如在英国的医院豁免计划（“Hospital exemption scheme”）及特定计划（“Specials scheme”）⁷。这些计划目的是保障病人在产品因市场或商业上的考虑而不推出市场的情况下，仍有机会得到所需的治疗。

⁷ 英国设有一个适用于先进疗法产品的特定豁免计划，即医院豁免计划（“Hospital exemption scheme”），容许以非常规方式制备的先进疗法产品，在英国医院内作个别病人治疗使用。另外，英国亦设有一个较普遍适用的豁免计划（即特定计划（“Specials scheme”）），适用于

临床试验

2.9 在其他司法管辖区，对为先进疗法产品取得销售许可而进行的临床试验，其规管与其他药品相似。申办者必须在进行试验前，向监管当局申请临床试验许可或证明书，或申请作为调研新药（“Investigational New Drug”）。另外，亦有为针对先进疗法产品临床试验而订定的指引，列明对申请文件的附加要求，以及其他如捐赠者检验和筛选程序等要求。

2.10 应用于临床试验的先进疗法产品必须按《生产质量管理规范》制造。申办者及研究者亦必须遵守《临床试验质量管理规范》及其他指明适用的优良规范指引，如《人体细胞组织质量管理规范》、《药品分发质量管理规范》及《药物警戒管理规范》。

制造

2.11 研究中所有司法管辖区均要求制造单位必须领有牌照。持牌制造商必须遵守《生产质量管理规范》及定期接受相关审查，而不同司法管辖区的《生产质量管理规范》一般有其特有元素。另外，一些司法管辖区设有针对先进疗法产品制造及质量的附加要求(如强制性捐赠者检验和筛选程序)，以控制来自人类或动物活性原料的特别风险，以及对产品规格、追查、纪录备存和批次放行的特定要求。除此之外，制造商呈报制造工序变更及严重不良情况个案一般是强制性要求。如先进疗法产品结合医疗仪器，制造商亦须遵从适用于医疗仪器的要求。

产品推出市场后的要求

包括先进疗法产品在内的药品。在这计划下，在负责治疗的医生的真实和自发要求下，为满足个别病人特别需要，容许供应未经注册药物供该病人使用。在这两个计划下，虽然所应用的先进疗法产品无须获得销售许可，但其处理设施仍须取得《生产质量管理规范》牌照。

2.12 研究中大部份的司法管辖区，对先进疗法产品推出市场后的要求，与其他药品的相似，即必须备有风险管理计划、呈报不良情况个案及设有药物警戒系统。欧盟规定有关先进疗法产品的纪录，须备存为期不短于产品的使用期限后的 30 年。

第三章 先进疗法产品的规管建议

风险为本的方针

3.1 政府经考虑不同司法管辖区对先进疗法的规管架构后，建议香港采用相似方针，划定属高风险的细胞及组织为主产品为先进疗法产品，并建议纳入《药剂业及毒药条例》（第 138 章）（下称《条例》）下的药剂制品架构规管。而属低风险的细胞及组织治疗，将以另一架构规管。本文件第三、四章列出有关规管建议及方向。

先进疗法产品的规管架构

3.2 为保障公众健康及与国际做法接轨，先进疗法产品的拟议规管架构包括以下方面：

第 1 方面 – 引入先进疗法产品定义

3.3 因其性质复杂，且属低风险与高风险的细胞和组织疗法的性质及用途大有不同，先进疗法产品须有一个准确定义，以清楚界定规管范围。

3.4 政府注意到不同司法管辖区对先进疗法产品的定义存在差异。为与国际做法接轨，及考虑到欧盟订立的定义能全面及确切地为先进疗法产品设定范围，建议香港采用欧盟定义（欧盟法例称为“Advanced Therapy Medicinal Products”）。此外，香港《条例》下的药剂制品定义亦是以欧盟药品定义为基础而订立。

3.5 以欧盟定义为基础，先进疗法产品指任何以下应用于人类的制品：

- 基因治疗产品
- 体细胞治疗产品
- 组织工程产品

3.6 除此之外，我们拟议将复合性先进疗法产品（即包含一种或多种医疗仪器的先进疗法产品）同样纳入药剂制品架构规管。这是由于不论当中的医疗仪器作用如何，这类产品都是通过细胞或组织的药理、免疫或新陈代谢作为该产品的主要作用机制。

3.7 附件 IV 列出先进疗法产品及其他相关的拟议定义。因目前海外尚未对供动物应用的先进疗法产品进行规管，故现行建议只涵盖供人类应用的先进疗法产品，未有包括供动物应用的产品。

第 2 方面 – 确保用于生产先进疗法产品的细胞和组织的素质和安全

3.8 来源细胞或组织的素质 and 安全性，对确保先进疗法产品的素质和安全是非常重要的。因此，我们将会为人类细胞及组织的捐赠、采得、化验、处理、保存、贮存和分发订定素质和安全标准。

3.9 另外，如涉及人类细胞或组织捐赠，有关捐赠必须是自愿及无偿的，并必须奉行捐赠者和接受者匿名、捐赠者无私、以及捐赠者和接受者共融的原则。

第 3 方面 – 要求所有生产先进疗法产品的设施领取牌照及遵守订明标准

3.10 鉴于先进疗法产品具高风险及复杂的本质，生产先进疗法产品的设施必须以发牌规管。生产设施必须严格遵守《生产质量管理规

范》及其他监管当局所订立的标准。用作非常规性生产先进疗法产品，以供治疗特定病人或用作临床试验⁸用途的设施（包括附设在医院内的设施），亦不例外。

3.11 某些司法管辖区会另行颁布一套适用于生产先进疗法产品的《生产质量管理规范》指引，监管当局将会研究这些标准，并向本地业界提供适当指引。

第 4 方面 – 要求先进疗法产品在进 / 出口、推出市场及进行临床试验前取得许可

3.12 现时，《药剂业及毒药规例》（第 138A 章）（下称《规例》）规定药剂制品必须符合安全、效能及素质的要求，并在推出香港市面前，先向药剂业及毒药管理局注册。而由注册医生或注册牙医为治疗某特定病人而管有及应用的药剂制品，则可获豁免注册。

3.13 另外，《规例》规定任何人不得对人类进行临床试验，但如该人获发临床试证明书，并按照该证明书进行上述试验，则属例外。除此以外，《进出口条例》规定药剂制品的进 / 出口必须根据及按照进 / 出口许可证进行。

3.14 与其他药剂制品相同，上述规管和要求亦适用于先进疗法产品。

第 5 方面 – 先进疗法产品的特定标签要求

3.15 鉴于先进疗法产品的独特性质，必须设立一套完善系统，透过纪录管理及适当标签系统，确保产品能得以追查，并在有需要时，验证有否遵从质量及安全性标准，同时能保障捐赠者及病人匿名。

⁸制造其他药剂制品作临床试验用途的生产者亦须领取牌照。

在先进疗法产品的包装容器标签上，应附有如独特捐赠或捐赠者身分标识符和产品代码资料。为避免混杂，自体产品亦须标签独特病人身分标识符，以及如“只供自体使用”的说明。

第 6 方面 – 先进疗法产品的特定备存纪录要求

3.16 加强备存纪录要求有助监察先进疗法产品长远安全性和疗效，及方便追查和回收产品。参考欧盟做法，政府建议要求制造商及/或药品注册持有人备存纪录，包括所有原料、生产过程、包装、贮存、运输及负责施用产品医生的资料。

3.17 由于先进疗法产品属近期研发，而且这科学领域仍在迅速发展，对其安全性及疗效的资料有限，因此需要为期更长的备存纪录要求，以确保足够的监察及追查。上述纪录必须备存，为期不短于产品的使用期限后的 30 年。另须加入特别条文，处理如清盘及牌照转移的情况有关纪录的处理方法。

第 7 方面 – 要求供应商呈报有关应用先进疗法产品的不良事件个案

3.18 因医学界对使用先进疗法产品的经验仍非常有限，制造商及/或药品注册持有人对其产品的疗效及用后不良反应的监测十分重要。制造商及/或药品注册持有人必须备有风险管理计划，供应商亦必须在特定时限内，向监管当局呈报有关应用先进疗法产品后出现的严重不良反应个案。类似要求已包含在药剂制品供应商的相关注册及牌照条件内。

第四章 《药剂业及毒药条例》修订建议

4.1 在香港，药剂制品或药物主要受《条例》规管。《条例》及其规例订明对产品注册、制造设施发牌、遵守《生产质量管理规范》指引、临床试验审批，以及药剂制品供应和分发的要求。基于上述原因及为与国际做法接轨，政府建议将先进疗法产品定义为药剂制品，使其受《条例》规管，政府亦会因应先进疗法产品的特质修订《条例》。

4.2 《条例》下的药剂制品的定义主要是参照欧盟法例中药物（“medicinal products”）的定义所制定。药剂制品或药物指符合以下说明的物质或物质组合 –

- (a) 被表述为具有治疗或预防人类或动物的疾病的特性；或
- (b) 可应用或施用于人类或动物，其目的是
 - (i) 透过药理、免疫或新陈代谢作用，以恢复、矫正或改变生理机能；或
 - (ii) 作出医学诊断。

4.3 以上药剂制品定义没有明确提及先进疗法产品。尽管现时已研发的先进疗法产品均符合《条例》下药剂制品的定义，鉴于此类产品可能会有进一步发展，为谨慎起见，政府会厘清有关法例对先进疗法产品作为药剂制品的要求，以释除疑虑。

4.4 政府建议修订《条例》第 2 条中药剂制品的定义，加入先进疗法产品，即附件 IV 列出的定义。药剂制品的定义经修订后，适用于药剂制品的《条例》或其他条例的相关要求同样适用于先进疗法产品，这些要求包括产品上市前须注册、制造商及分销商发牌、进 / 出口管制、临床试验前审批，即上述第三章中第 3 及第 4 方面提及

的要求。现时《条例》中豁免由注册医生或注册牙医为治疗某特定病人而管有及应用的药剂制品注册，仍会适用。

4.5 就上述第三章提及，《条例》须因应先进疗法产品的独特性质作出修订，加入相关要求，为病人提供足够保障及确保供人类应用的先进疗法产品的质量。

4.6 监管用作生产先进疗法产品的细胞及组织（即上述第 2 方面），涉及捐赠、采得、化验、操作、处理、保存、贮存及分发的规管。政府建议将这些规管要求加入制造商牌照的发牌条件。监管当局亦会不时拟备并颁布适用于本地业界的指引及标准，以确保能响应国际上最新发展及做法。

4.7 现行《规例》要求药剂制品制造商及分销商领取相关牌照。持牌制造商必须严格遵守《生产质量管理规范》指引。考虑到处理和制备先进疗法产品的风险及复杂性，政府建议修订「制造」的定义，确保任何人在处理及制备先进疗法产品作临床试验或治疗特定病人前，须领有牌照及严格遵守《生产质量管理规范》指引。

4.8 政府建议修订《规例》第 31 条，加入先进疗法产品的附加标签要求（即上述第 5 方面），产品须以药剂业及毒药管理局指明的格式标示独特捐赠标识符或产品代码，及病人身份标识符。

4.9 就先进疗法产品制造商及分销商的附加备存纪录要求（即上述第 6 方面），政府建议修订《规例》第 35 条及第 39 条，订明有关备存纪录须包括贮存、运输及负责施用产品的医生等资料。这些资料，连同制造及分销药剂制品所需的其他纪录，必须备存为期不短于产品的使用期限后的 30 年。《规例》亦会加入特别条文，在清盘或牌照转移等情况下，如何处理这些纪录。

4.10 就上述第 7 方面，即呈报不良反应个案的要求，该要求已包括在药剂制品的注册及相关牌照条件内，当药剂制品定义经修订后，现行规管亦将适用于先进疗法产品。

4.11 下表总结以上建议：

规管方面	建议
1 先进疗法产品定义	修订《条例》第 2 条
2 规管用于生产先进疗法产品的细胞及组织	在牌照条件内加入有关要求
3 先进疗法产品制造商的牌照要求	修订《条例》第 2 条
4 进 / 出口、推出市场及临床试验前的批准	已涵盖在现行药剂制品的规管内，无须改变
5 先进疗法产品的标签要求	修订《规例》第 31 条
6 先进疗法产品的备存纪录要求	修订《规例》第 35 条及第 39 条
7 呈报不良反应个案	已涵盖在现行药剂制品的规管内，无须改变

第五章 低风险细胞和组织的规管

5.1 规管属低风险细胞及组织将会是政府下一阶段的工作。

5.2 在某些海外司法管辖区，用作收集、采得、操作、处理、化验、贮存及分发供人类应用的细胞及组织的处所，必须领取牌照。牌照持有人必须严格遵守特定指引，如《人体细胞组织质量管理规范》。虽然销售及分发属低风险细胞及组织，无须先行取得许可，纪录备存、卷标、不良反应监察则会设有要求，进 / 出口亦会受管制，以保障产品安全。

5.3 低风险细胞及组织疗法的例子，包括输血、作治疗用途的脐带血贮存、角膜移植及骨髓移植。虽然若干以人体器官制造的治疗产品已受《人体器官移植条例》（第 465 章）所规管，政府在制订低风险细胞及组织的规管架构前，仍需要作进一步评估及咨询。专责组将继续探讨有关规管架构。在相应法例订立前，当局将先行拟备及颁布指引及标准。

第六章 征询意见

6.1 欢迎您就第三章及第四章详列的《条例》修订建议提出意见，请在二零一八年六月二日或之前，以邮寄、传真或电邮方式把意见送交卫生署药物办公室，详情如下：

地址： 香港湾仔皇后大道东 213 号

胡忠大厦 18 楼 1856 室

卫生署药物办公室

传真： 2834 5117

电邮： pharmgeneral@dh.gov.hk

6.2 政府将整理和分析在这次公众咨询中收到的意见，以拟订最终立法建议，目标是在二零一九年向立法会提交修订条例草案。

6.3 您在就这份咨询文件递交意见时，可选择附上个人资料。收集所得的意见书和个人资料或会转交有关的政府决策局和部门，用于与是次咨询直接相关的用途。获取资料的政府决策局和部门日后亦只可把该些个人资料用于同一用途。

6.4 在是次公众咨询完结后，就这份咨询文件递交意见书的个人姓名 / 团体名称及意见或会被刊载，供公众人士查阅。政府在与其它人士进行讨论时（不论是内部或公开），或在其后发表的报告中，或会指名引用就本咨询文件所递交的意见。

6.5 为了保障您的资料私隐，我们在编印意见书时，会将您的有关资料（如有提供），例如：住址 / 回邮地址、电邮地址、身分证号码、电话号码、传真号码和签名等删除。

6.6 如不希望意见被刊登，或想以不记名方式表达意见，请于意见书中作出指示。除非另有指明，否则所有意见会被视作公共信息处理，日后可能会被刊登。

6.7 任何向政府提交个人资料的人士，均有权查阅及更正其提交的个人资料。查阅或更正个人资料的要求，应以书面以下人员提出：

地址： 香港湾仔皇后大道东 213 号
胡忠大厦 18 楼 1856 室
卫生署药物办公室
高级行政主任（药物）

传真： 2834 5117

电邮： pharmgeneral@dh.gov.hk

规管处理先进疗法产品处所工作小组 职权范围及成员名单

职权范围

- 界定及定出可在实验室 / 非住院情况下进行的先进疗法所使用的医疗产品的范围；以及
- 参考医疗及科技的最新发展，以及适用于本港环境的海外规管及国际间最佳做法后，研究是否及如何对贮存及 / 或处理先进疗法医疗产品的处所进行规管。

成员名单

主席

左伟国牙科医生

成员

督导委员会成员

张韶于女士

刘国辉先生

卫生署署长或其代表

医院管理局行政总裁或其代表

食物及卫生局医疗规划及发展统筹处处长或其代表

增选成员

陈永光先生

章修纲先生

郑香郡博士

何筱韵女士

林德深医生

刘以敬先生

李嘉豪教授

李瑞山教授

李卓广医生

李登伟教授

李伟振先生

吴楚珊博士

彭慧冰博士

岑信棠医生

曾艾壮医生

谢鸿发教授

黄志基教授

王绍明医生

黄耀忠医生

于常海教授

规管香港先进疗法产品专责组 职权范围及成员名单

职权范围

- 探讨及就香港设立细胞及组织为主治疗和医疗产品的规管制度向政府提出意见；
- 就持份者的咨询及参与途径向政府提出意见；以及
- 就拟备处理应用于人类的细胞及组织的良好规范指引的事宜向政府提出意见。

成员名单

主席

刘泽星教授

成员

陈佩教授

陈志峰教授

李卓广医生

李钟金凤女士

吕爱兰教授

彭慧冰博士

潘伟生教授

其他司法管辖区对先进疗法的定义

欧盟

在欧盟，先进疗法包括先进疗法药品（“Advanced therapy medicinal products”）及复合性先进疗法药品（“Combined advanced therapy medicinal products”）。

先进疗法药品（“Advanced Therapy Medicinal Products”）

先进疗法药品（“Advanced therapy medicinal products”）指以下任何供人类应用的药品：

- (a) 基因治疗药品（“Gene therapy medicinal products”）⁹；
- (b) 体细胞治疗药品（“Somatic cell therapy medicinal products”）¹⁰；
- (c) 组织工程产品（“Tissue engineered product”）¹¹。

⁹ 基因治疗产品指拥有以下特质的生物药品：

- (a) 包含重组核酸或由其组成的有效物质，可应用或施用于人类，其目的是调节、修补、置换、加入或删除基因序列；及
- (b) 其治疗、预防或诊断结果直接与其包含重组核酸序列或该序列的基因表达产物相关。

基因治疗产品不包括抗传染病疫苗。

¹⁰ 体细胞治疗产品指拥有以下特质的生物药品：

- (a) 含有细胞或组织或由其组成，该细胞或组织受重大特征改变，并以相关拟作临床用途为目的，而变更细胞或组织的生物特质、生理功能或结构性质；或含有细胞或组织或由其组成，而并非拟作其在接受者和捐赠者内相同的基本功能用途；及
- (b) 被表述为具有后述特性或可用于或施用于人类，其目的是透过其细胞或组织的药理、免疫或新陈代谢作用，以治疗、预防或诊断疾病。

就第(a)项，不被视为重大特征改变的操作包括：切割、研磨、造形、离心转动、浸泡在抗生素或抗微生物溶液、消毒、辐射、细胞分离、浓化或净化、过滤、冻干、冷冻、低温保存和玻璃化。

¹¹ 组织工程产品指符合以下说明的产品：

- (a) 含有经工程化的细胞或组织或由其组成；及

复合性先进疗法药品（“*Combined Advanced Therapy Medicinal Products*”）

复合性先进疗法药品（“*Combined Advanced Therapy Medicinal Products*”）指符合以下条件的先进疗法药品：

- (a) 它必须包含作为构成整体所必需的一种或多种欧盟第 93/42/EEC 号指令所指的医疗仪器或欧盟第 90/385/EEC 号指令所指的主动植入式医疗仪器；及
- (b) 其细胞或组织部分必须包含活性细胞或组织；或
- (c) 其细胞或组织部分包含非活性细胞或组织，而该非活性细胞或组织必须负责作用于人体，及该作用为其仪器的主要作用。

美国

在美国，基因、细胞或组织为主的产品，除自体细胞、一级或二级亲缘关系的异体细胞和生殖细胞外，如受超出极微的特征改变，或拟作非同种用途，或拥有系统性作用，或依靠其新陈代谢活动，都被视为生物制品规管。

产品亦可能并合生物制品及仪器，即复合性产品。

再生医学先进疗法称号（“*Regenerative Medicine Advanced Therapy Designation*”）

-
- (b) 被表述为具有后述特性或可用于或施用于人类，其目的是再生、修补或置换人体组织。

组织工程产品可能含有来自人类、动物或两者的细胞或组织。细胞或组织可能是活性或非活性的。它亦可能含有附加物质，如细胞产物、生物分子、生物材料、化学物质、支架或基质。此定义不包括仅含有非活性人类或动物细胞及 / 或组织，或由其组成，而其不含有任何活性细胞或组织，并且非主要透过药理、免疫或新陈代谢作用的产品。

除此之外，如产品获授予再生医学先进疗法称号（“**Regenerative medicine advanced therapy designation**”），产品可循另一途径获得批准。再生医学先进疗法称号指 –

- (a) 药品为再生医学疗法，即细胞治疗、组织工程治疗产品、人类细胞及组织产品，或并合这些疗法或产品的复合性产品，但仅受《公共卫生服务法》（“**Public Health Service Act**”）第 361 条及《联邦规例》（“**Code of Federal Regulations**”）第 21 章第 1271 部规管的产品除外；
- (b) 药品拟作治疗、改变、逆转或治愈严重或危及性命的疾病或情况；及
- (c) 初步临床证据显示药品具有潜力，能应付属未满足医疗需求的疾病或情况。

新加坡

在新加坡，基因治疗产品及细胞和组织为主的治疗产品是以药品架构规管。细胞和组织为主的治疗产品指物品包含自体或异体人类细胞或组织，用于或施用于，或拟作用于或施用于人类，作诊断、治疗或预防人类疾病或情况用途，但不包括 –

- 任何人体器官拟作移植用途，以置换相应患病器官；
- 任何为全血或血液成分的细胞和组织为主治疗产品，拟作治疗血液失调及
 - (1) 未受重大特征改变；及
 - (2) 只拟作同种用途；或
 - (3) 非拟作美学程序。

日本

在日本，再生医学产品指经处理的活性人类或动物细胞，拟作应用于 –

(a) 以下其中之一种用途 –

- 重建、修补或构成人体结构或功能；或
- 治疗或预防人类疾病；或

(b) 基因治疗。

韩国

在韩国，先进疗法包括细胞治疗产品及基因治疗产品。

细胞治疗产品

细胞治疗产品指透过物理、化学及 / 或生物特征改变制造的药品，如体外培养的自体、异体或异种细胞。

这不包括医生在诊所进行外科手术程序或治疗时，施行不会造成细胞安全性问题的极微特征改变操作，例如在能保持生物特性下，作简单分离、清洗、冷冻、解冻及其他操作。

基因治疗产品

基因治疗产品指基因物料或药品包含基因物料，拟作施用于人类作疾病治疗用途。

拟作移植用途的人类组织受另一法例规管。

在《药剂业及毒药条例》下先进疗法产品的建议定义

先进疗法产品

“先进疗法产品”指以下任何供人类应用的药剂制品：

- (a) 基因治疗产品
- (b) 体细胞治疗产品
- (c) 组织工程产品

基因治疗产品

“基因治疗产品”指拥有以下特质的药剂制品：

- (a) 包含重组核酸或由其组成的有效物质，可应用或施用于人类，其目的是调节、修补、置换、加入或删除基因序列；
及
- (b) 其治疗、预防或诊断结果直接与其包含重组核酸序列或该序列的基因表达产物相关。

“基因治疗产品”不包括抗传染病疫苗。

体细胞治疗产品

“体细胞治疗产品细胞”指拥有以下特质的药剂制品：

- (a) 含有细胞或组织或由其组成，该细胞或组织受重大特征改变，并以相关拟作临床用途为目的，而变更细胞或组织的生物特质、生理功能或结构性质；或含有细胞或组织或由其组成，而并非拟作其在接受者和捐赠者内相同的基本功能用途；及
- (b) 被表述为具有后述特性或可用于或施用于人类，其目的是透过其细胞或组织的药理、免疫或新陈代谢作用，以治疗、预防或诊断疾病。

就第(a)项，不被视为重大特征改变的操作包括：

- 切割
- 研磨
- 造形
- 离心转动
- 浸泡在抗生素或抗微生物溶液
- 消毒
- 辐射
- 细胞分离
- 浓化或净化
- 过滤
- 冻干
- 冷冻
- 低温保存
- 玻璃化

组织工程产品

“组织工程产品”指符合以下说明的药剂制品：

- (a) 含有经工程化的细胞或组织或由其组成；及

- (b) 被表述为具有后述特性或可用于或施用于人类，其目的是再生、修补或置换人体组织；

但不包括仅含有非活性人类或动物细胞及 / 或组织，或由其组成，而其不含有任何活性细胞或组织，并且非主要透过药理、免疫或新陈代谢作用的产品。

复合性先进疗法药品

“复合性先进疗法药品”指符合以下条件的先进疗法产品：

- (a) 它必须包含作为构成整体所必需的一种或多种医疗仪器或主动植入式医疗仪器；及
- (b) (i) 其细胞或组织部分必须包含活性细胞或组织；或
(ii) 其细胞或组织部分包含非活性细胞或组织，而该非活性细胞或组织必须负责作用于人体，及该作用为其仪器的主要作用。