

## 欧洲药品管理局先进治疗药物分类认定及沟通交流工作情况分析

### Analysis on classification review procedure and communication work of advanced therapy medicinal products by the European Medicines Agency

张帆, 王宇涛, 邱云瑞,  
王骏

(国家药品监督管理局药品审评中心, 北京  
10076)

ZHANG Fan, WANG Yu - tao,  
DI Yun - rui, WANG Jun

(Center for Drug Evaluation, National  
Medical Products Administration, Beijing  
100076, China)

作者简介: 张帆(1990 - ), 女, 主管药师, 主要  
从事药品审评项目管理与药品政策  
法规相关工作

通信作者: 王骏, 研究员

Tel: (010) 80996682

E - mail: wangj@ cde. org. cn

**摘要:** 先进治疗药物(ATMPs)作为当今生物医药领域的前沿阵地,在解决未被满足的临床需求方面展现出了巨大潜力。然而,这类产品同时面临着技术复杂度高、研发风险特殊、投入成本较高等挑战,其精准的分类与科学的监管是推动产业高质量发展的关键。欧洲药品管理局(EMA)在多年的实践中建立了完善的法律法规体系,配套发布了一系列指导原则,搭建了相对成熟的监管框架体系。此外,依托先进治疗委员会(CAT),EMA建立了先进治疗药物分类认定与沟通交流机制,为全球先进治疗药物监管提供了重要借鉴。本文详细梳理了EMA对ATMPs的分类界定标准与认定程序,介绍了其科学建议、创新工作组简报会议等沟通交流工作实践,为完善我国先进治疗药物分类管理制度、优化审评沟通机制、构建科学高效的监管体系提供参考。

**关键词:** 先进治疗药物;先进治疗药物分类;欧洲药品管理局;沟通交流;法律法规

**DOI:** 10.13699/j.cnki.1001-6821.2026.11.020

**中图分类号:** R97 **文献标志码:** C

**文章编号:** 1001-6821(2026)11-1624-07

**Abstract:** Advanced therapy medicinal products (ATMPs), as a cutting-edge frontier in the current biomedical sector, hold enormous potential to address unmet clinical medical needs. Nevertheless, such products are confronted with multiple challenges including high technical complexity, distinctive research and development risks and substantial investment costs. Their accurate classification and scientific regulation are critical to advancing the standardized development of the industry. Over years of practical experience, the European Medicines Agency (EMA) has established a robust legal and regulatory system, accompanied by a series of issued guidelines, thus forming a relatively mature regulatory framework. Furthermore, relying on the Committee for Advanced Therapies (CAT), the EMA has developed a comprehensive mechanism for the classification, designation, and communication of ATMPs, which serves as an important reference for the global regulation of ATMPs. This paper systematically elaborates on the classification criteria and designation procedures of ATMPs formulated by the EMA, and introduces its practical communication practices, including scientific advice and innovation task force briefings. This paper provides insights and references for improving China's ATMP classification management system, optimizing the evaluation and communication mechanism, and constructing a scientific and efficient regulatory framework.

**Key words:** advanced therapy medicinal products; advanced therapy medicinal products;European Medicines Agency; classification; communication; laws and regulations

欧洲药品管理局(The European Medicines Agency, EMA)对先进治疗药物的科学监管可以追溯至 1999 年<sup>[1]</sup>,随着科学认知发展不断,EMA 也不断完善其监管体系,逐渐形成了由法律、法规、法令和指南四级结构组成的监管框架体系<sup>[2]</sup>。在指令 Directive 2001/83/ European Community (EC )和法令 Regulation EC 726/2004 的基础上,EMA 发布了针对先进治疗药物(advanced – therapy medicinal products, ATMPs)的专门法令 Regulation EC 1394/2007<sup>[3]</sup>。该项法令建立了对此类产品监管和上市许可程序的总体框架,并成立负责评估 ATMPs 的质量、有效性和安全性的先进治疗委员会(committee for advanced therapies, CAT)。2009 年 9 月,EMA 发布了 2009/120/EC 号委员会指令(修订指令 2001/83/EC),更新了基因治疗药品和体细胞治疗药品的定义以及详细科学和技术要求,并且明确了组织工程产品、含有器械的先进治疗药物以及组合先进治疗药物(combined ATMPs)的详细科学和技术要求<sup>[4]</sup>。此外,在 ATMPs 的临床试验、生产质量、药物警戒、数据保护等方面,EMA 先后发布了一系列指导文件,为申请人的研发工作提供了有力指导。

本文主要介绍了欧洲药品管理局 ATMPs 的分类认定程序以及为此类药物提供的沟通指导途径,同时对比我国相关管理要求,以期对我国先进治疗药物监管工作给出借鉴意义。

1 先进治疗药物分类及认定

在欧盟,所有先进治疗药物均通过 EMA 进行中央授权,执行单一的评估和授权程序。根据法令 Regulation EC 1394/2007 以及指令 Directive 2001/83/

EC,EMA 先进治疗药物可分为四种类型:基因治疗药物、体细胞治疗药物、组织工程药物和组合先进治疗药物<sup>[5]</sup>,各分类<sup>[6-7]</sup>及具体内容详见表 1。

对于先进治疗药物,EMA 还提供了分类认定指导<sup>[8]</sup>。申请人可以向 EMA 提出咨询,确定他们正在开发的药品是否属于 ATMP 的范畴。在分类判定的过程中,CAT、欧洲药品管理局秘书处、其他科学委员会和工作组以及欧盟委员会(European Commission, EC)均参与其中。CAT 需结合现行法律规定、最新科学水平以及欧盟委员会的意见确定最终分类意见;欧洲药品管理局秘书处(包括 EMA 协调员和 CAT 协调员)负责在委员会内部协调工作;若产品分类需讨论特定科学问题,其他科学委员会和工作组可向 CAT 提供意见;此外,根据法令 Regulation EC 1394/2007,所有 ATMP 的分类均需征求欧盟委员会的意见<sup>[9]</sup>。EMA 的 CAT 在收到申请 60 日(日历日,下同)内与欧盟委员会协商后,就相关分类提出科学建议<sup>[10]</sup>。EMA 在其网站上共公开了接收 ATMP 分类申请的截止日期、程序开始日期、CAT 讨论日期以及 CAT 给出最终结论日期。申请人最迟应该在程序开始前 15 日提交分类申请,先进治疗办公室将检查申请人是否提供了充分的信息和理由,如有欠缺可能需要申请人进一步补充。如果需要补充的信息无法在 5 个工作日内提供,审核的启动日期将从申请人提供资料后下一个开始日期启动。申请人需根据 EMA 网站的模板提交两份文件,一是行政管理信息,二是分类申请表及简要说明信息,包括产品相关信息(如活性物质、成品、作用机制及拟定用途)、与 ATMP 分类相关的产品

表 1 欧洲药品管理局(EMA)先进治疗药物分类及具体内容

Table 1 Classification and contents of advanced therapy medicinal products in the European Medicines Agency(EMA)

| 类型       | 定义                                                                                                   | 法律依据                                        |
|----------|------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------|
| 基因治疗药物   | 产品的活性组分包含或由重组核酸组成,用于人体以调节、修复、替换、增加或删除一段基因序列。其治疗、预防或诊断效果直接关联于所含重组核酸序列,或该序列的基因表达产物。                    | 指令 Directive 2001/83/EC <sup>[6]</sup>      |
| 体细胞治疗药物  | 包含或由细胞或组织,经过实质操作使其与预期临床用途相关的生物学特性、生理功能或结构特性被改变或使其在受体和供体中表现不同的基本功能。通过细胞或组织的药理学、免疫学或代谢作用,用于预防、治疗或诊断疾病。 | 指令 Directive 2001/83/EC <sup>[6]</sup>      |
| 组织工程药物   | 包含或由工程化细胞或组织组成,并且具有再生、修复或替代人体组织的特性,或用于人体以实现人体组织的再生、修复或替代。                                            | 法令 Regulation EC 1394/2007 号 <sup>[7]</sup> |
| 组合先进治疗药物 | 包含一种或多种医疗器械或活性可植入性医疗器械作为药物的组成部分。其细胞或组织部分必须包含活的细胞或组织,或者包含非活性细胞或组织,但其相对于器械部分发挥对人体的主要功能。                | 法令 Regulation EC 1394/2007 号 <sup>[7]</sup> |

研发信息(包括生产要素、质量方面、非临床和临床研发概要),以及依据现行定义对产品分类的主张说明。EMA 会将最终的评估建议在网站公示并按照季度更新相应品种清单,申请人可以查阅参考<sup>[11]</sup>。

申请人提交的资料满足要求后,EMA 将按照网站公布的时间表启动分类审核程序,具体审核程序及流程见图1。

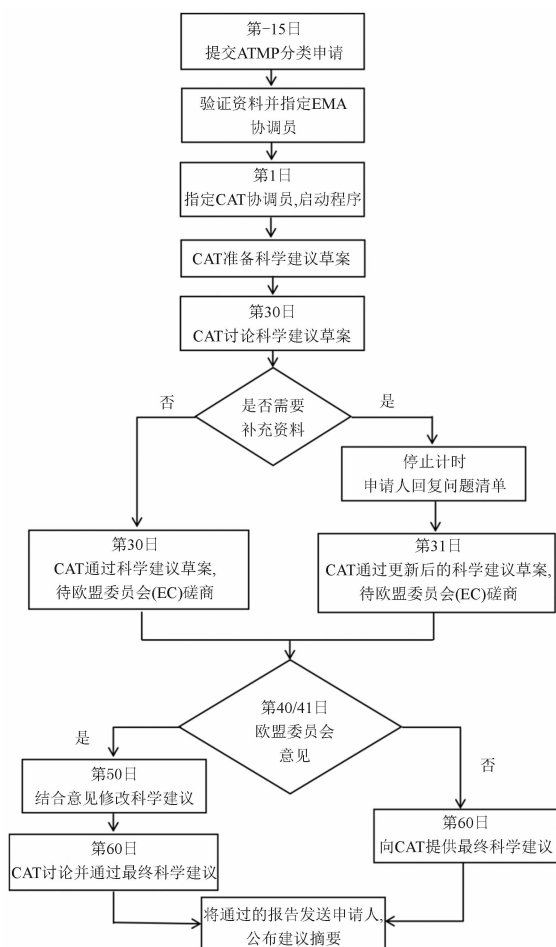


图1 先进治疗药物(ATMPs)分类审核流程

Figure 1 Advanced - therapy medicinal products (ATMPs) classification review process

CAT: Committee for advanced therapies; EC: European community.

## 2 先进治疗药物沟通指导

为了保证申请人能够开发出质量可靠、疗效确切、安全可控的药品,EMA 为申请人提供了多种早期对话和咨询的机会,如人用药品科学建议、创新工作组简报会议等<sup>[12]</sup>,相关沟通指导途径同样适用于先进治疗药物。

### 2.1 科学建议

在药品研发的任何阶段,申请人都可以向 EMA 寻求科学建议。科学建议有助于确保研发人员开展

合理的试验和研究,防止在药品上市时出现关于试验设计的重大异议,也可以避免患者参与无谓的研究<sup>[13]</sup>。EMA 专门开发了电子线上平台(the regulatory and scientific information management platform, IRIS)用于对接处理产品相关科学与监管事宜<sup>[14]</sup>。申请人通过 IRIS 平台提交科学建议申请,EMA 决定这些问题是否适合提供科学建议,并根据具体的内容收取费用。科学建议的定位仅是服务,对药品未来上市许可申请的评估结果没有法律约束力。

对于人用药品,EMA 依托于其科学建议工作组(scientific advice working party, SAWP)为申请人提供科学建议。SAWP 是人用药品委员会(committee for medicinal products for human use, CHMP)设立的一个常设工作组,负责提供科学建议和方案协助服务。SAWP 是一个多学科小组,由1名主席、36名成员组成,其中包括孤儿药委员会(committee for orphan medicinal products, COMP)的3名成员、儿科委员会(paediatric committee, PDCO)的3名成员、CAT的3名成员以及药物警戒风险评估委员会(pharmacovigilance risk assessment committee, PRAC)的1名成员<sup>[15]</sup>。

#### 2.1.1 适用范围

科学建议主要适用于以下几种情形:①申请人正在开发创新药,而欧盟指南/指导文件或药典专论中缺乏相关详细信息的;②申请人正在开发新药或新适应症,相关领域存在未满足的医疗需求且缺乏足够指导的;③申请人的研发计划偏离了科学指南的;④申请人对药品监管知识了解有限,例如一些学术团体或中小型企业(small and medium - sized enterprises, SMEs)。针对具体的问题,科学建议适用和不适用的情况及举例,见表2。

#### 2.1.2 工作流程

EMA 制定了详细的指导原则和标准操作规程,指导申请人提交科学建议申请,同时明确了审核答复流程<sup>[16-17]</sup>。科学建议可以分为规划和评估两个阶段,在规划阶段,如需召开预备会议,处理时限为45日;不召开预备会议的处理时限为20日。在评估阶段,如召开会议讨论,处理时限为70日;不召开会议讨论,处理时限为40日<sup>[18]</sup>。规划阶段和评估阶段具体工作流程,见表3和表4。

### 2.2 创新工作组简报会议

为了支持欧盟的药品创新,EMA 成立了一个内部的横向跨部门小组——EMA 创新工作组(innovation task force, ITF),尤其专注于新兴疗法和技术<sup>[19]</sup>。创新工作组简报会议为申请人提供了与 EMA 就创新药

表2 科学建议适用和不适用的问题范围

Table 2 Scope of questions for scientific advice applies and does not apply

| 内容      | 适用问题范围                                                                                                                                                                                                            | 不适用问题范围                                                                                                            |
|---------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 问题涉及的内容 | 1. 质量方面(如药品的生产、化学、药理学和生物学检测);<br>2. 非临床方面(如在实验室中为展示药品活性而设计的毒理学和药理学试验);<br>3. 临床方面(例如在患者或健康志愿者中的研究是否恰当、终点的选择等);<br>4. 方法学问题(例如应使用哪些统计检验、数据分析、建模和模拟);<br>5. 总体开发策略(例如附条件上市许可、仿制药的桥接策略、安全数据库),维持孤儿药资格的显著益处,以及儿童用药发展。 | 1. 同情使用,先进治疗药品分类、PRIME 资格认定,以及加速评估<br>2. 对儿科研究计划的关键要素修改以及儿科豁免或延期<br>3. 纯属监管性质的事项<br>4. 现有数据是否足以评估注册申请              |
| 问题举例    | 1. 所研究的患者是否足以代表该药品拟用于的患者群体?<br>2. 计划中的措施是否能够有效且相关地评估药品的益处?<br>3. 所提出的分析结果的计划是否合适?<br>4. 研究的持续时间是否足够长,并且纳入了足够数量的受试者,以提供进行受益-风险评估所需的数据?<br>5. 该药品是否与适当的对照药品进行了比较?<br>6. 产品的长期安全性计划是否设计得当?                           | 1. 所提出的建模和模拟方法能否替代协议中同意的儿童研究计划中的某项研究?<br>2. 所提出的活性物质/产品规格是否可接受?<br>3. 非临床数据是否足以支持首次人体研究?<br>4. III期研究结果是否足以支持上市许可? |

表3 规划阶段工作流程及时间安排

Table 3 Work flow and schedule for the planning phase

| 设有预备会议的<br>规划阶段(45 日) | 具体工作流程                                                                        | 不设预备会议的<br>规划阶段(20 日) |
|-----------------------|-------------------------------------------------------------------------------|-----------------------|
| -45 日                 | 申请人通过 IRIS 系统向 EMA 秘书处提交申请,申请资料需包括科学建议简报草案。秘书处会将申请转至 SAWP,同时任命两名协调员。          | -20 日                 |
| -45 日至预备会议<br>当日      | ①申请人提交科学建议或方案协助申请;<br>②EMA 任命内部人员开展审查工作,包括核查现有 EPAR、既往的建议、文献综述,同时确定额外专家或患者代表。 | -15 日                 |
| 预备会议当日                | ①与秘书处召开预备会议并向申请人发送意见清单,同时预备会议发现的问题也要向 SAWP 通报;<br>②明确是否需其他专业支持、是否需要咨询特设工作组等。  | /                     |
| -5 日                  | 申请人根据意见修订并再次提交简报,EMA 可向申请人发送进一步意见。                                            | -5 日                  |
| -3 日                  | 秘书处对更新后简报正式审核确认。                                                              | -3 日                  |

IRIS: The regulatory and scientific information management platform; EMA: The European Medicines Agency; SAWP: Scientific advice working party; EPAR: European public assessment report.

表4 评估阶段工作流程及时间安排

Table 4 Work flow and schedule for the evaluation phase

| 不召开讨论<br>会议(40 日) | 具体工作流程                                                                                                                                | 召开讨论会议<br>(70 日) |
|-------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------|
| +20 日             | 协调员向秘书处提交首次报告并分发给 SAWP、相关工作组和委员会、其他专家及/或患者代表征求意见,同时可要求申请人提供补充信息或说明,为首次报告讨论做准备。                                                        | +20 日            |
| +30 日             | SAWP 第二次会议:<br>①围绕争议问题讨论首次报告;<br>②SAWP 在此阶段确认适用于 40 日程序或是 70 日程序。如选择 70 日程序,SAWP 审议需申请人答复的问题清单并发送申请人。申请人可向管理局提出清单外的补充讨论议题并在讨论会议前书面提交。 | +30 日            |
| +33 日             | ①协调员向秘书处提交联合报告,SAWP 通过书面程序审议协调员提交的联合报告及致申请人的建议函草案;<br>②开展 CHMP/SAWP/ EMA 同行评审。                                                        | +33 日            |
| +40 日             | CHMP 第二次会议:由 CHMP 通过最终建议函并发送申请人。                                                                                                      | +40 日            |
| /                 | SAWP 第三次会议:与申请人及 SAWP 召开讨论会议,协调员在讨论会议结束时提出初步结论,协调员向 SAWP 汇报讨论会议结果。                                                                    | +60 日            |
| /                 | ①协调员向秘书处提交联合报告,SAWP 通过书面程序审议协调员提交的联合报告及致申请人的建议函草案;<br>②CHMP/SAWP/EMA 同行评审。                                                            | +63 日            |
| /                 | CHMP 第三次会议:由 CHMP 通过最终建议函并发送申请人。                                                                                                      | +70 日            |

CHMP: Committee for medicinal products for human use.

物进行早期对话的机会。相比于科学建议,ITF 简报会议在药物研发的更早期阶段,为所有类型的申请人(如科研人员、微小企业、大型制药公司等)提供帮助。作为现有的正式沟通程序的补充,ITF 简报会议是非正式的沟通,主要围绕创新药物、技术和方法所带来的监管、技术和科学问题进行讨论,如人工智能、平台技术、先进治疗药物以及新的方法学等<sup>[20]</sup>。

EMA 制定了详细的 ITF 简报会议申请审核流程,并在网站公开了会议申请表、简报文件模板及会议报告模板供申请人参考<sup>[21-23]</sup>。EMA 设置了 ITF 秘书处,公开了邮箱,用来接收 ITF 简报会议申请,申请审核主要流程如下:

①会议申请。申请人应填写 ITF 简报会议申请表,并发送至 ITF 秘书处。

②发送简报文件。EMA 根据情况,可能要求申请人填写并发送简报文件,包括品种概述、背景信息、讨论的问题(最多 8 个)、附件清单等内容。EMA 会在 1~3 周内审查申请人提交的简报文件,并给出下一步建议包括安排会议。

③在 IRIS 注册。如果 EMA 同意与申请人开会,则需要申请人在 IRIS 注册并创建研究产品标识符。

④召开会议并起草会议报告。ITF 简报会议通常以线上会议的形式召开,不收取任何费用,参会专家来自欧洲经济区成员国的药品主管部门。秘书处会在同意召开会议后的 4~6 周内提供可用的会议日期。会议通常持续 90 min,其中 20~30 min 用于报告,60~70 min 用于讨论。会议结束后,申请人应按照 EMA 提供的模板起草会议报告,记录会议讨论的主题以及形成的意见。

⑤提交会议报告。申请人应在 10 个工作日内通过 IRIS 上传会议报告,EMA 会组织参会专家进行审阅,并在 2~4 周内上传会议报告最终版。

值得强调的是,ITF 简报会议中表达的观点仅代表参会专家的意见,并不能反映 EMA 科学委员会的观点。相关建议仅是对所呈现信息的初步科学层面和监管角度的考虑,并不代表对任何申请的监管指导或审查建议。

### 3 讨论

在我国,虽然先进治疗领域相较于其他发达国家起步较晚,但相关领域发展迅速,目前已成为全球生物医药创新格局中的重要力量。2021 年,工业和信息化部等九部委联合印发了《“十四五”医药工业发展规划》[工信部联规(2021)217 号],将

细胞基因治疗列为重要发展领域,作为医药创新产品产业化及技术攻关工程<sup>[24]</sup>。2025 年,国务院办公厅发布了《关于全面深化药品医疗器械监管改革促进医药产业高质量发展的意见》[国办发(2024)53 号],要求对临床急需的细胞与基因治疗药物予以优先审评审批<sup>[25]</sup>。2026 年全国药品监督管理工作会议中也指出,2026 年国家药监局将精准施策,重点推进多项工作,如优化细胞与基因治疗药品审评审批措施等<sup>[26]</sup>。政策法规的大力支持,对于推动我国细胞基因治疗产业高质量发展、加速创新产品上市转化起到了至关重要的引领和保障作用。结合 EMA 先进治疗药物的管理经验,针对我国先进治疗药物监管提出以下几点建议:

#### 3.1 进一步明确分类及定义

基于不同的物质基础、作用机制以及监管需要等因素,EMA 将先进治疗药物划分为体细胞治疗产品、基因治疗产品、组织工程产品和组合产品。同时,对于已经有明确分类的品种,EMA 会在网站上公开相关信息,加强对申请人的指导。2025 年 9 月,《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》正式颁布<sup>[27]</sup>,建立了生物医学新技术临床研究和临床转化应用的新路径,同时要求临床研究发起机构参照相应指导原则,科学合理选择相应技术路径或器械路径。这进一步为清晰划定先进治疗药物的界定范围、厘清产品属性边界提出了新的要求与考验。目前,我国对于先进治疗药物并没有明确定义和归类,这可能导致申请人在开发立项、研发路径选择、申报策略制定等方面存在困难。2025 年 6 月,国家药监局药审中心(以下简称药审中心)发布通知,公开征求《先进治疗药品的范围、归类和释义(征求意见稿)》意见<sup>[28]</sup>(以下简称《征求意见稿》)。基于药品的物质基础及活性成分、工艺及技术特点、功能用途及作用机理,结合研发成熟度及国际分类规范,《征求意见稿》中将先进治疗药品分为三类,即细胞治疗产品、基因治疗产品及其他,见表 5。相较于 EMA 的分类,《征求意见稿》中未对组织工程产品、组合产品进行单独分类,而是暂时将其归入其他类,同时将基因修饰细胞纳入细胞治疗药品范畴。

需要关注的是,在讨论一个品种的具体分类时可能会面临很多复杂情形,甚至从不同的角度考虑可能划分至不同的类别,这需要结合实际情况具体分析,并在不断积累经验的基础上持续完善类别划分原则。因此,建议监管部门能够尽快发布先进治疗药物分类及定义的规范性文件,为我国先进治疗

药物的研发设计、注册申报、技术审评及科学监管提供统一的依据与指引,同时随着技术发展及产业成熟度进行动态调整,推动行业实现规范化、科学化与高质量发展。

表 5 我国先进治疗药品分类(征求意见稿)  
Table 5 Classification of advanced therapy medicinal products in China (draft for comment)

| 一级分类   | 二级分类           |
|--------|----------------|
| 细胞治疗产品 | ①非基因修饰细胞药品     |
|        | ②体外基因修饰细胞药品    |
| 基因治疗产品 | ①核酸类药品         |
|        | ②病毒载体类药品       |
|        | ③溶瘤微生物类药品      |
|        | ④基因编辑类药品       |
| 其他     | ①具有药品属性的组织工程药品 |
|        | ②新生抗原类治疗药品     |
|        | ③新型递送系统药品      |
|        | ④细胞衍生物药品       |
|        | ⑤新型微生物类药品      |

3.2 加强研发过程中全程的指导

EMA 对于先进治疗药物建立了完善的沟通指导体系,包括从先进治疗药物分类认定到研发过程中的科学建议,全方位支持相关领域药物的研发上市。2023 年 12 月,药审中心发布了《细胞和基因治疗产品临床相关沟通交流技术指导原则》(2023 年第 60 号)<sup>[29]</sup>,对于细胞基因治疗产品沟通交流需要关注的内容、注意事项、参考示例等内容进行了详细说明,为相关产品的申请人提供了针对性的指导。2025 年 9 月,药审中心《先进治疗药品沟通交流中 I 类会议申请及管理工作细则(征求意见稿)》对外征求意见<sup>[30]</sup>,拟对符合相关情形的先进治疗产品按照 30 日时限开展沟通交流工作,提高此类产品的沟通效率。但截止目前,相关文件尚未正式对外发布,针对此类产品也未建立单独的沟通指导途径。为了加强对此类产品的支持和服务,建议监管部门可结合此类产品的特点建立有针对性的沟通指导路径,并明确沟通交流的内容、资料要求、答复时限等,与申请人共同推动相关产品加快研发上市。

3.3 制定有针对性的鼓励措施

EMA 对先进治疗药物从法律法规到指导原则,制定了完善的指导和鼓励措施。目前我国建立了突破性治疗药物、优先审评审批、附条件批准以及特别审批四条加快通道,对于符合条件的先进治疗产品也可以加快审评审批,制定发布了如《嵌合

抗原受体 T 细胞治疗血液淋巴系统恶性肿瘤临床试验技术指导原则(试行)》《重组腺相关病毒载体类体内基因治疗产品申报上市药学共性问题与技术要求》《细胞治疗药品药学变更研究与评价技术指导原则(试行)》等先进治疗产品的技术指导原则<sup>[31-33]</sup>,为申请人的研发申报提供指导。但针对此类产品并未制定其他单独的鼓励措施,对于先进治疗药物的激励作用难以释放。建议监管部门可有针对性的制定先进治疗药物的鼓励政策,从沟通交流、受理服务、审评审批、上市后变更等方面构建全链条的激励体系,持续激发产业创新活力,进一步助力我国先进治疗药物产业的蓬勃发展。

参考文献:

[ 1 ] 周清萍,黄晓翠. 欧美先进治疗药物的发展现状分析 [J]. 中南药学,2021,19(10):2029—2104.

[ 2 ] 卢佳琪,刘丹. 我国先进治疗药品的范围及分类研究和建议 [J]. 中国食品药品监管,2024(5):10—25.

[ 3 ] EMA. Legal framework; Advanced therapies [EB/OL]. 2008-01-01 [2026-03-15]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview/legal-framework-advanced-therapies>.

[ 4 ] EMA. Commission Directive 2009/120/E [EB/OL]. 2009-09-15 [2026-03-15]. <https://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:L:2009:242:0003:0012;EN:PDF>.

[ 5 ] EMA. Advanced therapy medicinal products: Overview [EB/OL]. 2011-02-03 [2026-03-15]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview#action-plan-on-atmps-12378>.

[ 6 ] EP and the Council. Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council [EB/OL]. 2001-11-06 [2026-03-15]. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/en/ALL/?uri=CELEX:32001L0083>.

[ 7 ] EP and the Council. Regulation (EC) No 1394/2007 of the European Parliament and of the Council [EB/OL]. 2007-11-13 [2026-03-15]. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/ALL/?uri=celex:32007R1394>.

[ 8 ] EMA. Support for advanced-therapy developers [EB/OL]. 2018-01-01 [2026-03-15]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview/support-advanced-therapy-developers>.

[ 9 ] EMA. Procedural advice on the provision of scientific recommendation on classification of advanced therapy medicinal products in accordance with Article 17 of Regulation (EC) No 1394/2007 [EB/OL]. 2021-11-05 [2026-03-15]. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/procedural-advice-provision-scientific-recommendation-classification-advanced-therapy-medicinal-products-accordance-article-17-regulation-ec-no-13942007\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/procedural-advice-provision-scientific-recommendation-classification-advanced-therapy-medicinal-products-accordance-article-17-regulation-ec-no-13942007_en.pdf).

- [10] EMA. Advanced therapy classification [EB/OL]. 2012-12-07 [2026-03-15]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/marketing-authorisation/advanced-therapies-marketing-authorisation/advanced-therapy-classification>.
- [11] EMA. Scientific recommendations on classification of advanced therapy medicinal products [EB/OL]. 2019-03-01 [2026-03-15]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/marketing-authorisation/advanced-therapies-marketing-authorisation/scientific-recommendations-classification-advanced-therapy-medicinal-products>.
- [12] EMA. Research and development [EB/OL]. 2006-12-01 [2026-03-15]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development#opportunities-to-interact-with-ema-during-the-development-of-a-medicine-38736>.
- [13] EMA. Scientific advice and protocol assistance [EB/OL]. 2008-07-01 [2026-03-15]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development/scientific-advice-protocol-assistance>.
- [14] EMA. Requesting scientific advice or protocol assistance from EMA [EB/OL]. 2020-08-25 [2026-03-15]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development/scientific-advice-protocol-assistance/requesting-scientific-advice-or-protocol-assistance-ema>.
- [15] EMA. Scientific advice working party [EB/OL]. 2009-01-01 [2026-03-15]. <https://www.ema.europa.eu/en/committees/working-parties-other-groups/chmp-working-parties-other-groups/scientific-advice-working-party>.
- [16] EMA. European medicines agency guidance for applicants seeking scientific advice and protocol assistance [EB/OL]. 2025-03-26 [2026-03-15]. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/european-medicines-agency-guidance-applicants-seeking-scientific-advice-protocol-assistance\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/european-medicines-agency-guidance-applicants-seeking-scientific-advice-protocol-assistance_en.pdf).
- [17] EMA. Standard operating procedure for scientific advice and protocol assistance procedure [EB/OL]. 2023-06-16 [2026-03-15]. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/sop/standard-operating-procedure-scientific-advice-and-protocol-assistance-procedure\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/sop/standard-operating-procedure-scientific-advice-and-protocol-assistance-procedure_en.pdf).
- [18] 於莲莲,林琳,田丽娟. 美国和欧盟的药品沟通交流制度研究及启示[J]. 中国新药杂志,2024,33(21):2193-2201.
- [19] EMA. Mandate of the EMA Innovation Task Force (ITF) [EB/OL]. 2014-08-06 [2026-03-15]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development/innovation-task-force-briefing-meetings>.
- [20] EMA. Innovation task force briefing meetings [EB/OL]. 2020-05-18 [2026-03-15]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development/innovation-task-force-briefing-meetings>.
- [21] EMA. Innovation Task Force (ITF) briefing meeting request form [EB/OL]. 2025-07-24 [2026-03-15]. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/template-form/innovation-task-force-itf-briefing-meeting-request-form\\_en.docx](https://www.ema.europa.eu/en/documents/template-form/innovation-task-force-itf-briefing-meeting-request-form_en.docx).
- [22] EMA. Innovation Task Force (ITF) briefing meeting - Briefing document template [EB/OL]. 2024-03-13 [2026-03-15]. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/innovation-task-force-itf-briefing-meeting-briefing-document-template\\_en.docx](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/innovation-task-force-itf-briefing-meeting-briefing-document-template_en.docx).
- [23] EMA. Innovation Task Force (ITF) briefing meeting report [EB/OL]. 2025-07-24 [2026-03-15]. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/template-form/innovation-task-force-itf-briefing-meeting-report\\_en.docx](https://www.ema.europa.eu/en/documents/template-form/innovation-task-force-itf-briefing-meeting-report_en.docx).
- [24] 工业和信息化部 国家发展和改革委员会 科学技术部 商务部 国家卫生健康委员会 应急管理部 国家医疗保障局 国家药品监督管理局 国家中医药管理局. 关于印发“十四五”医药工业发展规划的通知 [EB/OL]. 2021-12-22 [2026-03-15]. [https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/2022-01/31/content\\_5671480.htm?ivk\\_sa=1023197a](https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/2022-01/31/content_5671480.htm?ivk_sa=1023197a).
- [25] 国务院办公厅. 关于全面深化药品医疗器械监管改革促进医药产业高质量发展的意见 [EB/OL]. 2025-01-03 [2026-03-15]. [https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202501/content\\_6996117.htm](https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202501/content_6996117.htm).
- [26] 国家药品监督管理局. 国家药监局:助力创新药“中国首发” [EB/OL]. 2025-01-07 [2026-03-15]. <https://www.nmpa.gov.cn/yaowen/ypjgyw/zhyw/20260108085003119.html>.
- [27] 国务院. 生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例 [EB/OL]. 2025-09-28 [2026-03-15]. [https://www.gov.cn/gongbao/2025/issue\\_12346/202510/content\\_7044733.html](https://www.gov.cn/gongbao/2025/issue_12346/202510/content_7044733.html).
- [28] 国家药监局药审中心. 关于公开征求《先进治疗药品的范围、归类和释义(征求意见稿)》意见的通知 [EB/OL]. 2025-06-10 [2026-03-15]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/0d19d9228c90f124053e92cda08331e0>.
- [29] 国家药监局药审中心. 国家药监局药审中心关于发布《细胞和基因治疗产品临床相关沟通交流技术指导原则》的通告(2023年第60号) [EB/OL]. 2023-12-28 [2026-03-15]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/29a3f634b5ece698d65c372c28ea5fe6>.
- [30] 国家药监局药审中心. 关于公开征求《先进治疗药品沟通交流中I类会议申请及管理工作细则(征求意见稿)》意见的通知 [EB/OL]. 2025-09-08 [2026-03-15]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/ad53943229c9edd2e708f79c9053e38e>.
- [31] 国家药监局药审中心. 嵌合抗原受体T细胞治疗血液淋巴系统恶性肿瘤临床试验技术指导原则(试行) [EB/OL]. 2024-12-31 [2026-03-15]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/f8e34c69e903421fec588554fbefb88>.
- [32] 国家药监局药审中心. 重组腺相关病毒载体类体内基因治疗产品申报上市药学共性问题与技术要求 [EB/OL]. 2025-09-08 [2026-03-15]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/2676e243499c7d7bf4bf18e355a6f40e>.
- [33] 国家药监局药审中心. 细胞治疗药品药学变更研究与评价技术指导原则(试行) [EB/OL]. 2026-01-27 [2026-03-15]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/d2095373f1f57506795743870ca09c98>.