

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流

## 生技醫療服務團隊

### Contact us

+886 2 27296666 #21991  
bioservice@pwc.com

### 執業會計師：

#### 生醫產業負責人

林玉寬 Amenda Lin #35105  
周筱姿 Zoe Chou #26683

#### 醫藥醫材

游淑芬 Jasmine Yu #26138  
鄧聖偉 David Teng #26123  
劉美蘭 Mei-Lan Liu #40188  
田中玉 Chung-Yu Tien #60106  
劉倩瑜 Chien-Yu Liu #35323

#### 醫療照顧

蔡晏潭 Yen-Tan Tsai #26997  
馮敏娟 Jackie Feng #26609  
林雅慧 Anny Lin #26816  
鍾元珮 Yuan-Yao Chung #26256

#### 生技新創

廖阿甚 A-Shen Liao #25128  
江采燕 Tsai-Yen Chiang #35381  
顏裕芳 Yu-Fun Yen #25489  
吳偉豪 Kenny Wu #34306

#### 併購與財務顧問

翁麗俐 Lily Wong #26703

#### 稅務服務

黃文利 Jack Hwang #26061

#### 法律服務

楊敬先 Ross Yang #26100

### 副總經理：

項益容 Jessica Hsiang #21990

全球 COVID-19 疫情期間，再生醫療 ( Regenerative Medicine ) 領域仍持續蓬勃發展，2020 年全球再生醫療募資金額高達 199 億美元<sup>註</sup>，較 2019 年成長 50%。再生醫療應用成為近年來生醫產業發展最熱門的領域之一，備受投資者青睞。隨著科學技術累積與突破，將具有活性之細胞、或透過基因改造的免疫細胞當作藥物治療難治的疾病，帶來更好的醫療效益。再生醫療產業發展與需求日漸增長的趨勢下，不論是監管單位對於上市審查、臨床試驗法規、保險給付方式、及細胞製造供應鏈管理等皆充滿著挑戰。我國近來於政策支持及法規開放下，再生醫療領域業者之研發創新能量逐步擴張，後續進展值得持續關注，本文彙整資誠全球聯盟組織 ( PwC Global ) 分析國際再生醫療產品市場現況，以為台灣發展成為亞洲與至全球再生醫療重鎮之參考借鏡。

註：包含 IPO/SPO、創投募資、併購與授權交易<sup>1</sup>；ARM 2021。

## 全球再生醫療市場持續成長

全球人口高齡化，癌症及中樞神經退化疾病等未滿足的醫療需求也持續升高，除了傳統藥物治療，新興的再生醫療成為備受關注的治療方式。根據 Research and Markets 的預估，2020 年-2030 年全球再生醫療市場之年均複合成長率將達到 13.99%，市場規模為 870.3 億美元<sup>2</sup>。其中約有 580 億美元為細胞製劑與細胞治療藥品生產，200 億美元為組織工程，64 億美元為基因治療產品，26 億美元為血漿產品。

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流



依據 Alliance for Regenerative Medicine (ARM) 統計截至 2020 年底<sup>1</sup>，全球投入再生醫療產品開發的廠商家數共計 1,085 家，主要集中於北美、亞洲及歐洲地區。其中北美地區共 543 家，亞太地區共 295 家；歐洲地區共 209 家。其中亞太地區於投入再生醫療最為熱絡，相較 2019 年 180 家，2020 年家數成長 64%。

統計全球再生醫療研發中 Pipeline，以適應症來看（圖一），癌症佔最大宗，達 554 件，其次依序為中樞神經退化疾病 94 件、基因遺傳疾病 87 件、傳染疾病 73 件及心臟血管疾病 66 件等；前述五類疾病類別佔所有臨床試驗案件 71.6%。

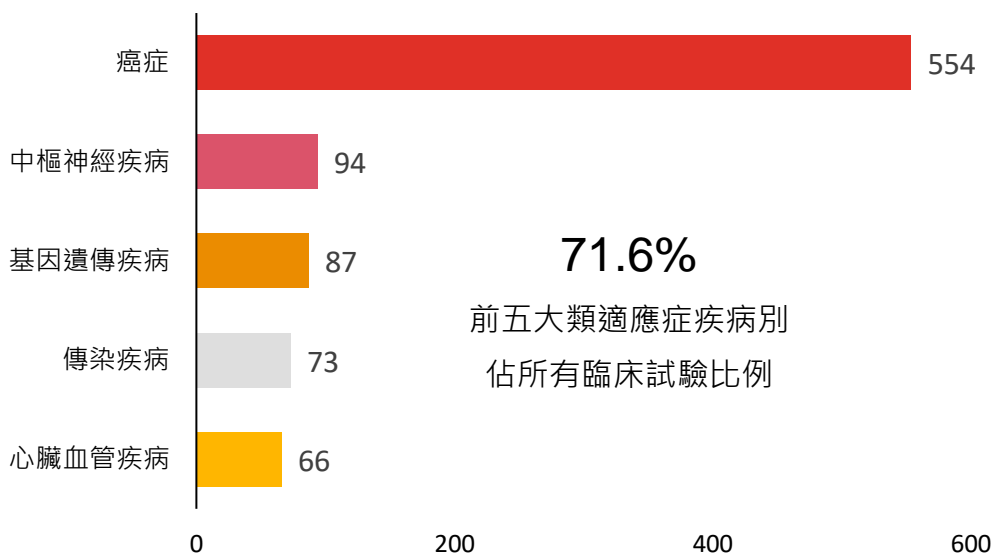
以臨床試驗階段來看（圖二），全球進行中的臨床試驗案件數為 1,220 件，超過一半的試驗案集中在臨床二期階段：第一期臨床試驗 383 件（31.4%），第二期臨床試驗 685 件（56.1%），第三期臨床試驗 152 件（12.5%）。

以技術區分來看，再生醫療包含細胞療法（Cell therapy）、基因療法（Gene therapy）和組織工程（Tissue engineering）等技術，2020 年全球再生醫療研發中 Pipeline 以細胞治療臨床試驗總件數最多，達 787 件，佔整體 64.5%；其次為基因治療，佔整體 34.7%。

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流

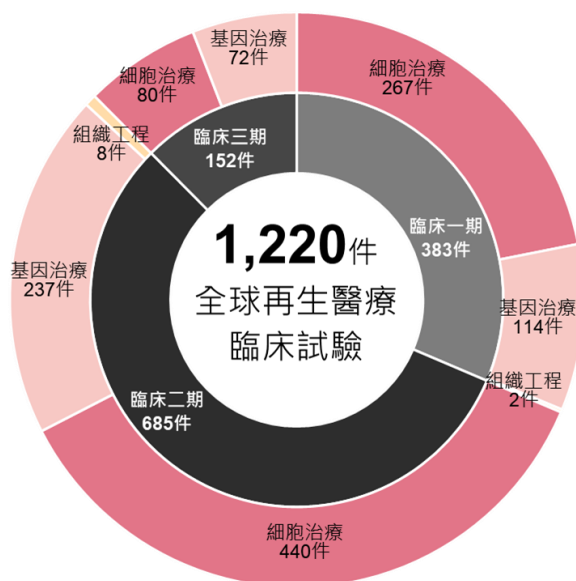


圖一、2020 年全球再生醫療研發中 Pipeline 按適應症區分



資料來源：ARM；資誠彙整，2021

圖二、2020 年全球再生醫療研發中 Pipeline 按階段與技術類型區分



資料來源：ARM；資誠彙整，2021

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流

美國、歐盟和日本是三大最為積極核准再生醫療產品的市場，美國累計有 20 件獲核准產品<sup>3</sup>，歐盟 15 件，日本 9 件<sup>4</sup>，適應症遍及數種癌症和基因遺傳疾病等。儘管目前再生醫療產品之療程定價仍屬高昂，不少藥品甚至超過百萬美元，如 2019 年獲准美國 FDA 上市、由諾華藥廠 (Novartis) 研發生產用於漸凍人症的 Zolgensma 基因療法，一個療程要價高達 212.5 萬美元<sup>5</sup>。然而，國際間不少藥廠仍看好其應用於醫療之優勢，透過併購、共同合作或投資生產設施的方式，切入再生醫療產品的研發。近兩年之案例如 Thermo Fisher 於 2021 年 1 月宣佈，以約 7.25 億歐元現金收購在比利時的病毒載體生產公司 Henogen，擴充了 Thermo Fisher 在細胞治療及基因治療的全球開發能力<sup>6</sup>。法國藥廠 Sanofi 在 2020 年 11 月宣佈達成併購荷蘭細胞治療公司 Kiadis Pharma 之協議，Kiadis 主要投入於 NK 細胞療法的研發，此次交易後將推進 Sanofi 的血液癌症及實體腫瘤治療開發<sup>7</sup>。

## 美歐市場針對再生醫療產品的管理現況

美國 FDA 於 2017 年核准諾華藥廠 CAR-T 細胞治療產品 Kymriah，也是首例 CAR-T 產品獲准上市。近年來，CAR-T (嵌合抗原受體 T 細胞) 在癌症治療上受到極大矚目。係透過基因工程改造，將辨識癌細胞的單株抗體直接嵌合到 T 細胞上面形成 CAR，因而能精準地找到並攻擊癌細胞，為癌症患者提供了新的治療選擇。目前，CAR-T 細胞療法之適應症皆用於難治型的血液性癌症，包括經傳統

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流



治療後復發（難治性）的瀰漫性大 B 細胞淋巴瘤（diffuse large B cell lymphoma, DLBCL）和原發性縱隔大 B 細胞淋巴瘤（primary mediastinal large B-cell lymphoma, PMBCL）的患者；及 B 細胞急性淋巴細胞白血病（acute lymphoblastic leukemia, ALL）患者。諾華公布該項療法每次療程參考價格為\$47.5 萬美金。

緊接諾華之後，吉利德（Gilead）CAR-T 產品 Yescarta 於 2017 年獲美國 FDA 核准，第二項 CAR-T 產品 Tecartus 則於 2020 年獲准。兩項產品都接手自吉利德以\$120 億美金價格併購的研發型細胞治療公司 Kite Pharma。

天價細胞治療藥品需要國家與民間保險的參與，才能讓更多患者受惠，美國國家健保 CMS 已於 2019 年將 Kymriah 及 Yescarta 兩項 CAR-T 細胞治療產品納入 Medicare 健保給付範圍。商業保險機構康健人壽（Cigna）則於 2019 年推出 Embarc 企業保險方案，讓雇主每月為員工支付\$1 塊美金，往後任何一位員工及其撫養家屬可使用天價的細胞治療藥物，且不需任何自負額。

在歐洲，歐洲藥品管理局（European Medicines Agency, EMA）自 2003 年起持續發布 Directive 2003/63/EC、Regulation 1394/2007 規定，將基因治療（gene therapy medicinal product, GTMP）、體細胞治療（somatic cell therapy medicinal product, CTMP）、與組織工程（tissue engineered medicinal product, TEMP）納入新興醫療產品（Advanced-Therapy Medicinal Products, ATMPs）範圍<sup>8</sup>。

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流



得享有一站式快速審查與主管機關輔導等機制，幫助產品早日上市。

EMA 已於 2018 年核准 Kymriah 及 Yescarta 兩項 CAR-T 細胞治療產品，而產品實際使用與給付則須依據各國醫療與健保制度調整。以德國為例，CAR-T 從細胞製備到提供治療，須由藥廠、監管機構和 CAR-T 治療中心之間密切合作的結果。德國已有 16 個合格細胞治療中心可進行細胞治療，多為大型醫學中心。須具備細胞治療所需之設備、醫療施行標準流程、高品質控管流程和專業醫師團隊以符合監管機構的嚴格要求。2019 年秋季，兩項 CAR-T 細胞治療原藥廠依據藥品效益評估程序 (AMNOG)，向德國國家健保機構 (GKV-SV) 協商保險給付價格，將 Kymriah 訂為每次療程 27.5 萬歐元，將 Yescarta 訂為每次療程 28.2 萬歐元。初步報告顯示患者於治療後的臨床結果均為正面。

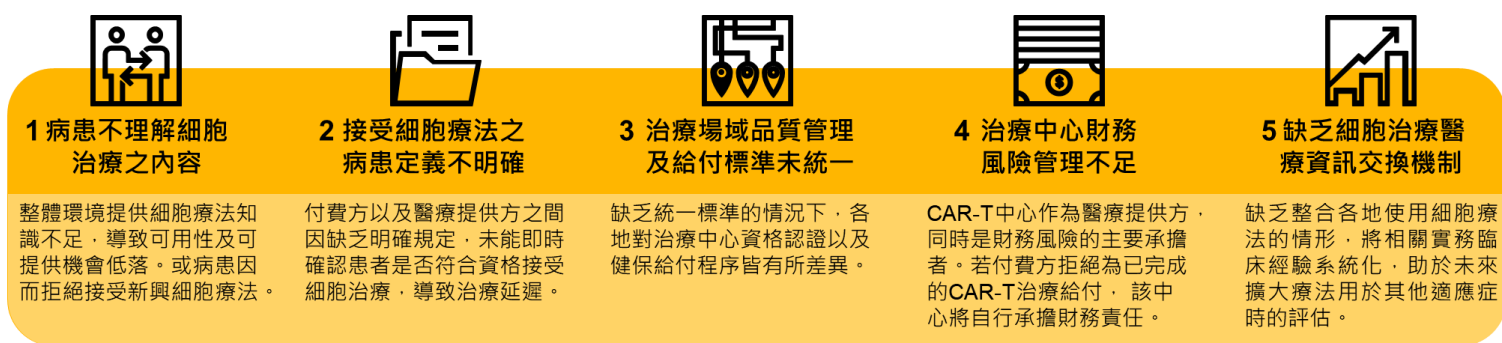
# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流



## 國際 CAR-T 細胞療法所遇挑戰與因應

PwC Global 觀察國際間推行 CAR-T 療法至臨床過程中，仍有許多需解決的挑戰，包括 1.不少患者缺乏對細胞治療具備足夠的理解，導致可用性及其提供機會低落；2.可採用細胞治療的患者規定不夠明確，未能即時確認患者是否符合資格接受治療，恐造成治療延遲；3. 各地對細胞治療場域資格及健保給付標準有所差異；4. CAR-T 治療中心之財務風險管理不足；5. 缺乏整合細胞治療醫療資訊及交換機制，將相關平台將相關治療效果或安全性等數據整合。

圖三、國際推行細胞治療所遇之挑戰



資料來源：PwC Strategy& and Gilead · CAR T-cell therapies in Germany · 2020 年 5 月；資誠彙整，2021

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流



因應國際細胞治療於推行挑戰，德國 PwC 斯略特團隊 ( PwC Strategy& Germany ) 提出五項行動方案，透過系統性改善調整以加速跟上新興療法之進展，解決當下之問題。

圖四、行動方案：細胞治療推行挑戰之因應

行動方案	可進行之策略列舉
1. 提高大眾對新興療法之瞭解與應用	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 針對細胞療法等新興療法進行衛教宣傳活動</li> <li>• 將細胞療法納入持續醫療教育課程之課綱</li> </ul>
2. 改進保險支付流程	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 加速審查機制與給付申請流程</li> <li>• 引入總額給付 ( 如 DRG<sup>註</sup> ) 模式</li> </ul>
3. 統一標準	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 建立統一引入和推廣新興療法之機制流程</li> <li>• 訂定 CAR-T 治療場域之資格準則</li> </ul>
4. 調整付費方式	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 將 CAR-T 治療與標準療法進行成本效益比較</li> <li>• 建立按效益給付 ( Pay for Performance ) 的定價模型</li> <li>• 建立風險分擔系統，將財務風險分散</li> </ul>
5. 提供平台促進實務經驗交流	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 召開全國專家委員會作為資訊交換平台</li> <li>• 為醫療提供者、付費者和製造商建立指南</li> <li>• 對實行治療程序的品質進行整合評估</li> </ul>

註：DRG ( 診斷關聯群，Diagnosis Related Groups )，最先由美國聯邦老人及殘障健保 ( Medicare ) 於 1983 年為了控制快速上漲的住院醫療費用而提出的健保支付制度。該制度根據每一診斷估計其合理成本，事先訂出固定支付標準，並持續受到國際採用。

資料來源：PwC Strategy& and Gilead, CAR T-cell therapies in Germany, May 2020；台灣衛誌，診斷關聯群附加支付的發展與應用，2013 Vol.32 No.3；資誠彙整，2021

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流



德國 PwC 的建議方案中，首先提出社會大眾若對新興療法認知之提高，可能進而加速病人獲得更先進而有效的治療，並因此促進了細胞治療及基因治療的研發生態。簡言之，提高民眾對新興療法的理解，將對整體研發環境帶來正面的效果。而加速審查機制與給付申請流程，例如由多家醫院提審查給付申請，簡化行政流程而可降低各醫院分別申請所耗費之時間；並縮短評估決策時間（目前需要約三個月工作時間），將有助於新興療法之可近性提升。

需建立財務風險分攤機制，CAR-T 由於使用限制性和療程冗長，治療中心收受患者的量能有限，往往仰賴完成治療後一次性高單價給付，使細胞治療中心承擔較大財務風險。可參考如美國 CMS 規定，自患者入住治療中心開始即保證給付一定價款，鼓勵各地細胞治療中心開設，提高細胞治療可及性。另一方面，除提供細胞治療，業者可布局細胞儲存、代工、檢測分析等多元服務，擴大收入來源。各地治療中心施行細胞治療或基因治療後的有效性及安全性之結果也需要彙整，透過召開專家委員會或建立相關醫療指南等，將治療過程及經驗系統化地整合，幫助後續品質管理與評估。

為滿足患者的最大需求，且使細胞療法或基因療法治療手段能進一步發揮其潛力，需要各地醫療機構及利害相關者應一同參與討論，以期消弭現有再生醫療產品推行的挑戰。

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流



## 台灣特管法促進產業蓬勃 細胞療法商機漸起

根據財團法人生物技術開發中心掌握我國再生醫療市場概況情形<sup>9</sup>，台灣 2019 年再生醫療產業產值約為新台幣 27.1 億元，較 2018 年成長 13.2%。台灣再生醫療產值涵蓋了細胞治療與組織工程生醫材料兩大次領域之產值，其中細胞治療相關產業產值為新台幣 13.8 億元，較 2018 年成長 2.1%；由於現階段細胞治療產品仍處於臨床試驗階段，故該次領域以細胞儲存業務為主要來源。而組織工程醫材產值方面，近年來廠商產品維持品質及產能穩定，助於提升海內外之銷售量，2019 年組織工程生醫材料產業產值為新台幣 13.3 億元，較 2018 年增加 27.6%。

台灣自衛福部於 2018 年 9 月公告《特定醫療技術檢查檢驗醫療儀器施行或使用管理辦法》(後簡稱特管辦法)<sup>10</sup>，將 6 種自體細胞治療項目納入管理，開放獲衛福部核可的細胞製備場所之業者可與醫院合作執行細胞治療計畫後，開創了台灣再生醫療產業的新里程碑。

《特管辦法》施行後，台灣再生醫學產業蓬勃擴張，至今已有超過 60 家再生醫學公司、上市櫃(含興櫃)的掛牌家數達 12 家<sup>11</sup>，試圖搶先佔領再生醫療領域的商機。

截至 2021 年 6 月為止，衛福部核定之細胞治療技術施行計畫共有 89 項，主要以免疫細胞治療最多，達到近 70 項<sup>12</sup>。其中計畫通過最多的為長聖生技，擁有免疫細胞治療與幹細胞治療兩大核心技術，積極開發多元性細胞產品。除了自體細胞產品，長聖生技更研發異

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流



體臍帶間質幹細胞 UMSC01 治療急性缺血性腦中風，目前於美國 FDA 審查進行第一期臨床試驗中<sup>13</sup>。

科技業跨足生醫的三顧集團，截至 2021 年 6 月為止，拿到 11 件《特管辦法》細胞製備的核准，為擁有核准施行細胞治療技術計畫次多的業者，主要進行自體軟骨細胞治療於膝關節軟骨缺損、及自體纖維母細胞治療皮膚缺陷治療。此外，三顧與日立集團和其他股東合資成立樂迦再生科技公司，將在竹北園區建置亞洲最大 CDMO 細胞製備工廠<sup>14</sup>，因應龐大難治疾病之醫療需求。

專注於肝臟疾病及癌症用藥開發的基亞生技，目前受特管辦法核准的案件共 8 項，皆為自體免疫自然殺手細胞治療 (NK)，用於實體癌 (結腸直腸癌、肺癌、乳癌、肝癌、攝護腺癌、胰臟癌等) 第四期治療。基亞於 2021 年 6 月向衛福部提出自體自然殺手細胞第一期人體臨床試驗申請，其為該公司自主研發的 Magicell-NK 自然殺手細胞，將應用於結腸癌患者術後的輔助療法<sup>15</sup>。

致力研發免疫細胞治療技術的路迦生醫，於 2015 年與日商 Lymphotec 簽訂技術授權合約，取得「記憶型 T 細胞 (LuLym-T)」培養技術，主要用於肝癌術後預防復發<sup>16</sup>，已於 2018 年取得美國 FDA 肝癌孤兒藥資格認定 (Orphan Drug Designation, ODD)，並於今年 2 月獲美國 FDA 同意執行二期臨床試驗許可，目前正向台灣 TFDA 申請臨床試驗中。路迦生醫並於今年 4 月獲得衛福部認可為符合《特管辦法》規定之細胞製備場所，將以自體免疫細胞療法

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流



( 細胞因子誘導殺手細胞, CIK ) 對實體癌第四期施行細胞治療計畫<sup>17</sup>。

組織工程醫材方面，2021 年於台灣上櫃的博晟生醫利用骨誘導生長因 OIF，搭配骨填充物，發展新一代骨移植產品，成為台灣第一個自行開發的複合性藥物。

從近年來全球再生醫療領域的業者不斷增加，顯示了再生醫療之巨大市場潛力，吸引眾多藥廠競相研發投入。受市場需求帶動和再生醫療的研發生產環境建構下，加上法規逐步的開放，加速了開發之進程。台灣《特管辦法》已開放業者申請細胞治療項目，同時《再生醫療製劑管理條例》草案亦持續推動中。期待借鏡歐美國市場再生醫學產品的推行經驗，先行了解及熟悉相關市場趨勢與風險，有助於未來我國業者在開發生醫學產品時對可能面臨的各種問題，即時因應及充分準備，以跟上全球醫療新主流。

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流



## 參考資料

1. Alliance for Regenerative Medicine · 2020: Growth & Resilience in Regenerative Medicine ANNUAL REPORT · 2021 年 3 月 16 日。  
<https://alliancerm.org/sector-report/2020-annual-report/>
2. GlobeNewswire · \$87.03 Billion Regenerative Medicines Market, 2030 · 2021 年 4 月 19 日。  
<https://www.globenewswire.com/news-release/2021/04/19/2212110/28124/en/87-03-Billion-Regenerative-Medicines-Market-2030.html>
3. USFDA · Approved Cellular and Gene Therapy Products · 2021 年 3 月 27 日。  
<https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products>
4. 財團法人生物技術開發中心 · 生技醫藥產業透析 No.145 · 2021 年 3 月。
5. 基因線上 · 美國藥價高居不下 最貴五大藥物有哪些？ · 2019 年 6 月 24 日。  
<https://geneonline.news/2019-drug-price-top-5/>
6. 基因線上 · 得病毒載體 · 得基因治療天下？Thermo Fisher 收購 Henogen SA · 2019 年 2 月。  
<https://geneonline.news/thermo-fisher-buy-henogen-sa/>
7. 環球生技月刊 · 賽諾菲 3.6 億美元收購 NK 細胞治療公司 Kiadis 強化免疫腫瘤療法 · 2021 年 11 月 3 日。  
<https://store.gbimonthly.com/Article/Detail/52241?lang=zh-TW>
8. 細胞及基因治療產品管理法 (草案) 總說明 · 2017 年 7 月。
9. 財團法人生物技術開發中心 · 2020 應用生技產業年鑑 · 2020 年 8 月。
10. 全國法規資料庫 · 特定醫療技術檢查檢驗醫療儀器施行或使用管理辦法 · 2021 年 2 月 9 日。  
<https://law.moj.gov.tw/LawClass/LawHistory.aspx?pcode=L0020075>
11. 經濟日報 · 特管法開啟台灣細胞治療產業新商機 成投資新顯學 · 2021 年 4 月 26 日。  
<https://udn.com/news/story/7241/5414380>
12. 衛福部醫事司 · 衛生福利部核定之細胞治療技術施行計畫 · 2021 年 6 月 11 日。  
<https://dep.mohw.gov.tw/doma/cp-4127-48287-106.html>
13. 公開資訊觀測站 · 長聖：本公司新藥 UMSC01 通過美國食品藥物管理局 (US FDA) 審查 · 同意執行第一期人體臨床試驗 · 2020 年 5 月 1 日。  
<https://www.chinatimes.com/newspapers/20210510000174-260204?chdtv>
14. 環球生技月刊 · 台日聯手打造「樂迦再生科技」正式成立 · 2021 年 3 月 30 日。  
<https://news.gbimonthly.com/tw/article/show.php?num=37829>
15. 公開資訊觀測站 · 基亞：本公司向台灣衛福部食藥署 (TFDA) 申請自體自然殺手細胞 (Magicell-NK) 第一期人體臨床試驗 · 2021 年 6 月 11 日。
16. 工商時報 · 路迦生醫通過特管辦法與花蓮慈濟醫院攜手免疫細胞治療 · 2021 年 4 月 27 日。

# 全球生技製藥趨勢： 再生醫學躍為醫療新主流



<https://ctee.com.tw/industrynews/biomed/451779.html>

17. 公開資訊觀察站·路迦生醫：公告本公司汐止實驗室 GTP 實驗室之細胞製備場所，依據「特定醫療技術檢查檢驗醫療儀器施行或使用管理辦法」申請細胞製備場所認可案，獲衛福部函覆認可，2021 年 4 月 26 日。

本檔僅提供參考使用，非屬資誠聯合會計師事務所暨其關係企業對相關特定議題表示的意見，閱讀者不得據以作為任何決策之依據，亦不得援引作為任何權利或利益之主張。若您有相關服務需求，歡迎與我們聯繫。

## 作者介紹



周筱姿 會計師  
Zoe Chou

### | 現任·經歷 |

- 資誠生醫產業負責人
- 資誠聯合會計師事務所合夥會計師
- 衛福部 107 年度「長照機構法人財報編準草案研究」協同主持人
- 教育部護校改制護專審查蹤訪視委員會委員
- 教育部生醫產業與新農業跨領域人才培訓計畫委員
- 資誠 Global Government and Public Services 產業負責會計師

☎ (02) 27296666 #26683  
✉ zoe.chou@pwc.com

### | 專長 |

- 公開發行及上市櫃之規劃及輔導
- 生技及高科技產業、公益及醫療財團法人之顧問諮詢及查核
- 輔導或查核國內多家生醫企業與 10 餘家大型財團法人
- 專書《公益理想實踐之路：非營利組織之設立與管理實務》共同作者

## 作者介紹



鄧聖偉 會計師  
David Teng

### | 現任·經歷 |

- 資誠聯合會計師事務所製藥、醫材及生技醫療產業執業會計師
- 經濟部育成中心及司法官訓練講師

☎ (02) 27296666 #26123  
✉ david.teng@pwc.com

### | 專長 |

- 生醫企業申請上市櫃、組織架構調整及帳務輔導
- 生醫企業租稅規劃 ( 包含生技新藥公司租稅規劃、技術股、員工獎酬制度、合併收購規劃等 )
- 生醫企業內部控制診斷暨會計制度相關諮詢
- 輔導 / 服務台灣微脂體、智擎、承業生醫、台灣醣聯、台耀、生華、精華、安成國際藥業、中美冠科、大聯大集團等