



個人化 基因治療 不是夢

撰文／羅格拉多 (Antonio Regalado)
翻譯／連育德

總有一天，
即使最罕見的疾病也可能有基因療法，
但有些家長不願意枯等，
主動推動相關研究工作。

2017年感恩節那天，藍茲曼 (Landsman) 夫婦上網對社會大眾求情，請大家救救2個兒子。週末假期結束時，這個住在紐約布魯克林區海洋公園 (Marine Park) 地段的一家人，總共募集到20萬美元的善款。

他們上傳到網路的籌資影片，短短3分鐘卻令人動容。只見一家人坐在皮沙發上，蓋瑞說話的時候，珍妮的眼神從鏡頭撇開，情緒全寫在臉上。「我們真的很需

要各位的幫助，」蓋瑞說著說著，聲音哽咽起來。他們的2個兒子，一個是班尼，當時18個月大，一個是喬許，4個月大，兩人都患有一種致命的遺傳性腦部疾病，稱為「卡那凡氏症」(Canavan，家族性軸突海綿退化)。攤在媽媽大腿上的班尼，神經已經受損；喬許目前還很健康，但如果不及早治療，遲早會出現病狀。

卡那凡氏症是一種「超級罕見」的疾病，究竟有多少兒童罹患，醫界甚至也沒



正因為病患人數少之又少， 醫界才會形成這種奇怪的現象

外，亦有業者正在研究血友病與肌肉萎縮症的基因療法。基因治療「原本只是理論」，FDA局長蓋利博（Scott Gottlieb）7月時曾說：「現在有可能治療一些罕病與重症。」

對家有超級罕病兒童的家長來說，會走上基因治療這條路並不意外。全球約有7,000種超級罕病，通常是由單一基因的缺陷所造成，就跟卡那凡氏症一樣。基因治療為病患提供DNA指示，彷彿是修正程式錯誤的極致表現。對患有卡那凡氏症的兒童來說，問題在於病患人數太少，目前研究仍停留在實驗室階段，沒有人願意資助臨床試驗。其他大家從來沒聽過的罕病也是如此，有些疾病太罕見，全球只有不到50人罹患。

「正因為病患人數少之又少，醫界才會形成這種奇怪的現象，」一家位於加州帕羅奧多市，專攻罕病治療的生技公司BridgeBio主管大衛（Eric David）說：「患者家人發覺沒有人會支付基因治療費用，必須想辦法自己籌錢。」

基因治療的經濟效益已經成為醫界眾所周知的棘手議題。問題出在：經費由誰負責？即使是少數核准銷售的療法，要價最高達100萬美元。在天價療法的背後，是多年的研究、人體測試與文書工作累積的成本，最後才能取得FDA核准，這一切都只鎖定病患不多的微小市場。要生產幾兆個植入基因的病毒，這樣才能傳到人體細胞，這樣的過程依舊繁複，同樣成本高昂。影響所及，適用於基因治療的疾病愈來愈多，但實際接受治療的疾病卻極為有限。

有少數家長因為子女患病，自己掏腰包資助基因治療的臨床試驗，這樣的案例我知道的有6個，其中1個是艾亞奇（Karen Aiach），他成立生技公司Lysogene，位於巴黎郊外，資助聖菲利柏氏症

有可靠的數據。研究卡那凡氏症的專家相對不多，目前也沒有經過核准的治療藥物；甚至不像癌症治療一樣，可以有臨床試驗作為最後一搏的機會。醫生跟珍妮說，該做的都已經做了，他應該帶小朋友回家，想辦法讓他們快快樂樂度過餘生。

藍茲曼夫婦不願接受醫生的建議，珍妮反而上網積極寫信向科學人員求教，結果發現，可能有方法修正兒子腦部的遺傳缺陷。但這家人必須自費治療，而且價格高昂。

「我們必須籌到150萬美元，目標是要半年籌資成功，」珍妮在影片中說。

藍茲曼夫婦發現的療法是基因治療，也就是使用病毒將健康基因植入具有缺陷基因的細胞裡。過去幾10年來被打入科學界冷宮的基因治療，如今進入黃金時代。2017年8月到12月短短4個月內，美國食品藥物管理局（FDA）一口氣核准3項基因治療，2項用於血癌，1項用於先天病因的失明。此



(Sanfilippo Syndrome) 的臨床試驗，藉此醫治患病的女兒。好萊塢有對格雷 (Gray) 夫婦籌資700萬美元，資助罕病貝登氏症 (Batten Disease) 臨床試驗，希望將攜帶基因的病毒注入他們兩個罹病的女兒與其他幾個兒童體內。還有20幾個由家長資助的臨床試驗正在規劃階段。

其他家庭則規避正式研究的途徑，想要以緊急治療的名義取得未經測試的基因治療。2017年，佛州有個小男生罹患卡那凡氏症，在家長支付實驗費用後，接受基因治療。這是因為聯邦政府法規有個稱為「擴大取得」 (Expanded Access) 方案的豁免條款，讓「生命受到立即威脅」的特定病患取得未經許可的藥物。

那項試驗落入研究與醫療中間的灰色地帶，也正是藍茲曼夫婦想走的路線，背後有2個人提供協助，一個是紐澤西州的基因治療專家黎昂 (Paola Leone)，一個是位於芝加哥的神經學家簡森 (Christopher Janson)。在2017年6月時，黎昂與簡森向FDA申請使用基因療法，治療最多達5名卡那凡氏症病童，等候名單上的前2個名字正是藍茲曼夫婦的2個兒子。

根據FDA指出，這樣的策略並不是例外。FDA發言人表示，該局目前監管的基因治療試驗約有700項，其中77項屬於罕病類別。有多少項由病患家庭付費，無法得知，但也完全合法。「我們希望能夠把範圍擴大，做得更有系統，最後達到藥物治療的階段，但就是沒有經費。」在伊利諾州大學醫學院擔任醫生的簡森說：「現在只好自力救濟，能救幾個孩子也好。」

有些研究人員得知藍茲曼夫婦的計畫後，擔心這樣會衍生出新型的精品醫學 (Boutique



Medicine)，只要口袋夠深或善於借重網路籌資之力，就享有優勢，能夠取得突破性的尖端技術。也有一派人認為，這只是預示了個人化基因醫學的到來，之後只會愈來愈普及。

展望未來，醫療保健相關官員認為，科學家將能夠輕易檢測出基因突變，進而打造出個人專屬的DNA療法。「在那7,000種罕病當中，大部分的分子缺損我們都知道。我們已經明確知道

源頭出了什麼問題，導致出現罕病的結果，」美國國家衛生研究院 (National Institutes of Health) 院長柯林斯 (Francis S. Collins) 在先前的一次演講中提到：「我們是不是應該想想辦法，把規模擴大到幾百種、甚至幾千種疾病呢？又要怎麼做到？」

沒有人知道答案。藍茲曼夫婦也等不到政府或藥廠找出解方。目前每年取得核准的罕病新藥約只有15種，照這樣的速度計算，要等到1,000年後，藥廠才會研發出所有罕病的療法。珍妮和蓋瑞家有2個病情只會日益嚴重的兒子，時間只能以幾個月來算。喬許的笑容很燦爛，他還沒有學會怎麼爬，但很快就會變成班尼那樣，只能微弱地移動雙手，要溝通時必須看一下用魔鬼氈貼在板子上的照片。「他從來沒有叫過媽咪，」珍妮對我說。但班尼還是能夠叫她來，因為板子上有個照片就是媽媽。

珍妮說，她希望所有卡那凡氏症病童都能從中受惠，幫助他的研究人員「都能出名」。但她籌到這麼多錢，用意不是資助試驗或變成慈善家。「這個不是臨床試驗，」珍妮說：「這是私事，要用來幫助班尼和喬許。」

天時地利

雖然說卡那凡氏症是罕見疾病，卻常見於阿什

每年取得核准的罕病新藥約只有15種，照這樣的速度， 1,000年後才會研發出所有罕病的療法

肯納茲猶太人（Ashkenazi Jewish）的後代，像是藍茲曼夫婦這樣。就跟戴薩克斯症（Tay-Sachs）一樣，這個族群的人如果想要生兒育女，會先進行檢驗，看自己是否是這個基因缺陷的潛伏帶因者，機率約為四十分之一。珍妮說，因為一連串醫療錯誤的訊息溝通傳達，使得她誤以為檢驗結果是陰性。由於需要2個突變基因拷貝才會患病，而且由父母各貢獻1個，所以他們覺得蓋瑞沒有必要受測。

班尼出現症狀時，珍妮和小兒科醫生一時沒有察覺，她姊姊說班尼動作好像「有氣無力」，但醫生說沒有大礙。那時珍妮已經懷了喬許。2017年夏天連續傳來幾個沉重的診斷結果，7月底驗血報告出爐，證實班尼患有卡那凡氏症。2個星期後，蓋瑞生日那天，他們又得知新生兒患病。

珍妮還記得當初憂鬱了好幾個星期，望著穿透涼棚而下的陽光，努力「活在當下」。我前往紐澤西羅文大學（Rowan University）骨科醫學院，拜訪基因治療專家黎昂，他拿珍妮寫的電子郵件給我看，是珍妮在大兒子確診罹病後得到得知小兒子被診斷出患病之間兩個星期中寫的。「你能幫忙嗎？」珍妮寫道。

基因治療可以追溯到1970年，但科學界直到近年才確實掌握每個環節。2017年，俄亥俄州全國兒童醫院（Nationwide Children's Hospital）幾名醫生在《刺絡針》（The Lancet）期刊撰文指出，他們成功預防幾個嬰兒罹患脊髓性肌肉萎縮症，這種神經性疾病就像卡那凡氏症一樣，也是屬於致命性疾病。他們的成功關鍵包括：找到能夠感染正確細胞（或神經）的病毒、龐大劑量、治療時機。如果1月大的嬰兒接收到那個遺失的基因，神經損害的過程就不會啟動。科學人員與家長如今逐漸發現，類似的策略如果用在患有先天性神經系統疾病的小孩，應該能救他們一命。

黎昂是珍妮求助的當選人選。2001年到2005年之間，黎昂和簡森在政府資助之下，治療了13個卡那凡氏症病童。像這樣試圖改變人體大腦的基因密碼，在當時屬於科學界的創舉之一，研究人員那時還不清楚有什麼潛力，治療雖然看得出一些效果，卻無法治癒患者。

黎昂後來針對卡那凡氏症持續研究新的基因療法，但最後一筆政府補助金已在2018年1月用盡。來到他的實驗室，我看到有個研究人員朝著舊款蘋果電腦大罵，氣電腦載入圖片的速度太慢。研究預算捉襟見肘，並不是新鮮事。「我開始研究這個領域時，」他說：「大家都說我是瘋了才會研究罕見疾病，我一定絕對找不到資金，沒有人對這個有興趣。」

黎昂的辦公室裡放著病童的照片和紀念物。過去這幾年，他已經告訴許多家長不可能有解方，但藍茲曼夫婦出現的時間是天時地利。2017年秋，黎昂已經將新的基因治療用在大量老鼠上，看到他所謂的戲劇化成效，病症惡化速度大幅降低，甚至逆轉。「我準備好可以答應那時來找我的家庭了，」他說。

我們能做的事很多

2017年9月，黎昂與藍茲曼夫婦約在911紀念博物館附近見面。蓋瑞坦誠說，如果可以選擇的話，他會想要逃避。許多家長把卡那凡氏症病童安置在療養機構。他希望他能帶著珍妮遠走高飛，再也不回來。「痛不欲生哪，」黎昂回憶道：「他們哭到都看不清楚了。」

珍妮想知道他們可以怎麼幫忙，黎昂回說：「我們能做的事很多，但最先要討論的是費用。我可以直接跟你們說，大概要150萬美元。」



「我們籌得到錢，」珍妮不假思索地說。

黎昂計算成本，他們必須請專業公司針對導致卡那凡氏症的基因，化學合成出健康的基因拷貝；列出一筆錢支付神經外科醫生；聘請顧問向FDA提出申請。製造是最大的一筆支出項目，因為製造病毒分子至今仍是極為精細的過程，必須在浸泡於牛血成分的薄片上培植。生產中心的等候名單也很長。黎昂認為，要製造出足夠的病毒醫治班尼、喬許，和其他幾個少數小孩，花費至少要100萬美元。

藍茲曼夫婦沒有這筆錢，他們只是中產階級。

「但到處都有錢啊，」珍妮心想。他想得沒錯，他們的影片上傳到臉書，後來又公布到群眾募資網站GoFundMe，結果一傳十、十傳百，他們後來還上了電視和《時人》雜誌，現在已有8,000多人慷慨解囊，讓他們籌到超過150萬美元以上。

「都是布魯克林區的小型猶太社區捐的，」為卡那凡氏症患者權益發聲的藍朵爾（Ilyce Randell）說。他持續與藍茲曼夫婦聯絡，過去亦曾經資助黎昂的研究工作。「這是天時地利人和、大家團結起來的結果。」

但他說，如果藍茲曼夫婦的小孩最後受惠，是因為多年研究累積的成果。「如果說他們花了100萬美元買到解方，那就是在誤導人，」他說：「他們是因為在對的時間點出現。如果是10年前，沒辦法說『我要籌錢治療小孩』，3年前也沒有辦法，技術還不成熟。」

不公平的制度

2018年8月時，許多罕病患者的家庭與主要研究人員不辭千里，來到位於馬里蘭州貝什斯達區

（Bethesda）的衛生研究院，排著隊伍，準備參加為期2天、由FDA合辦的會議。期間陸續有研究人員演講，有的講到客製化療法出現寶貴成效，也有人說要怎麼把基因療法成本降到病患能負擔的程度，是「懸而未決的問題」。

許多家長前來這場會議，希望找到能夠治療家中小孩的基因治療專家。其中一個家長是費莉德

（Amber Freed），名牌上寫著「SLC6A1」，這是一種目前研究不多的基因。費莉德分享著家有罕病病童都有的經驗：他花了幾個月奔波於美國各地，希望診斷出兒子的不明症狀，最後讓兒子進行基因體定序，5月時結果出來，證實兒子有病理性SLC6A1突變。費莉德之前在卡羅拉多州丹佛市擔任資產分析師，得知診斷那一天即辭去工作。「我從辦公桌站起來，毅然決然離開，」他說。

以前的兒童如果出現群集性的不尋常症狀，通常診斷不出來病因，但從2010年開始，基因體定序的價格降低，變成例常的診斷工具。直到現在，就算是神秘的遺傳性疾病，大多可以判定是跟基因拼寫錯誤有關。「現在可以診斷出哪個基因有問題，」費莉德說：「我認為在不久的未來，罕見疾病小孩都可以有其解決方案。」

費莉德的兒子如果不及早接受治療，以後會出現一種叫做「猝倒症」的嚴重癲癇，患者在意識仍舊清醒之下，身體突然僵硬，甚至直接倒在地上，沒辦法閃避。「遲早會發作，但我們要在發作前找到療法，」身穿套裝、會議中坐在講台邊的費莉德說：「我們要幫他找到解方，而第二個使命是幫助之後的患者。」

那天晚上，我在當地餐廳看到費莉德坐在長



凳上，正在跟一名來自美國南部叫葛瑞（Steven Gray）的研究人員交談。葛瑞說話輕聲細語的，是德州大學西南醫學中心（Southwestern Medical Center）的基因治療專家，像費莉德這樣的家長都一定會求助於他。他在會議中播出1張投影片，列出23種他計畫研發出基因療法的罕病。葛瑞說，聽聞這些患病兒童的故事後，讓他覺得很心痛，卻也成為他研發的一大動力。

葛瑞要做的事項之一，是讓家長有合理的預期。基因治療並不是把基因放進病毒這麼簡單，許多疾病其實並不適合，例如病因是基因過度活躍、而不是缺損。很多時候研究人員也有基礎工作必須進行，例如將老鼠進行基因工程，模仿病症。如果繞過這些步驟，後果可能不堪設想。比方說，病童體內如果先天便缺少一個重要分子，治療時突然加入，有可能引發劇烈的免疫反應。「我們在實驗室曾經出過這種錯，導致老鼠死亡，」葛瑞說：「基因治療不是藥丸，沒辦法說不吃就不吃。」

葛瑞最著名的客戶是薩米絲（Lori Sames），他女兒罹患巨大軸突神經病變，全球大約只有80人患病。薩米絲成功籌到600萬美元，將資金挹注在葛瑞的研究與動物測試。2016年，他的女兒成為葛瑞在衛生研究院基因治療研究的第5個受測病童。

葛瑞說，如果某個基因適合基因治療研究，病童家人也有資金挹注實驗工作，他會願意接下研究，即便是再罕見的疾病也不是問題。「這是全世界最不公平的體制，」他坦言：「沒有錢就沒辦法治療。」

對有些生物倫理學家來說，每次有家長資助治療，都有可能衍生出棘手的倫理困境。「如果只有有錢人能夠排第一順位治療，會產生公平問題，」任職史丹佛大學、曾針對類似案例提供諮詢的生物倫理學家密卓周（Mildred Cho）說：「另外還有科學誠信問題，因為有資金的人未必是最適合、或最理想的人選。這些決定必須基於客觀因素。」

我問薩米絲說，他資助研究工作，是否有利益衝突的問題。類似這樣的問題「聽了讓我很心

寒，」他說：「家長私下資助治療研究工作，是想救小孩子一命，如果有人覺得這樣就是使用特權關係，我覺得根本就是非理性，甚至是睜眼說瞎話。這些人要搞清楚，如果家長不主動爭取，研究就不可能開始。」薩米絲還說，他雖然積極籌資，但從來不代表女兒漢娜（Hannah）一定是衛生研究院的試驗人選。漢娜必須像其他人一樣，通過肺功能測試才能入選。「我們跟其他人選沒有兩樣，」他說：「他通過測試那天，我哭了。」但薩米絲說，從那天起，試驗工作便以政府單位一貫的「牛步」速度進展，其他家長紛紛把矛頭指向他。「他們很難過，小孩子在他們眼前逐漸衰弱，研究單位不讓小孩子接受注射讓他們感到氣憤，」他說：「但我也無能為力。」

有些家庭的進展比薩米絲快。前面提到的好萊塢夫妻是高登·古雷（Gordon Gray）與克莉絲汀·古雷（Kristen Gray）夫婦，他們的2個女兒患有巴登氏Cln6病，這是一種遺傳性神經系統疾病，學界認為全球只有幾百個小孩罹患。2個女兒被診斷出患病約1年後，便順利進入全國兒童醫院接受治療。克莉絲汀說，臨床試驗的費用完全由他們夫婦支付。他們還成立公司，取得這項療法的商業權。

但籌得到幾百萬美元、或成立公司的家長畢竟是極少數。打開GoFundMe籌資網站，基因治療的相關訴求有上百個，但大多數只籌到幾千美元。德州有個患有肌肉萎縮症的女子上網籌資，結果只有35美元。的確，現階段醫療上是有解決的辦法，「但我覺得目前沒有適當的法規制度或是有力的籌資平台可以真正幫助籌資就醫，」基因治療專家葛瑞說。

另一個障礙是，基因治療的大多數環節都有專利，包括病毒、生產方式、基因工程等等。也就是說，病童的家長、乃至於提供協助的研究人員，常常面臨法規變數。黎昂說，他為了治療藍茲曼夫婦的2個兒子，必須先買高達25萬美元的臨床試驗保險。「一通電話下來，我可能就無法繼續下去，但大家都很好心，」他說：「但說真的，專利牽扯到



所有人都要好好思考一點，現在已經有可能做到了 大家討論基因治療有幾10年，現在終於有機會成真了

太多層面了……就好像各彈各的現代交響樂，聽了讓人想大叫。」

幻想向比爾蓋茲求救

攤開這7,000種罕見疾病，目前約有9成沒有任何療法可治。基因治療為許多罕病帶來一線曙光，未來再加上基因編輯等新技術，理論上幾乎每種基因突變都可能治癒。衛生研究院新型療法部門主管奧斯丁（Christopher Austin）表示，發展到最後，有多少獨特的DNA缺陷，就可能有多少種的療法，因此高度客製化的醫學不應視為有違道德而只想極力避免，而是醫療的下一步發展。「所有人都要好好思考一點，現在已經有可能做到了，」他說：「大家討論基因治療有幾10年了，現在終於有可能成真。」

基因治療彷彿醫界的諾亞方舟，應該由哪一方研發與部署相關工作，答案並不清楚。薩米絲說，他有時候幻想向比爾蓋茲求救，後者的基金會以根除瘧疾和小兒麻痺為宗旨。黎昂心中的解決方案不一樣：成立一家全球治療機構，製造方式、病床與相關協議都已經事先安排完成，進而簡化與保險業者和主管機關的交涉工作，不再「繁文縟節」。「這樣一來，如果有新的疾病、新的基因突變，我們都有現行機制可以遵循，」他說：「全球各地的病患都能來這裡治療。」

生技公司紛紛搶進基因治療市場，但目前主要針對血友病這種較常見的遺傳疾病。打開美國政府的臨床試驗網站，針對血友病基因療法的公開研究超過20幾項，使得血友病的基因治療有機會率先成為第一個「暢銷療法」。生技業者對超級罕病市場的興趣相對低很多。「試想一家公司有75個員工，研究的療法只能治療75個人。問題在哪裡很明

顯，」生技公司BridgeBio主管大衛說。

然而，2018年4月發生了一件事，讓生技公司開始轉變觀點。瑞士藥廠諾華宣布，以87億美元收購基因治療公司AveXis。AveXis旗下只有1種產品，那就是擁有一種脊髓性肌肉萎縮症療法的商業權，這種療法已在全國兒童醫院試驗過。該療法當時只用於治療約15個病童，而且新生兒患病機率只有萬分之一，在在突顯出收購價格是天文數字。

「我下巴都掉在地上了。80億美元有多少，我完全沒有概念，」主持這項臨床試驗的醫生曼德爾（Jerry Mendell）說。曼德爾並未持有AveXis的股票，但前中心員工卡斯帕（Brian Kaspar）卻是股東之一，也因此如今身價多了4億美元。「在我看來，AveXis收購案是個分水嶺，」大衛說：「有些人原本就對基因療法並不陌生，在發生這件事後，開始說：『天啊，如果我推動臨床試驗，說不定也有幾10億元的身價。』」

AveXis的身價這麼高的原因之一是，它的療法似乎就是不折不扣的解方。倘若屬實，諾華將可向每個病患收取200萬美元以上的費用。第三岩事業（Third Rock Ventures）是一家位於波士頓的投資公司，投資總監寇托紐克（Walter Kowtoniuk）認為，醫學界出現這類的成功案例，代表以前大家公認的罕病沒有公司願意投資，如今突然引起強烈興趣。他說，看到業者「積極競爭」取得基因治療方案的掌控權，讓他「嚇了一大跳」。

影響所及，基因療法原本只是醫治病童的不得已之舉，如今也有可能立刻獲利。2018年10月，針對巴登氏Cln6病成立研發公司的古雷夫夫婦，將療法的權利賣給另一家生技公司Amicus，金額高達1億美元。有些投資人開始覺得卡那凡氏症也很有投資潛力。卡那凡氏症病童的家長都知道，佛州有對夫

婦花了超過一百萬美元，讓小孩參與一項由麻州大學和佛州大學主辦的單人研究，接受相關治療。我聯絡到病童的父親，他要求匿名受訪，表示兒子的病情似乎有進展。

拜這項臨床試驗之賜，卡那凡氏症不再是太罕見而無人關心的疾病。2018年初，大衛的公司BridgeBio簽下協議，取得麻州大學療法的商業權，並成立子公司Aspa Therapeutics，由他主持。但寇托紐克表示，投資人都在爭取拿下這項臨床試驗的掌控權，因為已經有病童接受治療了，代表風險低很多。「業者積極搶這項技術的權利，根本就是割喉戰，」他說：「我覺得產業趨勢正在大翻轉。」

隨著生技公司的興趣增加，基因治療的研發將不再由病童家長推動。大衛說，他覺得由家長注資基因治療的時期不會維持太久。「這是過渡期，」他說：「我覺得只是一小段時間。」

時間不多

大衛公司的卡那凡氏症療法不同於黎昂，他說正式的臨床試驗要等1到2年才會展開。他的公司必須詳盡規劃，不能躁進，否則投資資金可能不保，也可能使得療法拿不到核准。

但藍茲曼的小孩等不了那麼久。為了讓兩個小孩及時獲得基因治療，自費臨床試驗可能是唯一的方法。我拜訪藍茲曼一家人時，站在喬許背後，他被繫在高腳椅上，珍妮讓他看幾張午餐要吃的食物照片，有雞肉、有通心粉、有玉米，再看他的視線



飄到哪一張。

他原本希望兩個兒子這時已經接受治療了。研究團隊於2018年6月將提案送交FDA，但對方卻回覆「臨床擱置」，導致臨床試驗延緩。截至2018年10月，珍妮希望最晚12月就能開始，但主持臨床試驗的醫生簡森覺得2019年比較有可能。他和黎昂計畫與FDA官員開完會議後，再提出新的申請。他也開始以猴子測試這項療法，雖然成本高昂，但他預計主管機關可能會堅持這項

安全步驟。

大家都心急如焚。卡那凡氏症患者到了班尼的年紀，大腦功能往往會急速退化，即使基因治療可能也無法逆轉。「我的血壓一直飆高，」簡森說：「我們可能浪費了至少3到4個月。」

我拜訪珍妮的時候，她提到想帶小孩出席FDA那場會議，問我的看法。如果主管機關看到他們，怎麼可能拒絕呢？但簡森覺得不妥。「我覺得我們應該照制度走，」他說：「我們不是藥廠，資源有限，沒辦法一直遊說FDA。」

我問簡森，藍茲曼家的小孩可能有機會接受治療，但其他家庭同樣上籌資網站籌錢，卻不像他們一樣意外受到歡迎，這樣是否不公平。「沒辦法，社會上有很多事就是不公平，」他說：「有些家長想看我的神經科，卻沒有辦法，因為他們沒有保險。我們的社會制度有問題。」

看來，精準醫學也是如此。「你的問題沒有速成的答案，因為我們的制度還沒有處理這個難題的能力。」■