

美国食品及药物管理局（FDA）之指定“孤儿”罕见病药物所享权益 爱克思科人工生物肝脏系统

美国食品及药物管理局（FDA）对爱克思科医疗设备有限公司研发的人工生物肝脏系统进行审查后，确认该系统为运用空心纤维生物反应器内异种肝细胞的医疗技术，具有获批为指定“孤儿”罕见病药物（Orphan-Drug Designation）的资格。

指定“孤儿”罕见病药物（Orphan-Drug Designation）所享权益包括：

七年期市场独家经营权。美国国会允许美国 FDA 对指定“孤儿”罕见病药物（Orphan-Drug Designation）进行为期七年的法定贸易管制。本文所附美国 FDA 所发布之文章文字精准，且均具有法律效应。指定“孤儿”罕见病药物比专利更具防御性，因为获取专利权的公司需要花费大量时间与金钱运用法律手段与已经入市的竞争对手进行抗争，以保护自有产品权益，而获准为指定“孤儿”罕见病药物的产品将由美国 FDA 对其进行全面保护，--除非取得特别许可，否则其他竞争产品根本无法进入市场。因此，指定“孤儿”罕见病药物许可优于专利权许可。

索引：<http://www.fda.gov/orphan/webview.ppt>

涵盖多种细胞。该技术权适用范围非常广泛，可涵盖所有来源不限的非人类细胞系，包括：

1. 本技术所使用的采自动物的肝脏细胞；
2. 采自基因工程实验动物的细胞；
3. 实验室内培植的细胞。

根据患者病情确定治疗方案。人工生物肝脏系统的治疗对象涵盖可能导致患者肝昏迷程度超过 Parsons-Smith 分类之 II 度的所有疾病。肝癌无疑与酒精性肝硬化不同，但两者均可导致肝功能衰竭。此指定“孤儿”罕见病药物所针对的疾病包括任何可导致急性肝功能衰竭的病种。

涵盖技术。该权益涵盖所有类型的空心纤维生物反应器之使用权。反应器类别、尺寸，及所使用反应筒数量均不在考虑范围之内。几乎所有人工生物肝脏系统的潜在竞争者均使用空心纤维生物反应器技术。

为美国 FDA 所提倡。根据指定“孤儿”罕见病药物规定，爱克思科医疗设备有限公司、指定“孤儿”罕见病药物部，及美国 FDA 许可颁发部门正在进行对话。以下内容引自美国 FDA 指定“孤儿”罕见病药物网站：

“指定‘孤儿’罕见病药物开发补助项目办公室设立之目的即对治疗罕见疾病或情况之临床产品的开发进行鼓励。”“该项目主内容为指定‘孤儿’罕见病药物鉴定及为相关产品发展提供支持。”

索引：<http://www.fda.gov/orphan/grants/index.htm>

与美国 FDA 内部专门从事鼓励产品开发的部门进行相互作用，对公司加速获得美国 FDA 审批起到非常积极的作用。

指定“快速通道”（“Fast Track” Designation）。美国 FDA 对指定“快速通道”具体描述如下：

“获准为指定‘快速通道’产品之益处包括可预约会议寻求美国 FDA 参与项目开发，可按类别而非同时递交所有新药品申请资料，以及有权要求以终端替代产品标准对研究项目进行评估。建立指定‘快速通道’之目的在于将产品及迎合医疗市场需求的申请诉求相结合……”

索引：<http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/onctools/accel.cfm>

研究及发展基金。公司已向美国 FDA 指定‘孤儿’罕见病药物办公室提交研究及发展基金申请，该基金主要针对产品临床实验。指定‘孤儿’罕见病药物相关管理部门表示其目标为：

“资助临床研究，促使并帮助其获得美国 FDA 审批……”“资助涉及产品安全及功效的研究，使其在该领域评论期刊上得以发表。”

索引：<http://www.fda.gov/orphan/webview.ppt>

税收优惠。除了研究及发展基金外，指定“孤儿”罕见病药物的临床研究成本享有指定税收减免：

“50%合格临床试验费用”，加上“20年（税收减免）结转规定。”

索引：<http://www.fda.gov/orphan/taxcred.htm>