《人源性干细胞及其衍生细胞治疗产品

临床试验技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

1. **背景和目的**

近年来，全球细胞和基因治疗产业的发展速度不断加快，成为生物医药行业发展最为迅速的领域之一，我国细胞和基因治疗产品的研发和注册申报数量也逐年增加，特别是人源性干细胞及其衍生细胞等治疗产品。

我国《药品管理法》、《药品注册管理办法》等药品管理相关法规中明确了细胞和基因治疗产品研发的法律法规和注册申报要求。为了完善细胞和基因治疗产品的监管和技术评价体系，国家药监局将“细胞和基因治疗产品技术评价与监管体系研究”纳入2019年4月启动的中国药品监管科学行动计划首批重点研究项目，其中制定并发布人源性干细胞及其衍生细胞治疗产品研发相关技术指导原则是构建干细胞等再生医学产品技术评价体系的重要内容，有助于引导该类产品研发和申报的规范开展。

2017年，原国家食品药品监督管理总局发布《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则(试行)》，对细胞治疗产品研发的技术要求进行了总体阐述。人源性干细胞及其衍生细胞治疗产品在细胞来源、类型、制备工艺等方面异质性较大，治疗原理和体内活性作用相较传统药物更加复杂。因此，在上述指导原则的基础上，有必要进一步细化该类产品开展临床试验的技术建议，以便为药品研发注册申请人及开展药物临床试验的研究者提供更具针对性的建议和指南。

1. **起草过程**

本指导原则由药审中心生物制品临床部和“细胞和基因治疗产品技术评价与监管体系研究”合作单位中国科学院干细胞与再生医学创新研究院共同起草。本项工作自2020年4月启动，2020年7月形成初稿，国内部分临床专家参与修订，8月上旬形成征求意见稿。

**三、主要内容与说明**

本指导原则介绍了人源性干细胞及其衍生细胞治疗产品在开展临床试验时的一般考虑及个体化治疗产品的特殊考虑，对该类产品开展探索性临床试验和确证性临床试验的研究目标、研究方法和评价方式等进行了阐述。并对由研究者发起、卫健委备案的干细胞临床研究如何用于药品注册申报进行了具体说明，以期加快我国干细胞相关治疗产品的临床研究，提高注册申报效率。

本指导原则的内容适用于按照药品管理相关法规进行研发和注册申报的人源性干细胞及其衍生细胞治疗产品，旨在为该类产品开展临床试验的总体规划、设计、实施和试验数据分析等方面提供必要的技术指导，以减少受试者参加临床试验的风险，并规范对该类产品的安全性和有效性的评价方法。

部分人源性干细胞及其衍生细胞治疗产品兼具细胞治疗和基因治疗产品的特性。本指导原则的目的不是对其监管属性或分类的认定，而是基于现有认识，对该类产品开展临床试验时若干技术问题的建议和推荐，内容不具有强制性，随着研究和认识的深入，原则内容将继续修订和完善。鼓励申办者与药品审评中心就试验方案的具体设计和细节进行沟通。