

科技發展觀測平台「2018年智慧醫療照護」年度報告

引言

為提供科技部及相關部會研究人員即時掌握國內外科技政策發展及最新研發資訊，國家實驗研究院科技政策研究與資訊中心於2015年度開始建置科技發展觀測平台。生技醫藥為「科技發展觀測平台」重要議題之一。本議題之主要資訊來源包括：(1)各國政府官方網站所發布的訊息、法規制度、策略規劃與研究報告；(2)國際知名衛生研究組織與智庫機構之重要新聞訊息及其出版之分析報告；(3)核心期刊發表之最新生技科技研發相關論文；(4)國際主流媒體刊登之生技醫藥與生技醫療科技研發訊息以及其他資料庫等。

2018年本議題收錄文獻總共1,345篇，依國家別、文獻類型別及次領域別之收錄篇數統計如表1至表3所示，國家別與次領域別之統計均包含複分計數，故篇數總計均多於文獻類型別的收錄總計。

表1 2018年生技醫藥議題收錄文獻篇數統計－國家別（含複分國家）

臺灣	日本	韓國	美國	英國	瑞士	新加坡	加拿大	印度	總計
174	24	8	346	30	5	7	7	7	1201
亞太地區	中國大陸	歐盟	非洲	瑞典	荷蘭	全球	其他	芬蘭	
9	22	55	6	6	8	439	42	6	

表2 2018年生技醫藥議題收錄文獻篇數統計－文獻類型別

法規/規範	政策文件	研究/分析報告	研討會論文	專書	期刊論文	新聞/訊息	簡報資料	總計
31	44	382	2	6	43	832	3	1,345

表3 2018年生技醫藥議題收錄文獻篇數統計－次領域別（含複分領域）

總論(含政策文件)	腦科學與老年醫學	精準醫療	先進/精密診斷	再生醫學	醫療管理	癌症用藥	生物藥品與新興醫療產品	高階醫療器材
422	262	16	57	247	32	887	72	134
生醫工程	醫藥研發	醫藥法規科學	全球醫藥市場觀測	澳洲	亞太地區	歐盟	全球	其他
19	205	55	22	39	330	546	1,619	493

以下為科技發展觀測平台「2018年生技醫藥議題」年度報告，文中簡介各國年度政策重點、關鍵議題、社會衝擊等，藉此歸納描繪2018年生技醫藥趨勢發展概貌，以協助讀者快速理解國際動態。

一、前言

根據聯合國全球人口預測顯示，至 2050 年，全球 60 歲以上人口將占總人口數之 20%，而全球 66% 新生兒的壽命將可達 100 歲。人口結構改變的情形在國內也同步發生。根據內政部統計，2018 年台灣 65 歲以上人口達總人口數的 14.5%，以跨入高齡社會，而國家發展委員會推估，至 2026 年台灣將邁入超高齡社會，65 歲以上人口將高達 20%。人口結構老齡化所造成的衝擊在現階段已逐步地顯現。策略顧問公司 Deloitte 指出，2013-2017 年全球醫療保健支出以每年 2.9% 的速度增長，而 2018-2022 年間該支出之每年成長值將大幅提升至 5.4%。由此可知，未來醫療保健與照護系統以及社會福利支出將面臨可預見的嚴峻挑戰。

然而，生命科學與生物科技的進步亦趨動醫療領域的突破。包括再生醫療、癌症免疫治療、基因治療等創新療法於 2018 年逐步發展成形。其中，嵌合抗原受體 T 細胞(CAR-T)免疫療法已具備辨識腫瘤的能力，在結合其他免疫機活因子的情況下，對於復發型及難治型的血液腫瘤的治癒率高已達 60%-80%。而基因治療係指將自體或異體幹細胞或體細胞取出，透過基因重新編程後，再置入患者體內，以治癒由基因缺陷所引起之遺傳性疾病。對於全球總計約 5000 種遺傳性疾病的患者而言，基因治療將可能是預防疾病發生以及遠離病痛的最佳解決方案。由於各利害關係人對該療法秉持著相當高的期望，基因治療為全美細胞治療領域中獲得最高募資的項目。

另一方面，隨著數位科技的普及，全球也積極推動醫療、醫材之數位應用與整合。傳統醫療及照護設備增加感測器、分析軟體等元素，並整合至物聯網，建構所謂數位醫療、數位健康的新興領域。資通訊產品，如數位手環、智慧手錶等穿戴式裝置，亦提供民眾一更具備個人化特性之醫療健康照護服務。科技巨擘蘋果在數位醫療上的佈局，更是涵蓋了電子病歷 (EMR)、電子健康紀錄 (EHR)、個人心電圖 (ECG) 偵測、醫療院所之醫療資訊系統 (HIS) 等。然而，數位醫療服務也衍生出資料蒐集與使用、資訊安全、照護以及醫療設備監管與法規等相關挑戰。

本年度報告首先將簡介各國於 2018 年重要生技醫藥相關政策與措施，接著說明年度五項重大議題，包括：精準醫療、生物技術監管、生物醫學轉譯科學、細胞治療、醫療網路安全等。另外，由於基因編輯技術之發展於 2018 年已逐步成熟，其相關應用亦在生技醫藥產業與市場上亦受到顯著地關注，然而，就道德倫理方面的爭議還尚待全球社會形成共識。本文將於結論中探討國際間針對該議題之發展趨勢，以供參考。

二、國際政策動向

(一)美國

美國 2018 年健康醫療方面的政策重點涵蓋：(1)降低藥物成癮威脅美國家庭與社會健康之危機；(2)利用創新和競爭來提高醫療保健水準；(3)擴大醫療保健覆蓋面；(4)賦予消費者能夠明智的決定自身健康狀況以及飲食項目之工具，以期降低疾病的發病率和死亡率；(5)加強醫療健康科學研發能力等五大面向。此外，有鑒於醫療科技正加速創新與研發，美國食品藥物管理局(FDA)之醫材與放射醫療中心(CDRH) 為了達到「讓病人能及時使用高品質、安全和有效的醫療器材」之政策目標，於 2018 年 1 月發表 2018-2020 年的策略方案，其內容可分為醫療器材管理、醫療器材安全性，以及醫療資訊管理等，其重點說明如下：

由於醫療器材在治療和診斷疾病上扮演非常重要的角色，從常見的醫療耗材，如：繃帶、住院長袍等，到可幫助維持生命的複雜器材，如：心臟瓣膜、人工胰臟等，皆屬於醫療器材的範疇。FDA 依據風險程度將醫材分為三大類以達成有效的監管任務，其中第一類醫療器材為不須經 FDA 審查即可在美國上市，但醫材廠仍舊必須遵循訂定清楚標籤、優良製造等規範。第二類醫療器材品項則必須先經由 FDA 審查 510(k) 規範，亦即需等同現有市售醫材產品，這類醫材通常需執行臨床前測試，且有時亦須執行臨床試驗。而第三類醫材則需經由 FDA 審查該產品的臨床前和臨床數據，以決定其安全性和有效性。

在醫療器材安全性監管方面，FDA 為確保在醫材產品週期內能達到保護患者與促進公共健康的目標，提出五大安全行動計畫，包括：(1)在美國建立堅固的醫療器材患者安全網絡；(2)探索監管選項使上市後減緩風險的及時實現能更加精簡和現代化；(3)鼓勵創新，但須以朝向更安全的醫療器材為目標；(4)促進醫材網絡安全；(5)整合 CDRH 於上市前和上市後之監管辦法以促進在產品週期內的醫材安全性。

在醫療資訊管理方面，根據 FDA 資訊技術策略計畫中指出，美國資訊管理和科技辦公室將負責 FDA 資訊技術之有效性與可用性，且確保以跨部門的資訊交流，協助 FDA 以高效率、高效能、及時的方式來推動和保護全民健康。資訊管理和科技辦公室認為當前面對的挑戰包括：多個分裂的環境、重複的系統、缺乏完整定義的資訊連接步驟，以及如何運用企業架構的工作流程等，該辦公室亦提出相關因應對策，包括：重視利益相關者的參與、定義和監督內部流程、實踐主責性的財務管理，和機構效率的最大化等。

(二)歐盟

2018 歐盟提出透過資通訊技術改善健康、福祉和高齡化之相關措施，其中

包括：(1)與心理健康相關之 mRESIST 計畫；該計畫目標是針對具抗藥性的精神分裂症患者，開發一個治療方案，使患者能夠自我管理疾病，減輕照顧者的工作量。(2) 與疼痛相關的 RELIEF 計畫；透過創新資通訊技術以自我管理途徑改善並減緩慢性疼痛。該方案在將由開發、探索、原型製作、測試，至最終之商業推廣。(3)與心血管疾病有關之 CARRE 計畫；該計畫開發個人化的警報、衛教資訊提供等服務，幫助患者管理自身的慢性心臟和腎臟疾病，並賦予患者有權與醫療專業人士就該疾病作出共同的決定。

此外，在與糖尿病相關之 POWER2DM 計畫中，針對第一型和第二型糖尿病患者，開發和驗證個人化的自我管理系統。其細部項目包括：根據歐洲糖尿病預測人性化模型的決策支持系統與預測性電腦模型相互關聯、根據行為變化的理論的自動電子輔導功能、即時個人數據處理和解釋等。期望透過使用該系統，增加病人參與護理過程，提升治療效果，促進自我病情控制和疾病管理，進而預防重覆發作和長期併發症。以上相關計畫將於 2019 年陸續展現階段性效益，達成以資通訊技術協助患者和醫療保健專業人員管理與治療疾病，並同時提供民眾預防性地健康照護服務。

另一方面，歐盟亦宣示實踐創新健康和護理系統的執行方案，其中特別強調與相互合作性相關的項目，亦即系統和組織共同合作的能力。相關重點內容包含：(1)專業知識共享、大數據運用；(2)透過資訊和通訊技術強化醫院間之聯繫；(3)重視數位化健康照護模式和患者授權；(4)提倡電子衛生保健相互合作性和跨境醫療；(5)其他與臨床研究有關的項目。歐盟當局預期以該計畫支持達到積極健康高齡化(Active Aging)的資訊和通訊技術應用方案。

(三) 中國

在「健康中國 2030」規劃綱要中，中國政府宣示將藉由積極發展生物藥品、化學新藥、優質中藥、新型輔料、醫療器材與製藥設備等，推動重大藥物產業化，發展康復輔具產業。同時，為提升產業發展水準，中央主管機關將發展專業醫藥園區，提高產業集中度，增強中高端產品的供給能力。另外，有關當局亦規劃積極發展醫療健康服務貿易，推動醫藥企業與國際產業合作，以提升國際競爭力，並於 2030 年實現躋身世界製藥大國行列。

在公共衛生方面，中國將建立全國健康影響評價與評估制度，建立成熟的醫療衛生制度，以維護公共醫療衛生的公益性，控制不合理增長的醫藥費，解決群眾看病就醫問題。而在醫療衛生管理方面，清楚劃分中央、地方、地方各級政府醫藥衛生管理事權，實施屬地化與全行業管理，加強衛生計劃生育、體育、食品藥品等健康領域監管創新。另外，在健康數位資訊應用方面，中國政府亦強調將加強資源整合與資料彙整，統籌佈局國家生物醫學大數據、生物樣本資源、實驗動物資源等資源平臺，建設心腦血管、腫瘤、老年醫學等臨床醫學資料示範中心。

此外，在「健康中國雲服務」計畫中，中國政府將全面建立遠端醫療應用系統，發展智慧健康醫療便民服務，同時，建立人口健康資訊化標準系統和安全保護機制。預計至 2030 年，主要地區之人口健康資訊平臺將互通共用，且全國大眾將皆擁有符合標準規範的電子健康檔案與功能完備的健康卡，並以提供未來發展個人化醫療服務與精準醫療之基礎設施為目標。該計畫也特別強調加速健康醫療大資料相關法規與標準系統建設進程，制定資料應用政策規範，推行可信任網路系統建設，著重內容、資料與技術之安全性，藉由加強健康醫療資料安全保障與患者隱私保護，強化互聯網健康服務的可用性。

(四)日本

在 2018 年日本政府發布設立「人工智慧(AI)醫院」之國家型計畫，該計畫預估於未來 5 年內，政府將投入 100 多億日圓，由文部科學省、經濟產業省及厚生勞動省為推動核心，將人工智慧技術應用於臨床醫療，並預定於 2022 年底前成立 10 所 AI 示範醫院。期望能藉此解決日本國內不斷膨脹的醫療費用及醫生短缺等結構性問題，並提高醫療產業之國際競爭力。

該項計畫中相關的重點技術項目之一為 AI 技術自動登錄病例，為了使醫師能專心診察並有充足的說明時間，問診時即啟動 AI 自動病例記錄功能，不僅能讓病歷記錄格式標準化，亦可使患者更加理解病情，並同時提高醫療服務滿意度。另外，也將研發分析核磁共振影像裝置(MRI)及內視鏡影像的 AI 技術，運用 AI 影像辨識與資料分析技術，提高對於病症的判別能力。此外，AI 血液檢查與解析技術將透過 DNA 等分析，為病患提供最適合的治療方案。而 AI 醫院的成立，不僅預期將 AI 技術應用導入臨床醫學，同時，也期望將藉由分析軟體與醫療硬體設備器材之技術整合，促進日本醫療設備製造商的產業升級。

另外，在日本「Society 5.0」國家發展策略中亦強調以資訊科技提升國民照護與醫療品質之項目。例如患者症狀，影像、病理學與生化檢查等變化之時序數據，在經過有效地蒐集、整理、分析，即可大幅提高病情診斷之精準度。而建置大型醫療數據資料庫，將有助於轉譯醫學的實踐，同時促進創新醫學之發展。另外，該策略亦推動運用醫療物聯網的軟硬體設施，強化醫療數據蒐集。

(五)新加坡

由於包含患者個人資料與門診藥物數據的新加坡健康照護服務(SingHealth)資料庫近年來持續受到網路攻擊的威脅，新加坡政府於 2018 年發佈強化醫療資訊安全的推動方案。官方綜合健康資訊系統(IHiS)採取的措施包括：實行間歇性暫時離線、於工作站與伺服器設置監測軟體、不定期重新設定使用者帳戶與系統帳戶等。同時，整個公共醫療部門的 IT 系統也採取了類似的防禦措施。新加坡政府亦對於私營醫院與診所加強醫療資安的重要性，並提供如監控控制，網路安

全查核、定期維護資安系統等指引，以期鞏固全國醫療資訊系統支安全性。

新加坡網絡安全局（CSA）所提供之防禦能力與數位風險管理的手冊中，明確的提出 13 項綜合網路安全措施，其中包括：(1)瞭解您的數位資產，包括種類、數量、使用方式等；(2)只允許授權軟體於系統下運作；(3)及時修補資安漏洞與更新最新防禦資訊；(4)存取控制與管理；(5)即時偵測漏洞；(6)給予嚴密的管理者授權等六項基本措施。

(六) 澳大利亞

澳洲政府已經於 2016 年成立了澳洲數位衛生局(The Australian Digital Health Agency)，其職責是通過創新、協作與領導來發展澳洲之數位健康，以健全國家健康衛生系統。該機構宣示將數位健康視為拯救生命與改善生活的有效工具之一，數位健康醫療資訊將可降低住院機率、減少不良藥物使用、減少重複用藥與檢驗測試，同時，能提供慢性與複雜疾病患者優化的護理程序，以及協助患者進行治療決策。

澳洲數位衛生局於 2018 年提出國家數位健康策略 (Australia's National Digital Health Strategy)，該策略提出了到 2022 年要實現的七項優先成果；分別為：(1)健康數據將廣泛地使用，(2)可以安全交換的健康數據的交換與傳輸將是安全地、受嚴密保護的，(3)醫療健康數據將被精確且具學理的演繹，並具可信度，(4)民眾將有更方便取得處方和藥物相關訊息的管道，(5)數位化護理模式將普及，並具安全性與效率，(6)優質的具備使用數位技術之健康和護理勞動力，(7)蓬勃發展的數位健康產業，提供世界級的創新。

此外，為提高消費者與醫療保健提供商對數位健康的信任，同時，鞏固隱私、安全與風險管理，澳洲數位衛生局亦成立了網路安全中心。透過有效地監控與網路安全監管，提高澳洲數位醫療系統的服務品質。

三、重大議題

(一) 精準醫療

精準健康(Precision Health)建立在精準醫學(precision medicine)的基礎之上，精準醫學專注於患者病史、基因組測序、微生物取樣等個人醫學數據的完整收集，而精確健康則增加了個人習慣、生活方式、社會經濟環境、生物識別監控等現實世界數據的整合，以建構一基於現實世界證據的健康概念(real-world-evidence-based health)，並提倡主動式診斷(proactively diagnosing)以降低疾病發生風險。精準健康的目標是以改變病患行為作為疾病預防與治療的手段。疾病的早期診斷能提高使用療養(Wellness)或微創治療(Minimally Invasive Treatment) 等緩和療法的機會，藉此降低醫療成本並提高病患的生活品質。目前技術挑戰包括定義與偵測

相關健康指標(Health Indicator)資訊、標準化醫療資料的格式、分析醫療數據、建構以證據為基礎的健康模型、制定相關公共政策等。由於全球人口結構持續老年化、慢性疾病發生率提升、持續延長壽命等因素，科技趨勢分析智庫 Gartner 即認為未來精準健康將成為大眾市場中優質健康照護的新標準。以下簡介相關技術產品案例：

- (1) Propeller Health 開發一促進慢性呼吸道疾病管理的進階數位療法，其與吸入性藥物裝置感測器，並與行動應用程式連結，為氣喘與慢性阻塞性肺病 (Chronic Obstructive Pulmonary Disease, COPD) 提供個人化用藥管理。Propeller 已擁有 9 項 FDA 核准與 CE 標章，其產品使用結果顯示提高 58% 之病患醫囑依從性(Patient Adherence)、降低 79% 相關住院率、減少 57% 急診就診率。
- (2) Virta Health 開發一經臨床證實的第二型糖尿病逆轉治療方式，協助使用者有效地減輕體重、降低血糖、減少藥物用量。Virta 提倡以脂肪取代碳水化合物為主要人體能量來源之生酮飲食(Nutritional Ketosis)療法，並以行動助理應用程式提供客製化食譜，協助使用者改變飲食習慣。同時，行動應用程式亦收集使用者的血糖，血酮，體重和血壓等生物標記數據，以監控其代謝狀況並隨時調整護理與治療程序。
- (3) Genoox 依據美國遺傳醫學與基因體學會(ACMG, American College of Medical Genetics and Genomics)所頒佈的指南，開發一人工智慧演算法能有效地將基因定序結果進行詮釋(Biological Interpretation)以利於臨床診斷使用。該技術能夠針對引起相關疾病的致病變異(pathogenic variants)進行快速識別、優先排序、分類，並同時具備高靈敏度與可信度。
- (4) Prognos 擁有最大的臨床診斷數據資料庫，其中包括 1.85 億患者之總數 160 億筆診斷記錄。遵循美國健康保險可攜性及責任法案 (The Health Insurance Portability & Accountability Act, HIPAA) 之標準，Prognos 針對大規模多方來源之臨床診斷數據進行整合、格式標準化，並提供臨床釋意，同時亦與醫療保險理賠資料庫交叉比對。此外，其 AI 平台擁有多種臨床演算法，能夠有效地運用於疾病發生、治療需求，臨床試驗機會和相關風險的早期預測。

(二) 生物技術監管

有鑒於未來生物技術產品的範圍、規模、複雜性和發展進程將迅速增加，對於現有的監管體系將會是一大挑戰，美國總統執行辦公室於 2016 年頒佈國家生物技術產品監管體系的現代化策略(National Strategy for Modernizing the Regulatory System for Biotechnology Products)，期望以創新且健全的監管系統框

架確保聯邦機構能夠有效地評估生技產品的所有相關風險。美國國家科學院(National Academy of Sciences)隨即成立未來生物技術產品暨強化生技監管系統委員會(Committee on Future Biotechnology Products and Opportunities to Enhance Capabilities of the Biotechnology Regulatory System)針對相關議題研擬解決方案，並於2017年發表「為未來生物技術產品做準備」(Preparing for Future Products of Biotechnology)。



參與者 階段	產品開發者	監管機關	社會與公眾
上市前	產品開發 <ul style="list-style-type: none"> 消費者需求 測試設計 法規觀察 	諮詢服務 <ul style="list-style-type: none"> 產業指引 公開宣傳 大眾觀感觀察 強化知識 	社經狀態與技術開發 <ul style="list-style-type: none"> 公眾需求 技術研發 獨立監督
上市申請	產品送審 <ul style="list-style-type: none"> 數據收集 應用測試 產品重新設計 	風險分析 <ul style="list-style-type: none"> 風險評估、管理 法規決策 數據蒐集與分享 	外部意見 <ul style="list-style-type: none"> 公眾參與 公眾監督 獨立審查
上市後	產品部署 <ul style="list-style-type: none"> 上市後反應觀察 數據收集 定義新產品 	上市後調查 <ul style="list-style-type: none"> 數據分析 資訊整合 數據釋義 	產品使用 <ul style="list-style-type: none"> 產品接受度 大眾疑慮 公眾效益

資料來源：The National Academies Press，科技發展觀測平台整理

引用請標註來源：STPI，科技發展觀測平台，<https://outlook.stpi.narl.org.tw/index>

圖一：生物技術產品監管系統示意圖

委員會建議創新監管系統框架應包含三個特性：首先，除了建立精準的產品分類與風險分析架構外，於上市前後各項測量指標的廣泛背景評估亦為重點項目。再者，以公眾參與驅動決策過程，透過以社會大眾可以理解的安全評估程序保護人類健康和環境。此外，以明確且兼具靈活性的監管系統框架引導產品開發人員選擇使用適當的工具與技術進行技術與產品創新。各利害關係人於生物技術監管系統各階段之參與事項顯示於圖一。委員會為提升監管體系功能之建議包括：

- (1) 設置諮詢服務窗口(Clear Points of Entry)：由於參與生物技術產品開發的人員預期將更加多元化，為包括企業、直接面向消費者的廠商、相關非政府組織、廣大公眾等相關利益者設立專門諮詢服務窗口將有助於跨機構協調，同時也利於提供明確、簡潔、統一的回應。
- (2) 強化風險評估之可擴張性(Scalable Risk Assessment)：因應未來生物技術產品

的豐富性，監管系統應使用可依比例擴張的風險評估方法，針對產品創新的速度、產品的數量與複雜性、參與者的多樣性提供標準化的解決方案。風險分析準則應被完善地定義和理解，並且適合多元的產品類別。

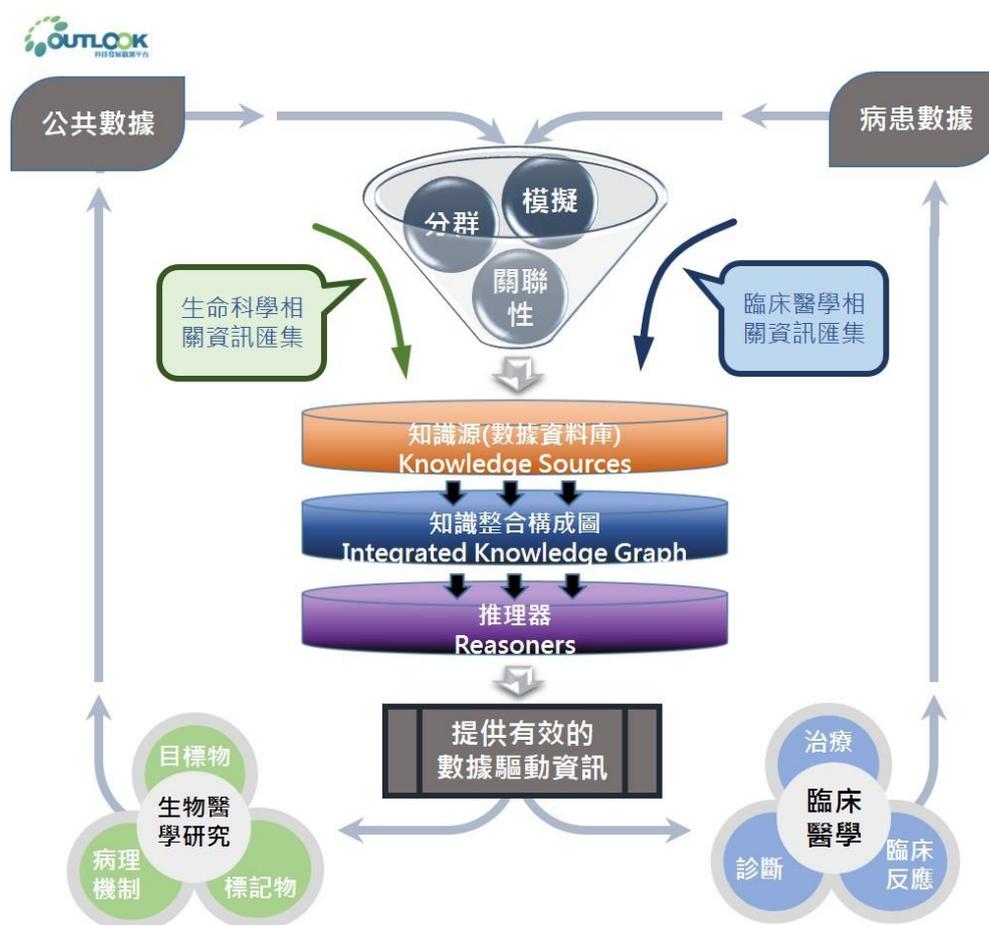
- (3) 加強參與性管理(Participatory Governance)：在決策過程早期加入專家、開發人員以及感興趣或受影響的相關利益者的意見，藉由整合利益相關者以及具有不同專業知識的社會和自然科學家的意見，建立結合科學與實際政策經驗的監管流程，並以社會價值觀定義風險評估終點。
- (4) 提供生態風險評估(Ecological Risk Assessment)：建構未來生物技術產品對人口、社區和生態系統影響的測量方法，並對於產品上市後可能產生的風險進行情境預測。個體之生存與繁殖率、公眾知情指標、生物多樣性風險指標，以及包括流域或地緣區域政治等地理環境因素等等皆應納入評估考量。

(三) 生物醫學轉譯科學

大數據的應用已在眾多領域中帶來莫大效益，然而，在生物醫學領域，即使數據的質與量皆呈現巨幅增長，實際應用於醫學及臨床照護的速度卻比預期的緩慢。為加速生物醫學數據於精準醫學(Precision Medicine)發展之貢獻，由美國國家衛生研究院(National Institutes of Health, NIH)成立之國家轉譯科學推動中心(National Center for Advancing Translational Sciences, NCATS)於2016年10月啟動「生物醫學數據轉譯」(Biomedical Data Translator)計畫。該計畫旨在建構一轉譯系統(Translator)的原型(Prototype)，以系統性的方法將各種生物醫學資料庫進行整合，並透過理解與關聯性串聯，將數據轉譯(Translate)為有意義的資訊，進而促進轉譯醫學創新研究與提升臨床照護品質。

數據轉譯系統之組成包括：(1)知識源(Knowledge Source，即各種生物醫學數據庫)，其中包括各種醫學、生命科學、臨床資訊，例如：臨床症狀、診斷程序與反應、基因、疾病形成要素、病患用藥反應、環境微生物等；(2)知識整合構成圖(Integrated Knowledge Graph)，亦即將知識源中之各種數據進行動態分群(Regrouping)，並組織為節點(Nodes)以利於往後各種關聯性之連結；(3)推理器(Reasoners)，其根據學理，針對系統接收的請求或是需要解答的問題，執行解析任務，亦即辨識知識整合構成圖中符合該需求或能夠解答該問題的正確知識路徑，並將相關的知識節點進行合理地連結。整體系統架構請參閱圖二。目前該計畫已整合超過40個具有語意標記的知識源，類型涵蓋臨床、環境、實驗研究數據等。使用者對系統提出查詢(Inquiry)後，轉譯系統會辨識出與查詢內容相關的知識源，並運用運算技術將資料的關聯性串接起來以提供新知識或可用且有效的資訊。相關計畫團隊之生命科學家與臨床醫學專家正持續為該系統的可信賴度進行評估。

生物醫學數據轉譯系統對於未來醫學與生命科學而言是一基礎網路建設 (Cyber-infrastructure)，然而，維運整個轉譯系統將是一重大的挑戰，其主要原因包括：



資料來源：Clinical and Translational Science · 科技發展觀測平台整理

引用請標註來源：STPI · 科技發展觀測平台，<https://outlook.stpi.narl.org.tw/index>

圖二：生物醫學數據轉譯系統組成架構示意圖

- (1) 由於臨床徵兆與生物分子特性的種類不斷地變化與增長，欲建立一能夠直接將臨床特徵完整地連結至生物分子特性的通用資料庫系統，其可行性並不高。
- (2) 生物醫學數據量的持續增加，將使系統本身面臨統計處理能力 (Statistical power)，亦即運算能力 (Computing Power) 的挑戰。
- (3) 由於各式診療資料與觀察資料，不論是軟體語言或自然語言，皆因測量技術或個人語言使用習慣而有細微的差異。缺乏通用的語言來傳達臨床與生物數據代表著數據處於孤立或邊緣化的風險，並可能導致關鍵資訊在所需時無法被辨識。

(四) 細胞治療

全球已有數百萬患者接受細胞療法(Cell Therapy)，越來越多的臨床證據顯示其具有優異的治療效果(Efficacy)。隨著全球人口結構老齡化，細胞療法的需求將持續增加，不僅將重新排列製藥產業版圖，更可能徹底改變治療流程標準。Frost & Sullivan 市場預測報告指出：細胞療法在 2017 年全球營收值為 27 億美元，預計 2025 年將達到 82.1 億美元，由 2017 年至 2025 年之複合年增長率(CAGR)將達到 14.9%。全球細胞療法市場之未來發展趨勢將聚焦於與基因療法組合之聯合療法、多樣化治療、結合 CRISPR/Cas9 基因編輯應用、透過併購進行技術合作、產品智慧自動化製程等。醫藥市場正處於快速變化中，細胞療法將是進入精準醫療的主要驅動力之一。市場參與者正積極採取如分散風險、引進授權(In-licensing)、對外授權(Out-licensing)，以及加速上市等創新商業以掌握獲利先機。

Outlook HUMANITY	聯合療法
聯合療法	<ul style="list-style-type: none"> 細胞療法和基因療法的組合在免疫腫瘤學治療已被證實是成功的，聯合療法可提高藥物反應率和持續反應時間，進而延長患者之生存期。 目前利用結合基因編輯和載體傳遞系統(Vector Delivery Systems)技術之創新療法主要應用於血液學、非小細胞肺癌(NSCLC)、黑色素瘤、實體瘤、結腸直腸癌、胃腸癌和胃癌等領域。
多樣化治療	<ul style="list-style-type: none"> 新興療法如帶藥抗體(Antibody-Drug Conjugate, ADC)和雙特异性抗體(Bispecific Antibodies)將在精準醫療之癌症治療領域展現顯著地貢獻。 誘導式多能性幹細胞(iPSCs)、間質幹細胞(MSCs)和脂肪幹細胞(ADSC)將成為神經內科、肌肉骨骼疾病和皮膚病等之新型治療方法。
CRISPR / Cas9基因組編輯	<ul style="list-style-type: none"> 由於效率高和使用成本低，以CRISPR/Cas9 基因編輯技術開發新型細胞療法已逐漸成為主流，結合 iPSCs 的使用將大幅增加了CRISPR 的精準度。 製藥商與具有CRISPR cas 9專業知識的委託開發製造機構(CDMO)或委託研究機構(CRO) 進行合作，將大幅降低發展精準醫療的成本。
企業以併購獲得技術合作	<ul style="list-style-type: none"> 大型藥商的投資將是推動幹細胞研究的關鍵因素。製藥公司透過併購支持中小型研發公司對特定疾病療法的開發，並於最終取得技術，推進商業化應用。 輝瑞(Pfizer)與Sangamo Therapeutics Inc合作，為肌萎縮性脊髓側索硬化症(ALS) 開發鋅指蛋白(Zinc Finger Protein-based)的基因治療法，類似的合作模式將成為趨勢。
自動化製程	<ul style="list-style-type: none"> 由於相關的細胞變異性問題，製造時程的嚴格控制是開發細胞療法產品的成功關鍵。 生物製藥公司應投資有效地 IT 解決方案，包括製程設計、模擬、製程即時監控，以自動化降低污染風險、確保產品功效、控管製造時程、降低成本，進而提高產能。

資料來源：Frost & Sullivan，科技發展觀測平台整理
引用請標註來源：STPI，科技發展觀測平台，<https://outlook.stpi.narl.org.tw/index>

圖三：全球細胞治療市場發展趨勢

2017 年全球細胞療法市場佔有率以北美洲為主，佔 48%，其次為歐洲與亞洲，分別為 28% 與 20%。Frost & Sullivan 預測，由於法規鬆綁與需求增加，未來亞太地區的發展潛力將持續增長。整體市場發展趨勢請參閱圖三。以下是全球主要國家細胞療法市場發展潛力分析：

(1) 美國

全球多個主要的幹細胞研究組織位於美國，鞏固其在幹細胞研究的領先地位。FDA 於 2018 年釋出包括申請基因療法研究型新藥之化學、製造與控制 (CMC) 指引草案、人類基因療法產品核准後之追蹤指引草案、人類基因療法產品之逆轉錄病毒載體(Retroviral)檢測指引草案，以及對視網膜疾病與血友病之基因療法指引草案等確保細胞療法的安全性和療效的指導文件，積極健全相關法規以協助產業發展。然而其最新法規將新型細胞療法歸類為生物製劑，審合標準較為嚴格，將可能延遲整體產品上市時程。

(2) 英國

英國在基因修飾和幹細胞多功能性機制方面有眾多發現，具有長期研發經驗的優勢。對胚胎幹細胞、成人幹細胞和誘導多能幹細胞等的開發研究採取寬鬆政策，對於外來之市場開發參與者皆持開放態度。然而缺乏明確監管法規，在收集有效的臨床數據方面將面臨挑戰。

(3) 德國

德國聯邦教育和研究部全力支持生物技術研究，境內有超過 27,000 名生物技術專家和研究人員，其中 10% 是再生醫療專家。然而由於監管程序和健保系統規定嚴格，產品首先必須得到歐盟藥物管理局(EMA)批准，再申請進入德國市場之許可，產品申請上市核准時程將耗時 2 至 3 年。

(4) 日本

日本的藥物醫療器材法案與再生藥物安全法案允許採用在其他地區進行的第三期臨床試驗數據，此舉將藥物核准程序從 3 年加快到 1 年，並給予外來投資者利多優勢。然而學名藥(Generic Drug)製藥廠商對傳統藥物市場尚有強烈的企圖心，因此可能縮限再生醫學的市場。

(5) 中國

中國擁有豐沛的醫藥研發人力資源，94% 的生物技術專家於美國、歐洲和印度獲得專業的再生醫療教育訓練。胚胎幹細胞和骨髓移植有強大的市場需求，且龐大的患者數目有利於加速臨床試驗，縮短產品上市時程。然而監管環境寬鬆、政策法規修訂頻繁等因素對未來帶來不確定性。

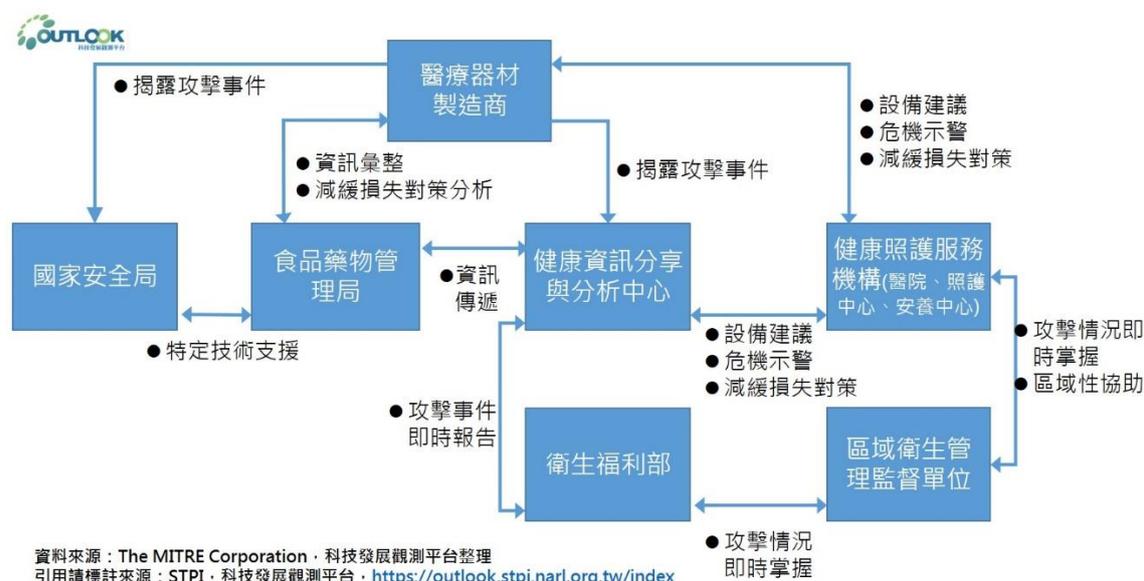
(6) 韓國

由於皮膚再生和脂肪細胞療法等美容療法的盛行，韓國大眾對於幹細胞治療的認識與接受度皆相當高。其國內目前有數個基因治療相關產品正處於最終臨床試驗階段，預計近期將進入市場。然而整體監管系統尚不完備，未經核准的幹細胞產品在市場上流通將對產業發展產生衝擊。

(五) 醫療網路安全

隨著醫療物聯網、數位健康醫療的普及，醫療照護與公共衛生之關鍵基礎

設施的網路安全威脅日趨遽增。2017 勒索軟體 WannaCry 對英國國家衛生局 (NHS)發動攻擊，英國多間醫院受到影響，有醫院因此而取消病患手術或緊急將病患轉院。網路攻擊可能延誤臨床護理程序，進而導致對於病患生命的危害。醫療設備網路攻擊的防禦及應對措施通常需要數個不同單位的協力合作，其中包括醫療服務機構、醫療器材製造商、食品藥物監管機關、健康資訊管理分析與流通中心、地區性衛生單位、國家衛生行政主管機關、國家安全主管機關。由於網路攻擊具有不可預測性，且在初期階段資訊經常是不充分或不正確的，事件發生時將可能導致相關單位危機處理程序混亂、延誤應對等。為此，美國食品藥物管理局 FAD 與安全顧問機構 MITRE 於今年十月聯合出版了「醫療器材網路安全：區域攻擊事件與應對手冊」(Medical Device Cybersecurity: Regional Incident Preparedness and Response Playbook)，藉以協助醫療服務機構建構一套安全防護執行準則。



圖四：醫療設備網路安全危急處理聯繫網絡

在增進硬體設備的建置與管理方面，文中建議資安防禦系統應列為醫療器材購置的主要項目，其新增與定期維護的經費應納入各機關財政支出規劃的重點。此外，醫療器材資產清單應包括網路連結系統、功能連結系統等完整資訊，以確保在緊急時受損設備可即時被移除並迅速更換備用裝置。

在各單位協調合作與溝通方面，文中建議成立醫院危機管理小組(Hospital Incident Management Team)，將醫療技術人員與資安人員列為主要成員，並建立緊急處理程序計畫，明確訂定包括判定資安攻擊事件發生的準則、啟動應變措施的時程等。而為了在危急時刻進行對內與對外的有效溝通，應建置危機應對溝通計畫(Incident Response Communications Plan)，規劃危機處理程序並進行權責分

配，其中包括確認緊急對內與對外的聯絡網絡、需要公開或告知的事項、檢驗攻擊事件是否擴散的準則、依危害狀況訂定應對措施優先順序，以及對外尋求協助的管道等。整體醫療設備網路安全危急處理聯繫網絡配置請參閱圖四。

此外，醫療器材製造商亦應將其產品遭受攻擊之資訊告知其顧客群與使用者，以此示警。而對器材使用者危機意識的培養，以及藉由定期模擬危機事件的發生以評量應對能力皆能增進防禦準備。

四、由基因編輯技術引起之社會挑戰

自從生命密碼 DNA 被發現以來，眾多與基因工程有關的生物技術被大量開發，也因此實驗室中操縱基因表現之技術變得越來越純熟與普遍。基因調控(Gene Regulatory)的實驗物種也從大腸桿菌、線蟲、阿拉伯芥等單細胞或簡單多細胞生物，轉變為實驗鼠、迷你豬等複雜的個體。早期的基因編輯的技術仍有眾多瑕疵，無法確保受編輯動物的成功率及存活率，然而始於 2012 年之 CRISPR-Cas9 系統已徹底改變了基因轉殖(Gene Transfer)動物的方法。CRISPR-Cas9 技術可以 DNA 修補或插入外來 DNA 的方式進行基因編輯與修復。至 2018 年，該技術應用發展方向聚焦於預防醫學，藉由基因編輯或修復，降低因基因缺損而引起之遺傳疾病發病率。然而，基因編輯是否可運用於人類受精卵或胚胎，藉此影響或修復遺傳性的性徵呢？當前，改變人類基因組成，就技術面而言，即將成為可行的，但面對經由人工編輯後的人類基因，在進入整個生態系後會產生怎樣的衝擊？這已成為當前全球所面對的重大挑戰。

英國生物科技倫理研究組織 Nuffield Council on Bioethics 於 2018 年發表了 Genome Editing and Human Reproduction: Social and Ethical Issues 報告，首度於國際間公開評論相關議題。文中，針對人類基因之編輯，從人權的分歧到道德倫理上的衝擊和複雜關係，分別由個人、社會、到全體人類等三個面向進行論述。首先，報告中認為基因編輯於生殖醫學上的應用，除了維護父母得到親生子代的權益之外，應同時確保藉由基因編輯所產生之子代的福祉。而基因編輯用於產生子代的目的應受限於以確保未來可能誕生之人的福祉為原則。其次，由於一般民眾與受基因編輯之個人接觸過程中，在知悉因此技術而引起之改變後，將可能影響其原本的價值觀與倫理道德觀。因此，該技術應該在不會引起社會衝突，或不會產生人類群體互相排斥等條件下，才得以使用於人類胚胎及其衍生細胞。最後，該篇報告指出基因編輯對於人類基因演化的影響，以及受基因編輯之個人人權亦必須被重視。人類社會是否會歧視接受過基因編輯的個人，或以不平等的方式對待該個體，甚至引發社會分裂等，相關可能性皆必須受到完整的檢視。然而該篇報告雖然廣泛地考量諸多面向，但卻認為目前沒有

基於倫理道德理由，而禁止具遺傳性基因編輯技術發展的必要性。

五、結語

科技進步之速度往往超越法規與標準的更新進程。於人類發展歷程中，新科技的發明確實可促進文明的進步，但若缺乏妥善的法規，則可能導致大規模的災難或造成社會嚴重對立。在分子生物學突飛猛進的現代，基因編輯這種以前出現在科幻小說的技術，終於進化到可以實際實現的階段，但若是貿然實行將可能會導致無法控制的連鎖崩壞。

如上節所述，基因編輯技術發展對於利害關係人以及社會的影響層面相當廣，因此，首先應由學術界、醫療界、社會科學界之專業人士參與評估基因編輯的安全標準及臨床可行性，並且同步對於人類福祉的長遠影響進行探討。同時，透過公開辯論與民主參與的方式釐清相關議題之爭議點，促使社會大眾與監管機構對於關鍵疑慮的界定達到共識。接著，檢視並適度修改倫理道德及人權等規範與法律條文，以作為往後相關技術發展與應用之依據基礎。唯有在具備社會認同、合宜法規，以及完善監督機制等條件下，才得以確保所有利害關係人皆能因基因編輯科技發展而受益。