

基因治療 運用於人體試驗上 之法規範與風險*

Is it “gene therapy” ?

劉依俐 I-Li Liu **



摘要

確切而言，何謂基因治療？市面上已有超過700種為基因治療而設的新藥物研發問世。距離美國食品藥物管理局在1993年第一次定義基因治療至今，已在此領域累積有一段歷史。由於科技發展的日新月異，使得法規如何定義與規制「基因治療」的必要性，已大於僅只研究其字面上意義的需求。2018年7月，美國食品藥物管理局公布了關於基因治療的六項指導規範草案，這六項草案就基因治療的定義，與1993年相比，在本質上均是了無新意。法規應對「基因治療」下明確定義，此事之所以重要，主要原因在於當某一藥物被歸類為基因治療藥物後，似乎就暗示著比其他生技治療還更進步、更高檔，其價格亦因此而飆升。但

*McKenzie Funk，世界上第一位利用尖端醫學技術，自我基因改造的女人，<https://www.outsideonline.com/2325556/liz-parrish-live-forever>

**前中央研究院法制人員（Former Legal Counsel, Academia Sinica）

關鍵詞：美國食品與藥物管理局之細胞暨基因治療規範（FDA Cellular & Gene Therapy Guidances）、基因治療（gene therapies）、基因藥物（Gene-based medicine）

DOI：10.3966/241553062020090047012



最終說回來，將某種治療模式稱之為「基因治療」而與其他種類的治療予以區分，最主要的還是在法規範分類劃分上，由立法動機明文後，往後在流水線的個案申請許可上、在特定藥商製造的指導方針上、在藥價的制定上、在公領域的囤藥考量上，都有其類型化的意義。

What, exactly, is “gene therapy”? As of this writing, there are more than 700 active investigational new drug applications for “gene therapies”. And yet, FDA’s definition of “gene therapy” dates back to 1993 — ancient history relative to recent advances in the field. Crystallizing a modern definition of “genetherapy”, concerning what constitutes “gene therapy” is important beyond mere semantics. In July 2018 FDA issued six draft guidance documents on “gene therapy,” but none with a substantially new definition. The term also carries significant baggage regarding drug pricing, with “gene therapies” seeming to command higher premiums relative to other advanced biotherapeutics. Ultimately, the difference between calling a therapy a “gene therapy” and something else is the difference between a slate of regulatory incentives, streamlined approval, specific manufacturing guidances, and, likely, premium prices and public cache. We review the contours of the term here, and propose that “gene therapy” — in the lay, scientific, and legal sense — should be defined as an intentional and expected permanent alteration of a specific DNA sequence of the cellular genome. Defining gene therapy in this fashion would provide clarity to scientists and regulators alike.

壹、前言：基因治療之曙光與法律倫理困境

生物科技之所以在近年來被喻為是一場革命，主要是因為基因知識、基因科技和生殖技術的突破性發展。幾十年前，人類還是只能用接枝、雜交等傳統方式改良動植物品種；如今，科學家可以透過DNA的排列組合，創造出前所未有的新基因、新染色體、新病毒、新生物¹。各種基因改造動物的實驗成功、基因檢測、基因治療、胚胎幹細胞、複製人和基因改良人種的出現，在造福人類生命與健康的同時，亦是人類自己扮演起造物主的角色，不僅積極主動地干預、操控、改造、複製、創造包括人類在內的各種生命形式²，更對生命權、健康權、身體權等各項憲法基本權利帶來巨大衝擊，其核心和本質皆是對人性尊嚴的挑戰。

其中的基因治療（gene therapy），係指利用基因或含該基因之細胞，輸入人體內之治療方法，其目的在治療疾病或恢復健康。由於現行的生物醫療科技主要針對治癒的疾病，以慢性疾病為主；蓋慢性疾病一旦發病大多無法治癒，真要徹底治癒或更有效地控制病情，除了個人後天的調理應盡力而為以外，唯有靠基因層次的介入，如基因篩檢、檢驗及基因治療，方能直搗核心；且只修補所缺陷的基因就能改善症狀，甚至一勞永逸將家族遺傳性疾病根除，更是大家趨之若鶩的目標。該項醫學技術雖然潛力無可限量，可是基因治療在倫理學和法學上的討論仍是非常有限，而趕不上日新月異進步的科學技術，本文就基因治療所牽扯相關之現行法規，以及重要法理爭議作一概略梳理與介紹。

1 陳宜中，胚胎幹細胞研究的倫理爭議，科學發展，354期，2002年6月，5頁。

2 同前註。