

精準健康大未來系列

精準治療之 發展現況與趨勢—電子書節錄版

目錄



Chapter 1	
精準健康大未來	10
一、背景緣起	11
二、邁向精準治療 3.0	16



Chapter 2	
全球精準治療產業現況	18
一、全球精準治療政策 / 法規概況	19
二、全球精準治療市場分析	34



Chapter 3	
臺灣精準治療產業現況	48
一、臺灣精準治療政策 / 法規概況	49
二、臺灣精準治療市場分析	54
結語	67



推薦序

所謂「精準健康」，國發會於《建構台灣為全球精準健康及科技防疫標竿國家》專題報導中提及相關定義，大致為基於個人基因型態與環境的差異，而準確地預測、預防、診斷與治療疾病，精準治療即包含於其中。

隨著科技的持續進步，疾病的治療方式從過去傳統的藥物一體適用且副作用高的模式，已經轉變為根據個人生物因子不同，而投放不同的藥物與治療方式，提高治療效率，並減少病人治療期程的痛苦。

依本書的推估，2025 年全球精準治療產業市場為 3,813.6 億美元，2020 到 2025 年全球精準治療年複合成長率 (CAGR) 可達 10.9%，各國政府競相發展。本書帶領我們了解主要國家的政策發展進程及法規概況，並進行全球精準治療產業現況分析，同時透過蒐集國內產官學研醫的深度訪談與問券，分析臺灣精準治療產業之現況與趨勢，分析臺灣發展精準治療關鍵要素，最後提出臺灣未來發展契機與政策建言，內容豐富且分析精闢，本人十分感佩。

科技與醫療是臺灣最有實力的兩大產業，臺灣可善用既有優越醫療保健系統、人才與醫療技術，結合

臺灣 ICT 領先技術，據以於精準醫療及數位健康的全球市場上有絕佳優勢。

為打造完整的產業生態系，建構臺灣的國際競爭力，政府透過 5+2 產業創新與六大核心戰略產業推動生醫與精準健康產業，奠定我國朝向精準健康產業發展之基礎。目前政府也正在規劃佈局核酸藥物、細胞治療等創新生物藥開發與先進製造能量，期望將臺灣打造創新生物藥品之製造基地；並也支持受委託開發製造之公司 (CDMO) 發展，使台灣具備承接大型國際生技醫藥訂單之量產規模。

也因此，去年我也以政務委員身分，協調生技醫藥產業發展條例的修法，透過租稅優惠之措施，導引國內發展精準醫療、再生醫療、數位醫療等新興之生技醫藥產品，並納入 CDMO，朝向研發與製造並重，期能將生技醫藥產業打造成為帶動經濟轉型的主力產業。

我國擁有許多生技產業發展的競爭優勢，但本書也點出我國在法規與資金方面仍有待強化之處。資金方面，近期政府與民間對於生技產業多加強投資挹注，如國發基金與台杉投資等。在政府與民間的

共同努力下，2021 年整體生醫產業營業額推估為 7,061 億元 (含數位醫療 456 億元)，成長 10%，而在上市櫃及興櫃約 200 多家生醫公司，其市值約 1.35 兆元，顯示生技產業發展前景備受投資人看好。

法規上，除了「生技條例」，未來政府也將持續推動或檢視相關的生醫法規，如「再生醫療三法」、「智慧醫療創新實驗條例」相關法規的制定等，以創造生醫產業良好的法規環境與生態體系，未來相信在政府政策與國內企業夥伴密切串聯、共同合作下，臺灣一定有機會在國際市場扮演關鍵角色。

國家發展委員會 主任委員

董明鑫

推薦序

鑑於新興生物科技及大數據應用近年來蓬勃發展，醫療照護亦逐步轉型朝向以個人為中心之整合照護模式，「精準醫療」之新型醫學概念與健康服務模式應運而生，自健康促進、疾病預防、早期診斷、精準治療等面向，提供民眾更佳之醫療照護，也引導了藥物研發之發展方向。精準醫療有別於傳統用藥方式，係依據病人基因型，進行藥物篩選、藥物伴同式檢測或藥物不良反應測試等，為治療結果帶來更佳效益。臺灣之醫療照護體系與醫療技術向來深獲國際肯定，面對精準醫療之全球趨勢，政府也積極制定相關政策，於 2016 年提出「5+2 產業創新計畫」，將精準醫療列為「生醫產業創新推動方案」重點之一，期望結合生物醫學與資訊科技，建構全民全齡之健康產業生態。

衛生福利部配合行政院整體生醫產業政策，於 2019 年推動「國家級生物資料庫整合平台計畫」，結合全國 31 家生物資料庫，累積逾 46 萬名參與者之資料及檢體，活化人體生物資料庫與資料流通，並透過「健康大數據永續平台計畫」，建立健康大數據分享互惠機制，提升我國精準醫療之臨床研究及產品研發量能。對於精準醫療新型服務型態

之需求，為維護民眾接受基因檢測之醫療品質與權益，則於 2018 年 12 月訂定「精準醫療分子檢測實驗室檢測與服務指引」，進行檢測實驗室品質管理，復於 2021 年 2 月 9 日修正發布「特定醫療技術檢查檢驗醫療儀器施行或使用管理辦法」（以下稱特管辦法），將涉及基因檢測之實驗室開發檢測 (LDTs) 項目納入管理，對於執行檢測之實驗室品質及其人員資格進行把關認證，完善精準醫療中關鍵的基因檢測服務品質管理法規環境；此外，於再生醫療方面，繼 2018 年 9 月發布「特管辦法」開放自體細胞治療技術運用於臨床治療特定病患，激發國內生技業者紛紛投入再生醫療之研發與製程優化，於今 (2022) 年進一步推動「再生醫療發展法（草案）」、「再生醫療製劑管理條例（草案）」與「再生醫療施行管理條例（草案）」三項再生醫療專法草案，以建構完整之管理法規架構，促使更多創新之細胞治療與基因治療得以加速上市，嘉惠民眾。

資誠聯合會計師事務所 (PwC Taiwan) 與財團法人生物技術開發中心 (DCB) 為協助臺灣生醫產業在全球精準醫療市場中尋找有利的發展機會，成立

精準治療產業調查小組，完成此調查報告，其內容涵蓋美、日、中各國推動精準檢測與診斷、精準治療之發展策略、法規環境及市場現況，並透過訪談國內專家，解析臺灣目前精準治療產業投入、策略佈局及經營關鍵要素等，可做為研發者、產業界及政府部門之重要參考資料。面對科技發展日新月異，衛生福利部致力優化生技醫藥政策與法規環境，加速開放新興療法，盼成為生醫產業的堅強後盾，更盼讓患者即早取得需要的醫療照護並創造民眾最理想的臨床治療效益。讓我們一同期待一系列新政策推動下，帶動全方位精準醫療發展，創造臺灣醫療歷史的嶄新機會！

衛生福利部 常務次長

推薦序

隨著全球人口老化所導致之多項新興醫療需求，例如：慢性疾病以及傳染性疾病之治療、營養保健的需求急遽升高，精準滿足這些醫療需求的創新藥物及新世代療法，可望在未來的世代裡面創造無限商機。有鑑於此，近年來各國之醫療研究單位、產業、及藥廠的主要重點推動方向，莫不聚焦在各種跨領域的創新技術結合所產生之新藥及療法，精準給予病人及健康人最適合的處置及服務。

因為每個人都是完全不同的個體，擁有不同的基因組合及環境因素，對於每個人的醫療及健康需求就必需有客製化之解決方案，為滿足這些客製化之解決方案，必須導入次世代基因定序、人體生物數據庫、以及人工智能等數位科技，配合使用真實世界數據 (RWD)，針對每一個人提供精準有效之健康生活以及精準醫療之服務。

近年來，多項新興藥物、療法及技術逐步發展成熟，提供醫師更多樣性的創新藥物及療法，例如抗體藥物複合體 (ADC)、細胞療法 (CAR-T/NK、幹細胞、iPSC 等)、基因療法、核酸藥物 (RNAi、

ASO、mRNA 等藥物) 及疫苗等，皆在近 5 年內快速審核成功上市，在這些新興藥物的使用要領之中都會搭配著精準醫療的這項原則。

精準醫療是我國在生技醫療產業的一個主要重點方向，近年來政府在生醫產業創新行動方案、5+2 產業創新計畫、以及最新一期的六大核心戰略產業方案，皆把精準醫療列為最重要的重點產業方向。透過建立友善法規、改進產業環境、以及合理之數據資料庫運用及管理辦法，使得廠商在發展精準醫療產業的道路上能夠有所依循，大展手腳。

面對新一代精準醫療所帶來的商機及挑戰，國內廠商必須要了解全球產業趨勢，才能夠即時開發最有效之產品，為協助廠商了解全球產業脈動，為達到此一目的，資誠聯合會計師事務所偕同財團法人生物技術開發中心，共同合作進行國內外精準醫療產業之現況及趨勢分析，盤點我國及全球精準醫療產業鏈之相關廠商、產品／服務，分析標竿廠商發展及佈局之策略，以了解精準醫療產業發展情形，歸納出影響因子以期在全球精準醫療產業和國際先進廠商並駕齊驅甚至超越。

經由針對產官學研專家進行深度訪談，以及多家廠商之間問卷調查結果分析，本研究計畫歸納出精準醫療產業已朝跨域合作、資料整合、加值應用三大面向發展，此一發現可以提供我國精準醫療產業未來發展方向，略進軍國際市場。

財團法人生物技術開發中心（生技中心）配合國家政策扶持生技醫藥產業發展，推動生醫技術創新研發及拓展國際合作，提升臺灣生技醫藥產業競爭力。生技中心將持續在我國生醫產業價值鏈中扮演「扶育加值」之角色，並以「生技產業最佳夥伴」自許，在跨域整合運用生技研究資源下，提升我國生技醫藥產業之國際競爭力，共創生技醫藥新價值，向全球市場邁進。

財團法人生物技術開發中心 執行長



推薦序

二〇一五年初，時任美國總統歐巴馬於國情咨文 (State of the Union address) 中，首度提出「精準醫學」的概念。過去的醫學都是一體通用，一個新藥對每個人並非同樣有效，副作用亦不同。未來的醫療應更加個人化，如癌症治療，須考量人體基因型及表現，如標靶藥物等針對特定的生物標記攻擊，帶來更加有效，較無副作用的療法。雖然精準醫學已非新概念，但在政策下達後，美國立即動員國家衛生研究院 (NIH) 投入資源研究，以及食藥署 (FDA) 配合相關法規，民間亦乘勢投入之下帶動產業成長已成規模。世界各國並開始重視精準醫療對於產業發展，和民眾健康的價值，帶動全球精準醫療風潮。

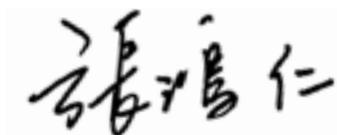
資誠聯合會計師事務所與財團法人生物技術開發中心共同發表的精準治療之發展現況與趨勢報告，內容蒐羅世界各國精準治療產業發展現況與趨勢，並結合國內產官學研多方專家觀點，為臺灣生技業者如何在全球生醫供應鏈轉型趨勢中搶占優勢利基，提供寶貴建議。

臺灣欲發展精準治療藥品，投入資源和市場的規模不同於美國，在法規政策上需更加積極。如 2018 年《特管辦法》、2022 年《再生醫療製劑管理條例 (草案)》、《再生醫療發展法 (草案)》與《再生醫療施行管理條例 (草案)》三項法令草案，讓細胞療法、基因治療等新技術有法規可循，讓業界振奮。期待政府往後制定法規可更具前瞻性，如建立恩慈療法擴大方案 (Expanded Access Program, EAP)，或擴大創新檢測技術，如次世代細胞定序 (NGS) 及實驗室開發檢測 (LDTs) 之適用與健保給付。

臺灣的健保資料庫是無價寶藏，其搭配生物資料庫，進行基因、生物、醫療檢測與診斷，將在新藥研發、新療法設計、新診斷技術，以至於人工智慧等各項醫學領域產生無可限量的應用。2019 年行政院推動的「國家級人體生物資料庫整合平台」即開始整合相關數據，並研擬開放業界利用之規定。

然而未來如何開放數據利用，並兼顧隱私權保護與知情同意；如何兼顧產業、醫療、人權、以及科技未來發展性？若能重現臺灣一九八〇年代新竹科學園區成功經驗，引入創新思維，打造生技產業的「虛擬科學園區」(Virtual Science Park)，將有機會讓臺灣站在世界「創新最前線」，並如半導體科技業一般，創造下一個數十年財富成長引擎，讓我們一同期待！

台灣研發型生技新藥發展協會 副理事長



推薦序

眺望精準治療時代的大趨勢

精準治療是目前最尖端的醫療模式，在精準醫學中，診斷測試治療乃根據患者的遺傳基因、分子和細胞分析、環境和生活方式的個體差異來選擇決定最佳的治療。也就是說精準醫療的診斷治療針對患者量身定製，而不是一體適用的傳統醫藥模式。這個新思維是二十一世紀醫療的大趨勢和範式。

美國前總統歐巴馬早在 2015 年國情咨文中就宣布提供預算倡議“精準醫學”。初期目標是擴展癌症基因組學，大力改進癌症預防和治療方法。更重要的是長期目標聚焦於建立一個全面的科學知識庫、一個全國性的科學家網絡、開展百萬人隊列的全國性研究，以擴大我們對健康和疾病的了解。通過研究、技術和政策改進，使患者、科學家和醫護人員能夠共同努力開發個人化治療，從而開啟一個新的精準醫學時代。

在這個新時代，醫學、生物、化學、化工、控制、電子、材料和工程突飛猛進。接著資訊科技、人工智慧、機器學習、大數據分析等前瞻技術也導入生技醫療產業。我經常描述這個黃金時期為“生物科技的完美風暴”。在這個正項的完美風暴中，世界各國皆積極投入精準治療之佈局和發展。臺灣必然必能也必須槓桿累積多年的生物科技醫療及電子資訊領域產業優勢等基礎，快速把握此一生難逢的機會，塑造產官學研醫的共同重點策略目標。

我們的努力重點應是強化法規、活絡資金、改進投資心態、與大力開發精準醫療科學家和跨領域領導人才。人才是這個產業的最重要的基礎。千古江山可是英雄無覓、一將難求。我們一定要繼續不斷的開發最優秀的世界級人才，發展最好的研發資源法規資金生態系統和改善投資文化，藉著精準治療的發展讓臺灣生物科技和醫療品質更上一層樓、

接軌亞太和全球，迎頭趕上世界潮流。驅動臺灣下一個世代產業爆發性成長和永續發展、並增進國人的健康幸福。

工業技術研究院 院士
前羅氏大藥廠全球技術營運總裁

楊育民

推薦序

臺灣繼台積電半導體的成功經驗後，熱門反思：台灣資源配置嚴重傾斜，不能只有一座護國神山。值此之際，有資金、有製造能力的高科技產業，與技術含量深厚的生醫產業若能結合，勢必為台灣打造另一波產業高潮，於是行政院核定「六大核心戰略產業」，將兩強結合的「精準健康」納入。資誠聯合會計師事務所 (PwC Taiwan) 關注影響生醫產業發展重大議題，自 2018 與 2020 年先後出版「精準醫療發展現況與趨勢」及「數位健康大未來」兩套產業研究報告。當時我身為資誠副所長及生醫產業負責人，並擔任這兩份研究調查的計畫主持人。觀察到臺灣各界持續投生醫產業的努力，並已有企業產出國際矚目的成果，值得喝采。

2020 年因疫情，全球生醫產業環境面臨重大轉變，加速產業數位轉型、創新科技研究突破產生新興療法、法規監管制度持續變革。過去業界關注較少的核酸藥物 (RNA / DNA) 平台，在短時間內加速產業化及規模化，並衍生防疫關鍵的新疫苗；全球醫藥主管機關運用緊急授權或專案製造核准制度，加速創新疫苗及藥物上市；細胞治療技術的

突破，為許多難治疾病帶來治癒的契機；大數據分析發掘創新生物標記，在健康惡化前即發現病灶，以便及早治療；透過真實世界數據 / 證據 (RWD/RWE) 與人工智慧 (AI) 分析，大大加速了新藥開發進程，並提升成功率。這些新的趨勢都帶領生醫產業走向更加個人化、以效益為指標、並更加重視預防與健康的未來願景。基因於此，資誠與財團法人生物技術開發中心，在 2021 年著手共同合作研究「精準治療之發展現況與趨勢」報告，盤點上述新技術於全球生醫產業應用的現況，透過列舉經典案例，呈現精準治療領域最新發展，讓既有業者和即將跨入者掌握趨勢脈動。

在全球浪潮推動下，臺灣亦不落人後，隨著 2018 年《特管辦法》之後，2021 年 2 月公布的實驗室開發檢測 (LDTs)、2021 年底的拍板《生技醫藥產業發展條例》，以及 2022 年再生醫療三法草案的推動，將精準治療相關法規建置益臻完善，吸引更多業者前仆後繼，逐漸構築精準治療產業鏈。從細胞及基因治療、標靶藥物、精準診斷、與周邊服務（包括 AI 分析服務與檢測服務）環環相扣逐漸形

成產業規模。本報告不僅將全球及台灣「精準治療之發展現況與趨勢」做一番彙整剖析外，更值得一閱在於，資誠團隊費心盡力針對業者、專家進行訪談及問卷調查，其調查結果，除可提供業者對躋身「精準治療」產業做一番檢視，對於政策及產業發展，打造精準治療產業發展方方面面亦提出諸多懇切建言，期能吸引各界共同思考如何齊心協力，掌握產業發展成長契機，以在風起雲湧的全球競爭中出類拔萃。是十分用心撰寫，值得推薦閱讀的產業趨勢研究報告。

台灣精準醫療產業協會 副理事長
資誠聯合會計師事務所 榮譽副所長





出版序

今年(2022年)世界經濟論壇(WEF)於5月底舉行。睽違因新冠疫情而停辦兩年後，重返歐洲最高城市瑞士達沃斯(Davos)舉辦實體論壇，揭示著各地逐漸撥開疫情陰霾，帶動經濟活動回歸正軌。

今年世界經濟領袖討論要點，聚焦於全球在生技醫療，以及數位化的合作、平等與包容(global cooperation, to health equity and digital inclusion)。隨著全球疫苗覆蓋率提升、新藥、分子檢測與防疫科技佈建完善，人們面對疫情不再束手無策。跨界合作，終將為任何過去未能解決的重大健康議題帶來突破。隨著人們越來越長壽，癌症、糖尿病、中樞神經與代謝等慢性疾病的治療需求增加。用藥無效是傳統一體適用傳統治療模式的瓶頸，而對基因與疾病關係越趨了解，並透過數據分析，帶來「精準治療」模式將更貼近每位患者個人需求。

資誠(PwC Taiwan)身為全球領導專業服務機構之一員，長期關注影響生醫產業的重大議題。自2018與2020年先後出版《精準醫療發展現況與趨勢》及《數位醫療大未來》兩套專業書刊，

預期全球生技醫藥產業結構的轉變，將從傳統醫藥品轉而以精準檢測與預防、精準診斷、精準治療、精準照護及數位健康為成長重心。有鑑於國內外生醫產業的轉變，資誠與財團法人生物技術開發中心(DCB)共同合作，於2021年下半至2022年初，共同進行為期7個月的研究，分析國內外文獻，並對臺灣生醫產業專家領袖進行深度調查，彙整這份報告。

疫情使生醫產業發展備受關注，台灣生醫業者過去已為傳染病、慢性病等健康危機帶來解決的關鍵技術與產品。依據經濟部與生技中心統計數據，截至2021年底，台灣已有8項國內研發生產的新藥在海內外上市，超過110件小分子標靶藥、生物藥、細胞與基因治療產品於海內外展開臨床試驗。未來若能加以資通訊科技業累積的堅強實力，利用AI、5G、大數據等科技為生醫產品帶來加值，潛能可觀。故本報告借引國內外案例，展現生醫產業數位變革的新樣貌，協助臺灣生醫產業及業者，得以檢視自我、尋找利基定位及獲利商模，另一方面亦讓業者心聲與期望得以被政府聽見，以為施政之參酌。

本報告聚焦全球與臺灣「精準治療」領域，從過去已有的標靶小分子與生物新藥，到近期萌芽發展的伴同式診斷，與AI、數位科技在檢測分析和藥物開發方面的應用服務。我們將精準檢測、精準預防、與精準照護等主題呈現於另一份報告，期待以這兩份報告帶動各界投入，激發創新產業發展之思考。生醫產業未來依然面臨許多挑戰，包括疫情不確定性與全球政經環境的動盪。日新月異的科技、公私協力合作、建構敏捷與韌性的策略，終將幫助生醫產業突破難關，並建立以使用者為中心，永續共榮的精準健康生態系。

資誠聯合會計師事務所 所長暨聯盟事業執行長

Chapter 1

精準健康大未來



一、背景緣起

新冠肺炎疫情帶來衝擊，對全球企業、組織及個人造成的影響至今難以衡量。疫情加劇國際政治角力與經濟秩序重組，黑天鵝漫空飛舞成為新常態。依據 PwC Global 於 2022 年發布之《第 25 屆全球企業領袖調查報告》，對全球逾 4 千名企業領袖的調查結果，有高達 48% 企業領袖擔憂「健康威脅」，相較 2021 年調查顯示，52% 的企業領袖對疫情與健康議題表示擔憂，儘管外部環境風險與威脅隨侍在側，變動速度超乎預期，全球對健康議題的關注程度近兩年居高不下。

肩負全球擔憂之健康議題的解決關鍵，生技醫療產業正處在變革的趨勢浪尖，依據 PwC Global Strategy& 於 2019 年發布之《2030 未來醫療 (Driving The Future of Health)》，預期未來醫療支出結構重心，將從疾病治療延伸至疾病前的預防保健和治療後的照顧。傳統醫院和醫藥品成長逐漸緩和，而精準檢測與預防、精準診斷、精準治療、精準照護及數位健康將獲得大幅成長。

從實際醫療花費來看，PwC Global 根據經濟合作暨發展組織 (Organisation for Economic Cooperation and Development, OECD) 資料分析，2019 年各國醫療支出占各國生產毛額 (Gross Domestic Product, GDP) 占比逐年增加，全世界醫療支出約為 11 兆美元，於全球 GDP 占比為 10.7%。分析這些醫療支出結構，可發現過去的醫療支出以傳統醫院及醫藥品為主，占比超過 9 成，而精準檢測與預防、精準診斷、精準治療、精準照護及數位健康等相關支出占比僅約 7%。隨著全球醫療需求人口不斷增加，醫療支出逐年高漲，全球面臨的醫療現況勢必需要改革。

PwC Global 依據 The Lancet 醫學期刊之數據進行 2030 年未來醫療支出預測，2030 年醫療支出將達 15 兆美元以上（於 2030 年全球 GDP 占比 12.1%）。基因定序、人工智慧 (AI)、物聯網 (IoT) 與 5G 雲端運算等科技高速發展，政府與企業大量投入之下，精準檢測與預防、精準診斷、

精準治療、精準照護及數位健康漸臻成熟，預估至 2030 年全球相關支出達 3.5 兆美元，於全球醫療支出整體占比 23%。隨著科技快速發展，預期生醫產業將進一步延伸，以涵蓋疾病前的預防保健和治療後的照顧。

尚未停歇的新冠疫情已加速醫療體系轉型，PwC Global 持續關注歷史性的全球變革，於 2022 年發布《未來已來 生醫產業新樣貌 (The future of healthcare has arrived)》，指出創新科技、政策法規、公私協力模式 (PPP) 正在加速後疫情時代全球生醫供應鏈重組與新生。科技業投入數位科技帶來創新生醫產品、醫療院所改以線上遠距看診取代傳統門診、生技製藥公司推出 mRNA 與基因、細胞治療等創新藥品、醫藥主管機關以前所未見的速度緊急核准疫苗與新藥投入市場，民間創新能量與政府資源整合潮流熱絡，匯集成員間知識與經驗以改善全球重大健康議題。

面對全球生醫轉型的洪流，臺灣更加無法置身事外。依據行政院國家發展委員會人口推估統計，臺灣將於 2025 年邁入超高齡社會。而高齡人口醫療平均支出為青壯年的 4 倍，面對醫療花費的成長，更需從上游著手，投入預防保健、早期診斷及健康維護，從疾病治療走向涵蓋疾病預防與健康維護的精準健康產業。臺灣憑藉 2016 年「生醫產業創新行動方案」建構藥品、醫材及健康福祉等產業優勢基礎，行政院更進一步於 2021 年 5 月核定「六 大核心戰略產業推動方案」，其中於「建構臺灣為全球精準健康及科技防疫標竿國家」之核心策略導入數位科技、大數據資料庫之應用，驅動跨域創新，透過健康大數據加值創新服務模式。

國發會於《建構臺灣為全球精準健康及科技防疫標竿國家》專題報導中，將「精準健康」定義為基於個人基因型或是基因表現、環境、生活型態以及疾病之分子基礎差異，而準確地預測、預防、診斷與治療疾病，其產業範疇包括提供個人化預防、醫療、照顧方案而促進健康的相關產業，茲彙整如後（圖 1-1-1）。

在精準健康的浪潮之下，臺灣可善用既有優質醫療保健系統、人才與醫療技術，結合臺灣 ICT 領先科技，在這波全球精準健康趨勢中掌握優勢利基。

圖 1-1-1 精準健康涵蓋五大次領域範疇



精準檢測：

可早覺疾病風險之檢測，如藉由方便、平價的居家篩檢或運用複合生物標記之專業篩檢，透過疾病篩檢、疾病帶因者之風險分析、複合健檢數據評估等，以監測健康狀態。

精準預防：

運用健康監測數據客製化促進個人健康，預防疾病之生活管理，如藉由融入身體、生活、環境中之精準生理監測技術而客製健康管理服務，以提供運用個人數據之精準睡眠、運動、健康管理、睡眠與壓力管理、飲食管理等方案。

精準診斷：

能早期、正確檢出疾病之醫療診斷產品裝置、軟體系統及醫療服務，如利用 AI 輔助診斷、複合臨床數據分析、臨床決策支援等提高診斷靈敏度，或藉由虛擬問診提升醫療可近性 (accessibility) 等。（註）

精準治療：

依據病患產生數據之個人化醫療，使病患治療更有效率、容易復原，或減輕後續醫療與生活負擔，藉由伴同式診斷對症下藥或客製化醫療製劑或器材，使治療標的能更精準、更少副作用，也減少無效用藥及醫療資源浪費。（註）

精準照護：

由病患數據回饋精準監控與管理疾病，目標為由病人狀態回饋而監控醫院外治療、慢性病疾病管控、或客製化輔助喪失之器官功能，以達成疾病管理生活化、自動化，或以便利、個人化的復健或賦能裝置，精準彌補損失、退化的身體功能，降低不必要的再住院率。照顧領域需求與部分精準預防及精準檢測有共通處，平台及技術可互通共用。

資料來源：國發會《建構臺灣為全球精準健康及科技防疫標竿國家》，工研院產科國際所，資訊彙整 (2021.12)

註：本書僅聚焦在精準治療暨伴同式診斷及輔助診斷。



無效用藥比例過高為精準治療產業發展關鍵之一

在整個精準健康體系中，精準治療具有舉足輕重地位。無效的治療方式不但造成醫療資源浪費，更對患者帶來副作用和生活品質傷害。過去的疾病治療方式為針對適應症及病徵，對罹患相同疾病或有相同病徵的患者投予一致的藥物，然而這些藥物未必能人人適用。隨著環境破壞、生活忙碌及生活型態改變等因素逐漸影響人們健康，同時受到人口高齡化影響，全球諸如癌症、慢性病、代謝疾病等疾病的發病率不斷上升，產生更多未滿足之醫療及消費需求，因而造成各國醫療成本增加，導致政府財政負擔加重。

直至今日，癌症治療之無效用藥比例高達 75%，阿茲海默症治療之無效用藥比為 70%，其他適應症包含關節炎、糖尿病及哮喘等，亦有 38 ~ 50% 的無效用藥比例，此將造成醫療資源浪費。以美國為例，美國有超過 30% 之醫療支出浪費於無效治療，有鑑於此，美國國家研究委員會期以透過生物

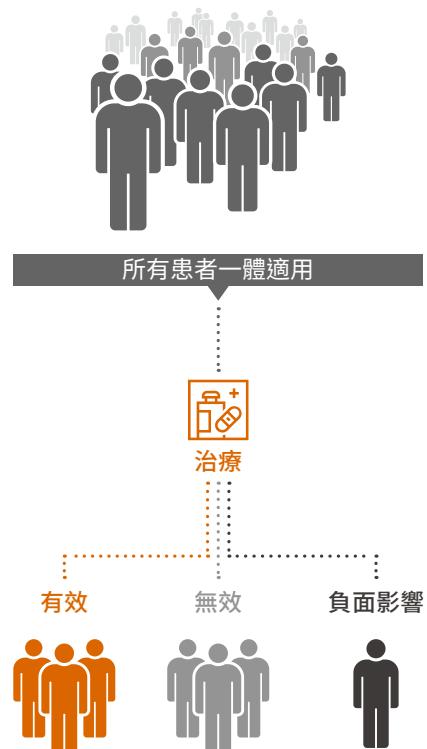
醫學檢測，找出最適合的治療方法，於 2011 年提出「精準醫療」計畫，以達到治療效果最大化。

以往的疾病治療方式為不論年齡、性別、種族及個別狀況，採取對相同疾病種類給予相同藥物治療，屬一體適用的藥理治療，此舉有極高機率造成治療無效或產生藥物不良反應的負面情形。

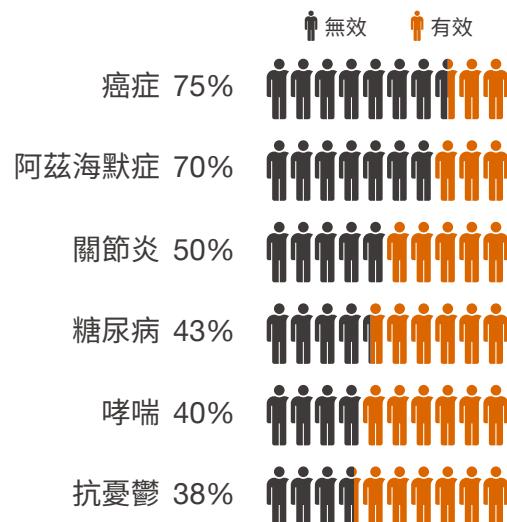
去氧核糖核酸 (Deoxyribonucleic acid, DNA) 與組織分析技術的進步，對基因與疾病關係越趨了解，醫療模式逐漸由一體適用之藥理治療發展至藉由血液、DNA、尿液及組織分析，透過人工智慧 (Artificial Intelligence, AI) 及大數據分析找出越來越多與疾病相關生物標記 (biomarker)，並藉由結合運用伴同式診斷或輔助診斷，篩選特定患者後給予特定藥物治療；因此，未來疾病的治療方式將更能貼近每位患者個人需求，從而降低無效醫療比率 (圖 1-1-2)。

圖 1-1-2 精準治療產業發展關鍵

過去及現行疾病治療方式



各疾病用藥無效比率



各類疾病約 38~75% 患者用藥無效，其中以癌症占比 75% 最大，
美國 >30% 醫療支出浪費於無效治療

未來疾病精準治療方式



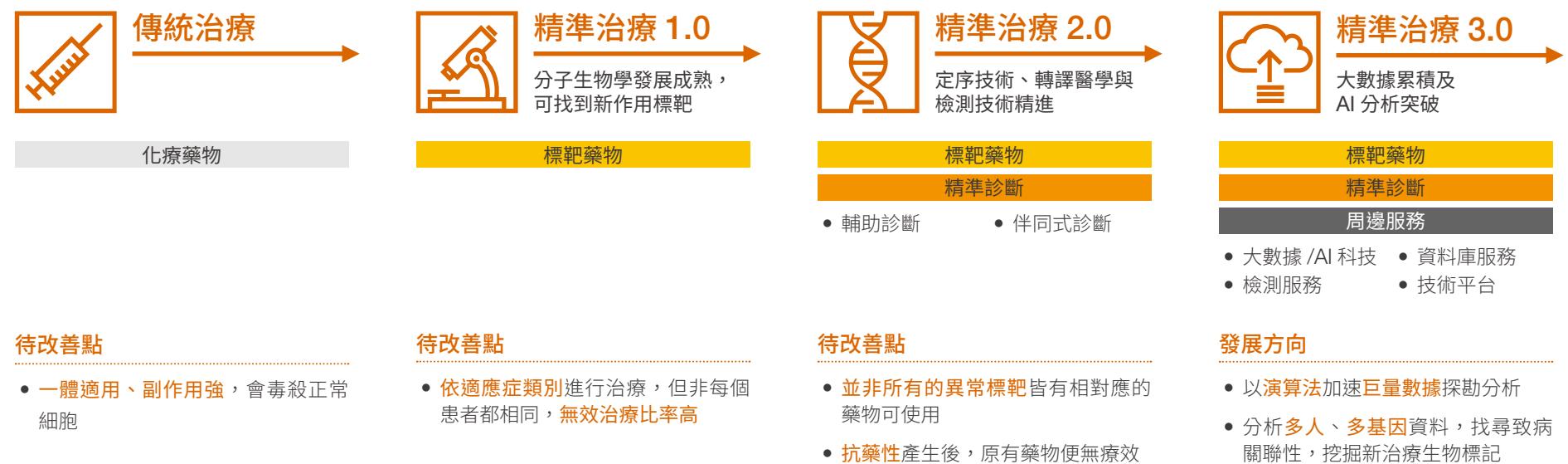
資料來源：Crown Bioscience, DCB 產業資訊組 (2021.12)

數位科技帶動精準治療產業創新發展

隨著科技進步及發展，醫療模式從傳統治療模式逐漸朝向精準治療發展，在分子生物學發展及定序技術、轉譯醫學與檢測技術精進後，精準治療從標靶藥物開發，逐步邁向治療前先彙整患者的伴同式診斷 / 組學等數據，做為標靶藥物選擇依據，以降低藥物抗藥性等不良反應與減少無效的處方和治療。

近年來因醫療相關大數據累積及 AI 分析突破，以演算法加速巨量數據探勘分析，結合資料庫數據比對多人、多基因資料，找尋致病關聯性，挖掘新生物標記，以更準確、快速確認治療之反應，賦予患者更有效及安全的治療選擇，且讓以個體特性分層治療成為主流療法之一，進一步朝向以病人為本之個人化醫療的治療模式邁進，增加產業效益（圖 1-1-3）。

圖 1-1-3 精準治療產業發展演進



資料來源：DCB 產業資訊組 (2021.12)

二、邁向精準治療 3.0

全球精準治療產業各領域包括精準療法、精準診斷及周邊服務產業已逐漸完善，而對於精準治療產業的重點項目—精準療法藥物開發方面，仍有許多發展機會尚待發掘。

早期針對精準治療的定義為透過生物醫學檢測，找出最適合的治療方法，以達到治療效果最大化；然而，近年來隨著大數據分析、數位科技等技術成熟，以及大數據累積和 AI 分析突破，帶動精準治療產業的演變，2017 年以後美國、歐盟（含歐陸地區與英國）、日本及中國大陸等國家陸續公布多項醫療用大數據、真實世界證據應用於藥物開發法規及指引，藉由法規推動及帶領，企業陸續將其導入醫療及藥物開發產業，進而發展出「精準治療」新樣貌。

國際目前對於新一代的「精準治療」定義為整合運用生物醫學伴同式診斷及基因表現、環境、生活型態、疾病之分子基礎差異等相關生醫數據，以人體基因資料庫進行比對及分析，從中發展出最適合病患的精準治療方法及藥物，以達到治療效果最大化及副作用最小化。

簡而言之，新一代之「精準治療」為結合資訊科技，透過疾病診斷給予病人最適治療建議及新型精準藥物開發，精準治療產業價值鏈涵蓋精準診斷、精準療法及其周邊服務（圖 1-3-1），簡述如下：

1 精準診斷

依產業範疇區分為產品 / 系統，涵蓋伴同式診斷、輔助診斷。伴同式診斷為針對特定藥物「投藥前」的診斷，藉以判斷患者是否適用該藥物；輔助診斷為提供醫師額外的資訊，以作為後續治療方針之參考。

2 精準療法

產業範疇為針對特定治療標的的靶向藥物，如標靶藥物、細胞 / 基因、核酸藥物和數位療法等。

3 周邊服務

產業範疇為透過基因體學、大數據分析或數位科技等資訊科技達到精準治療之服務平臺，如基因檢測、資料庫服務、藥物篩選 / 設計 / 開發。

圖 1-3-1 精準治療產業範疇



資料來源：DCB 產業資訊組 (2021.12)

精準治療是國家發展精準健康產業之關鍵，面對緊急疫情，可發揮疫苗研製、藥品開發工作，達到快速開發與生產之目標。針對影響全球健康之重大疾病，開發基因定序等大數據處理及分析技術，輔助開發標靶藥物、基因及細胞治療、免疫療法及新興醫療技術，可達到精準診斷與精準治療之個人化醫療目標。

COVID-19 造成的全球產業大洗牌使 AI 數位化成為趨勢，臺灣擁有的 13 億筆人體資料庫，挾帶資通訊 (ICT) 發展優勢與生醫產業能量，在試驗場域與法規的支持下，期許透過政府、產業與民間密切合作，乘著全球復甦趨勢，帶領生技醫療產業走進正向拐點，並發展國際化之競爭優勢。

在精準治療時代下，本報告聚焦全球及臺灣的精準治療與伴同式診斷及輔助診斷產業環境、發展方向以及未來趨勢，協助臺灣生醫產業及業者在全球市場中尋找發展的利基點，並推升國際競爭力，深入分析產業發展模式及經營成功關鍵要素，同時結合產官學研各方專家觀點，研擬發展方向與建議，以帶動各界投入，激發產業不同以往的決策思考。另一方面，資誠將精準檢測、精準預防與精準照護等主題呈現於另一出版品—「精準診斷」報告。期待以這兩份報告帶動各界投入，激發創新產業決策思考，進一步建構精準健康生態系，推動精準治療 3.0 生態系逐漸完善，走向以使用者為中心的健康願景，達到全民共享健康之福祉。



Chapter 2

全球精準治療 產業現況



一、全球精準治療政策 / 法規概況

自美國前總統歐巴馬在 2015 年國情咨文中首次提出將投入超過 2 億美元推動「精準醫療倡議 (Precision Medicine Initiatives, PMI)」後，多國政府包括英國、歐盟、美國、中國大陸、日本等皆將精準治療列為國家發展重點，並透過政府政策計畫性整合推動，期待自己國家及其相關產業位居全球市場的關鍵地位。

另一方面，數位科技與資料庫大數據之應用正在改變現行的醫療模式，越來越多的醫療數據透過各種穿戴式數位裝置、追蹤系統等取得，並與人工智能 (Artificial Intelligence, AI) 演算輔助診斷，協助醫師為患者提供精確的診斷和正確的治療決策，因此自 2017 年以來，各國精準治療相關政策法規，除了聚焦在大規模人體基因及健康資訊資料庫之建立外，亦紛紛納入真實世界數據 / 證據 (Real-World Data/Evidence, RWD/ RWE) 、AI 、數位醫療等應用，帶動全球精準治療產業發展，加速朝整合大數據 / AI 科技、次世代檢測、新穎生醫等科技轉變，並加速創新產品上市審查。

以下將分析全球主要國家在精準治療領域之政策與國家計畫推動、法規支持與人體資料庫之發展，定位出全球主要國家在精準治療之進展，以協助讀者深入瞭解全球精準治療產業現況與趨勢脈動，並思考適合臺灣產業發展之方向。

(一) 英國

1. 產業政策與國家計畫

英國是全球最早開始進行精準醫療計畫的國家，英國並於 2020 年 12 月 31 日脫歐過渡期結束之後，不再使用歐盟藥品與醫療器材法規相關指令與規則，故本章節聚焦在英國藥品暨醫療產品管理局 (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency, MHRA) 成立後之相關政策與法規進行相關研究分析。

英國在 2013 年宣布針對罕見疾病及常見癌症啟動「十萬基因體計畫 (Genomics England)」，使英國國民保健署 (National Health Service,

NHS) 成為世界上第一個利用基因體醫學進行日常照顧的健康服務體系； 2015 年英國國家創新局宣布成立「精準醫療推動中心」，以「國家健康服務」的概念推動精準醫療的發展，同時著重細胞治療研究和製藥技術發展； 2017 年英國生命科學辦公室提出「生命科學產業戰略」發展精準醫療，推動「全基因體定序」計畫並發展英國生物資料庫 (UK Biobank)，為全球罕見病症最豐富之資料庫，同時增加資源投入「十萬基因體計畫」，透過追蹤百萬癌症患者之 5 年基因序列，獲得患者的遺傳基因藍圖，以發展個人化精準治療； 2020 年公布「國家基因體學醫療保健戰略 (Genome UK Strategy)」十年願景，將於 2024 年前分析英國的 50 萬個基因體，包括分別透過 NHS 及 UK biobank 對 50 萬個全基因體進行定序，利用先進的基因定序潛力，為患者提供最佳的預測、預防和個人化照顧，並利用遺傳和基因體科學之研究和技術的最新進展造福患者，從而創造出最先進的基因體醫療體系，其將推動改善患者的醫療保健，縮小臨床照顧和研究之間的界限，以鞏固英國成為基因體學全球領導者的未來地位。

為能實現 Genome UK Strategy 的願景，英國於 2021 年 5 月發布「2021 年至 2022 年實施計畫 (Genome UK: 2021 to 2022 Implementation Plan)」，計畫中列出 2021 年至 2022 年的 5 項優先行動：包括（1）提高基因體數據的多樣性，並解決基因體數據集中少數族裔數據代表性不足的問題；（2）通過 NHS 基因體醫學服務為疑似罕見疾病和某些癌症的患者推出全基因定序；（3）整合數據源和新技術，提高癌症基因體檢測的速度和全面性；（4）推動診斷和臨床工具的發展，包括多基因風險評分、藥物發現和臨床試驗的評估；（5）致力於制定共享基因體和相關健康數據的標準和政策。

在強化 AI 運用上，英國於 2017 年推動「AI sector deal 產業策略」，透過公私部門合作來促進產業發展，在醫療產業部分，聚焦數位病理影像融合 AI 應用並解決醫療資源不足問題。2017 年 11 月公布「工業戰略白皮書」，將 AI 及數據列為立足未來產業前端的重大挑戰之一，並提出政府的旗艦投資計畫，其中工業戰略挑戰基金將提供 2.1 億英鎊的資金，用於開發 AI 的創新用途和先進的分析技術，結合 NHS 的生醫數據資料庫，支持改善疾病的早期診斷和發展精準醫療的相關研究，開發診斷和治療疾病新工具。2018 年 5 月英國首相宣布，英國 NHS 將會導入 AI 並投入資金，用於開發早期癌症和慢性病診斷。為能加快疾病篩選的效率，

協助臨床醫師進行診斷和治療，2019 年 8 月英國投資 2.5 億英鎊予 NHS 設立 AI 實驗室，用於推動 AI 於英國醫療領域內應用，主要聚焦心臟病、失智症、癌症篩檢、醫療流程等，並於 2021 年 6 月宣布投資 3,600 萬英鎊，資助 NHS 設立 AI 實驗室的 AI 醫療項目，包括幫助醫師和護理師更準確診斷心臟病發作的工具、快速檢測肺癌的演算法、幫助改善焦慮和憂鬱的心理健康應用程序，以及發現脊椎骨折的技術等 38 個項目。

2. 配套法規

MHRA 於 2020 年公布《創新藥品藥證審核途徑機制 (Innovative Licensing and Access

Pathway, ILAP)》，新藥開發企業可透過創新憑證 (Innovation Passport) 申請，於早期藥品開發就納入 MHRA 專家建議，共同針對產品特點制定目標開發概況 (Target Development Profile)，以加快新化學成分、新生物製劑、新興醫療產品（包括細胞及基因治療）、新適應症和新用途藥品等創新性藥品上市。而在真實世界數據的使用管理上，於 2021 年 12 月公告《關於在臨床研究中使用真實數據以支持監管決策的指南 (MHRA Guidance on the Use of Real-World Data in Clinical Studies to Support Regulatory Decisions)》，針對 RWD / RWE 之來源與定義加以說明，期望能有助於使用 RWD / RWE 進行臨床研究，加速新藥與精準醫療之發展。



(二) 美國

1. 產業政策與國家計畫

美國長久以來為精準治療產業的先鋒，因其在精準治療領域持續有系統地投入相關資源，成果亦領先國際；從最早 2015 年前總統歐巴馬推動「精準醫療倡議」(現已更名為「All of Us 計畫 (All of Us Research Program)」)，及至 2021 年已有 11 個國家加入的「癌症登月計畫 (National Cancer Moonshot)」、「百萬老兵計畫 (Million Veteran Program)」等皆為美國政府的跨部門行動計畫，內容包含癌症預防、疫苗研發、早期篩檢、癌症免疫療法、基因體學、組合療法等項目，主要從癌症免疫治療、基因體學及從法規層面著手，同時結合大數據分析，強化現階段的診斷和治療技術，以創新精確之篩查、檢測和臨床管理方法，並透過公私部門資源整合與共享，整合美國各地不同的癌症研究資料庫，以針對癌症治療探尋新治療標的，並建立百萬人跨種族之蛋白基因體資料庫及相關生活模式、環境等與健康、疾病相關的資訊，達到個人化精準治療的願景。

另一方面，為了加速精準治療的數位轉變，美國政府於 2017 年起陸續推動「數位健康創新行動計畫 (Digital Health Innovation Action Plan)」、

「軟體預認證計畫 (Software Precertification Program)」等計畫，以改善軟體醫材 (SaMD, Software as a Medical Device) 性質的監管流程，推動以數位技術實現病人為中心的照顧理念，並於 2019 年更新「國家 AI 研究發展戰略計畫 (National Artificial Intelligence Research and Development Strategic Plan)」強調擴大公私合作，加速 AI 於產業之應用發展與強化數據收集，並確保相關資料安全；2020 年更進一步於為促進美國國家安全創新基地及保護技術優勢而發布之「關鍵與新興技術國家戰略 (National Strategy for Critical and Emerging Technology)」中，將 AI 生物技術列為將優先發展之 20 項技術領域之一，朝推進 AI 輔助疾病預防、協助早期疾病檢測和監測、減輕殘疾的影響，以及支持醫療保健提供者進行患者照顧等發展。

為推動行動式醫療器材、醫材類軟體、穿戴式醫療裝置等相關數位醫療產品的科技發展，於 2020 年成立數位醫療卓越中心 (Digital Health Center of Excellence)，致力 AI 數位醫療發展，同時為因應 AI 演算法已不再需要透過傳統軟體更新，即可藉由最新資料獲取以達到演算法精進，於 2021 年公告 AI 醫療器材上市管理的「人工智慧 / 機器學習行動計畫 (Artificial Intelligence/Machine Learning

(AI/ML)-Based Software as a Medical Device (SaMD) Action Plan)」，FDA 透過 5 項行動包括舉辦演算法透明度研討會、評估演算法偏差、預定變更控制計畫、真實世界表現監控試點計畫與建立良好機器學習共識等，為上市後仍持續不斷更新演算法的機器學習醫療器材軟體 (Software as Medical Device, SaMD)，製定適合的管理規範，以支持軟體的長期學習，構建良好的機器學習框架。

另為支持具促進藥物開發潛力的藥物開發工具 (Drug Development Tools, DDTs) 之發展，美國食品暨藥物管理局 (Food and Drug Administration, FDA) 於 2020 年 11 月宣布啟動「新藥創新科學技術方法領航計畫 (Innovative Science and Technology Approaches for New Drugs (ISTAND) Pilot Program)」以支持尚未納入現行創新 DDTs 認證計畫（現行計畫包含用於臨床試驗的生物標記、用於分析臨床結果的評估以及用於進行功效測試的動物模型）之其他 DDTs，如可評估患者、開發終點、設計資訊的 AI 演算法、新型數位健康技術、病患自行操作數位影像系統等，應用於藥物開發的創新工具研發，最終加速新藥開發。

隨著各式醫療數據來源廣泛，許多在真實臨床情境下系統性蒐集到常規健康照顧臨床數據，有助於呈現真實臨床情境下藥品使用的情況，以彌補傳統臨床試驗的不足，進而間接促進藥品核准上市，因此美國 FDA 於 2018 年公布「真實世界證據方案框架 (Framework for a Real-World Evidence Program)」，在傳統臨床數據外，導入 RWD/RWE，強調 RWD / RWE 的準確性、完整性及和研究問題的相關性，將針對數據品質、研究設計以及實施情況三方面對 RWD / RWE 進行評估，以協助並加速藥物開發。

結合已建立之健康資訊資料庫，擴大數位科技及創新醫療裝置之開發與應用，美國正全面性的建立精準治療產業優勢，同時也透過擴大國家健保給付範圍嘉惠患者，美國總統拜登上任後持續擴大實施歐巴馬癌症登月計畫與可負擔健保政策 (Affordable Care Act, ACA)，擬將符合醫療照顧保險 (Medicare) 級付資格歲數由 65 歲調降至 60 歲。

另一方面，2021 年 CMS (Centers for Medicare & Medicaid Service) 已訂下創新醫療給付機制 (Medicare Coverage of Innovative Technologies, MCIT)，獲突破性認證 (Breakthrough Designation) 的醫藥品獲准上市，便給予健保給付四年，鼓勵更多創新精準治療產品開發。

2. 配套法規

美國為精準治療產業所需配套法規發展最為快速及相對完善的國家，配合精準治療發展最主要的法規為 2016 年頒布的《21 世紀治癒法案 (21st Century Cures Act)》與《用於基因治療之微生物體載體建議最終指引 (Recommendation for Microbial Vectors Used for Gene Therapy)》。《21 世紀治癒法案》除了提供資金資助「All of Us 計畫」、「癌症登月計畫」，並鼓勵生醫產業從事精準治療創新藥物／療法研發工作，亦簡化美國 FDA 的審查程序與優化法規監管品質，縮小對具生命威脅或罕見疾病治療藥物審查之臨床試驗規模，加速藥物上市時間。

另一方面，美國近年積極導入利用臨床數據於精準治療藥物之開發，為透過真實世界數據增進監管決策，於 2017 年制定《使用真實世界證據以支持醫療器材查驗登記指引 (Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devices)》，並根據《21 世紀治癒法案》內容，於 2020 年公布《以病患為中心的藥物研發指引 (Patient-Focused Drug Development)》，以系統化方式說明相關人員應

如何收集患者或照顧者實際經驗數據作為藥品開發或法規決策之依據。

2016 年《用於基因治療之微生物體載體建議最終指引》為因應醫療模式朝向細胞治療、基因治療等新興治療方式發展，面對未來精準治療新興療法的發展，美國 FDA 於該指引中對於基因治療所使用的微生物載體種類進行建議，作為申請早期臨床試驗時參考，以加速基因治療產品進入臨床試驗的時間。2019 年再公告《再生醫療加速審查計畫指引 (Expedited Programs for Regeneration Medicine Therapies for Serious Conditions)》，針對細胞療法、治療性組織工程產品、人體細胞或組織產品、基因療法 (基因修飾細胞)、異體細胞產品與合併產品之快速審查機制與突破性療法資格申請說明，加速精準治療相關產品之上市。

因應數位科技與大數據分析導入精準治療產業相關應用，及為能加速醫療數據串接及整合，除針對精準治療產業發展的法規外，美國亦制定精準治療周邊產業相關法規以確立其發展方向，包括 2014 年公告《體外伴同式診斷器材最終指引 (Guidance on In Vitro Companion Diagnostic

Devices)》、2016 年公告《使用公眾基因資料庫支持以基因體學為基礎之診斷規範 (Use of Public Human Genetic Variant Databases to Support Clinical Validity for Genetic and Genomic-Based In Vitro Diagnostics)》、2017 年公告《突破性醫療器材指引》、2018 年公告《次世代基因定序之體外診斷用於遺傳疾病之相關設計開發與分析指南 (Considerations for Design, Development, and Analytical Validation of Next Generation Sequencing (NGS)-Based In Vitro Diagnostics (IVDs) Intended to Aid in the Diagnosis of Suspected Germline Diseases)》與 2020 年公告之《特定的腫瘤治療產品組合標記體外伴同式診斷設備開發指引 (Developing and Labeling In vitro Companion Diagnostic Devices for a Specific Group of Oncology Therapeutic Products : Guidance for Industry)》等，可看出美國因應精準治療趨勢，完善法規支持生物檢體及數據為藥廠和體外診斷公司所用，以共同開發治療性藥物和伴同式診斷方法，並加速體外診斷納入整合生物標記、基因檢測與 RWD / RWE 等完整資訊。



(三) 中國大陸

1. 產業政策與國家計畫

中國大陸於 2015 年之「中國精準醫療戰略會議」中提出「精準醫療計畫」，將以基因檢測作為精準治療之基礎，同時將造血幹細胞移植、基因晶片診斷、免疫細胞治療等醫療技術臨床應用准入的審查制度取消，放寬至醫療機構自行管理，並強化准入後監督管理，以促進精準治療產業之積極發展；2016 年之「十三五的國家重點研發計畫」中將精準治療列為優先啟動之重點專項，由中國大陸常見的嚴重腫瘤疾病為切入點，建構百萬人以上的國家大型基因資料庫和重大疾病資料庫及生物醫學大數據共享平臺，透過生物標記、標靶、製劑研究和分析技術實施精準治療研究，以臨床應用為導向，推動精準治療藥物和分子檢測技術產品進入國家醫保目錄等政策規劃，並於 2017 年「十三五國家戰略性新興產業發展規劃」中提出將以基因技術快速發展為契機，推動醫療向精準治療和個人化醫療發展，配合「十三五生物技術創新專項」，發展基因定序、免疫療法、基因編輯、微生物組、人工智能、生物影像、生物大數據等關鍵技術，使精準治療成為經濟社會發展的新成長重點。

中國大陸於 2020 年 11 月提出了「十四五規劃」，其中提到將加強基礎研究、重點創新、優化學科佈局和研發人工智慧、量子信息、集成電路、生命健康等前沿領域加強國家戰略科技力量，並將保障人民健康放在優先發展的戰略位置，未來將改革疾病預防控制體系，加強監測預防、風險評估、流行病學調查、檢驗檢測、應急處置等措施，並強調發展高端醫療設備與遠距醫療，隨著 2018 年《國家健康醫療大數據標準、安全和服務管理辦法(試行)》的頒布，預估十四五期間醫療大數據領域將會有更多標準及配套政策發布，同時伴隨可穿戴設備、物聯網等技術的快速發展，醫療大數據所處的技術應用環境將更加成熟，其在精準治療領域將獲得更為普遍的應用。

2. 配套法規

為配合精準治療計畫之推行，中國大陸於 2015 年發布《腫瘤個體化治療檢測技術指南》及《藥物代謝酶和藥物作用靶點基因檢測技術指南》，進一步提升臨床實驗室開發藥物代謝酶、藥物標靶基因檢測及腫瘤個體化用藥基因檢測技術；此外在 2017 年公告之《戰略性新興產業重點產品和服務指導目錄》中納入新型疫苗、生物技術藥物等精準治療

藥物，亦將精準治療周邊相關服務，如個人化的基因檢測服務、線上線下整合的智慧診療生態系統、社區與家庭遠距健康管理服務，視為重點發展項目；2021 年版之《戰略性新興產業重點產品和服務指導目錄》更強調重點發展新標靶、新機制與新型抗體藥物、新型疫苗、基因治療、細胞治療等新興生物藥品與標靶藥物等，並納入醫學影像設備及服務、醫用檢查檢驗儀器及服務，包括第三方體外診斷中心、健康檢查中心、健康檔案等服務相關的配套設備和技術，推動人工智慧輔助藥物開發、數位醫療解決方案等技術融合應用。

為擴大人體生物資料庫之基因體保存平台使用，同時加強健康醫療大數據導入與服務管理，於 2018 年制定《國家健康醫療大數據標準、安全和服務管理辦法》、2019 年制定《中華人民共和國人類遺傳資源管理條例》與 2021 年制定《真實世界證據支持藥物研發與審批的指導原則》，從人體資料庫資料、真實世界數據的來源與適用、醫療大數據標準管理、安全管理、服務管理等層面加以規範，提升健康醫療服務效率和品質，並有利於培育新的商業型態。在因應 AI 醫療運用的部分，於 2019 年公告《人工智慧輔助診斷技術管理規範》以及《人工智慧輔助治療技術管理規範》。



(四) 日本

1. 產業政策與國家計畫

日本雖無明確政策指向精準治療，但最早於 2014 年由健康醫療戰略推進本部提出之「醫療領域研究開發計畫」即強調基因治療與再生醫學為發展主軸，爾後於 2015 年設立「基因治療實現推進協議會」，負責推動基因資訊，落實包括隱私、檢測品質、檢測服務、社會倫理等議題，直到 2017 年厚生勞動省提出以精準治療為前提之國家政策計畫，主要針對癌症、多因子疾病和新藥開發擬定「癌症基因治療推進計畫」，選定 11 家核心醫院搭配 156 家連絡醫院（含 34 家軸心醫院），建立癌症基因體全民醫療覆蓋制度，收集相關基因體檢體，並於 2019 年啟動「10 萬人全基因體」解析第一階段，優先解析難治型癌症與罕見疾病，並於 2020 年進行「10 萬人全基因體」解析第二階段，著重基因療法與 AI 應用基因資料庫。

在 AI 科技於醫藥運用發展部分，日本政府在 2016 年的「第五期科學技術基本計畫 (5th Phase of the Basic Science and Technology Plan, Society 5.0)」中，強調數位革命為世界共通趨勢，日本將在以人為本思維下，導入物聯網 (Internet of

Things, IoT)、大數據、人工智慧及機器人等革新技術至產業和社會生活中，具體解決當前失智症、再生醫療、基因體醫學、創新能源技術、基礎設施維護和更新等社會問題；而 2021 年的「第六期科技創新基本計畫（原科學技術基本計畫更名）(6th Phase of the Basic Science and Technology Plan)」中除延續 Society 5.0 基本概念，更強調數位科技推動產業，並以行政方式進行數位化轉型，及強化日本的科研能力。

另一方面，日本政府責成國立癌症中心建立癌症資料管理中心 (Center for Cancer Genomics and Advanced Therapeutics)，建置完整日本基因數據資料庫；目前精準治療主要之國家型計畫為日本國立癌症研究中心所主持的「SCRUM-Japan」，導入 AI 應用於基因檢測計畫，並透過與國內產業及海外醫療單位合作，進行大規模癌症基因定序計畫，創建區域性癌症基因體篩查網絡；同時為取得更多的臨床數據，該中心於 2021 年 8 月啟動「LC-SCRUM-Support」計畫，建構數位平台，在取得患者同意下，大量取得電子病例、相關個人健康紀錄平台資訊等以強化國家基因資料庫，加速精準治療產業之發展。

2. 配套法規

日本為全球再生醫療先驅，其再生醫療管理採雙軌制，分別於 2013 年推動《再生醫療促進法 (Regenerative Medicine Promotion Act)》，透過跨部會整合提供再生醫療產業從產品研發到臨床試驗的需求及 2014 年 11 月增訂《再生醫療安全新法 (Act on the Safety of Regenerative Medicine)》，依據細胞來源、細胞處理方式與程度、使用範圍等將其風險程度分為三級進行管理，以規範細胞治療之自由診療與臨床研究，並於 2014 年修訂《醫藥品醫療機器法 (The Pharmaceuticals, Medical Devices, and Other Therapeutic Products Act, PMD Act)》，藉以規範細胞治療的自費診療和臨床研究，並進一步擴大醫藥品和醫療器材的上市管理對象，到再生醫療用的細胞和組織加工品，同時新設「再生醫療產品」類別，兼顧醫療技術和產品的發展。為配合精準治療發展，日本政府更於 2015 年公告《新藥領先審查指定制度 (Strategy of SAKIGAKE)》，透過法規加速支援新藥上市，推動創新藥品、醫療器材或再生醫療之發展。

因應醫療大數據與數位科技的發展，日本厚生勞動省於 2017 年起推動數據醫療改革，期望透過資訊通訊技術 (Information and Communications Technology, ICT) 及健康、醫療、護理等相關數據提供個人化醫療服務，並於 2019 年成立「智慧醫療改革推進總部」，結合 AI 技術運用、大數據分析、ICT 基礎架設等推動，於 2020 年落實健康與醫療數據平台。而日本獨立行政法人—藥品醫療器材綜合機構 (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, PMDA) 也於 2018 年宣布全面提供醫學訊息數據庫網絡 (Medical Information Database Network, MID-NET) 系統使用，整合醫療機構電子病歷資料、保險理賠數據、診斷數據等數據資料庫，並實施《次世代醫療基盤法 (Next Generation Medical Infrastructure Act)》，授與各單位使用國內醫療機構蒐集臨床醫療／臨床數據於醫藥研發，並於 2019 年公告《次世代醫療器材評估指標公告》，聚焦 AI 訓練、真實世界資料分析以及數位療法／醫材上市後功能評估。

另一方面考量癌症基因檢測對民眾負擔不小，且為擴充癌症基因資料庫，日本政府於 2019 年核准將

癌症基因體醫療納入醫療保險給付，由政府支付檢測費用外，要求在取得患者同意後須將基因檢測結果上傳至國立癌症研究中心之資料庫。

綜整各國精準治療發展政策之演進，可大致以 2017 年為分水嶺，2017 年之前主要透過政策推動確定精準治療之戰略地位，建立國家級人體生物資料庫，而 2017 年後因應數位科技與多元數據興起，相關政策著重整合各式數據與導入 AI 數位科技發展新興精準治療（圖 2-1-1）。

另一方面為配合精準治療的發展，人體生物資料庫與分子診斷和質譜分析等多種新技術飛速發展，醫學檢驗實驗室利用自建檢測方法應用在個人化醫療和精準化醫療日漸重要，各國紛紛透過法規制定，完善精準治療產業生態系之相關管理制度；在整體法規走向上，可觀察到配合精準治療發展，放寬對新興技術與醫材的認定，並朝簡化審查流程以加速產業發展，且納入細胞與基因治療、再生醫療；周邊支持服務則積極導入基因體學，範疇由體外診斷醫材到伴同式診斷與次世代定序 (Next Generation Sequencing, NGS) 檢測，也更重視真實世界數據與大數據整合與應用（圖 2-1-2）。

圖 2-1-1 各國精準治療政策發展進程



資料來源：DCB 產業資訊組 (2021.12)

圖 2-1-2 各國精準治療法規發展進程

	強化體外診斷與 NGS 檢測醫材	產業範疇放寬認定與加速審查	RWD/RWE 數據使用、大數據整合規範
2013 — 2015	<p>強化體外診斷與 NGS 檢測醫材</p>  體外伴同式診斷器材最終指引 <ul style="list-style-type: none"> 關於加強臨床使用基因測序相關產品和技術管理的通知 關於開展高通量基因測序技術臨床應用試點單位申報工作的通知 腫瘤個體化治療檢測技術指南 藥物代謝酶和藥物作用靶點基因檢測技術指南 	<p>產業範疇放寬認定與加速審查</p>  <ul style="list-style-type: none"> 再生醫療促進法 再生醫療安全新法 修訂醫藥品醫療機器法 新藥領先審查指定制度 	
2016 — 2017	 <ul style="list-style-type: none"> 使用公眾基因資料庫支持以基因體學為基礎之診斷規範 體外伴同式診斷器材與治療產品合作開發原則 	 <ul style="list-style-type: none"> 用於基因治療之微生物體載體建議最終指引 21世紀治癒法案 突破性醫療器材指引  <p>戰略性新興產業重點產品和服務指導目錄 (於 2021 再次修正)</p>	 <p>使用真實世界證據以支持醫療器材查驗登記指引</p>
2018 以後	 <ul style="list-style-type: none"> 次世代基因定序之體外診斷用於遺傳疾病之相關設計開發與分析指南 特定的腫瘤治療產品組合標記體外伴同式診斷設備開發指引 	 <p>創新藥品藥證審核途徑機制 (ILAP)</p>  <p>再生醫療加速審查計畫指引</p>	 <p>關於在臨床研究中使用真實數據以支持監管決策的指南</p>  <p>以病患為中心的藥物研發指引</p>  <ul style="list-style-type: none"> 次世代醫療基盤法 次世代醫療器材評估指標公告  <ul style="list-style-type: none"> 國家健康醫療大數據標準、安全和服務管理辦法 (試行) 真實世界證據支持藥物研發與審批的指導原則 人工智慧輔助診斷技術管理規範 人工智慧輔助治療技術管理規範



隨著AI在醫療現場多元應用，近年的精準治療及新興療法進展神速，而兼具一致性與品質的人體生物資料庫及衍生數據對於生醫創新技術與產品的開發占有關鍵地位，可說是精準治療發展的重要基礎，其發展完善與否將大幅影響精準治療之發展。

以美國為例，2017年在All of Us計畫支持下，由國家衛生研究院(National Institute of Health, NIH)建立百萬人基因體資料庫，參與者包括各種族、不同年齡和性別的人群，也包括病人和健康人，透過遺傳資訊的建立，加速推進精準治療與個人化預防，優先朝向癌症精準治療發展，NIH在2020年與生技公司Vibrant Health合作，導入數位科技開發移動裝置軟體服務，使民眾可以輕鬆線上參與該計畫，並因COVID-19疫情需要，協助相關生物檢體收集與分析。而英國的UK Biobank與日本的Japan BioBank則是分別由傳統的基因資訊收集擴展到影像資料、生物標記與外顯子資訊的收納與臨床醫療資訊收集。

整體而言，歐美國家因相關技術發展較早，在資料庫的建置上較趨於成熟完善，目前的檢體收納不僅限於血液基因型分析，亦包含電子醫療紀錄、影像紀錄、生物標記等，應用領域包含癌症、代謝疾病與罕見疾病等，並著重資料庫間的串連與數位科技導入，同時對外開放供研究使用；而在開發中國家如中國大陸則正處於蓬勃發展時期，相關的資料收集多處於起始收錄階段，表2-1-1整理出各國國家級人體資料庫之發展情形。

表 2-1-1 各國國家級人體資料庫發展現況

國家	美國	英國	中國大陸	日本
Biobank	百萬人體基因資料庫	UK Biobank	中國國家基因資料庫	Biobank Japan
負責單位	國家衛生研究院	英國衛生部、英國醫學研究理事會、衛爾康信託基金會以及蘇格蘭行政院共同投資建設	由國家發展和改革委員會等四部委核准由華大基因主導	文部科學省
領域	以全民資訊收集與癌症治療優先，現擴充至營養與 COVID-19 研究	一般民眾、代謝疾病、癌症與罕見疾病	癌症、高血壓、糖尿病、出生缺陷和罕見疾病	由常見疾病（糖尿病、狹心症、白內障、肝炎、高脂血症等 51 種）擴充至癌症預防、憂鬱、失智症之臨床基因研究
經費來源	All of Us 計畫支持	90% 須仰賴政府或公益機構出資贊助	與華大基因合作	政府經費支持
2017 年收錄狀況	資料庫建置起始	48.8 萬參與者的基因型	資料庫建置起始	20 萬名 47 種常見病患者的 DNA 和臨床訊息
2021 年資料收錄情形	<ul style="list-style-type: none"> 收錄超過 35 萬名參與者基因遺傳資料 超過 20 萬筆的電子健康紀錄和 27 萬筆的生物檢體 除生物樣本外，亦收錄生活習性調查、電子健康紀錄 	<ul style="list-style-type: none"> 收錄超過 50 萬筆基因遺傳資料，其中已完成 45 萬筆外顯子測序，12 萬筆循環代謝組學生物標記及 5 萬筆大腦、心臟、骨骼和腹部影像資料 針對 COVID-19 收集 2 萬名志願者資料 	<ul style="list-style-type: none"> 收集基因、蛋白、分子、影像等生物資訊資料，目前收錄達 2,000 萬份生物樣本資源 	<ul style="list-style-type: none"> 收錄超過 26 萬名患者之基因遺傳、血清與病歷資料，並對其中 95% 的患者平均追蹤 10 年

國家	美國	英國	中國大陸	日本
發展概況	<ul style="list-style-type: none"> 2019 年對外開放收取費用，提供民間研究客製化的檢體與資訊加值服務，為資料庫使用者量身訂做研究所需的最佳組合 2020 年導入數位科技，方便全民參與 將遺傳基因結果回饋給提供生物樣本用於研究的參與者 2020 年配合疫情，協助 COVID-19 調查研究 	<ul style="list-style-type: none"> 2012 年對外開放研究使用，鼓勵研究使用並將結果共享 2013 年提供生物標記研究服務 2016 年納入外顯子測序、影像計畫及體適能監測 2018 年在影像計畫下加入高齡者穿載裝置心臟監測計畫 2019 年收取費用，提供藥廠基因定序資料的使用權 2020 年納入 COVID-19 調查研究 將持續進行核磁共振影像檢測發展 	<ul style="list-style-type: none"> 除人體資料外，亦收集動物資源、植物資源、微生物資源、海洋資源等生物活體資料 	<ul style="list-style-type: none"> 2011 年僅發展全基因體基因分型數據，但無相關臨床資訊 2013 年開始收集醫療紀錄之各種臨床資訊，包含遺傳與各種疾病、藥物相關的基因以及身體特徵和生物標記的相關資料研究 2015 年完成 Biobank 與中央醫學基因體中心及主要基因資料庫之串接，如與 12 家日本醫療機構合作收集樣本與資訊，並已與日本其他 Biobank 如 NCBN 與 TMBB 整合 2020 年發展癌症預防診斷、憂鬱、失智臨床基因研究 為超過 20 個國家之政府官員、研究與教育機構、私營公司、患者團體、學生等舉辦設施參觀活動

資料來源：DCB 產業資訊組 (2021.12)

另一方面，個人隱私議題雖不直接影響精準治療之發展，但以病人為核心之健康大數據資料取得，為實現精準治療另一重要環節，為避免屬於敏感資料的個人健康數據遭到修改和外洩，各國亦透過相關之個資保護法規嚴格保護相關健康數據，如美國於1996年透過《健康保險隱私及責任法案(Health Insurance Portability and Accountability Act, HIPAA)》規範分享個人醫療資訊以及保護其免受未經授權之使用的規則，規範個人資料提供單位包含保險公司、醫療檢驗機構等單位在處理各類個人識別健康資料與醫療資訊包含臨床診斷、護理及檢測、影像與保險帳單等資訊均須遵循HIPAA的規範；英國於2018年公告之《隱私權法案(Data Protection Act)》主要依據歐盟2018年實施之《一般資料保護規範(General Data Protection

Regulation, GDPR)》同步修訂並進行調整，因此本質上等同於GDPR，明確要求須當事人同意始得收集或處理其健康相關資料，並清楚定義個人資料所有權和資料可攜權的範圍，同時對於「敏感」個資類別（如個人健康狀況、生物特徵和基因資料，還涵蓋與健康無關的其他種類資料，如種族、血統、政治理念、宗教等）的處理設下更嚴格的限制；中國大陸對健康數據之管理除2018年之《國家健康醫療大數據標準、安全和服務管理辦法(試行)》外，亦於2021年實施《數據安全法》限制基因、生物特徵、疾病等數據不得於中國大陸境外使用，及實施《個人信息保護法》以保障民眾的敏感個資在中國大陸國內使用安全和境外傳輸限制；日本於2020年修訂《個人情報保護法(Act on the Protection of Personal Information)》，新增健康

資料去識別化及個人資料傳輸至國外或第三方的相關規範，保障日本民眾的個資權利。

針對上述各國在精準治療政策、法規與人體生物資料庫建置情形進行整理與比較，以了解各國在精準治療之發展概況，可觀察到各國在精準治療之發展重點因國情而略有差異，如美國強調彙集各式生物數據完善人體資料庫，開發新興精準療法與醫材；英國優先發展疾病和某些癌症的全基因定序；中國大陸著重精準治療導向之大型基因體資料庫建構；日本則優先發展再生醫療及以癌症基因體學為主的精準治療。但整體而言，仍是朝向建構大規模、完整、數據品質優異、可共享的人體生物資料庫，並同步運用新興生醫技術與數位科技結合，開發精度與準度更高的精準治療產品與服務。

表 2-1-2 各國精準治療發展現況

	美國	英國	中國大陸	日本
發展方向	<ul style="list-style-type: none"> 彙集各式生物數據完善人體資料庫，開發新興精準療法與醫材 	<ul style="list-style-type: none"> 結合AI發展疾病和某些癌症的全基因定序 	<ul style="list-style-type: none"> 精準治療導向之大型基因體資料庫建構 醫療大數據應用 	<ul style="list-style-type: none"> 發展以癌症基因體學為主的精準治療 再生醫療

	美國	英國	中國大陸	日本
簡化審查流程 以加速產業發展	<ul style="list-style-type: none"> • 21世紀治癒法案 • 突破性醫療器材指引 	<ul style="list-style-type: none"> • 創新藥品藥證審核途徑機制 	<ul style="list-style-type: none"> • 關於改革藥品醫療器械審評審批制度的意見 	<ul style="list-style-type: none"> • 新藥領先審查指定制度
納入細胞與 基因治療、 再生醫療	<ul style="list-style-type: none"> • 用於基因治療之微生物體載體建議最終指引 		<ul style="list-style-type: none"> • 戰略性新興產業重點產品和服務指導目錄 	<p>雙軌制：</p> <ul style="list-style-type: none"> • 再生醫療安全新法 • 修訂《藥品醫療機器法》
周邊支持 服務積極 導入基因體學 與 NGS	<ul style="list-style-type: none"> • 體外伴同式診斷器材最終指引 • 次世代基因定序之體外診斷用於遺傳疾病之相關設計開發與分析指南 • 特定的腫瘤治療產品組合標記體外伴同式診斷設備開發指引 • 人工智慧／機器學習行動計畫 	<ul style="list-style-type: none"> • 2017/746 IVDR 管理下的分級分類規則指引 • AI sector deal 產業策略 	<ul style="list-style-type: none"> • 關於加強臨床使用基因測序相關產品和技術管理的通知 • 關於開展高通量基因測序技術臨床應用試點單位申報工作的通知 • 腫瘤個體化治療檢測技術指南 • 藥物代謝酶和藥物作用靶點基因檢測技術指南 • 人工智慧輔助診斷技術管理規範 • 人工智慧輔助治療技術管理規範 	<ul style="list-style-type: none"> • 次世代醫療基盤法 • 次世代醫療器材評估指標公告
重視真實世界 數據與大數據 整合應用	<ul style="list-style-type: none"> • 使用真實世界證據以支持醫療器材查驗登記指引 • 以病患為中心的藥物研發指引 	<ul style="list-style-type: none"> • 關於在臨床研究中使用真實數據以支持監管決策的指南 	<ul style="list-style-type: none"> • 國家健康醫療大數據標準、安全和服務管理辦法 • 中華人民共和國人類遺傳資源管理條例 • 實際世界證據支持藥物研發與審批的指導原則 	<ul style="list-style-type: none"> • 次世代醫療基盤法
個資保護	<ul style="list-style-type: none"> • 健康保險隱私及責任法案 	<ul style="list-style-type: none"> • 隱私權法案 	<ul style="list-style-type: none"> • 國家健康醫療大數據標準、安全和服務管理辦法(試行) • 個人信息保護法 • 數據安全法 	<ul style="list-style-type: none"> • 個人情報保護法

二、全球精準治療市場分析

(一) 全球精準治療藥物市場

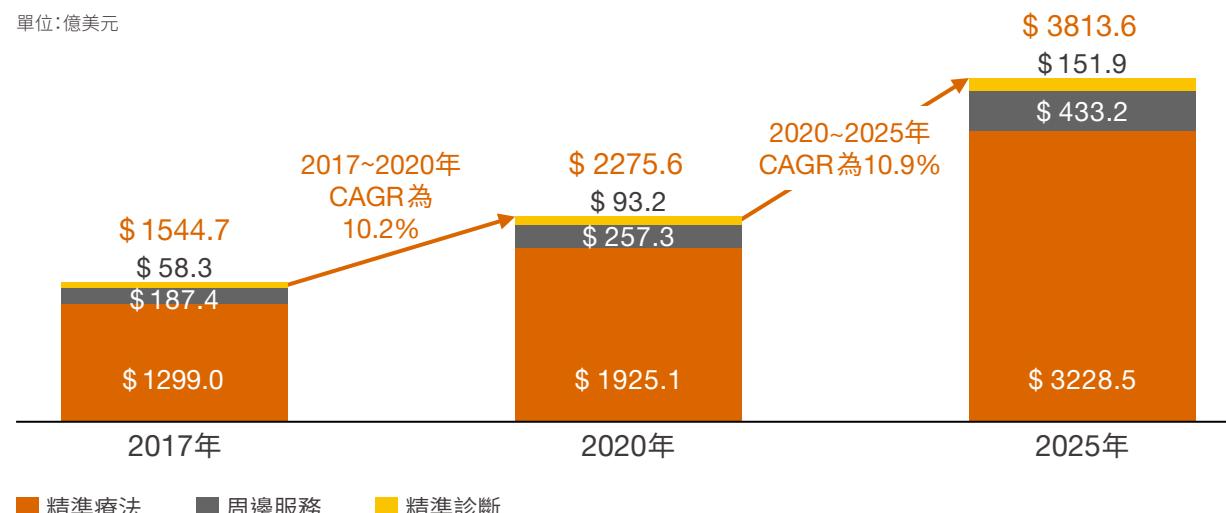
精準治療作為各國政府重點發展領域，對民生健康與社會經濟影響重大，在臺灣，精準治療產業亦被視為創造下一波經濟新局勢的重要角色，各國精準治療政策與法規的推動，更加速了全球精準治療產業的蓬勃發展。

精準治療產業以精準療法產業為主要，其中包括標靶藥物、細胞與基因療法、核酸藥物及數位療法產業；由於大數據的累積及 AI 分析科技的導入為精準療法發展的重要驅動因子，因此精準治療產業領域亦包括精準診斷產業及周邊服務產業（以上兩項統稱周邊支持產業），精準診斷產業包括伴同式診斷及輔助診斷，周邊服務產業則包括基因檢測服務、資料庫服務及 AI 藥物篩選／設計／開發服務。根據 DCB 產業資訊組估算，2020 年全球精準治療產業市場為 2,275.6 億美元，較 2017 年成長 730.9 億美元，2017 ~ 2019 年複合年成長率 (Compound Annual Growth Rate, CAGR) 為 10.2%，預估 2025 年將達 3,813.6 億美元，2020 ~ 2025 年 CAGR 為 10.9%。

精準療法產業為全球精準治療產業市場成長的主要動力，其 2020 年市場規模達 1,925.1 億美元，占整體精準治療產業市場之 84.6%，預估 2025 年將達 3,228.5 億美元。周邊支持產業也隨著精準治療產業之帶動，呈穩定成長之趨勢，2020 年精準

診斷產業之市場規模為 93.2 億美元，占整體精準治療產業市場之 4.1%，預估 2025 年將達 151.9 億美元；周邊服務產業 2020 年市場規模達 257.3 億美元，占整體精準治療產業市場之 11.3%，預估 2025 年將達 433.2 億美元（圖 2-2-1）。

圖 2-2-1 2017 年、2020 年及 2025 年全球精準治療產業市場規模

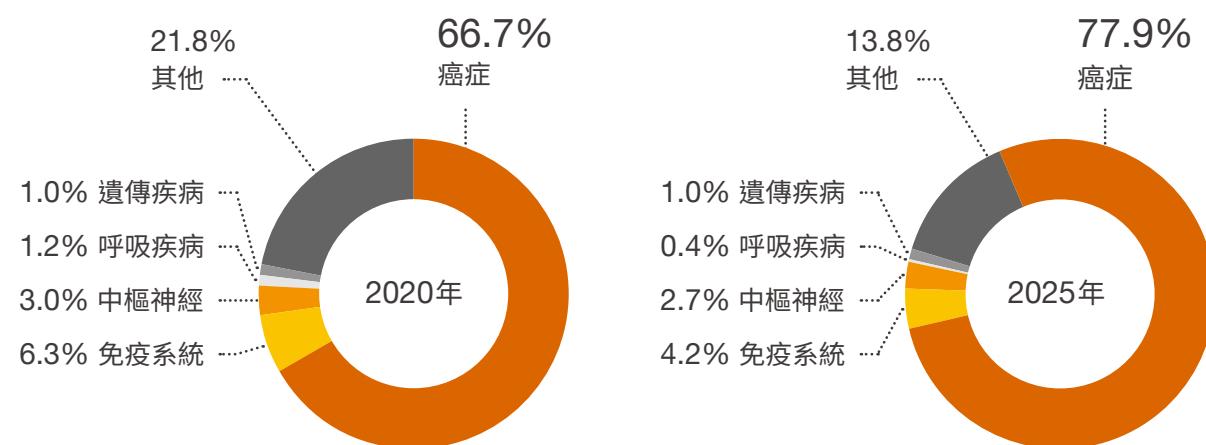


資料來源：The Business Research, GlobalData，各公司財報；DCB 產業資訊組 (2021.12)

觀察全球精準治療市場之疾病領域佈局情形，根據 The Business Research 資料，2020 年全球精準治療市場占比最大之疾病領域為癌症，占 66.7%，預估未來亦將持續擴大，2025 年將達 77.9%，較 2020 年成長 11.2%，顯示癌症仍為

精準治療企業關注之主要領域。除了癌症，亦有企業佈局免疫系統、中樞神經系統、呼吸系統及遺傳疾病領域，預估 2025 年相關領域將分別占全球精準治療市場之 4.2%、2.7%、0.4% 及 1.0%（圖 2-2-2）。

圖 2-2-2 2020 年及 2025 年全球精準治療市場之疾病領域變化



資料來源：The Business Research ; DCB 產業資訊組 (2021.12)





(二) 全球精準治療產業企業

自 2015 年美國前總統歐巴馬宣布精準醫療倡議開始，全球掀起一波精準熱潮，各家企業亦紛紛投入相關產品的研發，期待能在此浪潮中搶得先機。實際上在「精準醫療」一詞出現之前，類似概念的產品如已知生物標記及作用標靶的藥物或療法取得上市許可，或處於研發階段，針對特定族群之病患進行精準的藥物或療法的開發，以降低無效醫療。受惠於次世代基因定序技術的突破，可同時對大量基因進行定序，有效降低定序成本，使得基因定序價格由 2001 年的接近 1 億美元，逐步下降至 2011 年跌破 1 萬美元。依據美國 NIH 公布之最新數據，2021 年基因定序價格已來到 500 美元新低點。隨著 NGS 基因定序技術的演進，各國政府亦看準人體生物資訊在發展精準治療產業之潛力，紛紛投入人體生物資料庫的建置，以及支持 AI 分析技術的發展，使更多的企業投入精準藥物的開發，大藥廠積極佈局精準藥物開發所需之關鍵要素，亦有許多新創從而誕生，期能在此一藍海中占有一席之地，圖 2-2-3 為全球精準治療產業主要代表企業，其中包括精準療法及其周邊支持產業 - 精準診斷及周邊服務。

圖 2-2-3 全球精準治療產業主要代表企業



資料來源：The Business Research, GlobalData；DCB 產業資訊組（2021.12）

1. 精準療法產業之企業

精準療法為全球精準治療產業市場主要貢獻領域，其 2020 年市場規模占全球精準治療產業市場規模之 84.6%。精準療法產業包含標靶藥物、細胞及基因療法、核酸藥物及數位療法。由於數位療法為近年開始發展之新興療法，目前各國皆尚未對數位療法有具體定義，並將其歸類於醫材類產品中，因缺乏官方揭露資訊，故以下資訊僅針對標靶藥物、細胞及基因療法、核酸藥物企業進行分析。

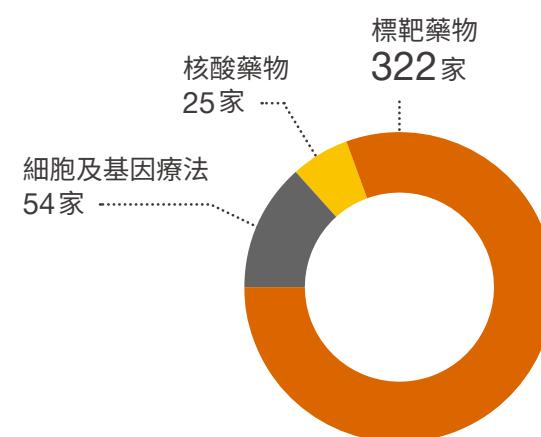
截至 2021 年 12 月，全球擁有已上市或處於臨床研發階段精準療法產品之企業共有 401 家，其中標靶藥物為企業佈局多年且最多之領域，全球共計 322 家企業投入相關產品之開發。近年隨著新興療法，如細胞及基因療法、核酸藥物等技術趨近成熟，全球企業漸漸將觸角擴展至這些新興藥品領域，共有 54 家企業投入細胞及基因療法的開發，以及 25 家企業佈局核酸藥物開發（圖 2-2-4）。

具有已上市產品或臨床階段產品企業之地理區域來看企業之佈局情形，由於法規支持度、技術成熟度、新產品接受度等因素影響，亞洲、北美洲及歐洲衍生出較多精準治療企業，分別有 156 家、134 家及 76 家企業。另依企業佈局之精準療法類別

來看，由於多數企業具有豐富及多年之標靶藥物開發經驗，故標靶藥物仍為全球企業佈局之主要領域，各區域皆有近八成企業佈局標靶藥物開發。在新興療法部分，北美洲國家在新技術的發展及接受度皆為全球領先，共有 28 家企業佈局新興療法的開發，其中屬佈局細胞及基因療法、以及核酸藥物的公司各佔一半。在亞洲部分，由於法規支持和技術創新研發，日本為全球細胞療法先行者之一，亞洲國家順應此波發展趨勢，共有 32 家企業佈局細胞及基因療法，但佈局核酸藥物開發之企業尚少，因核酸藥物研發生產風險較高，取得上市許可藥品尚少，但未來成長空間大（圖 2-2-5）。

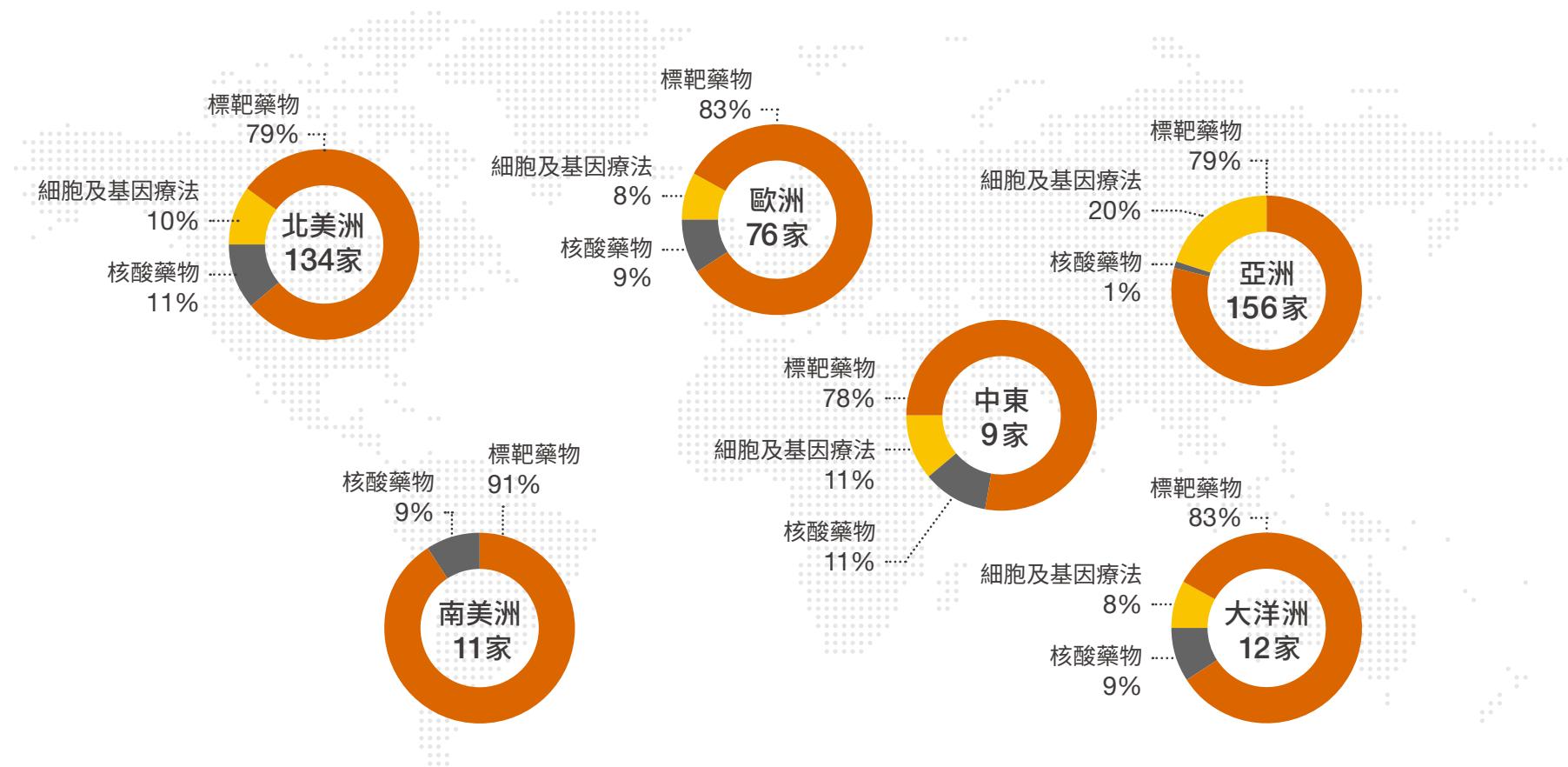
現階段全球各大藥廠多已投入精準治療領域，主要佈局領域為標靶藥物開發，其主要企業包括 Roche/ Genentech、Novartis、AbbVie 及 Amgen 等公司。根據統計，截至 2021 年 11 月底取得美國 FDA 許可且成為暢銷藥物（即 2020 年銷售額超過 10 億美元之產品）共有 46 件，其中以 Roche 研發之產品數量為最多，共有 9 件；其次為 Novartis，其產品數量共有 5 件；AbbVie、Amgen、Bristol-Myers Squibb 及 Janssen 並列第三位，各有 3 件產品（表 2-2-1）。

圖 2-2-4 全球產品處於已上市及臨床研發階段之精準療法企業



資料來源：GlobalData；DCB 產業資訊組（2021.12）

圖 2-2-5 全球各區域精準療法企業佈局情形



資料來源：GlobalData；DCB 產業資訊組 (2021.12)

表 2-2-1 2020 年美國暢銷標靶產品及主要開發企業

公司名稱	產品名	藥品類型	生物標記	2020年銷售額 (單位：百萬美元)
Roche/ Genentech	Avastin	抗體	VEGFA	5,319
	Ocrevus	抗體	CD20	4,609
	Rituxan	抗體	CD20	4,500
	Perjeta	抗體	HER2	4,137
	Herceptin	抗體	HER2	3,976
	Actemra	抗體	IL6R	3,045
	Tecentriq	抗體	PD L1	2,917
	Kadcyla	ADC	HER2	1,859
Novartis	Alecensa	小分子	ALK	1,236
	Tasigna	小分子	Bcr-Abl Tyrosine Kinase	1,958
	Promacta	小分子	Thrombopoietin Receptor	1,738
	Sandostatin	Synthetic Peptide	SSTR2、 SSTR5	1,439
	Gleevec	小分子	Bcr-Abl Tyrosine Kinase	1,188
AbbVie	Afinitor	小分子	MTOR	1,083
	Imbruvica	小分子	BTK	8,433
	Lupron Depot	Synthetic Peptide	GNRHR	1,652
	Venclexta	小分子	Bcl 2	1,337

資料來源：GlobalData；DCB 產業資訊組整理 (2021.12)

公司名稱	產品名	藥品類型	生物標記	2020年銷售額 (單位：百萬美元)
Amgen	Xgeva	抗體	TNFSF11	2,089
	Kyprolis	小分子	20s Proteasome	1,132
	Vectibix	抗體	HER1	1,036
Bristol-Myers Squibb	Opdivo	抗體	PD1	7,924
	Sprycel	小分子	Bcr-Abl Tyrosine Kinase	2,436
	Yervoy	抗體	PD1	1,682
Janssen	Remicade	抗體	TNF-α	4,505
	Darzalex	抗體	CD38	4,190
	Zytiga	小分子	CYP17A1	2,470
AstraZeneca	Tagrisso	小分子	EGFR	4,328
	Lynparza	小分子	PARP2、 PARP3	1,776
Biogen	Tysabri	抗體	ITGA4	1,946
	Avonex	Recombinant Protein	IFNAR1、 IFNAR2	1,492
Celgene	Revlimid	小分子	Protein Cereblon (CRBN)	12,153
	Pomalyst	小分子	Protein Cereblon (CRBN)	3,070
Eli Lilly	Cyramza	抗體	VEGFR2	1,033
	Erbitux	抗體	HER1	1,552

觀察全球精準療法開發關鍵企業之一 Roche，因其在 1998 年併購 Genentech，取得抗體藥物之開發技術，故在精準治療藥物市場中其蛋白質藥品開發具傑出表現，隨後從 2007 年開始積極透過收購及合作的方式加強檢測及基因定序能量，累積生物數據；2017 年則開始積極強化數據分析整合應用之能量，藉以開發新標的及新療法；其關注之藥物開發領域除了原有之抗體藥物，Roche 亦積極透過收購及合作之方式佈局細胞及基因療法。另一重要參與者 Novartis 在小分子藥品、免疫療法及新興的細胞與基因治療產業已耕耘多年，近年透過收購及合作方式，加速導入大數據及 AI 科技，深化原來藥物領域的發展，提高臨床試驗成功率，加速藥物開發，並擴大藥物開發領域，佈局數位療法及輔助診斷領域。由 Novartis 及 Roche 的例子可以觀察到，大藥廠具備豐富資源，可透過收購及合作的方式，建構及完善其在精準治療產業之部署，跨足多個疾病領域及產品技術開發，也使得大藥廠在現今的精準治療產業市場中大幅領先，更具有影響產業發展樣貌轉變的影響力。

目前全球生醫企業開發之已上市精準治療藥物類型多為已具生物標記之小分子藥品及生物藥品為

主，但隨著長時間技術演進、新技術的導入及政策法規的支持，新興療法之細胞治療及基因治療、核酸藥物及數位療法產業化亦逐漸被實現。根據統計，截至 2021 年第三季，取得美國 FDA 核准上市許可之細胞／基因治療共有 22 件，主要企業包括 Novartis、BMS、Roche 及 Kite Pharma (Gilead 子公司) 等。近年因 COVID-19 疫情，核酸藥物之發展備受矚目，截至 2020 年已有 16 件產品取得美國 FDA 核准之上市許可，主要企業包括 Novartis、Ionis、Alnylam、Moderna 及 BioNTech 等。在數位療法部分，各國政府於 2017 年開始透過政策法規的訂定促進數位應用之開發，美國 FDA 更於 2020 年設立數位健康卓越中心 (DHCoE)，截至目前已有超過 35 個數位療法產品取得美國 FDA 核准上市，主要佈局企業包括 Novartis、Pear、Omada、Virta 等。

近年來專精於創新技術平台開發的生醫公司，成為精準治療產業的矚目焦點，如專注於嵌合抗原受體 T 細胞 (Chimeric antigen receptor T cell, CAR-T) 技術平台、T 細胞受體 (T cell receptor, TCR) 技術平台及細胞治療開發的 Kite Pharma，其於 2012 年成立，為細胞及基因療法領域之技術

領先者，2017 年 Gilead 看中其領先之細胞療法技術，併購 Kite Pharma 成為旗下獨立營運之子公司。被併購後之 Kite Pharma 持續深化細胞治療領域之技術開發，再次透過併購及合作之方式擴大其細胞治療之開發領域，並精進製造技術，其 TCR 平台及製造技術亦被 BioNTech 看中，於 2021 年將其 TCR 平台收購。

另一專注於關鍵領域技術平台開發之企業 Ionis，其為新興藥品核酸藥物開發企業，於 2002 年成立，其擁有核酸藥物之技術平台，多年持續投入藥物標靶平台及化學修飾開發，克服核酸藥物半衰期短、不易傳輸進細胞及易產生免疫原反應等問題。目前 Ionis 已有 3 件產品於歐美上市，並有多項產品處於臨床研發階段，另亦有許多國際大廠，包括 Novartis、Pfizer、Roche、AstraZeneca 及 GSK 等透過合作方式與 Ionis 合作開發核酸藥物。由 Kite Pharma 及 Ionis 的例子可以發現，擁有新興藥品技術之公司，專注於關鍵領域的開發，持續精進相關藥物開發及生產技術，吸引大藥廠併購或透過合作方式開發藥物，使這些新興藥品技術公司得以持續壯大。

2. 精準療法周邊支持產業之企業

要對症下藥，首先要診斷出正確的病因，因此精準診斷為實現精準治療的第一步，精準診斷包括伴同式診斷及輔助診斷，其中較廣為人知的伴同式診斷，為透過投藥前檢測與疾病相關之特定生物標記，來預測用藥之安全性及有效性，使疾病用藥更精準，以減少無效醫療，主要開發企業包括 Foundation medicine、Abbott 及 Roche 等。而輔助診斷為近年較新穎之診斷模式，相對於伴同式診斷，輔助診斷並無綁定特定藥品或治療方法，亦不是投藥前必須進行之檢測，但可透過體學及影響分析，進一步協助醫生進行疾病診斷及用藥評估，主要企業包括 Siemens Healthineers、Arterys 及 Imagen 等。

由於精準療法及精準診斷的開發皆需以大量結構化之數據為依據，透過 AI 分析技術的協助，可快速找到生物標記及醫學影響與疾病之關係，加速療法或診斷產品之開發。然資料庫之建置與維護，以及 AI 分析技術之導入需耗費之人力及資金龐大，大部分公司難以應付，因此衍生委託服務需求，周邊服務企業也隨之出現，其中包括資料庫服務公司、基因檢測服務公司及 AI 藥物篩選／設計／開發服務公司，主要企業為 Regeneron、Tempus、illumina、Quest Diagnostics、Insilico Medicine、Flatiron 及 Adaptive 等。

觀察周邊服務企業之一的 Adaptive，於 2009 年成立，為滿足全球對免疫系統檢測的需求，在過去的 10 年中，Adaptive 開發了自有的免疫醫學平台，大規模及精準的檢測適應性免疫系統，建構龐大之資料庫及分析平台，吸引國際大廠如 AbbVie、Amgen、Sanofi、Janssen、Roche、BMS 及 Argos 等公司使用其檢測平台，或與 Adaptive 合作開發新藥物及療法，Adaptive 亦透過提供服務及合作開發，持續深化其公司能量。傳統藥品開發的過程耗時且所費不貲，而數位相關科技，如：大數據及 AI 分析技術的導入，能幫助減少開發流程中不斷之試錯，縮短藥物開發流程，不但加速藥品開發時間，亦可降低開發成本。然而建置、維護數據庫及 AI 分析平台需要大量之人力及不菲之資金，因此近年來像 Adaptive 這樣精準診斷及提供周邊服務企業之發展也日漸蓬勃。

而從前述精準療法及其周邊支持產業關鍵開發企業 Novartis、Roche、Kite Pharma、Ionis 及 Adaptive 的例子可以發現，不同的企業對於經營精準治療產業具不同發展策略。Novartis 及 Roche 透過收購及合作的方式，建構及完善其在精準治療產業之部署，跨足多個疾病領域及產品技術開發，為解決方案型公司；擁有新興藥品開發技術之 Kite Pharma 及 Ionis 專注於關鍵領域的技術平台開發，持續精進相關藥物開發及生產技術，吸引大藥廠併購或透過合作方式導入資金持續開發藥物，使公司得以持續壯大，為價值核心型公司；Adaptive 擁有自有的免疫醫學平台，大規模及精準的檢測適應性免疫系統，建構龐大之資料庫及分析平台，透過提供服務及合作開發，持續深化其公司能量，為平台服務型公司。



(三) 全球精準治療產品

在主要國家陸續推動新一代精準治療政策後，全球掀起一波精準治療熱潮，不論企業公司型態及規模紛紛投入精準治療相關產品研發，期能在此一藍海中占有一席之地。精準治療產品包括標靶藥物、核酸藥物、細胞及基因療法、數位療法、伴同式診斷及輔助診斷產品，然美國 FDA 未具體定義數位療法及輔助診斷之產品，並將其歸類於醫材類產品中，因缺乏相關產品之官方揭露資訊，故本章節針對具官方揭露資訊之已上市精準治療產品進行分析，其中包括精準藥品（標靶藥物及核酸藥物）、細胞及基因療法及伴同式診斷。

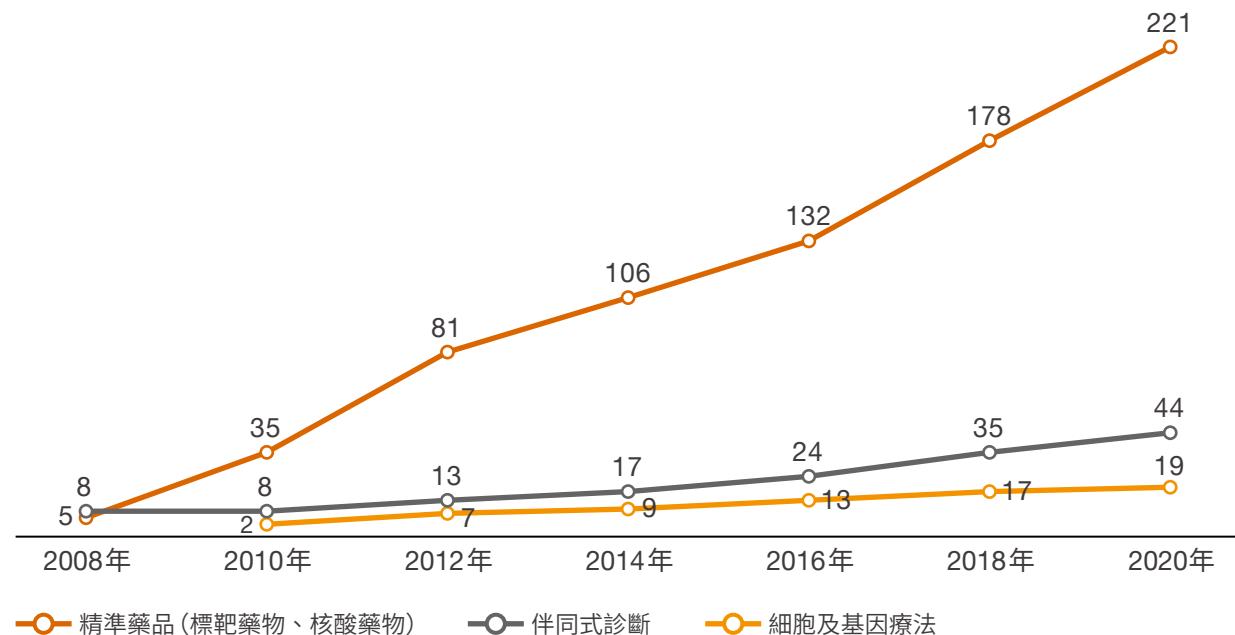
依據 GlobalData 及美國 FDA 公布之資訊，2008 年美國精準治療產品累積核准件數僅有 13 件，包括精準藥品 5 件及伴同式診斷產品 8 件。受國家政策法規支持、企業積極投入及技術演進等因素影響，2020 年美國精準治療產品累積核准件數具大幅度之成長，成長至 284 件，其中包括精準藥品 221 件、伴同式診斷產品 44 件及 19 件細胞及基因療法（圖 2-2-6）。另觀察精準藥品、細胞及基因治療之產品類別，可發現產品類別往多樣化發展，精準藥品從小分子藥、蛋白藥及單株抗體擴增至抗體藥物複合體（Antibody-drug Conjugate, ADC）、雙特異性抗體、治療性疫苗及核酸藥物；而細胞及

基因療法則從間質幹細胞擴增至基因修飾細胞治療及基因療法。

觀察全球處於臨床階段精準治療產品的佈局情形，根據 Frost & Sullivan 資料，2020 年全球處於臨床階段之精準療法藥物共有 250 件，依產品佈局之疾病領域來看，處於臨床研發階段之產品主要佈

局之疾病領域為癌症、遺傳疾病、免疫疾病及心血管疾病，分別占 43.6%、15.3%、10.7% 及 10.7%（圖 2-2-7）。2012～2019 年處於臨床試驗階段之伴同式診斷產品共有 170 件，其疾病佈局領域亦以癌症為主，占 76%，其次為感染性疾病，占 8%，中樞神經疾病排名第三，占 4.0%（圖 2-2-8）。

圖 2-2-6 2008～2020 年取得美國核准精準治療產品件數



資料來源：GlobalData、美國 FDA；DCB 產業資訊組整理 (2021.12)

圖 2-2-7 2020 年全球精準療法藥物臨床試驗疾病領域占比

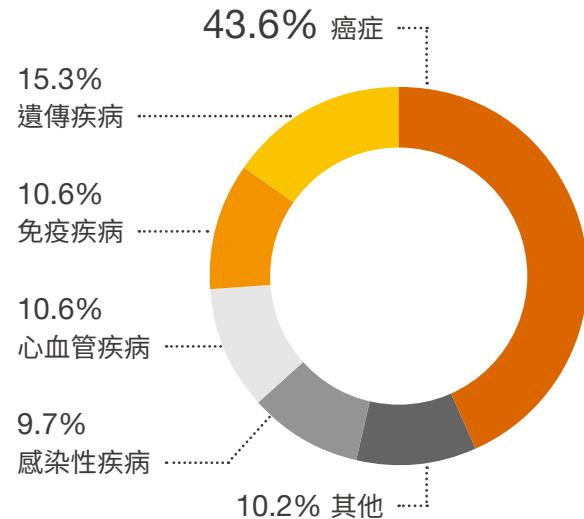
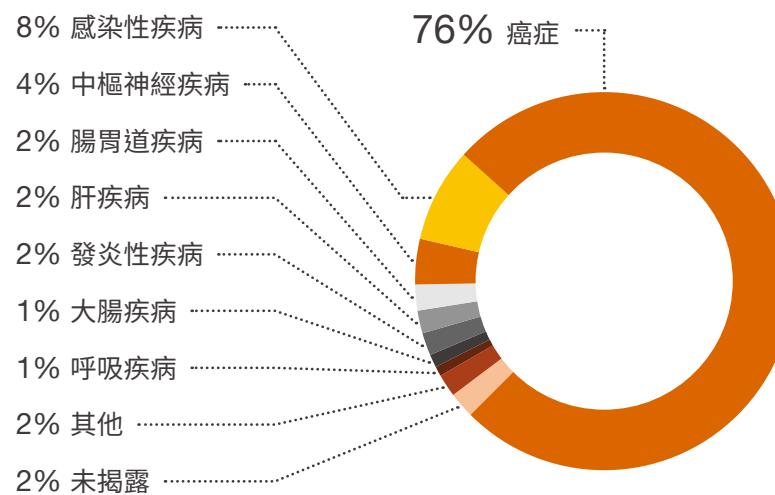


圖 2-2-8 2012~2019 年伴同式診斷臨床試驗疾病領域占比



資料來源：Frost & Sullivan, ARM；DCB 產業資訊組整理（2021.12）

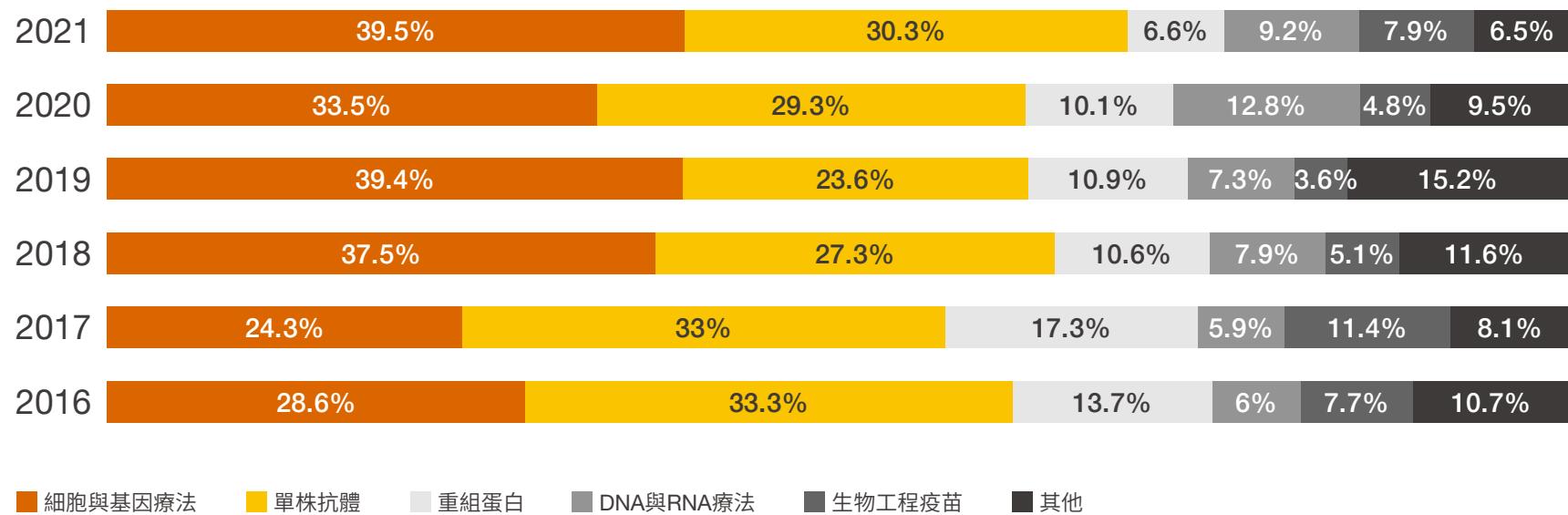
資料來源：Frost & Sullivan；DCB 產業資訊組整理（2021.12）

以全球生技創投角度來看投資之藥品領域，2016 ~ 2017 年全球生技創投投資之藥品領域以單株抗體為主，占比超過 30%；其次為細胞及基因療法，占比超過 2 成；重組蛋白排名第三位，約占 1 成。

因多項細胞及基因治療產品如 CAR-T 上市後，自 2018 年開始，細胞及基因療法成為全球生技創投投資最熱絡之藥品領域，占比成長超過 3 成；從 2018 年開始，創投對於單株抗體投資熱度降低，直至近年 ADC 等新興抗體藥物問世，其投資熱度才逐漸回升。

另由於過去 DNA 及 RNA 療法遭遇技術瓶頸，其投資熱度較低，2016 年僅占整體創投投資之 6%，近年因技術瓶頸之突破及逐漸成熟，加上因 COVID-19 疫情帶動 mRNA 相關核酸藥物快速開發的需求，針對 DNA 及 RNA 療法的創投投資熱度從 2020 年開始具有明顯的增加。觀察近年全球生技創投投資藥品領域，可發現新興精準治療產品領域，如細胞及基因療法、新興抗體藥物及核酸藥物等成為全球創投熱門領域（圖 2-2-9）。

圖 2-2-9 2016 ~ 2021 年全球生技創投投資藥品領域變化



資料來源：Frost & Sullivan；DCB 產業資訊組整理 (2021.12)

在併購交易方面，近年國際大廠透過併購取得已上市或開發中精準治療產品，充實產品線強化競爭力成為趨勢。觀察 2019 至 2021 年精準治療領域重大併購交易案，標的公司核心產品以基因和細胞療法最為熱門。另一方面，數位科技和生醫結合的新興產品，如 AI 精準放射治療吸引國際大廠佈局（圖 2-2-10）。

全球 COVID-19 疫情刺激對創新治療技術需求，引領具備細胞及基因療法、新興抗體藥物及核酸藥物等核心技術之生醫受託開發製造業 (CDMO) 蓬勃發展。全球 CDMO 市場 2030 年上看 324 億美元，國際大廠 Lonza、Catalent

以及 Samsung Biologics 皆已投入相關生產技術。多國政府引領民間建立產業生態系，整合創新技術及生產能量，滿足防疫需求亦同時建立國際競爭利基。

全球政府與民間積極佈局精準治療產業，以在疫後復甦之中取得創造下一波經濟新局勢的重要優勢。全球對高品質藥物需求提升且相關法規愈趨嚴格，臺灣優異的學術研究能力和製造標準，加以政府友善產業政策支持，加速臺灣在全球精準治療生態系中搶占重要商機。針對影響全球健康之重大疾病，開發基因定序等大數據處理及分析技術，輔助開發標靶藥物、基因及細胞治療、免疫療法及新興醫療技術，走向個人化精準治療之目標指日可待。

圖 2-2-10 2019 至 2021 年全球精準治療重大併購交易案

序號	併購方	標的公司	交易宣布日	交易金額 / 美元百萬	標的公司業務
1	Bristol-Myers Squibb Company (NYSE:BMY)	Celgene Corporation	Jan-03-2019	99,554	Celgene Corporation 為生物製藥公司，研發癌症和炎症性疾病的療法。
2	Siemens Healthineers AG (XTRA:SHL)	Varian Medical Systems, Inc.	Aug-02-2020	17,160	Varian Medical Systems, Inc. 設計、製造、銷售和服務用於治療癌症和其他醫療設備、系統軟體等產品。
3	Novartis AG (SWX:NOVN)	The Medicines Company	Nov-24-2019	9,568	The Medicines Company 是一家生物製藥公司，專注於開發治療動脈粥樣硬化性心血管疾病的療法。
4	Roche Holding AG (SWX:ROG)	Spark Therapeutics, Inc.	Feb-25-2019	4,851	Spark Therapeutics, Inc. 為遺傳疾病提供基因療法，包括失明、血友病、溶酶體貯積症和神經衰退性疾病等。

序號	併購方	標的公司	交易宣布日	交易金額 / 美元百萬	標的公司業務
5	Bayer Aktiengesellschaft (XTRA:BAYN)	Asklepios BioPharmaceutical, Inc.	Oct-26-2020	4,000	Asklepios BioPharmaceutical, Inc. 研發腺相關病毒基因療法。
6	Pfizer Inc. (NYSE:PFE)	Trillium Therapeutics Inc. (TSX:TRIL)	Aug-23-2021	2,104	Trillium Therapeutics Inc. 為臨床階段的免疫腫瘤公司，專注於研發癌症療法。
7	Roche Holding AG (SWX:ROG)	GenMark Diagnostics, Inc.	Mar-15-2021	1,950	GenMark Diagnostics, Inc. 設計和製造多重分子診斷解決方案，以增強患者護理、降低醫療保健提供者、醫院和患者之醫療成本。
8	Novartis AG (SWX:NOVN)	Gyroscope Therapeutics Holdings plc	Dec-22-2021	1,537	Gyroscope Therapeutics Holdings plc 是一家臨床階段的基因治療公司，通過其子公司開發基因治療產品來治療眼病患者。
9	Veracyte, Inc. (NasdaqGM:VCYT)	Decipher Biosciences, Inc.	Feb-3-2021	669	Decipher Biosciences, Inc. 於美國開發和銷售基因檢測產品，提供前列腺癌、膀胱癌基因檢測。
10	Roche Holding AG (SWX:ROG)	Blueprint Medicines Corporation (NasdaqGS:BPMC)	Jul-14-2020	100	Blueprint Medicines Corporation 提供精準治療，為癌症和血液系統疾病患者開發藥物，並於美國和歐洲開發多個項目，包含系統性肥大細胞增多症和癌症免疫療法等。
11	Novartis AG (SWX:NOVN)	Aktis Oncology, Inc.	Feb-23-2021	72	Aktis Oncology, Inc. 從事靶向放射性藥物開發，用於癌症治療。
12	Siemens Healthineers AG (XTRA:SHL)	Screenpoint Medical B.V.	Jul-28-2021	28	Screenpoint Medical BV 開發和銷售圖像分析技術和服務。公司基於人工智慧的軟件幫助放射科醫生更早地發現癌症並使用侵入性更小的治療方法提高乳腺癌的存活率。
13	Novartis AG (SWX:NOVN)	Mekonos, Inc.	Nov-23-2020	5	Mekonos, Inc. 從事基因和細胞療法的設計、開發和生產。

Chapter 3

臺灣精準治療 產業現況



一、臺灣精準治療政策 / 法規概況

精準治療的浪潮在席捲全球健康醫療產業同時亦延燒至臺灣，藉由全民健康保險開辦所累積的醫療資料、癌症數據等「數據金礦」，與頂尖的醫療技術與照顧資源，我國在精準治療產業發展上已擁有良好的根基。觀察臺灣在精準治療發展之脈絡，與全球先進國家發展路徑相似，政府政策與相關法規的制定扮演了推動產業發展之關鍵角色。本節將由臺灣精準治療產業政策與法規切入，透過產業政策與法規盤點，以了解目前我國精準治療產業推動現況。

(一) 精準治療產業政策

2015 年全球精準治療如火如荼展開，臺灣政府為迎頭趕上這股潮流，以生醫產業驅動臺灣下一個世代產業成長，提出以生技醫療、ICT 資通訊與新興科技結合來擴大應用領域，強化生醫產業的動能和發展性，為國內產業翻轉創新揭起序幕。於 2016 年核定「生醫產業創新行動方案」，建構生醫產業完善生態系、整合創新聚落、連結國際市場資源及推動特色重點產業。其中精準治療領域更是重中之重，藉由強化我國生技與資通訊 (Bio-ICT) 的結合，統整產官學研醫研發量能、完備健康資料運用相關法規，以發展從基因定序、生物資料庫數據

運算分析，到精準治療藥物與診斷開發之精準醫學新興醫療服務利基模式，推動產業朝向涵蓋保健、預防、診斷、治療、照顧之全齡健康願景發展。

目前臺灣已推動之精準治療相關政策除 2016 年由中央研究院、台大醫院與長庚醫院參與美國發起的「征服癌症登月計畫」外，政府也推動以心、肺、肝、胃、乳、頭頸癌為優先開發之精準醫療產品研發旗艦計畫，並規劃透過跨部會整合，建立臺灣癌症精準醫療智庫平台。此外將透過基因定序技術配合中研院、台大、三總及長庚等醫研單位聚焦肺癌、乳癌、口腔癌及大腸直腸癌等國人常見癌症之能量，建立國人蛋白質基因體資料庫及癌化訊息傳遞網絡，搭配國家實驗研究國家高速網路與計算中心（國網中心）與國家衛生研究院（國衛院）之生物資料庫數據運算分析，聚焦癌症與心臟代謝疾病，建立數位化醫療基因資訊登錄平台與系統，加速產業發展。

另一方面，人體生物資料庫在精準治療產業中扮演一關鍵角色，臺灣最早於 2003 年即開始評估人體生物資料庫建置之可行性，並於 2012 年由中央研究院建立「臺灣人體生物資料庫」，截至 2021 年 11 月底，共有 15.7 萬名志願者加入，人體生物資料庫蒐集志願者個人身體檢測數據，包括血液、

尿液等檢體，以及生活習慣、飲食習慣、環境、生育史、個人疾病史、家族病史等個人健康資料。過去臺灣各大醫院雖然皆有各自建立之人體生物資料庫，然而醫院間因缺乏統一之資料格式故無法共享資料，限縮了人體生物資料應有的發展與數據使用，直到 2019 年行政院積極推動「國家級人體生物資料庫整合平台」，終於打破醫院之間的資料藩離，在全臺 35 家人體生物資料庫中成功串連了 31 家醫療單位的資料庫，人體生物資料庫整合平台正式啟動，藉由該平台已提供串聯健保申報資料與電子病歷之加值服務，而癌症登錄資料更已於 2021 年 10 月啟動，未來預計將建置罕見疾病等資料庫，推動臺灣醫藥生技研究與精準治療之發展，加速疾病研究與新藥研發，並吸引國外藥廠來臺投資，提升臺灣醫療照顧品質與水準。

2021 年由衛生福利部（衛福部）、國家衛生研究院與國際大藥廠 Roche、Merck 及日本中外製藥合作推動「癌症精準醫療及生物資料庫整合平台合作示範計畫」，為首次該平台與國際業者合作，目標為串聯整合精準療法、精準診斷與周邊服務，聚焦 6 大癌症，導入智慧醫療與數據應用，提供跨癌別的全方位基因檢測及智慧化分析診斷，形成精準治療生態系，並開啟更多國際合作契機。

(二) 精準治療配套法規

生醫產業創新推動方案中將精準治療列為特色重點推動產業，規劃統整研發能量以發展利基精準治療，同時陸續修正及頒布精準治療相關法規，2016年配合《生技新藥產業發展條例》之修訂，新增包括精準醫療、基因治療、細胞治療等「新興生技醫藥產品」納入適用範圍，以鼓勵產業投入精準治療產品開發領域之新技術新產品研發以加速發展，並於2021年12月再次修正為《生技醫藥產業發展條例》，將租稅優惠延長10年至2031年，並將再生醫療、精準醫療、數位醫療、新劑型製劑、專用於生技醫藥產業之創新技術平台，以及受託開發製造之生技醫藥公司（Contract Development and Manufacturing Organization, CDMO）均納入適用範圍。

在人體試驗方面，衛福部於2016年修正《人體試驗管理辦法》，在有條件的開放參與「附屬治療計畫」下讓特定病人有更多元的治療選擇及促進我國細胞治療領域的發展；2017年公告《相關藥品臨床試驗計畫審查流程精進措施》，建立細胞／基因治療產品臨床試驗計畫快速審查機制；2018年衛福部正式開放醫療院所實施細胞治療，公布《特定

醫療技術檢查檢驗醫療儀器施行或使用管理辦法（特管辦法）》修正條文，開放6項細胞治療技術，配合先前《再生醫療製劑管理條例（草案）》，暨新研擬之《再生醫療發展法（草案）》及《再生醫療施行管理條例（草案）》可縮短再生醫療製劑上市的期程並加強安全監控，期望透過建構我國再生三法，讓細胞及基因治療產品加速走向異體化、自動化及產業化，促進生物製藥產業之發展。2021年衛福部在《特管辦法》中，特別增加細胞儲存場所的正式規範標準，須符合中央主管機關公告之優良操作規範，且場所皆需接受不定期查核，以確保細胞資源之品質安全無虞，讓細胞治療產業有足夠的發揮空間，另也將實驗室開發檢測（Laboratory Development Tests, LDTs）納入規範，要求沒有納入法規條文中的LDTs項目，僅能由醫療機構或醫事檢驗所執行；若屬於非醫療機構之檢測實驗室，須取得中央主管機關認證並符合特管辦法之規範條件資格，並受醫療機構委託才能施行供醫療用途之LDTs，該受託實驗室僅能依醫師開立之醫囑執行檢測，若欲提供判讀結果則應由醫師來判讀之，同時實驗室應提供原始檢測紀錄及結果報告給委託之醫療機構，並不得洩漏該檢測資料給第三人，希望能在促進LDTs發展的過程中，同時確保實驗室係提供經過嚴謹確效與驗證的檢測結果。

藥品審查上市的流程與時間為精準治療產業發展的關鍵，衛福部於2018年與2019年分別公告《藥品突破性治療認定要點》與《小兒或少數嚴重疾病藥品審查認定要點》，針對以我國嚴重疾病、罕見疾病或小兒嚴重疾病為適應症，且較現行療法具重大突破性改善之藥品，明確其認定標準以加速審查流程。而2019年公告修正之《新藥查驗登記精簡審查機制》，在新藥審查上與國際接軌，透過精簡審查程序加速新藥審查上市，以促進精準療法產業發展。針對上市後的給付問題，行政院2021年於生技產業策略諮詢委員會會議（BTC）提出推動國產創新醫藥產品優先審查，以及核准上市即納入保險給付之建議，並建議於每年健保總額成長率中提出0.5%至1%的成長率以支持國產之創新醫藥產品，期待對精準治療創新產品的研發起到強化促進之效。

精準治療周邊產業相關法規部分，衛福部於2015年6月修正《醫療器材管理辦法》，將醫療器材依型態及功能做類別及風險程度分級管理，屬於中、高風險體外診斷醫療器材在上市前需進行臨床試驗或臨床評估，由此可加快體外診斷醫療器材發展速度，提供精準藥物開發使用。2020年為加強體外診斷醫療器材之管理，進一步公告《伴同式體外診斷醫療器材技術基準》，提供企業在產品研發與申請查驗登記之參考。

在資料庫及數據管理應用方面，因應精準治療之創新藥物及新興醫療技術發展，對相關數據與資料庫的使用需求，且為加速精準藥物開發，衛福部於2010年2月頒布《人體生物資料庫管理條例》，制定生物檢體及衍生物取得、保存規範及生物資料庫管理及運用原則，以加速精準藥物開發及技術發展，促進臺灣積極朝向精準醫療發展。隨著國際上納入真實世界數據／證據之佐證為臨床應用趨勢，衛福部也於2020年公告《採用電子病歷資料進行臨床試驗（研究）應注意事項》，並推動《真實世界證據支持藥品研發之基本考量》，以協助精進臨床試驗設計，並作為藥品上市前後療效或安全性之輔助性證據。

另一方面，透過數位軟體或裝置以單獨或結合藥物／裝置／療法的方式，在實證基礎上介入治療、控制或預防疾病的數位療法漸成為現有藥物之療效提升或現有藥物外之治療模式的精準醫療新選項，臺灣因應這類新興數位療法或數位醫材之發展多元及風險管理，行政院於2021年正式施行「醫療器材管理法」，完整醫療器材全生命週期管理制度；為確保應用人工智慧／機器學習技術之醫療器材軟體之安全、效能及品質，衛福部參考國際醫療器材相關規範管理，於2020年公告《人工智慧／機器學習技術之醫療器材軟體查驗登記技術指引》，以作為相關產品查驗登記參考。

以真實世界數據／證據以及電子病歷資料推動精準治療發展趨勢下，數據治理成為加速產業發展與強化精準治療應用之關鍵。衛福部因應資訊化時代需求，於2021年12月預告「醫療機構電子病歷製作及管理辦法」修正草案，並已於2022年2月7日完成徵詢意見，將全面推動電子病歷資料雲端化，朝向無紙化與電子簽認證，加強保障電子病歷資料安全之機制。除了資訊系統，更將發展納入醫療儀器生命週期的資訊安全管理，對平時儲存大量數據的檢測、診斷醫療器材，提升資訊安全保護措施，營造健全發展環境。

整體而言，臺灣精準治療發展相關法規配套已逐漸在相關藥品認定、臨床試驗與審查流程上開放與健全，同時因應大數據與數位科技時代的來臨，亦逐步納入周邊服務與診斷相關法規，產業生態系建構漸顯完善（表3-1-2）。透過與產業專家深度訪談，由臺灣本土之發展條件與需求來看，細胞與再生治療發展為臺灣可優先發展之精準治療領域，因此建議在配套法規上可優先參考以再生醫療為發展主軸的日本，如能加速我國再生三法的通過與施行，縮短產品上市期程，將有助提升國際競爭力。另納入RWD/RWE相關資料於精準療法應用已為全球之趨勢，我國政府雖亦規劃納入相關之應用，然而配套法規尚在草案階段，與先進國家相較略有落後，應加緊腳步以完善產業發展。





表 3-1-1 臺灣精準治療相關生物資料庫平台計畫

	臺灣人體生物資料庫	臺灣癌症登月計畫	國家級人體生物資料庫整合平台
成立年度	2012	2016	2019
生物資料規模	累計15.7萬名志願者	中研院與其他醫學中心：肺癌400人、乳癌400人與大腸癌200人 長庚體系：口腔癌400人與大腸癌400人	整合31家醫療單位人體生物資料庫，收案數共計56萬多例，其中包含腫瘤收案9萬例，一般民眾44萬例，其他慢性疾病3萬多例
生物資料類型	基因體學、表觀遺傳學、代謝體學、環境毒物、影像資料等	蒐集重大癌症腫瘤組織與血液等其他臨床樣本	DNA、RNA、組織與血液等其他臨床樣本
平台特色	蒐集生物檢體與健康資訊，找出造成常見疾病之危險因子以促進國人健康及疾病預防	與美國征服癌症登月計畫共同合作，建立蛋白基因體學整合型平台，用於檢測及標靶藥物適藥性評估	經授權同意以及串連國內其他資料庫，具嚴格個資管控規範，讓學術界與產業界使用

表 3-1-2 臺灣精準治療相關法規 / 指引及推動重點與效益

法規 / 指引	推動重點與效益
<ul style="list-style-type: none"> • 2016《生技新藥產業發展條例》，於 2021 年更名為《生技醫藥產業發展條例》 • 2016 年《人體試驗管理辦法》，有條件開放細胞治療 • 2017 年《相關藥品臨床試驗計畫審查流程精進措施》，建立細胞治療／基因治療產品臨床試驗計畫快速審查機制 • 2018 年《特管辦法》開放 6 項細胞治療技術、增加細胞儲存場所的正式規範標準，另於 2021 年也將實驗室開發檢測 (Laboratory Development Tests, LDTs) 納入規範 • 2018 年《再生醫療製劑管理條例 (草案)》，及 2021 年《再生醫療發展法 (草案)》與《再生醫療施行管理條例 (草案)》縮短再生醫療製劑上市期程及加速再生醫療發展 	<p>將精準醫療、數位醫療、再生醫療、創新技術平台、新劑型製劑、CDMO 等新增納入適用對象，帶動相關精準治療產業蓬勃發展</p>
<ul style="list-style-type: none"> • 2018 年《藥品突破性治療認定要點》與 2019 年《小兒或少數嚴重疾病藥品審查認定要點》 • 2019 年《新藥查驗登記精簡審查機制》，精簡審查程序加速新藥審查上市 	<p>朝向再生醫療及 LDTs 發展，健全精準療法，截至 2021 年底共有 114 家企業通過特管辦法核定</p>
<ul style="list-style-type: none"> • 2010 年《人體生物資料庫管理條例》制定生物資料庫管理與運用原則 • 2015 年修正《醫療器材管理辦法》與 2020 年《伴同式體外診斷醫療器材技術基準》加快體外診斷醫材發展 • 2020 年《採用電子病歷資料進行臨床試驗 (研究) 應注意事項》，並推動《真實世界證據支持藥品研發之基本考量》協助精準治療臨床試驗設計 • 2020 年《人工智慧／機器學習技術之醫療器材軟體查驗登記技術指引》，協助 AI 相關產品查驗登記參考 	<p>放寬藥品突破性認定，加速藥品審查上市，截至 2021 年底通過小兒或少數嚴重疾病藥品審查機制認定者共 20 件、取得核准 11 件；藥品突破性治療認定者共 4 件、取得核准 4 件；新藥查驗登記優先審查認定 60 件、取得核准 51 件；新藥查驗登記加速核准認定 22 件、取得核准 21 件</p> <p>健全周邊服務與診斷，完善生態系</p>

資料來源：DCB 產業資訊組整理 (2021.12)

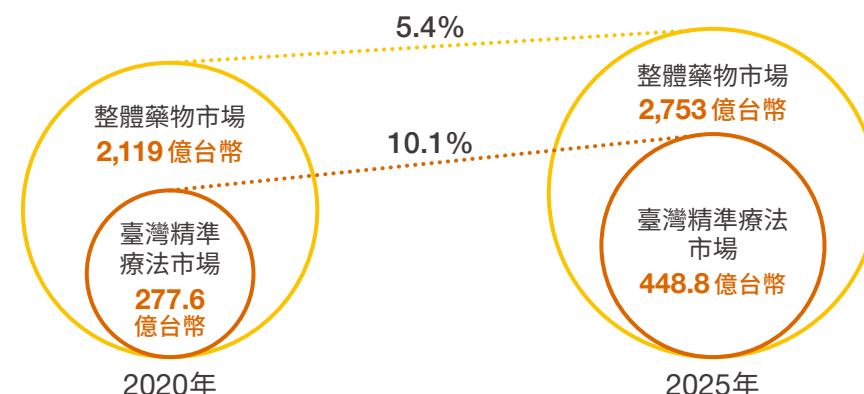
二、臺灣精準治療市場分析

(一) 臺灣精準治療市場

在醫療需求與日俱增、臺灣整體藥物市場多年來維持穩定成長下，雖然受到健保署藥價管控的影響，但隨著多項高價標靶新藥納入健保及高價新興療法（如細胞治療、基因治療等）持續進入自費市場，使得2017～2020年臺灣整體藥物市場複合年成長率（Compound Annual Growth Rate, CAGR）達7.3%，也帶動了臺灣精準治療產業中的精準療法市場表現，根據DCB產業資訊組估算，2020年臺灣精準治療市場規模為新台幣338.4億元，2017～2020年CAGR為29.8%，預估到2025年市場規模將達536.9億元，2020～2025年CAGR為9.7%。

2020年臺灣精準療法市場約新台幣277.6億元，約占臺灣整體藥物市場13.1%，預估至2025年，臺灣精準療法市場將達448.8億元，2020～2025年CAGR為10.1%，在臺灣整體藥物市場占比將提升為16.3%。隨著檢測診斷及大數據與分析的普及，精準治療產業納入相關周邊服務與精準診斷，2020年臺灣精準治療周邊服務市場規模推估為37.7億元，精準診斷市場則為23.1億元，分別占臺灣精準治療市場之11.1%與6.7%；預估到2025年市場規模將分別達51.5億元與36.6億元（圖3-2-1）。

圖3-2-1 2017年、2020年及2025年臺灣精準治療市場預測



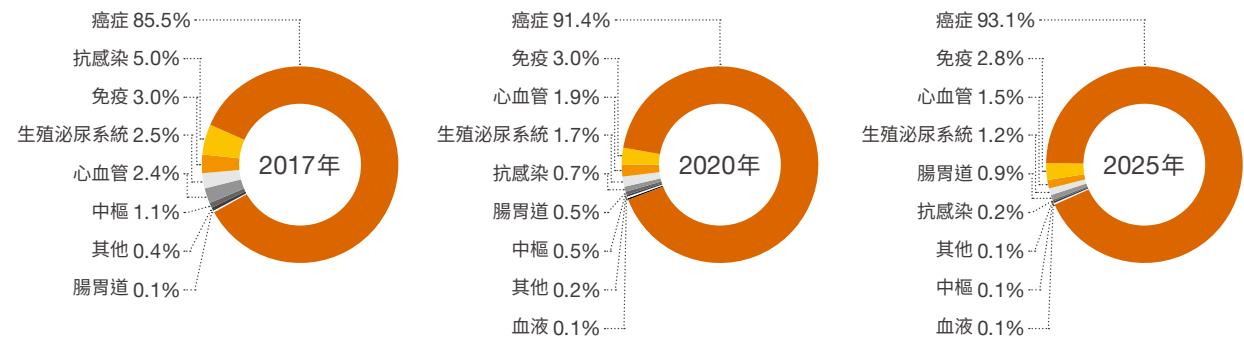
註：精準療法市場規模為在臺灣上市之精準藥物及療法之銷售額；精準診斷及周邊服務市場規模為根據企業回卷之營業額與上市櫃公司年報值加總估算

資料來源：IQVIA 資料庫；DCB 產業資訊組整理估算 (2021.12)

臺灣已上市的精準療法藥品為美國核准上市後輸入，目前以癌症、免疫系統、心血管疾病、生殖泌尿系統及抗感染的治療領域為主，預估 2025 年，癌症精準療法藥物占比將增加至 93.1%；與 2017 年相比較，在罹癌率逐年攀升情形下，標靶治療、細胞治療、基因治療及伴同式診斷成為癌症新興療法，帶動癌症領域治療藥物市場明顯成長（圖 3-2-2）。而抗感染類藥物部分，主係抗 C 型肝炎病毒藥物，健保署於 2017 年將抗 C 型肝炎病毒藥物納入健保給付，擴大患者受惠治癒率提升，抗感染藥物花費顯著下滑，藥物市場分布逐漸轉為以慢性病為重心。

進一步分析臺灣各疾病領域精準療法藥物市場成長情形，預估未來仍以癌症與免疫系統藥物為精準療法前二大藥物市場，2020 ~ 2025 年之 CAGR 預估分別可達 11.2% 與 9.9%（表 3-2-1）。免疫系統藥物快速成長與臺灣自體免疫疾病患者數快速成長有關，自體免疫疾病為臺灣十大重大傷病第三位，每年大約新增 4,000 例，近十年，臺灣自體免疫疾病患者人數成長 73%。另抗中樞神經藥物與感染藥物市場因近年藥廠生產排程，烏俄衝突及油價上漲造成原料短缺問題，目前尚無因應措施，預估至 2025 年之市場銷售將持續下滑。

圖 3-2-2 2017 年、2020 年及 2025 年臺灣各疾病領域精準治療藥物市場分布變化



資料來源：IQVIA 資料庫；DCB 產業資訊組整理推估 (2021.12)

表 3-2-1 2017~2025 年臺灣各疾病領域精準療法藥物市場預測

單位：新台幣億元；%

疾病領域	2017 年銷售額	2020 年銷售額	2025 年銷售額	2020~2025 年 CAGR
癌症	132.4	238.1	405.6	11.2
免疫系統	4.6	7.7	12.4	9.9
心血管	3.8	5.0	6.6	5.4
生殖泌尿系統	3.8	4.3	5.1	3.3
抗感染	7.7	1.7	0.8	-10.4
腸胃道	0.01	1.4	3.7	21.7
中樞神經	1.6	1.2	0.6	-14.1

資料來源：IQVIA 資料庫；DCB 產業資訊組整理推估 (2021.12)

(二) 臺灣精準治療產品及服務

臺灣精準治療企業在精準治療產品及服務開發的疾病領域上，多以開發癌症治療藥物及相關檢測產品為主，占 35.1%，感染性疾病占比因 COVID-19 疫情發生後檢測及治療需求增加而上升，約占 21.9%，另有眼部疾病、呼吸系統疾病及消化代謝等其他疾病領域約占 23.8%（圖 3-2-3）。

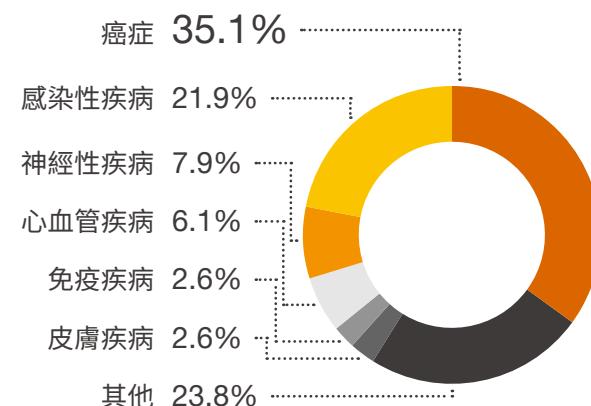
1. 精準治療上市產品及服務發展現況

在精準療法方面，已上市產品大多來自國際藥廠開發之產品，其中長年蟬聯臺灣前十大藥品之列的 4 大精準藥品分別為 Roche 的 Avastin（癌思停）及 Herceptin（賀癌平）、Merck 的 Keytruda（吉舒達）及 AstraZeneca 的 Tagrisso（泰格莎），其銷售總額占臺灣精準療法市場比重高達 33.4%，顯示目前臺灣精準療法市場仍由國際大廠所掌控。我國本土業者除已有智擎開發之抗癌藥物 2015 年成功於美國及臺灣上市、中裕開發之愛滋病用藥於

2018 至 2019 年間成功在美歐上市及藥華之紅血球增多症藥品於 2019 至 2021 年間成功在美歐上市外，多數企業開發之精準治療新藥仍在臨床開發階段。

在精準診斷及周邊服務方面，企業開發之產品或服務，以疾病檢測診斷占比最大，超過六成企業發展包含癌症基因檢測、心血管及神經退化等之精準診斷產品，其次則為藥物篩選及相關數據服務，近 2 年因 COVID-19 肆虐全球，因此許多企業亦投入 COVID-19 檢測試劑產品開發。根據本研究團隊分析，2021 年臺灣精準治療企業發展之精準診斷產品及周邊服務主要之適應症領域，企業對於癌症相關診斷產品及服務的開發占比最高，約 33.3%，因應全球疫情發展及檢測需求，COVID-19 檢測產品發展躍升至第二，約占 19.4%；由於全球逐步邁向高齡化社會，因老化引起之心血管、神經、慢性代謝疾病與腸胃道疾病隨之增加，順應國際趨勢，臺灣企業對於心血管、代謝及腸胃道診斷產品及相關服務也隨之增加。

圖 3-2-3 臺灣精準治療企業產品及服務開發方向—依疾病領域分

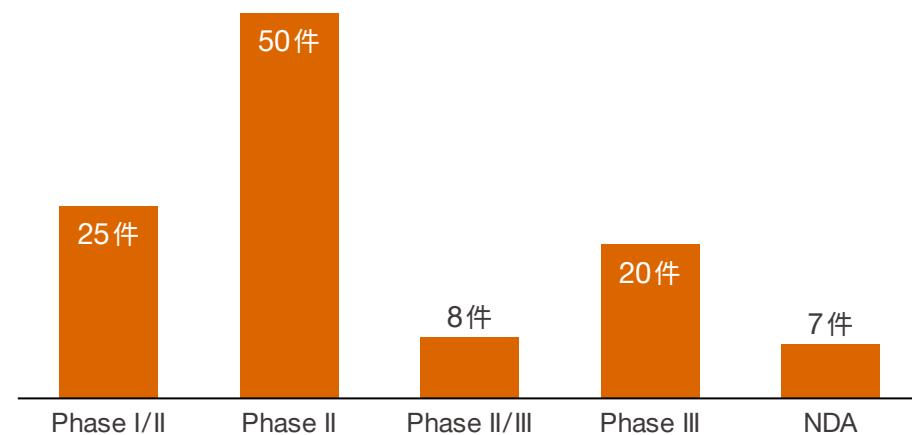


資料來源：DCB 產業資訊組 (2021.12)

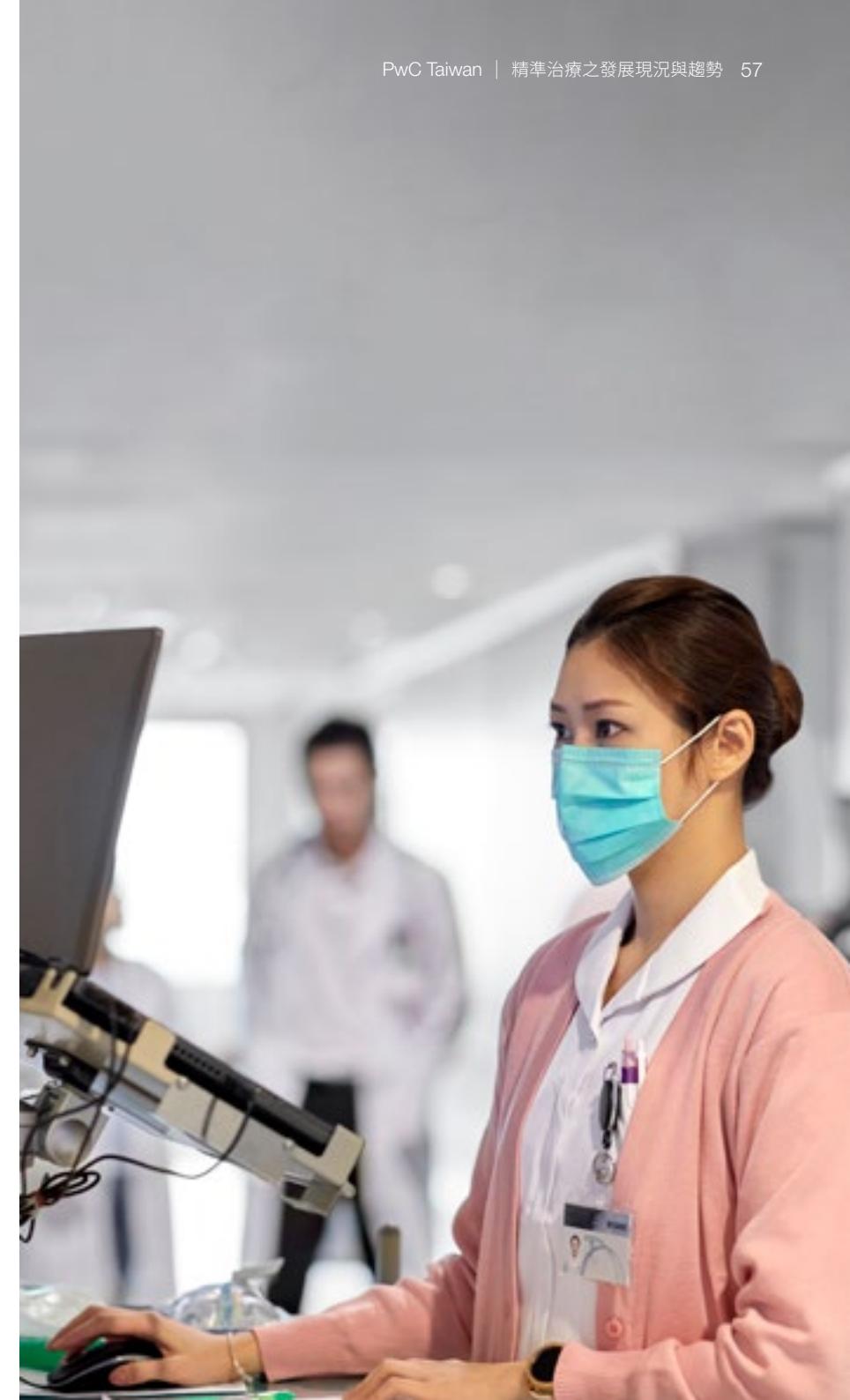
2. 臺灣臨床階段之精準療法產品

近年來臺灣企業積極投入新藥研發，相關研發成果亦逐步發展，根據本研究團隊統計資料，分析我國具精準療法開發潛力之藥物發展現況，觀察已完成臨床I期安全性驗證，開始進入臨床II期小規模或臨床III期大規模的療效驗證，且具標靶導向之潛力精準療法藥品。臺灣臨床階段精準療法藥品（截至2021年12月底）達110件，其中以臨床II期共有50件，占比為最高，約占四成六，其次為臨床I／II期共25件，約占22.7%，及臨床III期20件，占18.2%，另亦有7件產品進入藥品查驗登記申請（New Drug Application, NDA）階段，占比6.4%（圖3-2-4），顯示我國精準治療潛力藥品雖目前多處於研發階段，但持續有新產品研發中，預計2-3年內即可有國產品進入市場。

圖3-2-4 臺灣潛力精準治療藥物各臨床階段件數分布



資料來源：DCB 產業資訊組 (2021.12)

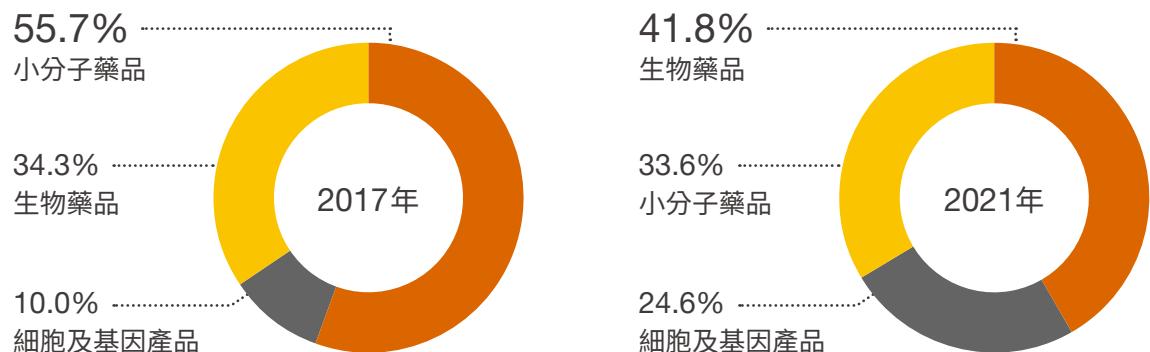


進一步分析臺灣企業主要研發之產品類型，110件精準療法藥物中，生物藥品共有46件，占整體精準療法藥品41.8%，小分子藥品次之，約占33.6%，細胞及基因產品則是位居第三，約占24.6%；比對2017年精準療法藥物之發展，截至2017年12月底共70件精準療法藥品，以小分子藥品占比最高，占比超過五成，其次為生物藥品，約占34.3%，細胞及基因產品則是位居第三，

約占10.0%。比較2017年與2021年之差異，可看到2021年生物藥品由於技術創新，新興生物技術持續發展，疫苗及抗體新藥件數增加；小分子藥品以開發作用標的多元之新成分新藥為主；細胞與基因產品於2017年僅有間質幹細胞治療產品，在國際間癌症細胞免疫療法盛行且技術不斷演進下，現有更多企業投入免疫細胞發展，癌症治療用之免疫細胞開發件數呈倍數增加（圖3-2-5）。

進一步觀察精準療法藥物主要開發之適應症領域，癌症仍是企業開發的重點項目，約占整體精準療法藥物之39.1%，其次為感染相關疾病及神經相關疾病，分別為23.6%及10.9%（圖3-2-6），與2017年相較，前三大占比之適應症維持不變，分別為癌症38.0%、感染相關疾病24.1%及神經相關疾病11.1%，表示癌症、感染及神經相關疾病一直以來皆為精準療法企業重點開發領域。

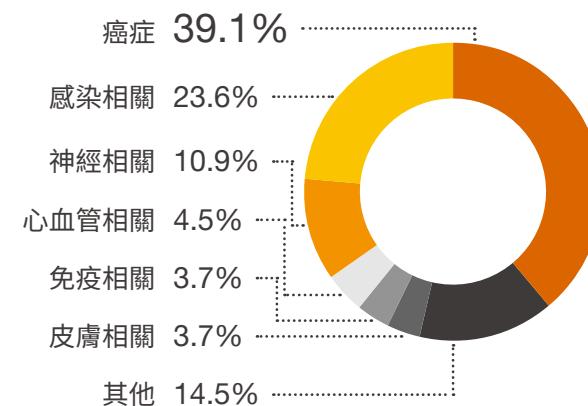
圖3-2-5 2017年及2021年臺灣臨床階段新藥研發狀況



註：資料統計分別為2017年12月底及2021年12月底

資料來源：DCB 產業資訊組 (2021.12)

圖3-2-6 臺灣精準療法藥物臨床階段研發現況—依適應症領域



資料來源：DCB 產業資訊組 (2021.12)



(三) 臺灣精準治療產業企業

由公開資訊取得已註冊或營運地在臺灣之上市櫃及非上市櫃生技新藥企業近 400 家，篩選以精準療法為主要核心業務（包含標靶藥物、核酸藥物、細胞／基因治療及數位療法）之企業約占 15%。另，伴同式診斷及輔助診斷企業為篩選針對特定藥物「投藥前」及特定基因或標靶之診斷產品開發企業；周邊服務企業為篩選以基因體學、大數據分析或數位科技等檢測技術及資訊科技，提供精準檢測及資料庫服務與藥物篩選／設計／開發平台之企業，圖 3-2-7 為臺灣精準治療產業主要代表企業之佈局情形。

由全球精準治療發展趨勢觀察臺灣精準治療產業現況，目前多家精準治療企業投入此一領域，且其發展狀況已與過去有所改變，為呈現臺灣精準治療領域產業現階段發展樣貌，本報告於 2021 年 9 月至 2022 年 3 月執行產業深度調查，以調查及分析新世代精準治療產業發展之趨勢、臺灣精準治療產業現況與所面臨瓶頸，並結合提出臺灣發展精準治療產業未來發展方向與商業模式建議。

圖 3-2-7 臺灣精準治療產業主要代表企業

精準療法

標靶藥物			
Genovate HumiLife SynCoreBio ELIXIRON NOVARTIS Polaris 台睿生技 凤凰生物科技股份有限公司	GoldenTech 國鼎生技 OBI PHARMA tla firGenix ONENESS PharmaEngine Immunwork CYTODIM CHO PHARMA, INC.	PharmaEssentia ONTbm Meltex Senhwa AMIS BOARD UNITED BIOPHARMA	Talvex

細胞 / 基因治療				
PEL 長聖生技 TriArm Locus Precision Biotech GW-XI MERIDIGEN ochrebio mello biotech VACINO 建鼎生技股份有限公司 視光生醫 U-NEURON Acropedia	UnicoCell BIOCE therapeutics StemCyte MetaTech TaiwanBio Aegea	尖端醫 BIONET Maria-on EMO 光隱生醫 U-neuron	M	PowerHealth

核酸療法	
ochrebio mello biotech VACINO 建鼎生技股份有限公司 視光生醫	建鼎生技股份有限公司 視光生醫

數位療法	
GRAPHEN ORIGIN	樂節智造

精準診斷

伴同式 / 輔助診斷	
INSTANT GENERAL BIOLOGICALS CORPORATION iXensor Applied BioCode COMPAL DermAI LumiSTAR	QUARKBIO KPM FlexBio 創源生技 GGA LumiStar TBG K

周邊服務
臺灣 VIRTUALMAN Dataa mProteoTW Insigneo

資料庫服務
AI Labs.tw RELIANCE BIO onomics VIZURO 安宏生醫 Insilico Medicine

藥物篩選 / 設計 / 開發
AI Labs.tw RELIANCE BIO onomics VIZURO 安宏生醫 Insilico Medicine

檢測服務
QUARKBIO BIOTools WELGENE GRAPHEN ORIGIN 乐医健康 amwise Insigneo onomics

資料來源：DCB 產業資訊組整理 (2021.12)

1. 臺灣精準治療產業營運概況

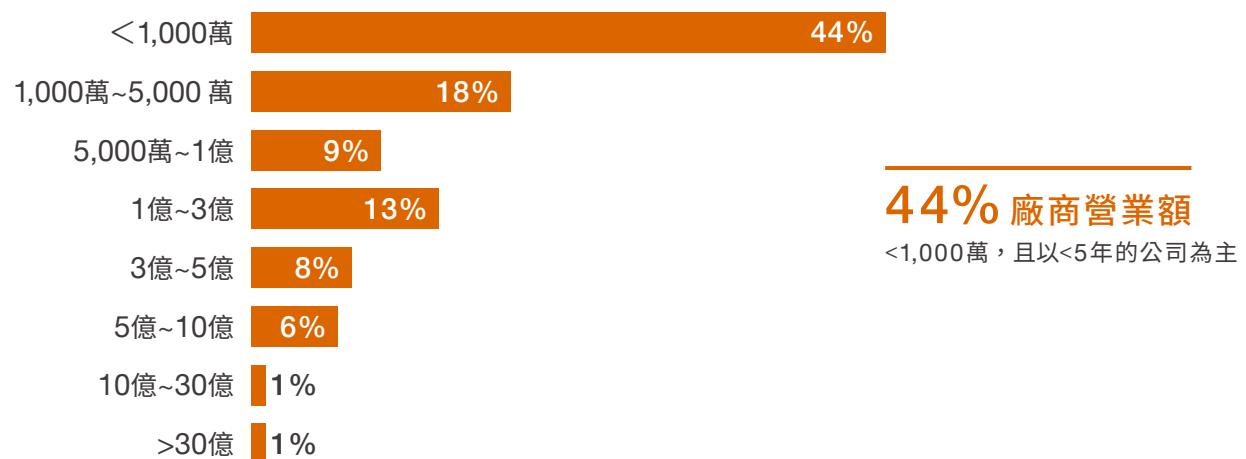
本報告針對參與調查企業進行分析，就產品領域佈局而言，屬精準療法之公司，以成立年限為分水嶺，可看到成立 5 年以上之成熟公司以開發標靶藥品為最多，占 52.9%，其次為細胞／基因療法，占 47.1%；以成立 5 年以內的新創公司而言，共有 53.3% 企業開發細胞／基因療法、40% 企業開發標靶藥品、更有 6.7% 企業開發數位療法，可見隨著新興療法在國際市場上市與新穎技術之演進，臺灣業者紛紛積極投入創新技術療法開發。屬周邊服務業者，成立 5 年以上之成熟公司以基因檢測服務為主，占 77.8%，藥物篩選／設計／開發服務則占 22.2%。而成立 5 年以內的新創公司已有佈局生物資料庫分析，及導入 AI 分析技術於藥物開發服務，憑藉臺灣於 ICT 與科技業優勢，已佈局國際趨勢之新世代精準治療領域。而屬精準診斷業者，則多以開發輔助診斷產品為主。

就產品營業額預估而言，2020 年公司營業額以未滿新台幣 1,000 萬元之企業占比最高，約占整體回卷企業之 44%，其中又以成立未滿 5 年之新創

公司為主；反之，2020 年公司營業額超過新台幣 5 億元之企業共有 6 家，包含訊聯、永昕、藥華、智擎及仁寶等中、大企業為主（圖 3-2-8）。以產業領域別來看，2020 年公司營業額未滿新台幣 1,000 萬元之占比，分別為精準療法 60%、精準診斷 10% 及周邊服務 30%。臺灣精準治療企業營收規模偏小，觀察其原因，營業額小於新台幣 1,000 萬元者多為成立 5 年內之新創公司，這些公司雖在創立初期，技術及服務仍在建構中，一旦將核心技術商業化後，營收動能將會呈現跳躍式成長。

在資源投入現況方面，因多種精準療法創新產品及周邊服務於研究開發階段，加上 5G、IoT 等之發展及跨域合作，故研發人員及經費占比相對較高，計算調查問卷之回覆，超過 52.2% 精準療法企業及 42.9% 周邊服務企業之研發人員占比超過公司總人數 50%；研發經費占比超過公司總經費 50% 的精準療法企業及周邊服務企業分別有 58.7% 與 56.3%，顯見精準療法及周邊服務產業相較於精準診斷產業，重視創新技術投資及技術應用，以能保有產業競爭力與優勢。

圖 3-2-8 臺灣精準治療企業營業額分布



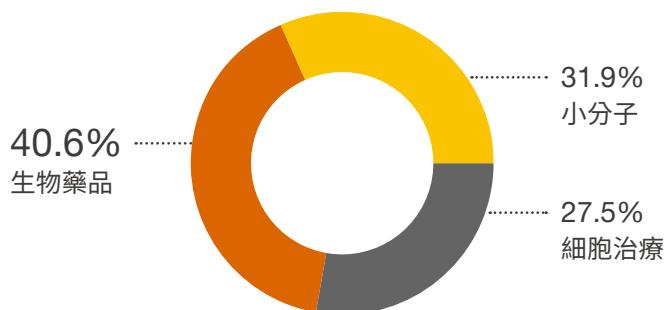
資料來源：調查問卷；DCB 產業資訊組整理及分析 (2021.12)

I. 臺灣精準療法產業之企業

進一步分析臺灣臨床階段精準治療產品，已完成臨床Ⅰ期，並進入臨床Ⅱ期或Ⅲ期驗證之潛力精準療法公司，以開發生物藥品佔比最高，占整體精準療法企業數之 40.6%，並以標靶抗體藥物開發為主，主要企業包括中裕、合一、台康、浩鼎等公司，其中中裕專注於抗愛滋病毒之藥物開發，與其他公司多為抗反轉錄病毒藥物不同，其開發藥物為抗愛滋病毒擬人化單株抗體藥物，以提供病患與醫療人員更多元的用藥方式及更有效的治療，並進一步從新劑型及創新型態藥物再著手延伸開發。精準療法公司佔比第二為從事小分子藥品開發，佔比 31.9%，主要企業如智擎、台睿、逸達、智合及心悅等公司，其中台睿利用新一代多重標靶開發口服小分子抗癌新藥，比針劑更有效治療實體腫瘤，而智合獨創疫苗技術平台，可針對多種疾病發展具有治療與預防效果的疫苗。從事細胞治療者佔比 27.5%，包含三顧、長聖、宣捷、承寶等公司，如三顧為一電子公司，自日本 Cellseed 技轉細胞層片技術後，即積極開展細胞層片新適應症，目前已有產品進入臨床Ⅲ期試驗，此外，三顧亦成立細胞治療產品研發公司，並與日本日立集團合資成立細胞 CDMO 公司，朝向整合細胞上中下游產業發展（圖 3-2-9）。

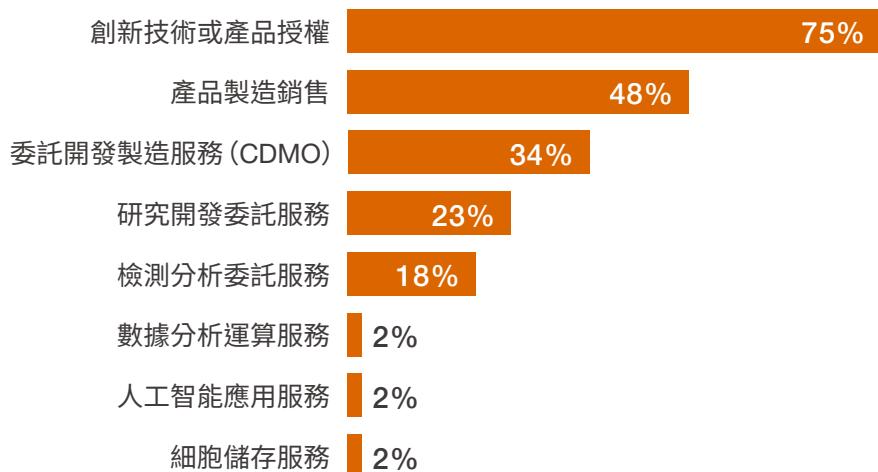
根據本研究之間卷調查統計及分析臺灣精準療法企業之獲利模式，臺灣精準療法企業以創新技術或產品授權為主要獲利模式，產品製造銷售和委託開發製造服務亦是臺灣企業主要獲利模式之一，由於精準療法產品研發周期長且在公司資源有限下，多數企業會在達成特定研發階段，如臨床Ⅰ／Ⅱ期後即進行技術授權，以獲得資金支持公司其他產品的發展（圖 3-2-10）。

圖 3-2-9 臺灣精準療法企業Ⅱ至Ⅲ期臨床試驗之研發產品類型分布



資料來源：DCB 產業資訊組分析進行臨床試驗中之精準療法公司產品類型 (2021.12)

圖 3-2-10 臺灣精準療法企業主要獲利模式



資料來源：調查問卷；DCB 產業資訊組整理及分析 (2021.12)

II. 臺灣精準療法周邊支持產業之企業

臺灣精準治療企業雖多數專注於藥品開發，亦有部分企業專注於開發精準診斷產品及提供周邊服務。

A. 精準診斷企業

精準診斷主要包含伴同式及輔助診斷，佔整體精準診斷及周邊服務企業之 61.8%。臺灣精準診斷企業已上市產品以輔助診斷為主，伴同式診斷產品尚屬開發階段，目前從事精準診斷產品開發的企業，包含奈捷、瑞磁、奎克、普生等，其中奈捷擁有獨特的光纖微流體奈米晶片技術與平台，自行開發或受其他企業委託開發各項「光感測生物指標檢測儀」，以進行多項血液、尿液、膝關節液等體液臨床樣品診斷及檢測。

根據本研究之間卷調查統計及分析臺灣精準診斷企業之獲利模式，精準診斷企業以產品製造銷售為主要獲利模式，其次為創新技術或產品授權，因精準診斷之特性為以產品製造及銷售為導向，不像療法產品的研發時程耗時，精準診斷之產品研發周期短，可以較快進入市場產生營收（圖 3-2-11）。

B. 周邊服務企業

周邊服務企業包含資料庫服務、基因檢測服務及藥物篩選／設計／開發，其中藥物篩選、生物標記篩選平台、次世代定序 (Next Generation Sequencing, NGS) 企業約占 29.4%，藥物開發與數據服務企業占 8.8%。周邊服務企業有圖爾思、賽亞基因、行動基因、基龍米克斯及臺灣人工智慧實驗室等，周邊企業各自擁有自己的技術，提供企業所需之服務，如圖爾思創建一個整合型第三方技術服務實驗室，並且不斷精進及擴增服務內容，以加速推進客戶產品開發進程。

根據本研究之間卷調查分析臺灣周邊服務企業之獲利模式，周邊服務企業主要以提供服務為其主要獲利模式，包含檢測分析、研究開發及數據分析運算委託服務。周邊服務企業本身擁有特定技術平台，在平台建置完成後即可以委託服務方式直接產生營收（圖 3-2-12）。

從價值定位、關鍵活動、核心資源及獲利模式等面向，觀察臺灣精準治療產業企業之商業發展模式，可大致分為三大類型：價值核心型、平台服務型及解決方案型。其中如擁有關鍵技術及產品的中裕、台睿及智合專注於自身領域的發展，透過精進相關藥物及平台技術發展，吸引其他藥廠技轉或共同合作開發藥物，使得自有技術不斷深化，為價值核心型之公司；三顧原為電子業，從日本技轉細胞層片技術後拓展適應症，該產品目前已進入臨床 III 期試驗，同時其他幹細胞製劑在《特管辦法》下也獲准於醫療院所施作，此外透過設立合資公司的方式，佈局細胞治療產業鏈之研發與製造端，為解決方案型之公司；行動基因、奈捷及圖爾思各自擁有獨特之技術平台，透過合作開發及提供檢測與整合型服務等方式，一方面精進技術量能，一方面持續拓展客源，為平台服務型之公司。

圖 3-2-11 臺灣精準診斷企業主要獲利模式

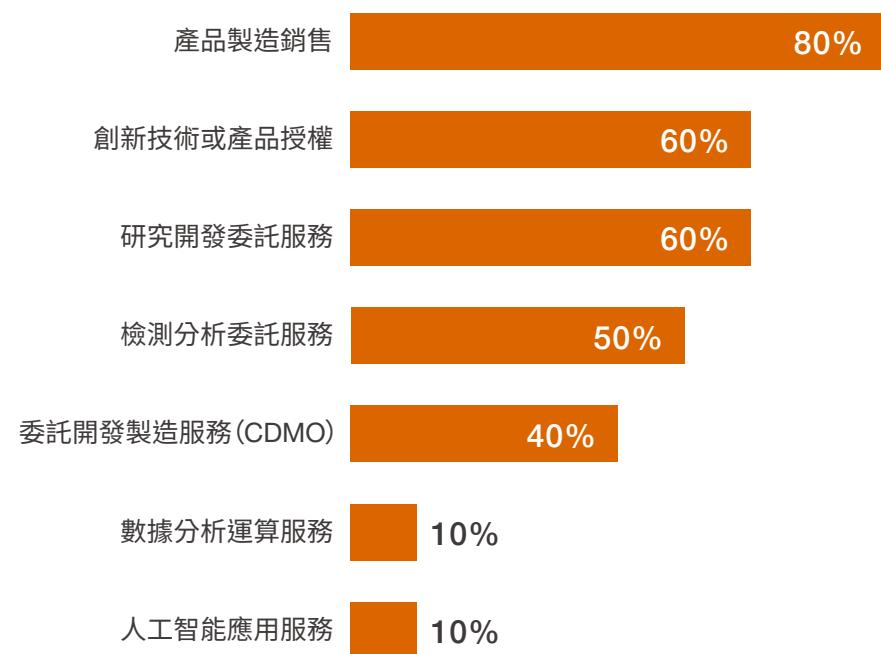
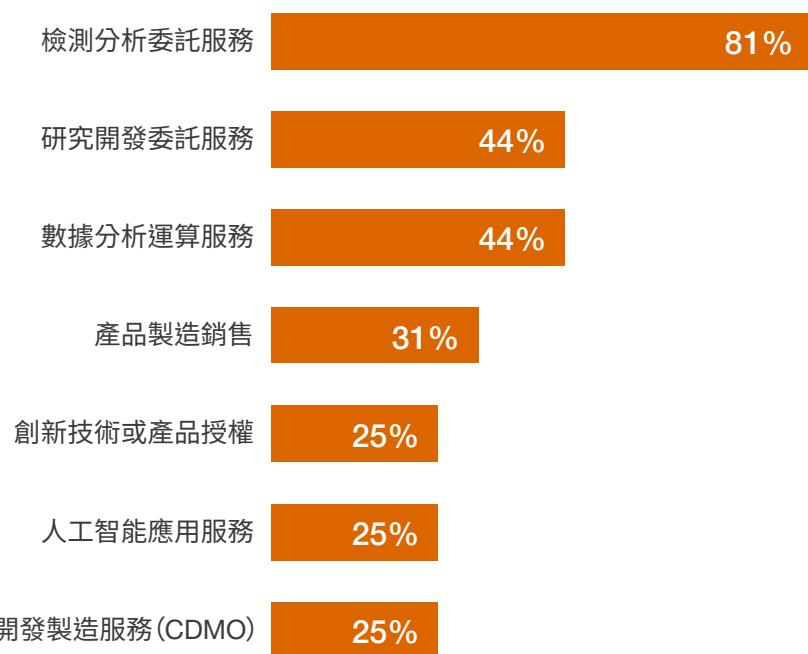


圖 3-2-12 臺灣周邊服務企業主要獲利模式



資料來源：調查問卷；DCB 產業資訊組整理及分析 (2021.12)

資料來源：調查問卷；DCB 產業資訊組整理及分析 (2021.12)

2. 臺灣精準治療產業海外佈局概況

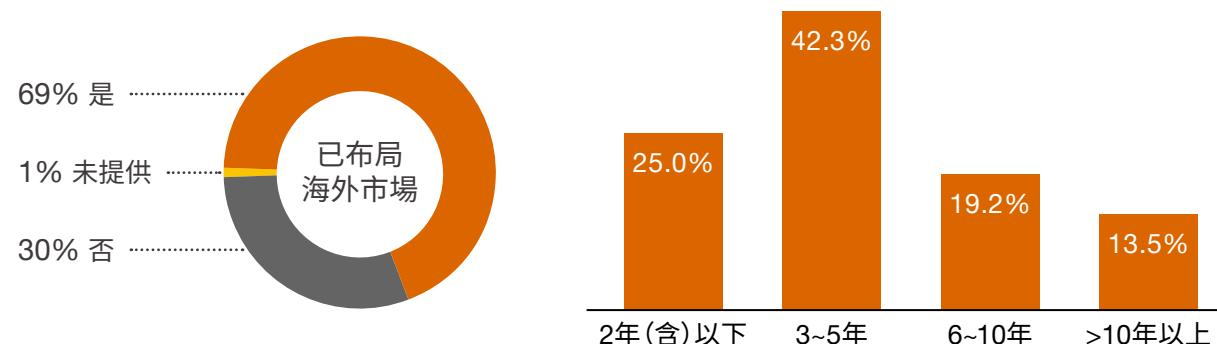
我國內需市場因規模有限，精準治療企業為擴大市場以增加營收，積極佈局海外市場，並藉由選擇具市場利基及高競爭性的產品／技術或服務朝國際發展。根據研究團隊針對調查問卷之回覆，統計國際化佈局現況，有近七成之受訪企業已於海外佈局發展，其中約 42.3% 企業已佈局 3～5 年，25.0% 企業佈局 2 年以下，19.2% 企業已佈局 6～10 年，13.5% 企業佈局更長達 10 年以上（圖 3-2-13），並以精準療法及診斷企業海外佈局較多。

業界與專家意見領袖指出，精準治療產業因領域屬性不同，企業對海外市場的需求亦有不同，如以產品導向之精準療法及診斷企業，因其需要透過技術合作共同開發產品，或取得當地銷售通路行銷產品，因此多以合資成立海外公司或收併購已有當地通路之海外企業達成海外佈局；周邊服務業者由於多屬起步階段，且檢測服務多有在地化問題，需將檢體送回臺灣，或是在當地建立檢測實驗室與檢體傳送網絡，對財務負擔較大，因此仍以國內服務業務開拓為現階段方向。

另一方面，多數受訪企業表示由於國際市場進入不易、國際法規與商業發展及談判人才招募不易為目前海外佈局之主要挑戰。結合上述意見領袖觀點，建議可由政府引領企業出海，透過參與北美生物科技產業展 (BIO) 與國際醫療 MEDICA 展覽等加強國際媒合，尋找合適的合作夥伴，透過合資

或合作結盟等方式擴展國際市場。如疫情期间使得生醫企業前往海外業務拓展和洽談外銷或授權不易，因此臺灣對外貿易發展協會運用數位科技攜手 2,000 家臺灣生醫企業組成「線上防疫國家館」平台，向國際展現臺灣生醫產業競爭力，行銷臺灣模式讓世界看見，吸引國際合作機會。

圖 3-2-13 臺灣精準治療企業國際佈局—依佈局時程



海外佈局包括海外臨床試驗、產品外銷、與海外公司共同合作、或設立海外營運據點等

資料來源：調查問卷；DCB 產業資訊組整理及分析 (2021.12)

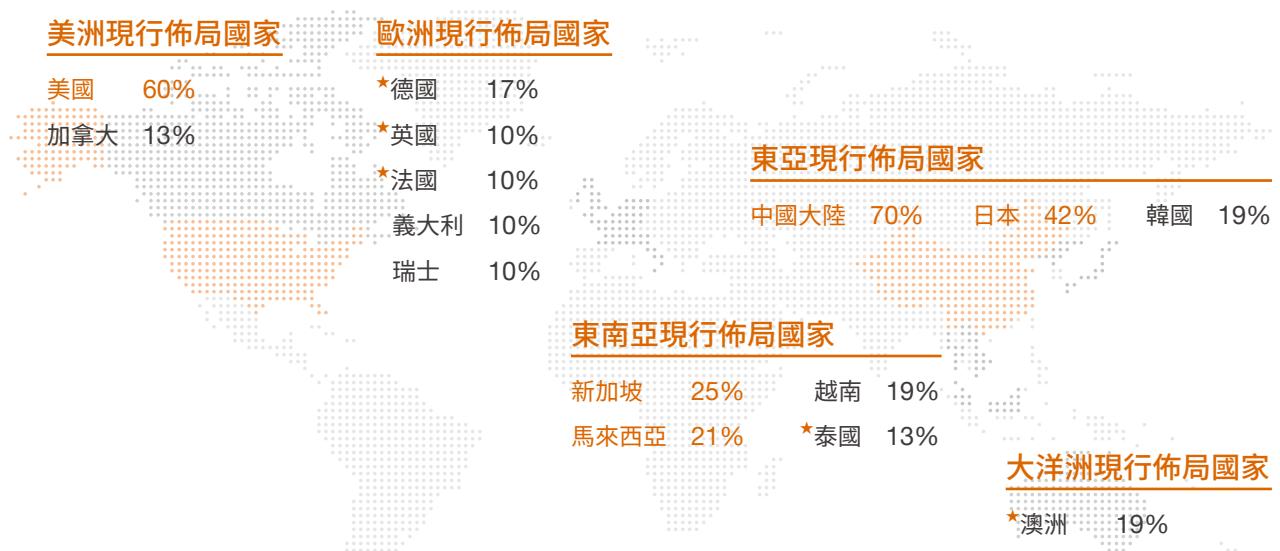
觀察我國精準治療企業現行海外佈局國家／地區占比，以中國大陸最多，占比達 70%；美國次之，有 60% 企業佈局於此，接著依序為日本、新加坡、馬來西亞等國家（圖 3-2-14）。

業界與專家意見領袖指出海外佈局優先考量市場潛力和當地技術與法規成熟度，故擁有先進精準

治療技術之美國、日本及具有龐大醫療市場需求的中國大陸和馬來西亞被認為是最有發展潛力之市場。在商務環境方面考量重點包括稅制、投資環境、地理物流、生活語言環境、人才可取得程度、政府行政效率及透明度等多個面向，具有相對較低稅率與吸引外資政策的新加坡、提供外資發展科技創新產業免稅期優惠的泰國，與具有研發獎勵

租稅優惠的澳洲皆為佈局重點。在歐洲，取得歐洲藥品管理局 (European Medicines Agency EMA) 的醫藥品認證是切入當地市場關鍵，而與精準診斷相關的歐盟新版體外診斷醫療器材法規 (IVDR, In Vitro Diagnostic Medical Devices Regulation) 於 2022 年 5 月 26 日開始實施，並依風險等級不同陸續於未來 5 年內全面改用新制，醫藥技術發展先進之德國、英國、法國等市場對於新法規的銜接與適用較快，可作為臺灣企業優先考量佈局之地區，更進一步拓展市場到其他歐洲地區。

圖 3-2-14 臺灣精準治療企業認為最具發展潛力市場分布



橘字表目前最多企業已投入者，星號「★」表企業認為未來最有潛力之市場

註：統計樣本數為 78 份有效問卷，填卷方式為複選

資料來源：調查問卷；DCB 產業資訊組整理及分析 (2021.12)

綜觀臺灣精準治療產業之發展，在政策支持下，以健保資料庫為根基，並經由單一國家級整合平台的力量，加速法規發展與產業成長。與全球精準治療藥品發展趨勢一致，臺灣癌症標靶治療生物藥品之研發中產品線豐沛，研發中細胞與基因治療產品亦持續成長。臺灣業者於精準療法、精準診斷、周邊服務皆有佈局，並透過發展不同價值定位、聚焦不同關鍵活動、掌握不同核心資源，並發展不同獲利模式，找到全球精準治療生態系中的利基點。



結語

儘管疫情尚未遠離，全球經濟體系重新從風暴中站穩腳步，並逐步走向穩定控制與開放共存。經歷新冠疫情、貿易壁壘及全球供應鏈衝擊，臺灣企業紛紛找到變動環境下穩定成長的策略。受惠國際經貿逐漸復甦，市場對數位產品及服務需求上揚，臺灣各產業對未來前景預估均屬樂觀。依據資誠所發布《2022臺灣企業領袖調查》結果顯示，有高達 81% 企業領袖認為未來一年臺灣經濟成長率將提升。依據行政院主計處 2022 年 5 月公布之數據，預測臺灣 2022 年經濟成長率 3.91%，在 2021 年逾 6% 成長率基礎上，持續呈上升趨勢。

精準治療產業在生醫產業生態系轉變、患者參與、產業智慧化轉型之下獲得成長動能。如同本報告所列舉，一些成功標竿企業發展出成功商業模式，聚焦具市場性與利基選題，並取得國際合作成果。

而我們正身處精準治療產業邁向 3.0 賽景的轉捩點，業者已開始應用 AI 大數據演算法，分析真實世界證據，發展創新生物標記，並佈局細胞、基因治療、核酸藥物等新興精準治療產品。

如全球生技協會 (BIO) 總裁 Michelle McMurry-Heath 所說：「生醫產業的成功，仰賴健全與共同合作的生態系，連結生醫團隊、產業環境、與資金活水。」本報告彙整國內外趨勢報告，與本次訪談專家建議，提出在人才、法規、健保給付、公私協力、供應鏈組建、投資環境方面建議，期待各界做為參考，共同努力進一步帶動產品研發成果成長茁壯，於國際競爭取得優勢，並佈局全球市場。疫情加速產業數位化，也讓企業更加重視永續責任。數位科技結合綠色永續的成長雙引擎，帶動生醫產業建構強勁韌性，並在全球產業生態系變革中找到利基，擁抱變革，將幫助生醫產業在變動的環境下保持永續成長動能。

附件

中英文縮寫對照表

序號	英文縮寫	英文全名	中文全名
1	ADC	Antibody-drug Conjugate	抗體藥物複合體
2	AI	Artificial Intelligence	人工智能
3	ALK	Anaplastic Lymphoma Kinase	間變性淋巴瘤激酶
4	BCR	B cell receptor	B 細胞受體
5	BTC	Bio Taiwan Committee	行政院生技產業策略諮詢委員會
6	CAGR	Compound Annual Growth Rate	複合年成長率
7	CAR-T	Chimeric antigen receptor T cell	嵌合抗原受體 T 細胞
8	CDMO	Contract Development and Manufacturing Organization	委託研究開發暨生產服務
9	CEO	Chief Executive Officer	執行長
10	COVID-19	Coronavirus disease 2019	嚴重特殊傳染性肺炎
11	DCB	Development Center for Biotechnology	財團法生物技術開發中心
12	DDTs	Drug Development Tools	藥物開發工具
13	DHCoE	Digital Health Center of Excellence	數位健康卓越中心
14	DNA	Deoxyribonucleic acid	去氧核糖核酸
15	EGFR	Epidermal growth factor receptor	表皮生長因子受體
16	EUA	Emergency Use Authorization	緊急使用授權
17	FDA	Food and Drug Administration	美國食品藥物管理局
18	GDP	Gross Domestic Product	國內生產毛額

序號	英文縮寫	英文全名	中文全名
19	GDPR	General Data Protection Regulation	歐盟一般資料保護規範
20	GMP	Good Manufacturing Practice	優良製造規範
21	HIPPA	Health Insurance Portability and Accountability Act	健康保險可攜及責任法案
22	IC	Integrated Circuit	積體電路
23	ICT	Information and Communication Technology	資訊與通信科技
24	ILAP	Innovative Licensing and Access Pathway	創新藥品藥證審核途徑機制
25	IoT	Internet of Things	物聯網
26	IRB	Institutional review board	科學研究與倫理審查委員會
27	IVDs	In Vitro Diagnostic Devices	體外診斷醫療器材
28	IVDR	In Vitro Diagnostic Medical Devices Regulation	歐盟體外診斷醫療器材法規
29	LDTs	laboratory developed test service	實驗室開發檢測
30	MHRA	Medicines and Healthcare products Regulatory Agency	英國藥品暨醫療產品管理局
31	MID-NET	Medical Information Database Network	醫學訊息數據庫網絡
32	MRD	Minimal Residual Disease	殘存疾病
33	mRNA	messenger RNA	信使核糖核酸
34	NCI	National Cancer Institute	美國國家癌症研究所

序號	英文縮寫	英文全名	中文全名
35	NDA	New Drug Application	藥品查驗登記申請
36	NGS	Next Generation Sequencing	次世代定序
37	NHS	National Health Service	英國國民保健署
38	NIH	National Institutes of Health	美國國家衛生研究院
39	NRDO	No Research Development Only	納豆模式
40	OECD	Organisation for Economic Cooperation and Development	經濟合作暨發展組織
41	PD-1	Programmed Death 1	計畫性死亡受體 -1
42	PD-L1	Programmed Death-Ligand 1	計畫性死亡配體 -1
43	PMDA	Pharmaceuticals and Medical Devices Agency	藥品醫療器材綜合機構
44	PIC/S	Pharmaceutical Inspection. Convention and Pharmaceutical Inspection. Co-operation Scheme	國際醫藥品稽查協約組織
45	PMD Act	The Pharmaceuticals, Medical Devices, and Other Therapeutic Products Act	醫藥品、醫療器材和其他治療產品法
46	PMI	Precision Medicine Initiatives	精準醫療倡議
47	PPP	Public-Private partnership	公私協力模式
48	RWD	Real-World Data	真實世界數據
49	RWE	Real-World Evidence	真實世界證據
50	SaMD	Software as Medical Device	機器學習醫療器材軟體

序號	英文縮寫	英文全名	中文全名
51	SBIR	Small Business Innovation Research	小型企業創新研發計畫
52	Society 5.0	5th Phase of the Basic Science and Technology Plan	第五期科學技術基本計畫
53	SOP	Standard Operating Procedures	標準作業程序
54	TCR	T cell receptor	T 細胞受體
55	T-E	Targeting - Efector Moiety	標的一效應部位
56	TFDA	Taiwan Food and Drug Administration	臺灣食品藥物管理署

中文政府與民間機構名稱

序號	中文縮寫	中文全名
1	工研院	財團法人工業技術研究院
2	中研院	中央研究院
3	生技中心	財團法人生物技術開發中心
4	國發會	行政院國家發展委員會
5	國網中心	國家實驗研究國家高速網路與計算中心
6	國衛院	國家衛生研究院
7	衛福部	中華民國衛生福利部

精準治療之發展現況與趨勢調查團隊

資誠聯合會計師事務所

精準治療之發展現況與趨勢計畫指導

林玉寬 生技醫療產業服務團隊負責人

周筱姿 生技醫療產業服務團隊共同負責人

精準治療之發展現況與趨勢計畫主持人

游淑芬 生技醫療產業服務團隊協同負責人

鄧聖偉 執業會計師

執行團隊

翁麗俐 執行董事 / 普華國際財務顧問公司

劉倩瑜 執業會計師

黃珮娟 執業會計師

項益容 副總經理

蕭昊佑 副總經理

張珍綺 副總經理

龐中懿 協理

范詠嵐 協理

劉士瑋 協理

藍浚智 經理

財團法人生物技術開發中心產業資訊組

許毓真 組長

呂雅蕙 研究員

黃怡婷 研究員

王意婷 資深副研究員

張慧潔 資深副研究員

www.pwc.tw/bio 若您欲索取實體書刊，請洽資誠生技醫療產業服務團隊，或造訪我們的網站

© 2022 PricewaterhouseCoopers Taiwan. All rights reserved. PwC refers to the Taiwan member firm, and may sometimes refer to the PwC network. Each member firm is a separate legal entity. Please see www.pwc.com/structure for further details. This content is for general information purposes only, and should not be used as a substitute for consultation with professional advisors.

