開啟治療新契機！2025年值得關注的新藥突破

文／藥劑部 藥劑師 胡瑜方

隨著醫療技術快速發展，2025年新藥已不再侷限於傳統的口服與注射劑。新興的生物製劑技術，如基因與細胞治療、RNA技術，甚至結合人工智慧AI的輔助來進行藥品開發設計，這些技術不僅為癌症末期患者帶來新希望，也為罕見疾病開啟前所未有的治療契機。以下將為您概述2025年值得關注的新藥研發領域與代表性突破。

基因與細胞治療

現今藥物研發已從化學合成走向生物製劑與細胞工程，基因與細胞治療即為其中最具代表性的發展趨勢。

治療原理

基因治療

基因像是細胞的設計圖，一旦有異常就會影響蛋白質的正常製造。所以基因治療即是透過如CRISPR-Cas9等基因編輯技術，對異常基因片段進行修正，以恢復細胞的正常功能與蛋白質製造能力。

此類技術尤其適合用於先天性遺傳疾病，有機會在一次治療後達到長期病情控制，甚至不再復發。

細胞治療

細胞治療即是增強患者自身細胞的免疫力；將自身細胞取出後，用上述基因編輯的原理讓細胞更能辨別外來物或殺死癌細胞，達到治療疾病的作用。

實際應用上，基因與細胞療法常共同使用，被稱為基因編輯細胞治療。目前以治療血液腫瘤最為常見，尤其是CAR-T細胞療法的應用逐年增加。

◎ **但細胞治療也有潛在的副作用：**

- 細胞激素風暴：過度刺激免疫反應導致全身性發炎（如發燒、低血壓等）。
- 脫靶：治療後的免疫細胞誤傷正常細胞組織。
- 神經毒性：頭痛、意識改變、癲癇。
- 治療過後易有感染風險。

研究指出，在CAR-T細胞治療後的非復發死亡案例中，約有一半與感染併發症有

關，強調治療監測的重要性。

截至目前，全球已核准超過30項基因與細胞相關治療，涵蓋範圍病毒載體、溶瘤病毒、CAR-T、CRISPR編輯及RNA干擾等技術。仍有超過2,000項基因治療產品正在開發，其中一半以上屬於「基因編輯細胞療法」，例如CAR-T、TCR-T、基因修飾造血幹細胞等。

美國食品藥品監督管理局FDA亦針對特定基因編輯藥物提供加速審查通道，以縮短審查時程，並提前進入上市程序（PDUFA期）。

代表性藥物

藥物	技術	適應症	特色
Amtagvi	TIL（細胞療法）	晚期黑色素瘤	首款針對實體瘤的細胞免疫療法
Tecelra	TCR-T 基因細胞治療	滑膜肉瘤	首款針對實體瘤的基因編輯細胞治療

2025相關新藥—FDA尚未核可

基因治療

藥物	適應症	病因	藥物機轉	PDUFA
RGX-121	黏多醣症第二型MPS II，又稱亨特氏症	IDS基因異常→糖胺聚醣（GAG）累積→損害各器官	將功能正常的IDS基因送入腦中→減少GAG的累積	2025 11/9
UX111	聖菲利波A症候群	缺乏SGSH基因→硫酸乙醯肝素HS累積→引發全身性神經問題	送正常SGSH基因進入大腦→減少腦內硫酸乙醯肝素HS累積	2025 8/18

細胞治療

藥物	適應症	治療方式	預後
CTX112	B細胞淋巴瘤、自體免疫疾病（紅斑性狼瘡）	CRISPR基因編輯的CAR-T療法	DLBCL（瀰漫大B細胞淋巴瘤）患者中，客觀緩解率達67%

患者反饋指出，CAR-T細胞治療不僅能延長存活率，也有助於在疼痛、情緒與日常生活表現方面的改善，提升整體生活品質。

RNA相關藥物

在基因治療中，除了直接修飾基因DNA外，也包含抑制或沉默部分RNA表達來調控基因DNA的方式，像是讓做設計圖的人不做某個部分，達到治療疾病的目的。

RNA干擾技術（RNAi）

藥物名稱	適應症	機轉	特色
Fitusiran（Qfitlia）	A型與B型血友病患者	抑制抗凝血酶表現	2025年FDA核准每兩個月施打、常溫保存，便利性高
Plozasiran	高三酸甘油酯血症	抑制APOC3基因表達	FDA已受理新藥申請
WVE-007	肥胖	抑制INHBE誘導脂解	與GLP-1類藥物聯合使用增強減重效果

RNA反義核甘酸

藥物	適應症	機轉	特色	PDUFA
Donidal-orsen	遺傳性血管性水腫（HAE）	減少前激肽釋放酶（PKK）生成，阻斷疾病發作途徑	顯著降低96%的發作率 治療中沒有出現嚴重不良事件	2025 8/21

AI輔助藥物研發

AI技術正逐步進入藥物開發的各階段，包括：

1. 尋找作用靶點與蛋白質結構建模（如AlphaFold 3）。
2. 小分子結構模擬與優化。
3. 臨床數據分析與老藥新用探索。
4. 可大幅降低藥品開發最主要的研發費用與時間。

全球第一個由AI協助設計的候選藥物ISM001-055，目前正於臨床第二期試驗階段，用於治療特發性肺纖維化。

結語 迎接新藥帶來的新希望

近年來隨科技發展迅速，醫學發展的速度亦比以往任何時候都快，我們已經從單純吃藥或打針，走到了利用基因編輯、細胞強化，甚至人工智慧協助設計藥物的時代。這些看似前衛的技術，其實已經逐漸走入臨床治療，為許多過往無藥可醫的疾病，帶來真正的希望。

2025年將會是許多突破性新藥上市的一年，這些新藥不只針對癌症，也包含許多罕見疾病，甚至是更便利的減重方式與生活品質改善方案。面對這些嶄新療法，建議民眾持續與醫療團隊保持良好溝通，充分了解治療機會與風險，為自己與家人作出更安心的健康決策。

未來，醫療會越來越「個人化」，治療計畫將會因人而異。透過醫療團隊的協助與正確的知識，我們可以一起迎接更有希望的健康時代。

參考文獻

限於篇幅，若需參考文獻詳細內容請與作者聯繫。

一、原理與基礎文獻

1.中央研究院. 基因編輯、CRISPR、與林嘉鴻的研究室 [Internet]. [cited 2025 Jul 14]. Available from: https://research.sinica.edu.tw/gene-editing-crispr-lin-chia-hung/

二、產業趨勢與數據來源

2.經濟部產業技術司. 生技與藥物研發政策簡報 [Internet]. Available from: https://www.moea.gov.tw/MNS/doit/industrytech/IndustryTech.aspx?menu_id=13545&it_id=583

3.GeneOnline. 2025 First-in-Class Drugs Are on the Approval Waiting Line [Internet]. Available from: https://geneonline.news/2025-fda-first-in-class-drugs-are-on-the-approval-waiting-line/

三、回顧文獻與臨床研究

4.Kim H, et al. Nonrelapse mortality after CAR-T cell therapy: A systematic review and meta-analysis. Blood Rev. 2024 Sep 1.

5.Thomas X, et al. Real-world outcomes with CAR-T therapies in large B cell lymphoma: A meta-analysis. Leuk Lymphoma. 2024 Jan.

6.Singh N, et al. Patient-reported outcomes after CAR-T therapy in hematologic malignancies: A meta-analysis. J Hematol Oncol. 2024 Jan 28.

四、健保與政策

7.康健雜誌. 癌症細胞治療方式總整理 [Internet]. Available from: https://cancer.commonhealth.com.tw/article/1388

五、小分子與AI藥物開發

8.GeneOnline. AI-driven drug discovery and how Taiwan can take the next step [Internet]. Available from: https://geneonline.news/ai-driven-drug-discovery-and-how-taiwan-can-do-in-the-next-step/