

美國食品及藥物管理局（FDA）之指定“孤兒”罕見病藥物所享權益 愛克思科人工生物肝臟系統

美國食品及藥物管理局（FDA）對愛克思科醫療設備有限公司研發的人工生物肝臟系統進行審查後，確認該系統為運用空心纖維生物反應器內異種肝細胞的醫療技術，具有獲批為指定“孤兒”罕見病藥物（Orphan-Drug Designation）的資格。

指定“孤兒”罕見病藥物（Orphan-Drug Designation）所享權益包括：

七年期市場獨家經營權。美國國會允許美國 FDA 對指定“孤兒”罕見病藥物（Orphan-Drug Designation）進行為期七年的法定貿易管制。本文所附美國 FDA 所發佈之文章文字精準，且均具有法律效應。指定“孤兒”罕見病藥物比專利更具防禦性，因為獲取專利權的公司需要花費大量時間與金錢運用法律手段與已經入市的競爭對手進行抗爭，以保護自有產品權益，而獲准為指定“孤兒”罕見病藥物的產品將由美國 FDA 對其進行全面保護，一除非取得特別許可，否則其他競爭產品根本無法進入市場。因此，指定“孤兒”罕見病藥物許可優於專利權許可。

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

涵蓋多種細胞。該技術權適用範圍非常廣泛，可涵蓋所有來源不限的非人類細胞系，包括：

1. 本技術所使用的采自動物的肝臟細胞；
2. 采自基因工程實驗動物的細胞；
3. 實驗室內培植的細胞。

根據患者病情確定治療方案。人工生物肝臟系統的治療物件涵蓋可能導致患者肝昏迷程度超過 Parsons-Smith 分類之 II 度的所有疾病。肝癌無疑與酒精性肝硬化不同，但兩者均可導致肝功能衰竭。此指定“孤兒”罕見病藥物所針對的疾病包括任何可導致急性肝功能衰竭的病種。

涵蓋技術。該權益涵蓋所有類型的空心纖維生物反應器之使用權。反應器類別、尺寸，及所使用反應筒數量均不在考慮範圍之內。幾乎所有人工生物肝臟系統的潛在競爭者均使用空心纖維生物反應器技術。

為美國 FDA 所提倡。根據指定“孤兒”罕見病藥物規定，愛克思科醫療設備有限公司、指定“孤兒”罕見病藥物部，及美國 FDA 許可頒發部門正在進行對話。以下內容引自美國 FDA 指定“孤兒”罕見病藥物網站：

“指定‘孤兒’罕見病藥物開發補助專案辦公室設立之目的即對治療罕見疾病或情況之臨床產品的開發進行鼓勵。”“該專案主內容為指定‘孤兒’罕見病藥物鑒定及為相關產品發展提供支援。”

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

與美國 FDA 內部專門從事鼓勵產品開發的部門進行相互作用，對公司加速獲得美國 FDA 審批起到非常積極的作用。

指定“快速通道”（“Fast Track” Designation）。美國 FDA 對指定“快速通道”具體描述如下：

“獲准為指定‘快速通道’產品之益處包括可預約會議尋求美國 FDA 參與專案開發，可按類別而非同時遞交所有新藥品申請資料，以及有權要求以終端替代產品標準對研究專案進行評估。建立指定‘快速通道’之目的在於將產品及迎合醫療市場需求的申請訴求相結合……”

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

研究及發展基金。公司已向美國 FDA 指定‘孤兒’罕見病藥物辦公室提交研究及發展基金申請，該基金主要針對產品臨床實驗。指定‘孤兒’罕見病藥物相關管理部門表示其目標為：

“資助臨床研究，促使並幫助其獲得美國 FDA 審批……” “資助涉及產品安全及功效的研究，使其在該領域評論期刊上得以發表。”

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

稅收優惠。除了研究及發展基金外，指定“孤兒”罕見病藥物的臨床研究成本享有指定稅收減免：

“50%合格臨床試驗費用”，加上“20 年（稅收減免）轉結規定。”

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