

·科技工作大家谈·  
文/黄清华

# 中国干细胞软科学急需破题

为了促进干细胞治疗研究和再生医学发展,确保干细胞疗法及其研究的安全性和科学性,巩固中国在该领域发挥应有的重要作用,中国干细胞软科学急需破题,在相关伦理、经济、法律、技术管理和公共治理等方面采取综合措施,营造一个更好的干细胞治疗研究环境。

## 1 制定中国化“干细胞医学创新”的伦理和安全准则

首先需要制定相应的伦理和安全守则,明确“干细胞医学创新”与利用未经证实的干细胞治疗牟利的严格区别。

在正式的临床试验之前,允许达到一定技术标准的医院和医生为部分患者提供创新的干细胞医疗服务,但其前提是应当遵循国际干细胞研究学会 (ISSCR)《干细胞临床转化指南》第七部分“干细胞的医学创新”所列出的 8 项伦理和安全准则;其中,最重要的是应当制定关于该创新医疗措施的书面治疗方案。方案并应当总结该医疗措施有可能成功的理论根据,说明为什么应尝试所建议的干细胞治疗,以及相关的操作措施,等等。

依照这些标准,便可以判断那些临床试验之外的所谓干细胞疗法是否是真正的创新医疗服务。中国相关临床医学会和临床医学家当前急需做的是,根据这 8 项伦理和安全准则制定详尽的本土化“干细胞医学创新伦理和安全守则”,将正式的临床试验之前的干细胞“创新医疗服务”纳入规范与监管之中,以避免患者的绝望心理被利用、公众对干细胞研究的信任受到损害,从而有利于开展合理设计的干细胞“创新医疗服务”和临床试验。

## 2 建设有利于干细胞治疗研究的经济机制

所有的“干细胞治疗研究”,无论是正式临床试验之前合理地尝试新型干细胞疗法,还是正式的临床试验,抑或征得患者同意“提供干细胞疗法”,除极少数已经列入常规治疗方案(如骨髓移植治疗白血病)的以外,都不得向患者以任何名义收取任何费用,这就需要从政策和法律上建设可持续的“干细胞治疗研究”经济机制。

《英国干细胞倡议:报告和建议》(UK Stem Cell Initiative: Report and Recommendations)主张整合各种公、私研究基金,确保英国作为干细胞转化和临床试验研究的一个(全球)中心;未来 10 年(2006—2015)内干细胞临床和转化研究的经费,政府应提供与英国干细胞基金会(UK Stem Cell Foundation, UKSCF)向社会募集所得相匹配的资金,并通过 UKSCF/医学研究理事会(MRC)合作管理;卫生部必须确保兑现承诺增加的研发资源,确保这一时期在国家卫生服务(NHS)体系内充分的干细胞临床研究试验所需的成本。英国政府采纳了这些建议,作出了支持 UKSCF/MRC 联合新方案以促进干细胞转化和临床试验研究的决定。

从长远来看,中国需要借鉴上述英国做法建立国家或省级干细胞治疗研究基金会,通过(公益事业法人)立法授予它向公众募集干细胞转化和临床试验研究资金的权利;根据募集情况政府提供配套资金形成每年的干细胞治疗研究资金,并通过干细胞治疗研究基金会与中华(或省)医学会分配、管理年度研究资金,形成

有组织的干细胞治疗研究。

## 3 设计并落实获得患者知情的做法

向受试者客观地、明确地说明参与干细胞“创新医疗服务”或干细胞治疗临床试验的潜在好处和可能的副作用,是否有可供选择的其他治疗方法,不夸大干细胞疗法潜在的疗效,努力减小患者对该疗法不正确的期望,通过交流发现并减少风险,是确保干细胞治疗研究安全科学的重要措施。为此,知情同意书必须着重指出细胞治疗的新颖性、试验性和相关风险。

鉴于中国《侵权责任法》有关医疗风险告知义务规定可操作性还需要提升,建议参考欧洲议会(European Parliament)、欧盟理事会(European Council)2004 年人体组织和细胞研究和应用母指令(the parent Directive)和英国 2004 年人体组织法(Human Tissue Act 2004)关于知情同意原则的分类规定,明确何种情况下患者的同意才能构成一个有效的同意,设计并落实中国干细胞“创新医疗服务”或临床研究获得患者知情的同意好的做法。

## 4 伦理干预确保进行风险-效益分析

在干细胞治疗研究中,令人信服的安全性与疗效的临床前证据,是进行临床试验的前提条件,保证不用短时的疗效来诱导患者的期望,并且采取一切可能的措施,包括受试者的选择程序和过程,最大限度地减少干细胞疗法所产生的可能的副作用。

为此,需要采取伦理干预措施,如吸收科技伦理专家参与干细胞“创新医疗服务”或干细胞治疗研究必要的风险-效益分析,参与临床研究设计,包括可能的副作用、并发症和不良反应的应对措施,并听取其意见,尽可能增加受试个体利益和社会群体利益,实现风险最小化、结果分析最大化。

## 5 建立公共治理型监管机制

中国关于干细胞治疗研究监管的思路,仍然停留在干细胞技术专家们对卫生部与国家药品监督管理局的权限之争。这种行政执法的监管机制,已经被证明并将继续被证明效果不尽人意。未来的发展方向应当是建立类似于英国人体组织管理局 (HTA) 的公共治理型监管机制。它与传统行政执法的主要区别在于,其决策层理事会成员由业内外人士组成。业内外人士,即专业成员来自与 HTA 职能相关的医疗和科研背景,业外人士则来自广泛的社会领域,带来了商业和公共部门的经验,从而能够保障专业利益、行业领域与公共利益的平衡。中国如建立这样的执法机制,能在相当的程度上改善执法的公正性进而提高其权威性。这也是确保干细胞疗法安全科学的必要措施。

以上 5 个方面应同时进行调研,出台配套措施。唯有如此,中国在该领域的“光荣与梦想”才有可能实现。

本文作者 黄清华,中国综合开发研究院(中国脑库)特聘研究员。

本栏目专门刊登广大读者就促进科学技术发展的评论提出的意见和建议,欢迎国内外科技工作者投稿。

(责任编辑 王芷)