·新药注册与审评技术·

干细胞治疗监管模式的国际比较

刘　钊[1],郑　杨[1],房　军[1*],袁　林[2*]
(1 国家药品监督管理局高级研修学院,北京 100073; 2 中国药品监督管理研究会,北京 100050)

[摘要] 随着干细胞治疗的迅猛发展,其在临床医学中的应用不断拓展,但也给监管体系带来了新的挑战。本文系统梳理了全球多个国家的干细胞治疗监管模式,并在对相关政策法规、技术指南及学术文献进行比较分析的基础上,总结不同国家在风险分级、准入路径与全过程质量管理方面的主要做法与共同趋势,指出各国普遍采用风险分级管理与加速准入机制以平衡疗效与安全性。在对比分析基础上,本文详述了我国干细胞监管体系的演进路径,阐明了"双轨制"(药品化管理与临床研究备案并行)的制度特色。针对当前存在的分类不明、监管碎片化、国际接轨不足等问题,本文提出完善科学分类、健全质量体系、构建临床转化机制、强化伦理与信息公开、深化国际合作五大对策建议,以期推动建立科学、规范、高效的中国特色干细胞治疗监管体系,并为国际监管模式提供借鉴。

[关键词] 干细胞治疗;监管体系;风险分级;双轨制;国际比较
[中图分类号] R95　　[文献标志码] A　　[文章编号] 1003－3734(2026)18－1925－07

A comparative analysis of stem cell therapy regulatory models worldwide

LIU Zhao[1], ZHENG Yang[1], FANG Jun[1*], YUAN Lin[2*]
(1 *Institute of Executive Development, National Medical Products Administration, Beijing* 100073, *China*; 2 *China Society for Drug Regulation, Beijing* 100050, *China*)

[**Abstract**] With the rapid advancement of stem cell therapy, its application in clinical medicine has expanded significantly, posing new challenges to existing regulatory frameworks. This article systematically reviews the regulatory models for stem cell therapy across multiple countries, and based on a comparative analysis of regulatory policies, technical guidelines, and peer-reviewed literature, summarizes the major approaches and common trends regarding risk stratification, access pathways, and lifecycle quality management. The analysis highlights the widespread adoption of risk-based classification and accelerated access mechanisms to balance efficacy and safety. Through comparative analysis, the article details the evolution of China's regulatory system for stem cell therapy, emphasizing the characteristics of the "dual-track" model-parallel management through drug-based regulation and clinical research filing. In response to current issues such as unclear classification, fragmented oversight, and insufficient international alignment, the article proposes five key strategies: establishing scientific classification standards, improving quality control systems, facilitating clinical translation, strengthening ethical oversight and information transparency, and deepening international cooperation. These recommendations aim to support the development of a scientific, standardized, and efficient regulatory framework with Chinese characteristics, while

[作者简介] 刘钊,男,博士,主要从事药品监管政策研究。联系电话:(010)63360236,E-mail:liuz@bjmu.edu.cn。
[通讯作者] *袁林,男,博士,主任药师,高级政工师,主要从事药品监管政策研究。E-mail:ylyl1220@163.com。*房军,男,博士,教授,主要从事药品安全监管研究。E-mail:13661318348@163.com。
[DOI]10.20251/j.cnki.1003-3734.2026.18.003

also offering insights for global regulatory practices.

[**Key words**] stem cell therapy; regulatory system; risk-based classification; dual-track model; international comparison

随着全球科技日新月异,干细胞及其临床应用已成为医学研究与治疗的前沿领域[1]。需要说明的是,国际学术与监管语境中“干细胞(stem cells)”通常强调自我更新与分化潜能;而临床研究与产业化中应用极广的“间充质干细胞(mesenchymal stem cells,MSC)”在国际细胞治疗领域更常被审慎表述为“间充质基质细胞(mesenchymal stromal cells)”,并可依据国际细胞与基因治疗学会(International Society for Cell & Gene Therapy,ISCT)提出的最低检定标准进行界定,但其是否具备严格意义上的“干细胞”属性及其作用机制仍存在一定争议[1]。这种术语与分类差异并非纯粹概念问题,可能对监管产生现实影响:如多能干细胞及其衍生细胞产品的致瘤性与遗传稳定性等风险更受关注,通常倾向被纳入更高风险类别并要求更充分的非临床与临床证据;而部分细胞/组织产品在特定法域可能因“最小操作”“同源用途”等关键定义而适用不同监管路径或豁免边界,从而影响 CMC(化学成分、生产和控制)与临床证据要求的设定。虽然干细胞疗法为多种重大疑难疾病带来了新的希望,但相较于传统药物,干细胞产品在研发和质量控制方面更加复杂、标准更为严苛,对监管体系提出了前所未有的挑战,并伴随一系列伦理与安全风险[2]。因此,各国政府近年纷纷强化干细胞治疗监管,在确保患者安全的前提下完善政策体系并规范产业发展,但受不同法律体系和监管职责划分影响形成了差异化监管模式[3]。我国近年来亦持续出台指导原则和政策文件,推动建立覆盖研发、临床和产品上市全链条的监管框架。本文在综述中外政策的基础上,重点分析我国在监管科学、伦理风险控制、跨部门协同及与国际接轨方面的挑战,并提出从科学分类、技术标准、临床转化机制与国际合作等维度完善我国干细胞治疗监管的路径建议。

1 国外干细胞治疗监管政策现状

1.1 美国:单轨制的严格监管体系与加速机制 美国法规将所有干细胞及其他再生医学疗法统一视为《公共卫生服务法案》(Public Health Service Act,PHS Act)第 351 节下的生物制品,由美国 FDA 生物制品评价与研究中心(Center for Biologics Evaluation and Research, CBER)下设的治疗产品办公室(Office of Therapeutic Products,OTP)负责全过程监管[4]。仅当制剂经过“最小程度操作”且用于与来源组织同一生理功能时,方可遵循 PHS Act 第 361 节及《联邦法规》(Code of Federal Regulations,CFR)第 21 部分-21 CFR 1271 豁免上市许可要求;其余产品须先递交研究性新药(investigational new drug,IND)申请,经分期临床试验取得充分安全-有效性证据后,再提交生物制品许可申请(biologics license application,BLA)[5]。美国 FDA 现行快速通道、突破性疗法、优先审评、加速批准与再生医学先进疗法(regenerative medicine advanced therapy,RMAT)5 种程序可并行申请[5]。截至 2025 年 9 月 30 日,共 193 个项目获 RMAT 资格,官方规定 60 d 内完成认定答复,显著提高了再生医学产品的早期交流效率[6]。综上所述,美国通过单一主管、风险分级与五重加速程序,实现了干细胞疗法从质量控制到上市后随访的全生命周期监管,为全球再生医学监管提供了成熟范式。

1.2 欧盟:集中审评的先进治疗医学产品(advanced therapy medicinal products,ATMPs)框架与医院豁免条款 欧盟自 2007 年《先进治疗药物法规》实施起,将干细胞疗法与基因、组织工程疗法一起划入 ATMP 并按药品管理,确立了统一的集中审评体系[7]。上市申请由欧洲药品管理局(European Medicines Agency,EMA)受理,首先由先进疗法委员会(Committee for Advanced Therapies,CAT)评估质量、安全性与有效性,随后由人用医药产品委员会(Committee for Medicinal Products for Human Use,CHMP)采纳 CAT 意见并形成推荐,最终决议由欧盟委员会发布,实现全联盟范围内监管标准的一致性[8]。法规第 28 条设立“医院豁免”路径:成员国可授权本国医院在个别患者处方下,非工业化制备与使用 ATMP,产品不得流通出境,并须接受国家主管部门监管。该机制为无可替代治疗手段的患者提供早期使用机会,也带来了各国执行标准不一、临床数据透明度不足的风险。欧盟 ATMP 监管还需与现有《医药产品法》和《医疗器械法规》衔接:干细胞药物遵循药品法的研发-生产-上市全链条要求;当细胞与支架等器械组合时,需同步满足器械法规的

质量与安全条款。欧洲 EMA 先后发布多份技术指南,涵盖细胞来源可追溯性、《药品生产质量管理规范》(Good Manufacturing Practice,GMP)生产、非临床评价、药物临床试验质量管理规范(Good Clinical Practice,GCP)临床设计及上市后随访等要点,为开发者提供操作性指引并提升监管透明度[9]。总体而言,欧盟通过集中审评与"医院豁免"的双轨设置,在严格风险管控与临床灵活性之间求取平衡,为干细胞等先进疗法的安全可及奠定了制度基础。

1.3 日本:医疗技术与药品双轨制及风险分级监管 日本将干细胞疗法分为"院内医疗技术"与"上市药品"2 条路径进行管理:前者受《再生医疗安全法》约束,由医疗机构按高、中、低三级风险备案或报批,高风险(如诱导多能干细胞、胚胎干细胞、导入外源基因的自/异体细胞等)项目须获厚生劳动省和再生医学特别认证委员会批准后方可实施[10];后者按《药品和医疗器械法》提交新药申请,由日本药品医疗器械管理局(Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, PMDA)评审[11]。日本在 2014 年修订法规时引入了有条件/期限上市许可制度:对于小规模临床试验已显示初步安全且可能有效的再生医疗产品,企业可申请附条件的早期上市许可,获准后先行有限市场化,在最长 7 年期限内继续收集有效性和安全性数据,待证实收益风险比可接受后再申请转为正式批准[12]。自 2016 年起,日本实施"SAKIGAKE"突破认定,对满足显著疗效和未被满足医疗需求等标准的产品提供早期密集咨询,并将审评时限由常规 12 个月缩短至 6 个月[13]。同时,日本厚生劳动省/PMDA 先后发布干细胞临床研究、细胞制备、非临床与临床评价、GMP 等系列指南,构建全过程技术规范与风险管理体系。总体而言,日本双轨制监管在保障监管严格性的同时,赋予了一定的灵活性:通过医疗技术路径及时引入新技术惠及患者,通过药品路径和特别制度加速前沿产品上市。

1.4 韩国、澳大利亚与加拿大:多元监管模式与临床应用准入机制 ① 韩国 2019 年通过《先进再生医疗及先进生物制品安全支持法》,2020 年发布实施细则,2025 年 2 月施行,设立国家级审查委员会,对细胞/基因/组织工程治疗按高、中、低风险三级管理,高风险项目须经中央审批;对罕见或重症患者,可在伦理审查和知情同意后于院内使用尚未上市疗法,制剂须符合 GMP[14-15];② 澳大利亚治疗用品管理局(Therapeutic Goods Administration,TGA)自 2019 年 7 月起收紧自体干细胞豁免,除在医院内且无广告宣传的医师自体治疗外,其他干细胞疗法须作为生物制品获批,否则面临刑事处罚;患者可通过临床试验或"特别准入计划"使用未批准疗法[16];③ 加拿大卫生部 2019 年公告明确,除传统造血干细胞移植外,所有自体细胞疗法均作为生物制品管理[17]。开发者须提交临床试验申请,经生物制品与放射药物局(Biologic and Radiopharmaceutical Drugs Directorate,BRDD)审评,并遵守 GMP 要求。完成临床研究后,可通过优先审评或附条件上市许可加速上市[17]。三国共同趋势是:严格界定豁免范围、强调 GMP 与长期随访,并提供加速路径以平衡患者需求与证据充分性。

2 中国干细胞治疗监管体系的演进与现状

我国对干细胞疗法监管模式经历了逐步探索和演进,现阶段由卫生行政部门和药品监管部门共同参与,形成具有中国特色的"双轨并行"体系。这一体系分为 2 种路径:① 以上市为目的的干细胞产品,按照药品管理相关法规要求开展研发、注册申报和上市审批;② 非以上市为目的的干细胞临床研究技术,通过国家卫生健康委员会的机构与项目"双备案"后,在医疗机构内开展研究性临床试验。这种管理模式在借鉴国际经验的基础上,兼顾了药品监管的严格性和临床研究的探索性,是我国在监管职责划分上的创新实践。与欧盟在 ATMP 集中审评框架下并设"医院豁免"、日本以《再生医疗安全法》管理院内再生医疗并以 PMDA 法管理上市产品的"双轨"相比,我国"双轨"更体现为卫生系统临床研究备案与药品监管系统药品注册审批的分工衔接[15]。该模式有助于在证据不足阶段将应用限定在受控研究框架内、降低过早商业化风险;但也可能带来部门边界下的监管碎片化、研究向产品转化接口不畅及患者早期可及性受限等问题[18]。

2.1 监管体系发展历程与"双备案"模式形成 我国最早将细胞治疗纳入药品法律框架的是 1993 年《人的体细胞治疗及基因治疗临床研究质控要点》,文件提出应比照《中华人民共和国药品管理法》对活细胞疗法实施质量控制与伦理审查,奠定了药品化监管的雏形[19]。2002 年原国家食品药品监督管理局公布的《药品注册管理办法(试行)》把"治疗用生物制品(含细胞治疗产品)"列为第三类新药,要求按新药程序审评审批。随后监管重心一度转向医

疗技术管理:2009 年“卫办医政发〔2009〕84 号文”将造血干细胞移植等列入需卫生行政部门准入的第三类医疗技术目录,可在符合条件的医疗机构收费应用,引发药品与医疗技术属性之争。为解决监管交叉,国家卫生健康委员会与原国家食品药品监督管理总局于2015 年联合发布《干细胞临床研究管理办法(试行)》,正式确立“机构备案 + 项目备案”的“双备案”模式:① 仅限具备 GMP 级制备能力、伦理委员会和三级甲等资质的医院申请机构备案;② 研究方案经项目备案后方可在院内实施,须遵守 GCP 与《干细胞制剂质量控制及临床前研究指导原则》;③ 禁止以研究名义向受试者收费,研究结束后若拟转化为产品,必须走药品注册通道。至此,卫生部门负责科研性临床试验的准入与全过程监督,药品监管部门负责科研转产品阶段的审评检查,形成了“卫生-药监”并行的中国特色双轨格局。

2.2 药品监管路径与技术指南体系 对于以产品上市为目标的干细胞疗法,我国近年逐步建立了药品监管路径,由国家药品监督管理局(National Medical Products Administration,NMPA)按照药品法规予以监管。2020 年修订颁布的《药品注册管理办法》(局令第 27 号)明确,包括干细胞在内的人源细胞和基因治疗产品作为治疗用生物制品,须按新药要求开展临床试验和申报上市,报国务院药品监管部门审批。对于药械结合的创新疗法,则由 NMPA 医疗器械标准管理中心界定属性,并通过联合审评机制决定审批路径。2025 年 9 月国务院发布《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》(2026 年 5 月 1 日起施行),明确由国务院卫生健康主管部门负责生物医学新技术临床研究和临床转化应用监督管理,并规定卫生健康主管部门会同药品监督管理部门根据科技发展制定、调整生物医学新技术与药品、医疗器械的界定指导原则,从而有望进一步明确细胞治疗“技术-产品”属性边界及跨部门衔接。在法规层面逐步完善的同时,监管部门也推出了鼓励创新的政策措施:2020 年 7 月,NMPA 发布了针对突破性治疗药物、附条件批准和优先审评审批的 3 项工作程序,符合条件的干细胞产品可被纳入相应的绿色通道,享受审评时限缩短、优先现场检查和优先检验检测等支持政策,为临床价值显著或治疗急迫性高的细胞产品开辟绿色通道。为了支撑干细胞产品按药品路径规范研发,NMPA 及其下属机构近年来构建了较为完备的技术指南体系,相关指南的总结详见表 1。这一系列指导文件与国际标准接轨,强化了干细胞产品在原材料控制、生产工艺验证、质量检测标准以及临床试验规范等方面的要求,为监管部门科学审评提供了依据,也为申请人指明了研发方向。

表 1 NMPA 药品审评中心发布的干细胞治疗主要技术指南

发布时间	指南名称	关键要点
2015 年 7 月	《干细胞制剂质量控制及临床前研究指导原则(试行)》	首部专门面向干细胞制剂的法规性指南:① 强调 GMP 级别的采集-制备-保存全过程控制;② 规定非临床安全性/有效性评价框架;③ 适用范围排除传统造血干细胞移植
2017 年 12 月	《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则(试行)》	对所有活细胞治疗产品建立 CMC-非临床-临床一体化评价思路,并提出“全生命周期符合 GMP”
2023 年 4 月	《人源干细胞产品药学研究与评价技术指导原则(试行)》	明确细胞来源甄别-分离扩增-放大工艺验证-质量标准体系等 CMC 要求;鼓励建立参比品/对照品
2023 年 6 月	《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(试行)》	规范纳入/排除标准、剂量探索、免疫原性监测、基于风险的长期随访,并提出细胞长期存续/致瘤监测策略
2024 年 1 月	《人源干细胞产品非临床研究技术指导原则》	系统阐述药效学、毒理学、致瘤性、免疫学评价模型与判定标准;强调人源-动物差异下的替代/人源化模型应用
2024 年 11 月	《细胞治疗产品临床药理学研究技术指导原则(试行)》	首次针对细胞治疗提出剂量-暴露-效应关系框架:① 剂量探索与细胞动力学/药效学结合;② 量化暴露-效应模型与免疫原性;③ 通常可豁免传统小分子食物影响及肝肾功能不全的药动学研究

3 完善我国干细胞监管体系的路径建议

对比其他国家的干细胞监管体系,我国在监管模式上借鉴了国外经验但亦有自身特色:既不像美国那样完全由药品监管部门单一管理,也不同于日本将医疗实践纳入一定范围内的临床应用许可。我国选择了更为审慎的路径——在未获药品批准前,干细胞疗法一律限定于临床研究阶段,通过备案制严控试验资质和过程,不允许任何形式的市场化应

用。这种做法确保了高风险创新疗法在充分验证前不进入临床常规医疗,但也可能使患者合法获取新疗法的途径相对受限。相比国际先进监管体系,我国在监管科学研究、制度协调和国际融合方面仍存在不足,需要进一步改进提升。

3.1 明确科学分类标准,实施分级分类监管 完善干细胞监管的首要任务是建立科学分类和分级标准。应依据细胞来源、获取方式、操作程度和预期用途,将胚胎干细胞、成体干细胞、诱导多能干细胞等干细胞产品细化归类,并借鉴欧盟 ATMP 体系与日本《再生医疗安全法》的风险分级:对全能/多能干细胞或基因修饰等高风险类别,要求更充分的临床前证据和更高层级审批[20];对自体来源、最小操作的低风险制品,在质量可控前提下简化程序、降低准入门槛,以鼓励临床探索[18]。同时,应加快制定专门法规,明确干细胞的法律属性与监管归属,并建立动态评估机制,定期依据科技进展与风险认知调整分类,做到严管高风险、宽容低风险[21]。此举既能集中资源保障受试者安全,又避免“一刀切”抑制创新,最终形成科学、透明且具有弹性的治理框架。例如:“间充质干细胞(MSC)”这一称谓存在持续争议,ISCT 在其立场声明中以“mesenchymal stromal cells”表述该类细胞,并提出其最低鉴定标准,以减少概念混用。该术语与分类差异对监管具有现实影响:产品是否满足“最小操作”“同源用途”等关键边界,可能决定其适用的监管路径与证据要求强度。

3.2 健全技术标准体系,强化质量控制与可追溯管理 健全技术标准与质量体系是干细胞监管的基石。应在既有指南基础上完善来源-生产-检验-临床全链条规范:① 建立统一的细胞来源追溯体系,明确供体筛选、知情同意和生物样本主数据库要求,并将人体来源生产用原材料的伦理要求前置纳入:捐献应基于自愿知情同意并避免不当诱导;知情同意应说明材料用途、长期保存与共享、隐私与数据保护及潜在商业化等信息;任何补偿均应在伦理审查批准下进行,并不得构成不当诱导[22]。此外,可借鉴美国对细胞组织捐献者资质的规定,建立全国性的细胞来源和用途中央信息库,实现监管部门对关键节点的实时监控[23];② 细胞制品生产须严格依照 GMP,针对分离纯化、扩增和终产品放行制定附则,并强化现场核查,确保批间一致性[24];③ 推进标准物质及检测方法研发,完善活性、遗传稳定性、残留致瘤细胞等质量指标,以统一检测口径[25];④ 临床试验必须全面遵守 GCP,强化方案审核、现场核查与数据核实,获取可靠、安全、有效的证据,为监管决策提供支撑[26]。通过上述举措,可为企业和监管部门提供清晰、可执行的质量基线,保障进入临床的干细胞产品质量稳定、安全可控。

3.3 构建加速临床转化机制,完善跨部门协同与政策支持 为加速干细胞成果临床转化,需建立“快速审评-跨部门协同-政策扶持”综合机制。首先,在药品审评阶段开设干细胞创新产品快速通道:借鉴美国 FDA 的 RMAT 与突破性疗法制度,对早期显现重大临床价值的项目授予突破性认定并开展并行审评;对已进入Ⅲ期临床、治疗严重疾病且缺乏有效手段的产品,可采取“附条件批准”模式,让特定机构先行应用并限期补充数据,从而压缩总体审评周期。其次,完善跨部门协作机制:卫生、药监、科技、发改等部门应常态化沟通,打通伦理审查、细胞制备放大及注册衔接等环节,并可设立国家级干细胞监管与发展协调委员会,统筹政策接口。最后,加大政策与资金支持:通过专项基金、税收优惠、人才引进与产业园区建设等激励产学研协同,保障关键技术攻关与临床研究经费,提高干细胞研发成功率与患者可及性。

3.4 强化伦理审查与临床试验透明性保障 干细胞治疗监管需始终将伦理风险控制和信息透明放在重要位置。应完善多层级伦理审查:机构伦理委员会独立把关知情同意、隐私及风险受益;国家级干细胞伦理专家委员会对胚胎、胎儿组织或基因编辑等高风险方案集中论证并发布指导[27]。所有干细胞临床研究须在注册平台登记并动态公开方案、进度及不良事件;试验结束后最迟 1 年内公布主要结果,违者可暂停新试验或限制经费,防止选择性披露[28]。研究单位需为每位受试者购买保险,建立不良事件直报系统,监管部门定期汇总风险信号,必要时暂停或调整试验并对公众发布安全警示。对未备案临床应用、夸大宣传或违规收费等行为,国家卫生健康委员会与药监部门可联合执法并公开曝光典型案例,巩固公众信任并保护正规研究环境,为行业健康发展奠定坚实基础。

3.5 深化国际合作与标准接轨,提升监管前沿水平 深化国际协作可快速提升我国干细胞监管水平。① 参与国际标准制定。积极参加世界卫生组织(World Health Organization,WHO)、国际标准化组织(International Organization for Standardization,ISO)等

平台的标准制定,将我国专家意见融入干细胞检定与质控国际规范,促进标准对接并提升话语权;② 强化监管机构互认。通过与美国 FDA、欧洲 EMA、日本 PMDA 的人员培训与信息共享,探索临床试验数据国际互认,减少重复试验,这要求我国在试验设计、GCP 执行、统计分析等方面与国际同步同质,通过提升自身监管科学能力来赢得国际信任;③ 推动国际多中心临床试验。鼓励国内单位牵头或参与国际多中心试验,获取高质量证据并为产品出海奠基;在法规层面承认符合我国伦理要求的境外数据,用于支持国内申报;④ 搭建国际监管科研合作平台。设立专项项目,与全球知名大学、科研机构联合研究干细胞监管科学前沿课题,如干细胞持久性风险监测、新型表征方法、生物信息数据库共享等,共享研究成果。加强国际合作不仅能提高我国监管的科学性和权威性,也能为中国干细胞创新产品走向海外创造有利条件,推动实现监管与产业发展的“双赢”。

4 结语与展望

干细胞治疗作为生物医药领域极具创新性和颠覆性的技术,正迎来蓬勃发展的黄金时期[29-31]。然而,其高度个性化和复杂的技术特征,以及潜在伦理争议和安全有效性评估体系的不完善,都对监管提出了前所未有的挑战。近年来国际主流监管体系的演进经验表明,在确保安全的基础上鼓励创新是各国共同追求的目标,通过不断完善法规、加强监管科学研究、推出监管创新举措等手段,可以逐步解决新技术带来的监管难题。对于我国而言,实现从“并跑”向“领跑”的跨越式发展、提升在全球前沿领域的影响力,迫切需要在现有监管体系基础上,积极借鉴国际先进经验。通过吸收代表性国家和地区的监管理念、新技术和方法,与全球标准协调统一,不断优化完善具有中国特色的干细胞监管体系。要强调的是,监管体系建设必须与干细胞科技创新的步伐保持同步,通过监管与创新的良性互动实现协同发展。展望未来,我国应继续坚定走监管科学引领之路,构建起科学高效、开放包容的干细胞治疗监管体系,既保障产品安全有效地惠及患者,又能激发创新活力,推动我国从干细胞研究大国迈向监管和应用强国。相信在各方共同努力下,中国特色的干细胞监管之路必将日臻完善,为全球再生医学的发展贡献重要力量。

[参 考 文 献]

[1] SONG SJ, NAM Y, RIM YA, *et al*. Comparative analysis of regulations and studies on stem cell therapies: Focusing on induced pluripotent stem cell (IPSC)-based treatments[J]. *Stem Cell Res Ther*, 2024, 15(1): 447.

[2] 王晶, 黄云虹, 高晨燕. 我国间充质干细胞产品的注册申请情况及临床审评中的几点考虑[J]. 中国新药杂志, 2022, 31(15): 1468-1473.

[3] HIRAI T, YASUDA S, UMEZAWA A, *et al*. Country-specific regulation and international standardization of cell-based therapeutic products derived from pluripotent stem cells[J]. *Stem Cell Reports*, 2023, 18(8): 1573-1591.

[4] FDA. Cellular & gene therapy guidances[EB/OL]. (2025-06-17)[2025-07-22]. https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/biologics-guidances/cellular-gene-therapy-guidances.

[5] FDA. Expedited programs for regenerative medicine therapies for serious conditions[EB/OL]. (2019-05-16)[2025-07-22]. https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/expedited-programs-regenerative-medicine-therapies-serious-conditions.

[6] FDA. Cumulative cber regenerative medicine advanced therapy (RMAT) designation requests received by fiscal year[EB/OL]. (2025-11-04)[2025-12-19]. https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/cumulative-cber-regenerative-medicine-advanced-therapy-rmat-designation-requests-received-fiscal.

[7] EMA. Regulation (ec) no 1394/2007 of the European parliament and of the council of 13 november 2007 on advanced therapy medicinal products and amending directive 2001/83/ec and regulation (ec) no 726/2004 (text with eea relevance)[EB/OL]. (2007-11-13)[2025-07-22]. https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2007/1394/oj/eng.

[8] EMA. Committee for advanced therapies (CAT)[EB/OL]. (2022-11-17)[2025-07-22]. https://www.ema.europa.eu/en/committees/committee-advanced-therapies-cat.

[9] EMA. Committee for advanced therapies (CAT): Work plan 2025[EB/OL]. (2025-01-30)[2025-07-22]. https://www.ema.europa.eu/system/files/documents/work-programme/cat-work-plan-2025-en.pdf.

[10] WHLW. Outline of the act on the safety of regenerative medicine[EB/OL]. (2014-11-25)[2025-07-21]. https://www.mhlw.go.jp/english/policy/health-medical/medical-care/dl/150407-01.pdf.

[11] HARA A, SATO D, SAHARA Y. New governmental regulatory system for stem cell-based therapies in japan[J]. *Ther Innov Regul Sci*, 2014, 48(6): 681-688.

[12] MARUYAMA Y, NODA S, OKUDAIRA S, *et al*. Regulatory aspects of cell and gene therapy products: The Japanese perspective[J]. *Adv Exp Med Biol*, 2023, 1430: 155-179.

[13] MHLW. Product designation under the “SAKIGAKE designation system”[EB/OL]. (2017-04-21)[2025-07-21]. https://www.mhlw.go.jp/english/policy/health-medical/pharmaceuticals/170421-01.html.

[14] MFDS. Act on the safety of and support for advanced regenerative medicine and advanced biological products[EB/OL]. (2020-08-11)[2025-07-21]. https://law.go.kr/lsInfoP.do?lsiSeq=220921&urlMode=engLsInfoR&viewCls=engLsInfoR#0000.

[15] YOON J, LEE S, KIM MJ, *et al*. Brief summary of the regulatory frameworks of regenerative medicine therapies[J]. *Front Pharmacol*, 2024, 15: 1486812.

[16] TGA. Understanding regulation of autologous human cell and tissue (HCT) products[EB/OL]. (2018-07-01)[2025-07-22]. https://www.tga.gov.au/resources/guidance/understanding-regulation-autologous-human-cell-and-tissue-hct-products.

[17] HC. Health Canada policy position paper-autologous cell therapy products[EB/OL]. (2020-01-17)[2025-07-22]. https://www.canada.ca/en/health-canada/services/drugs-health-products/biologics-radiopharmaceuticals-genetic-therapies/applications-submissions/guidance-documents/cell-therapy-policy.html.

[18] YIN C, GAO J, LI G, *et al*. Gene and cell therapies in China:

Booming landscape under dual-track regulation[J]. *J Hematol Oncol*, 2022, 15(1): 139.
[19] 蒋璐伊, 康琦, 金春林. 我国细胞和基因治疗产品监管的历史沿革及展望[J]. 中国新药杂志, 2024, 33(23): 2462 - 2466.
[20] IKKA T, HATTA T, SAITO Y, *et al*. Does the act on the safety of regenerative medicine in Japan ensure "safety"?: Implications of low adverse event reporting[J]. *Stem Cell Reports*, 2023, 18(12): 2297 - 2299.
[21] LU J, XU L, WEI W, *et al*. Advanced therapy medicinal products in China: Regulation and development[J]. *Med Comm*, 2023, 4(3): e251.
[22] LOVELL-BADGE R, ANTHONY E, BARKER RA, *et al*. ISSCR guidelines for stem cell research and clinical translation: The 2021 update[J]. *Stem Cell Reports*, 2021, 16(6): 1398 - 1408.
[23] ZIA S, PIZZUTI V, PARIS F, *et al*. Emerging technologies for quality control of cell-based, advanced therapy medicinal products[J]. *J Pharm Biomed Anal*, 2024, 246: 116182.
[24] IANCU EM, KANDALAFT LE. Challenges and advantages of cell therapy manufacturing under good manufacturing practices within the hospital setting[J]. *Curr Opin Biotechnol*, 2020, 65: 233 - 241.
[25] ROJEWSKI MT, LOTFI R, GJERDE C, *et al*. Translation of a standardized manufacturing protocol for mesenchymal stromal cells: A systematic comparison of validation and manufacturing data[J]. *Cytotherapy*, 2019, 21(4): 468 - 482.
[26] FURY B, BAUER G. GMP manufacturing of cell and gene therapy products: Challenges, opportunities, and pathways forward[J]. *Mol Ther*, 2025, 33(5): 1886 - 1888.
[27] PENG YJ, HUANG X, ZHOU Q. Ethical and policy considerations for human embryo and stem cell research in China[J]. *Cell Stem Cell*, 2020, 27(4): 511 - 514.
[28] FUNG M, YUAN Y, ATKINS H, *et al*. Responsible translation of stem cell research: An assessment of clinical trial registration and publications[J]. *Stem Cell Reports*, 2017, 8(5): 1190 - 1201.
[29] 李智鹏, 许镇, 彭亮, 等. 细胞治疗相关政策法规与产品化进展[J]. 今日药学, 2025, 35(2): 155 - 160.
[30] 张凯强, 王悦, 仲伟, 等. 中国干细胞临床研究进展及其登记备案管理[J]. 中国新药杂志, 2025, 34(20): 2161 - 2171.
[31] 夏楉榴, 刘仕卿, 孟祥睿, 等. 骨髓间充质干细胞成骨分化中 ceRNA 网络调控机制的研究进展[J]. 中国现代应用药学, 2025, 42(3): 491 - 499.

编辑:蒋欣欣/接受日期:2025 - 12 - 21