

上海高校 IV 类干细胞与转化高峰学科项目

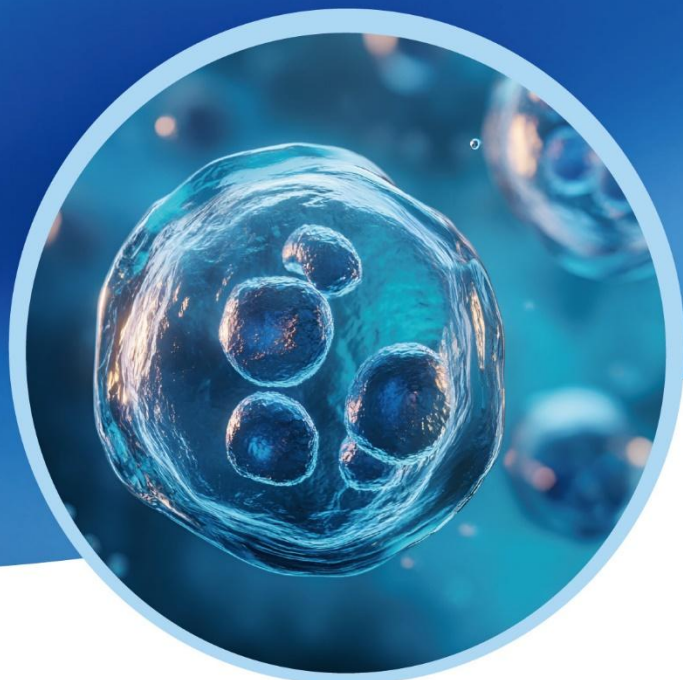
干细胞系列蓝皮书

总主编 刘中民 汤红明



干细胞监管政策蓝皮书

主 编 汤红明 何斌



上海干细胞临床转化研究院

2025 年 9 月

上海干细胞临床转化研究院



上海干细胞临床转化研究院

《干细胞系列蓝皮书》编委会

顾 问

-
- | | |
|-----|---|
| 高绍荣 | 中国科学院院士/同济大学医学与生命科学部主任 |
| 韩忠朝 | 法国国家技术科学院院士/北京汉氏联合生物技术股份有限公司董事长/细胞产品国家工程研究中心主任 |
| 王小宁 | 中国人民解放军总医院教授/中国老年学和老年医学学会长寿发展分会主任委员 |
| 田卫东 | 四川大学华西口腔医院教授/口腔再生医学国家地方联合工程实验室主任/口腔转化医学教育部工程研究中心主任 |
| 汤其群 | 复旦大学基础医学院教授 |
| 朱剑虹 | 复旦大学附属华山医院教授 |
| 吴朝晖 | 中国医药生物技术协会副理事长 |
| 项春生 | 国家干细胞临床研究专家委员会委员/浙江大学医学院干细胞与再生医学研究中心副主任 |
| 项 鹏 | 国家干细胞临床研究专家委员会委员/中山大学中山医学院教授/干细胞与再生医学国家地方联合工程研究中心主任 |
| 高维强 | 上海交通大学 Med-X 研究院院长/Med-X-仁济医院干细胞研究中心主任 |
| 章小清 | 同济大学医学院教授/党委书记 |
| 康九红 | 同济大学生命科学与技术学院党委书记/国家干细胞转化资源库主任 |
| 裴端卿 | 西湖大学讲席教授/校长助理 |
-

总主编

- 刘中民 同济大学附属东方医院名誉院长/上海干细胞临床转化研究院院长
- 汤红明 同济大学附属东方医院干细胞基地办公室主任/国家干细胞转化资源库副主任

编委

(按姓氏笔画排序)

- 白志慧 同济大学附属东方医院干细胞基地 GMP 实验室副主任
- 叶青松 武汉大学再生医学研究中心主任/新北辰（湖北）集团首席科学家/国际再生医学会大中华区主席
- 乐文俊 同济大学附属东方医院干细胞基地再生医学研究所研究员
- 史小媛 四川大学华西医院干细胞临床研究伦理审查委员会秘书
- 刘芳 四川大学华西医院临床研究管理部部长
- 李宗金 南开大学医学院教授
- 何斌 上海同金干细胞科技有限公司办公室副主任
- 赵庆辉 同济大学附属东方医院干细胞基地生物样本库副主任
- 贾文文 同济大学生命科学与技术学院副教授/上海同金干细胞科技有限公司副总经理
- 康九红 同济大学生命科学与技术学院党委书记/国家干细胞转化资源库主任

秘书

- 陈莉 同济大学附属东方医院干细胞基地办公室主管
- 李佳潞 同济大学附属东方医院干细胞基地办公室主管

总主编简介



刘中民，教授、主任医师、博士生导师，俄罗斯工程院外籍院士，法国荣誉军团军官勋章获得者，教育部长江学者、国家科技进步奖二等奖、何梁何利奖、光华工程科技奖、中华医学科技奖一等奖获得者。

现任同济大学灾难医学工程研究院院长，同济大学附属东方医院终身教授、名誉院长，兼任中国干细胞产业联盟理事长、上海干细胞临床转化研究院院长、国家干细胞转化资源库临床级干细胞资源库负责人、中国整形美容协会干细胞研究与应用分会会长、中国中西医结合学会干细胞与再生医学分会主任委员、中国医药生物技术协会再生医学分会副主任委员、上海市医学会干细胞与再生医学分会创始主任委员、上海市干细胞临床诊疗工程研究中心主任、海南省干细胞工程中心主任、上海干细胞转化医学工程技术研究中心专家委员会主任委员、湘江实验室副主任、智慧医疗与计算生物研究院院长、海南博鳌乐城先行区干细胞专家顾问委员会主任委员。

主持承担张江国家自主创新示范区专项发展基金重大项目、上海市科委重大科研项目等多项国家级及省部级干细胞重大科研任务。作为我国干细胞领域的重要奠基者与领军者，系统构建了涵盖基础研究、临床前研究、临床研究、临床转化应用的全链条创新体系，有效推进我国干细胞产业高质量发展和国家干细胞科创中心建设，相关研究成果获央视等主流媒体多次专题报道。

带领团队建成国内规模最大的临床级干细胞资源库之一，为中科院上海药物所、武汉大学等数十家单位提供技术服务逾百次；研发的治疗用生物制品 1 类新药“人脐带间充质干细胞注射液”（适应证：伴 CABG 指征的缺血性心肌病心衰）实现技术成果转化，合同金额 6000 万元，2023 年 10 月获 IND 受理；成功研发国内首个 HLA 高频覆盖中国人群 60% 的临床级 iPS 细胞库，2020 年 12 月临床级 iPS 细胞株通过中检院质量复核检验，已为清华大学等 14 家单位提供技术支撑。

总主编简介



汤红明，医学免疫学副教授，上海干细胞临床转化研究院特聘研究员。临床医学学士、医学免疫学硕士、生物学博士，现任国家干细胞转化资源库副主任，上海干细胞临床转化研究院办公室主任，同济大学附属东方医院干细胞基地办公室主任、细胞治疗临床研究中心执行主任。曾任湖北医药学院科技处与研究生处副处长、学报编辑部常务副主任，同济大学附属东方医院科技办主任。

兼任中国干细胞产业联盟秘书长，中国整形美容协会干细胞研究与应用分会秘书长、常务理事，上海市生物工程学会细胞治疗专业委员会副主任委员，中国研究型医院学会临床数据与样本资源库专业委员会、中国医疗保健国际交流促进会循证医学分会常委，中华医学会科研管理分会科技成果转化学组、中国医药生物技术协会再生医学分会、上海市医学会干细胞与再生医学专委会等学术组织的委员。

从事科研与学科建设管理与研究工作逾 20 年，尤其在科技项目管理、科技成果转化、学科平台搭建、干细胞临床研究机构建设和产业化政策研究等领域具有丰富实践管理经验，以第一或通信作者在《中华医学科研管理杂志》《中华细胞与干细胞杂志》等期刊发表干细胞领域系列管理论文，内容涵盖建库、临床研究推进、质量控制/风险防控、学术/伦理审查、成果转化、产业化等。主编《上海干细胞产业发展现状与展望》（人卫版，2022 年）、《干细胞研究——从基础到临床》（人卫版，2024 年）。牵头或作为主要起草人撰写并发布 10 余项干细胞领域国家标准、行业标准、团体标准。获授权发明专利 14 项、实用新型专利 7 项。获第八季中国医院管理奖铜奖 2 项。

《干细胞监管政策蓝皮书》编委会

主 编

汤红明 同济大学附属东方医院/国家干细胞转化资源库

何 斌 上海同金干细胞科技有限公司

副主编

郑天慧 同济大学附属东方医院

康 琦 上海市卫生健康发展研究中心

编 委

白志慧 同济大学附属东方医院

毕紫娟 同济大学附属东方医院

陈 莉 同济大学附属东方医院

何 斌 上海同金干细胞科技有限公司

康 琦 上海市卫生健康发展研究中心

李佳潞 同济大学附属东方医院

汤红明 同济大学附属东方医院/国家干细胞转化资源库

赵庆辉 同济大学附属东方医院

郑天慧 同济大学附属东方医院

主编简介



汤红明，医学免疫学副教授，上海干细胞临床转化研究院特聘研究员。临床医学学士、医学免疫学硕士、生物学博士，现任国家干细胞转化资源库副主任，上海干细胞临床转化研究院办公室主任，同济大学附属东方医院干细胞基地办公室主任、细胞治疗临床研究中心执行主任。曾任湖北医药学院科技处与研究生处副处长、学报编辑部常务副主任，同济大学附属东方医院科技办主任。

兼任中国干细胞产业联盟秘书长，中国整形美容协会干细胞研究与应用分会秘书长、常务理事，上海市生物工程学会细胞治疗专业委员会副主任委员，中国研究型医院学会临床数据与样本资源库专业委员会、中国医疗保健国际交流促进会循证医学分会常委，中华医学会科研管理分会科技成果转化学组、中国医药生物技术协会再生医学分会、上海市医学会干细胞与再生医学专委会等学术组织的委员。

从事科研与学科建设管理与研究工作逾 20 年，尤其在科技项目管理、科技成果转化、学科平台搭建、干细胞临床研究机构建设和产业化政策研究等领域具有丰富实践管理经验，以第一或通信作者在《中华医学科研管理杂志》《中华细胞与干细胞杂志》等期刊发表干细胞领域系列管理论文，内容涵盖建库、临床研究推进、质量控制/风险防控、学术/伦理审查、成果转化、产业化等。主编《上海干细胞产业发展现状与展望》（人卫版，2022 年）、《干细胞研究——从基础到临床》（人卫版，2024 年）。牵头或作为主要起草人撰写并发布 10 余项干细胞领域国家标准、行业标准、团体标准。获授权发明专利 14 项、实用新型专利 7 项。获第八季中国医院管理奖铜奖 2 项。

主编简介



何斌，上海干细胞临床转化研究院助理研究员。生物工程学士、公共管理硕士在读，现任上海同金干细胞科技有限公司办公室副主任，兼任中国整形美容协会干细胞研究与应用分会理事。曾任上海市东方医院转化医学平台公共技术员、干细胞基地办公室主任/副主任、党委组织部副主任。

具备 10 余年干细胞研究管理经验，深度参与了上海市东方医院干细胞研究体系的建设与发展，参与 2 个国家级平台（国家干细胞转化资源库和干细胞临床研究备案机构）和 6 个省部级平台的申报与实施工作。参与张江国家自主创新示范区专项发展基金重大项目、上海市科委重大科研计划项目等多项国家级及省部级干细胞重大科研任务申报与结题工作，累计参与管理课题经费约 8 亿元。在干细胞临床研究管理实践中，作为学术委员会秘书和机构办公室管理人员，支持东方医院院内所有干细胞临床研究项目的立项，其中 8 项成功完成国家备案（含国内首例 iPSC 治疗帕金森病临床备案），另有 1 项获得科技部立项、1 项完成海南乐城备案，并承担了医院 NIH *ClinicalTrials* 机构账号的管理工作。

作为负责人承担了 2024 年上海市医院协会医院管理年度课题 1 项，以第一作者身份在《中华医学科研管理杂志》等专业期刊上发表干细胞管理论文 3 篇，参与撰写了 3 项干细胞相关标准，并作为编委参编了《干细胞：从基础到临床》《上海干细胞产业发展现状与展望》《老年护理医院新冠防控管理实用手册》等专著。此外，还参与撰写了数十项各级各类干细胞专题调研报告。荣获第八季中国医院管理奖“学科建设”主题方向全国铜奖、2018 年度浦东职工科技创新合理化建议奖、2022 年 7 月上海市东方医院“党员之星”称号等荣誉。

总序



解锁未来：干细胞治疗新时代的八把钥匙

十年之前，我们还在为“干细胞能不能治病”争论；

五年之前，我们仍在为“干细胞归谁管”焦虑；

今天，我们终于可以坐下来，讨论“干细胞如何改变世界”。

当“细胞”成为可以设计、可以制造、可以放行、可以追溯的“药物”时，生命科学就跨过了它的“蒸汽机时刻”。此刻，我们手中需要的不只是实验数据，更是一套面向未来的基础设施、规则与共识——它们像一把把钥匙，逐一开启细胞治疗惠及大众的未来。

这套“干细胞系列蓝皮书”，正是八把钥匙的第一次集结。它们不是冰冷的报告，而是一群在实验室、临床、产业、监管、伦理一线奔跑的人，用脚步丈量出的“下一步”。

第一把钥匙：监管政策

监管不是束缚创新的枷锁，而是指引方向的罗盘。《干细胞监管政策蓝皮书》深入拆解全球主要国家干细胞监管核心要素，结合中国干细胞产业发展的实际路径与需求，为产业创新发展指明方向。

第二把钥匙：资源库

细胞治疗的第一车间不在工厂，而在库。零下 196℃ 的液氮罐里，存放着临床级干细胞的“种子”。《临床级干细胞资源库发展蓝皮书》首次给出从采集、质检、冻存到全球共享的完整路线图，让“好种子”不再沉睡。

第三把钥匙：标准

没有标准，就没有产业。《干细胞标准化研究蓝皮书》把“经验”翻译成“参数”，把“手艺”翻译成“协议”，让每一批细胞都能被复刻、被信任、被放行。

第四把钥匙：iPSC

人类终于掌握了生命的“重编程”魔法，能够将成体细胞逆转回发育的起点。《人诱导多能干细胞（iPSC）标准化与产业化发展蓝皮书》记录了中国 iPSC 从“跟跑”到“并跑”再到局部“领跑”的完整轨迹，并给出走向临床转化与商业运营的下一站路标。

第五把钥匙：外泌体

当干细胞“放下身段”，释放出纳米级的囊泡时，它们依然携带修复世界的信号。《干

总序



《细胞外泌体产业发展蓝皮书》记录了一场“无细胞治疗”的静悄悄革命，也描绘了从实验室到医美、到慢病管理的万亿级赛道。

第六把钥匙：类器官

如果说干细胞是种子，类器官就是它们长出的“微器官森林”。《干细胞来源类器官技术发展蓝皮书》展示了如何用一枚细胞构建脑、心、胰腺、骨髓、皮肤等的“替身”，让药物筛选告别“盲人摸象”，让局部移植干预“指哪打哪”，让新药研发更快惠及患者。

第七把钥匙：伦理

科技走得越快，伦理的缰绳越要收紧。《干细胞伦理规范蓝皮书》把“应该做”与“可以做”之间的张力，写成可操作的指南，让创新在阳光下奔跑。

第八把钥匙：内泌体

当细胞内的信号跨越膜的界限，以更精微的方式调控生命活动时，内泌体技术便揭开了细胞通讯的“第二战场”。它是外泌体产率的16倍、生物活性更高、性能更稳定且可标准化大规模生产。《干细胞内泌体技术与产业发展蓝皮书》首次系统梳理从机制探索到靶向递送、从工艺放大到临床适配的全链条创新，为开发下一代精准干预策略提供底层支持。

八本蓝皮书，八个维度，却共享同一套基因：让细胞成为可靠的药；让病人成为真正的中心；让中国成为世界干细胞版图的高地。

感谢每一位作者和每一位审稿人，你们把干细胞从“希望”转化为“方法”，把“方法”沉淀为“标准”，最终将“标准”铸就成了可以托付生命的“信任”。

愿这八把钥匙，开启中国干细胞治疗的新时代；也愿每一位读者，成为下一扇门的开锁人。

刘中民 汤红明
2025年9月于上海

序

干细胞研究与转化医学是生命科学领域最具前瞻性和战略意义的前沿阵地，其发展不仅关乎人类对生命奥秘的深刻理解，更直接影响到重大疾病的治疗突破和全球生物医药产业的格局重塑。然而，这一领域的快速进步也伴随着复杂的科学、伦理与监管挑战。如何在保障安全与伦理的前提下，有效释放科技创新的活力，成为各国政策制定者、科研机构与产业界共同面对的核心议题。

《干细胞监管政策蓝皮书》的编撰，正是在这一背景下应运而生。本书旨在系统梳理全球主要国家和地区在干细胞领域的监管体系、政策框架与实践经验，深入剖析其背后的逻辑、成效与挑战，以期为中国干细胞领域的健康、有序和可持续发展提供有价值的参考与借鉴。

全书共分四章。第一章开宗明义，阐述了干细胞监管政策的基本内涵、核心价值与框架构成，确立了以“风险控制、伦理合规、鼓励创新、公众保障”为基石的分析维度。第二章聚焦国际比较，详细解读了美国、欧盟、日本、韩国等科技先行者的监管路径，并扩展至英国、新加坡、印度等具有代表性的国家政策，力图呈现全球监管生态的多样性与共性规律。第三章重点回归中国，从国家到地方层面，全面梳理了我国干细胞监管政策的发展历程、现行体系、地方探索及面临的挑战，客观评价政策效果，并展望未来优化方向。第四章则立足未来，从技术迭代、临床需求、资本动向与产业格局等多重视角，展望干细胞转化应用的广阔前景，并探讨如何在动态平衡中构建更具韧性、前瞻性的治理模式。

作为本书的主编，我们深感干细胞监管绝非简单的“管”与“放”，而是一门寻求“最优解”的艺术与科学。它需要在严格的科学证据、迫切的临床需求、审慎的风险管理以及广泛的社会共识之间寻求动态平衡。我们欣喜地看到，中国在干细胞监管领域已从早期的探索阶段，逐步建立起具有自身特色的监管框架，特别是在临床研究备案、伦理审查、标准化建设等方面取得了显著进展。海南博

鳌乐城国际医疗旅游先行区等地的政策试点，更是为制度的创新与突破提供了宝贵的“试验田”。

我们希望这本蓝皮书不仅能成为政策研究者、监管机构、法律从业者的案头参考，也能为投身于干细胞研发与转化的科学家、临床医生和企业管理者提供清晰的指引。更重要的是，我们期望它能引发更广泛、更深入的社会讨论，凝聚各方智慧，共同推动建立一套既符合国际规范又兼具中国特色，既能严守安全伦理底线又能充分激发创新活力的干细胞治理体系。

本书的顺利完成，得益于众多专家学者、同行同仁的鼎力支持与无私贡献，在此谨致谢忱。干细胞领域日新月异，监管政策亦处于快速演进之中，文内疏漏之处在所难免，恳请广大读者不吝指正。让我们携手同行，为干细胞科技造福人类健康的伟大事业奠定更加坚实的制度基石。

汤红明 何斌
2025年9月于上海

上海干细胞临床转化研究院

前言

当今世界正经历百年未有之大变局，生命科学领域的创新浪潮尤为澎湃。干细胞与再生医学作为引领新一轮科技革命和产业变革的战略前沿，其发展深度不仅预示着人类疾病治疗模式的根本性转变。然而，干细胞技术从实验室走向临床、从概念转化为产品的道路上，横亘着科学不确定性、伦理复杂性、风险多元性等多重挑战。如何构建一套既能严守安全伦理底线、又能充分释放创新活力的监管体系，成为世界各主要科技强国共同面临的重大课题。

中国干细胞研究历经数十载耕耘，已从早期的跟跑学习，逐步迈入并跑乃至部分领域领跑的新阶段。在这一进程中，监管政策的演进与完善起到了至关重要的导航与护航作用。从早期探索期的规范缺失，到规范期“双备案”等制度的建立，再到当前创新期海南乐城等“试验田”的大胆探索，中国的干细胞监管路径充分体现了在审慎中求创新、在规范中谋发展的智慧。系统梳理国内外干细胞监管政策的演变逻辑、比较分析不同监管模式的利弊得失、前瞻研判未来监管范式的发展趋势，对于我国在全球干细胞领域竞争中把握先机、占据主动具有紧迫而现实的意义。

本蓝皮书作为国内首部系统聚焦干细胞监管政策的权威报告，旨在打造一部兼具理论深度、实践广度与国际视野的“政策导航图”。我们力图跳出简单的资料汇编，致力于深入剖析政策文本背后的价值取向、运行逻辑与实际效能。全书以围绕“法律法规、指南规范、审核框架、特色审批通道、政策特点及实施效果”框架展开分析，循着“全球经验借鉴-中国实践探索-未来前景展望”的逻辑脉络展开。

由于干细胞领域发展日新月异，监管政策亦处于快速演进之中，文内疏漏之处在所难免，恳请各界专家和广大读者不吝指正。愿这本蓝皮书能够为促进我国干细胞领域的健康、有序和可持续发展贡献绵薄之力，共同迎接干细胞科技造福人类健康的崭新时代。

目 录

第一章 干细胞监管政策的意义	1
第一节 干细胞监管政策	1
第二节 监管政策的框架	2
第二章 主要国家干细胞监管政策	4
第一节 美国干细胞监管法规政策	4
一、法律	5
二、法规	5
三、指南与规范	7
四、审批监管框架	9
五、特别审批监管框架	12
六、政策特点及效果	14
第二节 欧盟干细胞监管法规政策	15
一、法律	15
二、法规	15
三、指南与规范	16
四、审批监管框架	17
五、特别审批监管框架	20
六、政策特点及效果	20
第三节 日本干细胞监管法规政策	22
一、法律	22
二、法规	22
三、指南与规范	23
四、审批监管框架	24
五、特别审批监管框架	26
六、政策特点及效果	27
第四节 韩国干细胞监管法规政策	29
一、法律	29

二、法规	29
三、指南与规范	30
四、审批监管框架	30
五、特别审批监管框架	31
六、政策特点及效果	32
第五节 其他主要国家干细胞监管法规政策	33
一、英国干细胞监管法规政策	33
二、新加坡干细胞监管法规政策	34
三、印度干细胞监管法规政策	35
四、俄罗斯干细胞监管法规政策	35
五、泰国干细胞监管法规政策	36
第三章 我国干细胞监管政策	38
第一节 国家层面干细胞监管法规政策	38
一、发展历程	38
二、法律	38
三、法规	39
四、指南与规范	40
五、审批监管框架	42
六、政策特点及效果	45
七、挑战与未来方向	46
第二节 地方层面干细胞监管法规政策	47
一、海南省	47
二、广东省	48
三、北京市	50
四、上海市	53
五、天津市	54
六、湖南省	55
七、四川省	55
八、山东省	56

九、江西省	56
十、安徽省	56
十一、江苏省	56
十二、福建省	57
十三、黑龙江省	57
十四、吉林省	57
十五、河南省	57
十六、中国香港	58
十七、中国澳门	58
十八、中国台湾	58
第四章 干细胞转化应用前景展望	59
第一节 干细胞产业发展与现行监管挑战	59
一、全球政策发展路径	59
第二节 干细胞产业市场前景分析	61
一、技术迭代与临床需求双轮驱动产业增长	61
二、全球资本与政策密集布局构建差异化竞争格局	61
三、中国以制度创新破解技术转化瓶颈成效显著	61
第五章 附录	63
我国干细胞产业政策一览表	63

第一章 干细胞监管政策的意义

本章节阐述了干细胞监管政策的核心意义与框架体系，明确其作为产业规范、公众保障、创新引导及风险防控的制度基石。同时，本章解析了监管框架的关键要素，包括多部门协同的监管主体、覆盖全流程的监管对象、严谨的审批流程、技术规范与标准体系，以及贯穿始终的伦理审查机制，最终构建起安全与发展并重的干细胞监管制度体系。

第一节 干细胞监管政策

监管政策为干细胞产业构建了坚实的制度框架。产业涵盖采集存储、技术研发、产品制备及临床应用等多环节，各环节紧密相连且风险各异。监管规范采集资质审核，避免资源浪费与破坏，保障上游“种子库”稳定安全；中游通过明确标准促使企业遵循统一规范，提升细胞培养、扩增与分化工艺的科学性和稳定性，保障产品质量；下游限定合法应用范围与推广方式，防止虚假宣传和过度医疗，营造公平竞争环境，引导资源合理配置，推动产业专业化、规模化、规范化发展，实现产业链健康可持续。

在保障公众权益方面，监管政策是公众生命健康安全的“守护盾牌”。干细胞疗法虽前景广阔，但因技术复杂性与创新性，存在疗效不确定、免疫排斥、致癌性等潜在风险。监管政策要求对干细胞产品和疗法进行严格的安全性及有效性评估，通过从临床前研究到临床试验/临床研究的层层把关，仅允许经科学验证的产品进入临床，最大限度降低公众治疗风险。同时，明确信息披露要求，保障患者对治疗方案、预期效果及风险的知情权与选择权，全方位维护患者权益。

对于科技进步而言，监管政策并非阻碍，而是推动科技创新的“催化剂”。合理监管促使科研人员在伦理与法律框架内开展研究，避免伦理与法律风险，确保科研资源有效利用。例如，针对干细胞来源及应用的伦理争议，监管政策明确红线，引导科研人员探索伦理合规的获取与应用途径，激励合法创新以寻求更优的干细胞治疗策略与技术突破，促进科研健康发展及成果转化，实现科技与伦理、法律的协调共进。

从社会层面看，监管政策维护社会稳定与公共安全。干细胞技术失控将引发严重社会问题，监管可防范技术滥用与误用风险（如非法买卖干细胞、未经授权人体试验等）。通过严格监管将产业纳入有序管理，增强公众对新技术的信任，

避免个别事件引发恐慌，促进理性认知与接纳，为技术健康发展奠定基础。

第二节 监管政策的框架

干细胞监管政策框架是一套系统复杂的体系，旨在规范从基础研究到临床应用及产业化的全环节，确保干细胞技术在安全、有效、伦理的轨道上前行。该框架主要涵盖监管主体、对象、流程、技术规范与标准及伦理审查等关键要素。

在监管主体方面，呈现多部门协同格局。以我国为例，国家卫生健康委员会与国家药品监督管理局承担核心职责：国家层面制定宏观政策，发布规范与指南，督导地方监管，推动产业健康发展，并组建专家委员会提供技术与伦理支撑；省级部门负责行政区域内日常监督管理，检查机构制剂和研究质量及风险管控，督促问题整改。美国主要由食品和药物管理局（FDA）全面监管，包括出台政策框架及明确不同类型干细胞疗法的上市前审评要求。

监管对象广泛，覆盖研究、生产与应用全流程。包括开展临床研究的医疗机构（作为质量管理责任主体，全环节受监管）、从事产品研发生产的企业（研发、质控、推广需合规）。从干细胞采集存储机构对脐带血、脐带、胎盘及牙髓等来源的采集存储，到中游科研机构及企业的技术研发制备，再到下游医疗机构的临床应用与推广，均受严格监管。

监管流程严谨细致。在我国，干细胞临床研究项目需经省级部门审核后向国家部委备案。须先通过机构学术委员会科学性审查（含方案可行性、风险防控、制剂质控等），再经伦理委员会独立审查，通过后由机构负责人立项并在医学研究登记备案信息系统登记。干细胞产品按药品管理时，企业需遵循注册申报路径，从临床试验申请到完成确证性试验再提交上市申请，每步均接受药监部门严格审评。

技术规范与标准是监管框架的重要支撑。各国持续完善标准以保障质量安全：我国 2017 年发布首个干细胞团体标准《干细胞通用要求》，2022 年发布国际标准 ISO 24603《人和小鼠多能性干细胞通用要求》，2023 年 9 月发布首部人源干细胞国家标准《生物样本库多能干细胞管理技术规范》；美国 FDA 重点关注干细胞全能性与分化相关的安全性风险，制定供者筛查和细胞检测要求；欧洲药品管理局（EMA）及英、日等国也发布了相关技术指南。

伦理审查贯穿监管框架始终。鉴于干细胞来源及应用的伦理争议，各国制定严格准则：我国 2003 年《人类胚胎干细胞研究伦理指导原则》明确人胚干细胞来源、获得方式及研究规范，禁止买卖相关配子、受精卵、胚胎或胎儿组织；2015 年《干细胞临床研究管理办法（试行）》进一步规范来源、获取及临床研究伦理审查。美国国立卫生院（NIH）发布《使用人类多能干细胞研究指南》《人胚干细胞研究指南》等，明确人胚干细胞系登记伦理要求；英、日等国亦有严格伦理审查制度，确保研究符合伦理道德，维护人类尊严与社会公序良俗。



第二章 主要国家干细胞监管政策

本章节系统梳理了全球主要国家和地区的干细胞监管法规政策，核心围绕“法律法规、指南规范、审核框架、特色审批通道、政策特点及实施效果”框架展开国际干细胞监管政策分析。各国在监管主体、审批流程、创新激励、伦理管控等方面存在不同的差异化路径，其政策特点及实施效果可为中国监管体系优化提供国际镜鉴。

第一节 美国干细胞监管法规政策

美国联邦与州政府对干细胞产业的监管态度存在差异，政策曾有反复，但美国在临床试验数量及市场规模上仍保持全球领先。联邦层面，2015年《21世纪治愈法案》、2017年FDA再生医学政策框架（含四份科学监管指导文件）、2022—2023年《国家生物技术和生物制造计划》等政策，旨在减少生物技术依赖并明确发展目标。州层面如得克萨斯州、犹他州允许医疗机构使用未经FDA批准的胎盘干细胞疗法，仅需告知患者“未获批准”并获知情同意。美国已形成较为完善法规框架，由上位法律、法规、管理制度与指南三层组成，将细胞组织产品（HCT/Ps）分为PHS 351（CBER审批）与PHS 361（医院直接临床应用）两类管理，具体监管机构详见表2-1。

表 2-1 美国干细胞研究监管机构

分类	内容
干细胞研究的伦理监管	1981年颁布了联邦法律21 CFR Part 56来规范伦理审查委员会的工作，后经1999年和2001年两度修改。该法律明确规定了伦理审查委员会（IRB）的组织与成员要求、功能和审查程序，文件的保存，以及对违反法律规定的IRB采取的行政措施等，成为美国伦理审查委员会监管工作的重要法律依据，也奠定了监管机制的法治基础。
	除了21 CFR Part 56以外，与伦理审查委员会相关的主要法律还包括：21 CFR Part 50（人体受试者的保护）、Part 312（研究性新药申请）和Part 812（研究性设备免除审查规定）等，从不同层面为伦理审查委员会的工作提供了明确的指导规范。
	2001年8月4日美国宣布美国政府自即日起准许用政府经费资助人体胚胎干细胞研究，但仅限于已有的胚胎干细胞，联邦政府不支持为研究目的对胚胎的

分类	内容
	破坏。研究人员在获得配子、胚胎或人体组织包括成体干细胞都必须通过IRB的严格审查，而地方的IRB都隶属并受制于联邦政府的健康与人民服务部之下。
	美国的干细胞临床试验、干细胞疗法的应用，以及干细胞产品的生产、销售等环节全部由FDA下属的生物制品评估与研究中心（CBER）负责监管。
药品监管	在FDA已有的产品监管框架中，多种监管措施均适用于干细胞产品，其中以“生物制品”和“人体细胞、组织和基于细胞和组织的产品”监管框架最为适用。

一、法律

法律层面，干细胞治疗管理基于《美国食品、药品和化妆品法案》（FD&C Act）及《公共卫生服务法案》（PHS Act）两部国会法案，《美国联邦条例》（CFR）为FDA管理基础。核心法规包括研究性新药申请规定（21CFR 312）及现行药品生产质量管理规范（21CFR 210&211），后者原则适用于干细胞产品的设备与生产流程。2016年《21世纪治愈法案》支持精准治疗，要求FDA加速审批，新增“再生医学先进疗法（RMAT）”通道，并赋予已上市药物新增罕见病适应证6个月市场专有权。

二、法规

（一）联邦立法

法规层面，美国2001年发布《联邦法规》第21篇第1271部分（CFR Part 1271），2005年实施，为干细胞治疗审批主要依据。该法规将人体细胞组织分为PHS 351与PHS 361两类：PHS 351产品属HCT/Ps分类监管，含骨、韧带、外周血干细胞等；PHS 361产品无需IND申请，不含HCT/Ps分类，含全血成分、动物来源细胞及同源性应用骨髓等，具体分类情况见表2-2。

表 2-2 第 351 条 PHSA351 生物制品和 361 条 PHSA361 HCT/Ps 产品比较

内容	PHSA351 生物制品	PHSA361 HCT/Ps 产品
范围	病毒、毒素、抗毒素、疫苗、血、血制品及衍生物、过敏产品及类似产品。这些产品包括血液来源产品、疫苗、体内诊断性致敏产品、免疫球蛋白产品、含有细胞或微生物的产品以及大多数蛋白质产品	未确定特定类别产品，人体细胞、组织或基于细胞或组织的产品（HCT/Ps）是指含有或由人体细胞或组织组成的用于植入、移植、输注或转移到人体受体的物品
危险系数	高	低
开发-上市时间	10 年以上	1~2 年
监管部门	FDA	直接所在单位批准后进行临床应用

*如何确定某一产品属于 PHSA351 生物制品还是 PHSA361 HCT/Ps 产品，由 TRG（这是一个多中心工作组，决定如何对特定的人体组织产品进行监管）和 OCP（组合产品办公室，如果 TRG 确定产品不符合第 361 部分规定的监管资格，OCP 也参与监管路径决策，根据产品的主要作用模式，通过指定申请流程确定哪些 FDA 中心将具有管辖权。）进行评定，如果产品最终被定为 PHSA351 生物制品，则走生物制品许可证申请（BLA）申请路径。

（二）州级立法

美国作为联邦制国家，州级立法与联邦监管存在冲突。截至 2025 年 6 月，明确允许特定条件下开展未经 FDA 批准干细胞疗法的州主要有五个。

1. 犹他州（Utah）

法案名称：《胎盘组织修正案》（Placental Tissue Amendments）

生效时间：2024 年 5 月 1 日

核心内容：允许医疗提供者（医生、自然疗法师等）使用未经 FDA 批准的胎盘干细胞疗法，仅需声明“未经 FDA 批准”并获取知情同意，无需安全性或有效性审查。

2. 得克萨斯州（Texas）

法案名称：《实验性干细胞治疗法案》（Experimental Stem Cell Therapy Act）

生效时间：2017 年 9 月 1 日

核心内容：允许严重慢性病或绝症患者经医生推荐及机构审查委员会（IRB）监督下使用成人干细胞（如自体脂肪干细胞），要求疗法需在人类临床试验中测试过（地点不限美国）。

3. 密西西比州（Mississippi）与北卡罗来纳州（North Carolina）

法案类型：“尝试权法案”（Right-to-Try）扩展

生效时间：2020 年后（具体年份未明确）

核心内容：允许绝症患者使用经人体测试（不限于美国试验）的成体干细胞疗法，需医生推荐及 IRB 监督；与犹他州的区别在于要求提供初步临床证据，而非完全无审查。

4. 佛罗里达州（Florida）

法案名称：SB 1768 法案

生效时间：2025 年（具体月份未明确）

核心内容：聚焦成体干细胞与脐带血来源，推动再生医学发展，强调“符合本州价值观”，具体细则尚未公开，旨在平衡技术发展与患者权益。

三、指南与规范

FDA 与干细胞领域管理部门、企业及研究机构通过沟通形成制造和临床试验的指南规范，界定的原则适用于细胞疗法评估。FDA 与 NIH 通过签署谅解备忘录（MOU）促进干细胞管理建议的形成。

美国 FDA 为便于监管和指导产品研发，对上述法规和监管内容进行了原则性技术解读，形成了针对不同问题的“指导原则”。在干细胞产品研发方面，FDA 已出台 20 多个技术性指导原则，包括共性内容（1998 年人体细胞及基因治疗产品、2008 年 CMC 及一般安全性文件、2011 年细胞产品效应试验与 GTP 规范、2012 年临床前研究、2013 年早期临床试验设计草案）及特定疾病/问题指导原则（2010 年心脏疾病治疗用细胞产品、2014 年手术步骤区分及美容用脂肪来源间充质干细胞监管界定），具体详见表 2-3。

表 2-3 FDA 细胞治疗针对性法规与审评指南

时间	中文名称	英文名称	类型
综合型（从临床前到上市后全过程）			
1998	人体细胞治疗和基因治疗指南	Guidance for Industry: Guidance for Human Somatic Cell Therapy and Gene Therapy	指南规范
2001	人体细胞及组织产品的管理规定	21CFR1271	法规
临床前			
2008	关于 FDA 评审及研制机构的指南人类体细胞治疗研究性新药的化学成分和审查、生产和控制（CMC）等方面的申请（IND）信息	Guidance for FDA Reviewers and Sponsors: Content and Review of Chemistry, Manufacturing, and Control (CMC) Information for Human Somatic Cell Therapy Investigational New Drug Applications (INDs)	指南规范
2013	细胞和基因治疗产品的临床前研究调查评估指南	Guidance for Industry: Preclinical Assessment of Investigational Cellular and Gene Therapy Products (PDF - 165KB)	指南规范
2013	细胞和基因治疗产品的有效性试验指南	Guidance for Industry: Potency Tests for Cellular and Gene Therapy Products	指南规范
2017	关于人体细胞和组织产品最小操作与同源使用的监管指南	Regulatory Considerations for Human Cells, Tissues, and Cellular and Tissue Based Products: Minimal Manipulation and Homologous Use	指南规范
2019	严重疾病再生医学疗法的快速审批计划	Guidance for Industry	指南规范
2019	用于再生医学先进疗法的器械评价	Evaluation of Devices Used with Regenerative Medicine Advanced Therapies; Guidance for Industry	指南规范
2021	COVID-19 公共卫生紧急事件期间已获批和研究用细胞与基因治疗产品的生产考虑	Manufacturing Considerations for Licensed and Investigational Cellular and Gene Therapy Products During COVID-19 Public Health Emergency; Guidance for Industry	指南规范
2023	人类细胞与基因治疗产品的生产变更与可比性（草案）	Manufacturing Changes and Comparability for Human Cellular and Gene Therapy Products; Draft Guidance for Industry	指南规范

时间	中文名称	英文名称	类型
2024	在细胞和基因治疗及组织工程医疗产品生产中使用人源和动物源材料的考虑（草案）	Considerations for the Use of Human-and Animal-Derived Materials in the Manufacture of Cell and Gene Therapy and Tissue-Engineered Medical Products; Draft Guidance for Industry	指南规范
2024	用于细胞医疗产品的人源同种异体细胞扩增的安全性测试（草案）	Safety Testing of Human Allogeneic Cells Expanded for Use in Cell-Based Medical Products; Draft Guidance for Industry	指南规范
2024	开发潜在细胞和基因治疗产品的常见问题（草案）	Frequently Asked Questions — Developing Potential Cellular and Gene Therapy Products; Draft Guidance for Industry	指南规范
临床			
2014	细胞治疗和基因治疗产品的早期临床试验设计指南	Considerations for the Design of Early-Phase Clinical Trials of Cellular and Gene Therapy Products; Guidance for Industry	指南规范
2022	在早期临床试验中研究多种版本的细胞或基因治疗产品	Studying Multiple Versions of a Cellular or Gene Therapy Product in an Early-Phase Clinical Trial; Guidance for Industry	指南规范
临床后			
2016	21 世纪治愈法案	21st Century Cures Act	法规
2017	关于人体细胞和组织产品最小操作与同源使用的监管指南	Regulatory Considerations for Human Cells, Tissues, and Cellular and Tissue Based Products: Minimal Manipulation and Homologous Use	指南规范

信息来源: <https://www.fda.gov/BiologicsBloodVaccines/default.htm>

四、审批监管框架

细胞治疗的临床试验审批由生物制品评估中心（CBER）负责，遵循 FDA 药品管理法规 21 CFR 312.23，与其他生物制品一致。CBER 下设细胞、组织与基因治疗办公室，其中细胞与基因治疗部负责产品审批与准入，采用分级分类管理确保安全性和有效性。未获批产品须标注为研究用，禁止宣传，并需完成 I、II、III 期临床试验。上市需提交生物制品许可证申请（BLA）或新药申请（NDA），审批通过后方可进入市场。快速审批程序时间为 6~10 个月，目前美国已有多种

细胞治疗产品上市。PHS 361 类产品无需 IND 申请，可直接临床应用。审批流程详见图 2-1，申请流程详见表 2-4。

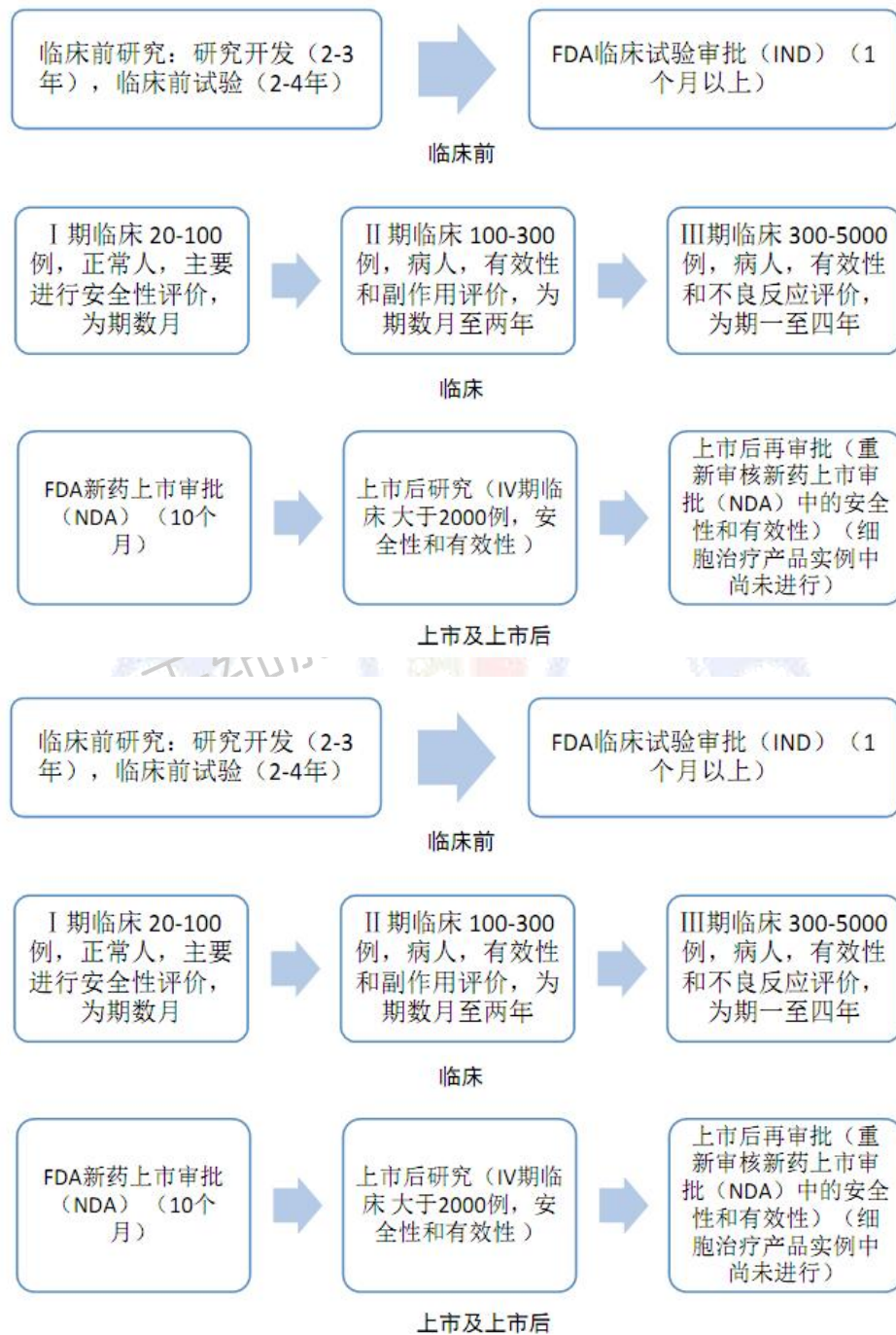


图 2-1 美国细胞治疗审评审批流程与周期

表 2-4 BLA 申请（NDA 同）流程

流程	具体介绍
申请前准备	申请人想 FDA 提交 BLA 前的各种准备工作，包括原材料、生产工艺、动物实验、临床试验等
申请后处理及初期审核	申请材料提交后由 FDA 文件控制室工作人员接受和处理，并分发至适当审评部门，FDA 项目经理对材料进行初步评估，审评内容包括材料是否符合 FDA 基本要求以及审评费用是否支付。在这一阶段，参与项目的审评团队也会确定
计划评审	审评团队对 BLA 和相关标签进行初步评审。每个学科在审评第 45 天（优先审评在第 30 天）举行的提交会议上就递交申请的可受理性提出建议。如果发现申请可受理，则召开规划会议进一步讨论审评时间表、标签修订和审评的大体规划
审评	在审评阶段，主要审评人员从科学及药政法规角度审评分析他们所承担的部分，提出标签修改建议，并撰写审评意见；团队负责人与审评人员沟通互动并定期提供指导。在审评过程中，申请人和 FDA 的审评团队有几次非常重要的会议，例如中期审评会议，后期审评会议等。FDA 在审评阶段会对选定的实验室、临床基地和生产工厂分别完成 GLP、GCP 和 GMP 检查
对申请作出官方决定	签署新药申请决定的负责人根据对做出决定的相关文件审查以及与审评团队的讨论，签署 FDA 对新药申请采取的决定。对申请做出的最终决定会传达给所有审评团队成员。对于一个标准的 BLA（包括有效性补充申请），FDA 从收到申请到做出决定需要 12 个月；对于优先审评，FDA 从收到申请到做出决定需要 8 个月
申请评审后反馈	本项程序的重点是从审评经验中学习。申请可选择和 FDA 举行审评结束会议（通常在收到未批准的 Complete Response 之后举行）或 BLA 批准后的反馈与经验教训交流会议

*若 BLA 申请通过，则可进行生物制品上市，但在 BLA 申请之前需要向 FDA 进行 IND 申请。

五、特别审批监管框架

美国 FDA 有五条特别审批通道，即快速通道、加速批准、优先审评、突破性治疗及再生医学先进疗法（RMAT）认定。进入特别通道的条件为：目前无有效药物且新药能填补空白，或新药在有效性/安全性上有明显优势。

目前上市产品主要使用突破性疗法和优先审评途径。优先审评适用于严重疾病及普通疾病，关键在于是否优于现有治疗手段，需药企主动申请，FDA 在 45 天内答复。优先审评仅加速审评阶段（周期 6 个月），不加速临床试验，标准审评周期为 10 个月（根据 Prescription Drug User Act）。

2012 年 7 月 9 日，《FDA 安全与创新法案》（Food and Drug Administration Safety and Innovation Act）正式实施，FDA 第四条特别审批通道诞生，即突破性治疗。突破性治疗资格申请可以与 IND 一同提交，或在 IND 提交后任何阶段，FDA 在收到申请 60 天内给予答复。FDA 不会公开申请者名单，也不会公布授予“突破性药物”资格的名单，因为 FDA 不能公开 IND 信息。突破性治疗的认定需满足两个条件，即（1）适应证是严重或致死性疾病；（2）有证据显示在某一重要临床终点上明显优于现有药物。“突破性药物”与“快速通道”几乎一模一样，都是为了加速严重或致死性疾病药物的研发与审批，而不同点在于取得认定所需要提供的证据。这里引用 FDA 的原话：“突破性药物”的认定比“快速通道”更加严格，享有“快速通道”的所有权利，能得到 FDA 更加密切的指导，当然如果一个药物获得了“突破性药物”，就不需要再申请“快速通道”。如果一个药物申请“突破性药物”失败，FDA 不会自动启动“快速通道”认定程序，研发单位需要重新申请。

美国食品药品监督管理局（FDA）于 2016 年 12 月 13 日在 21 世纪治愈法案（21st Century Cures Act）中颁布并开始实施的一种研发与审评加速通道，即再生医学先进疗法 RMAT 认定，旨在加快用于治疗严重疾病的药物的研发与审评，从而尽早满足患者的治疗需求。获得 RMAT 的药物必须同时满足下列条件：（1）该药物是一种再生医学疗法，定义为细胞疗法或基因治疗、治疗性组织工程产品、人体细胞和组织产品，或使用此类疗法或产品的任何组合产品；（2）该药物旨在治疗、改变、逆转或治愈严重或危及生命的疾病或病症；（3）初步临床证据表明，该药物有可能解决此类疾病或病症未满足的医疗需求。CBER 对于获得 RMAT 认定的药物有相应的政策和审评程序，以提供加速研发和审评的组织保

障。研发公司将获得与 FDA 频繁沟通交流的机会与 FDA 的技术指导，并且可以在提交上市申请时向 FDA 滚动递交新药研究资料。5 条特别审批通道及效果详见表 2-5。

表2-5 FDA特别审批通道

审批通道	内容
优先审评 (Priority Review, PR)	只针对最后的审评阶段，不加速临床试验，能否进入优先审评的关键在于是否有优于现有治疗手段的潜力。PR 需药企主动申请，FDA 将在 45 天内给出答复。与快速通道、加速批准不同的是，优先审评只针对审评阶段，而不加速临床试验。对 90% 的 NDA 申请，从 10~12 个月加快到 6~8 个月。
快速通道 (Fast Tract)	允许药企在研发阶段就提出申请，没有临床数据也可以申请，让美药管局提早介入，及时给出指导意见，从而加速研发。药企可分阶段递交申报资料，而不需要一次性递交全部材料才进行审评。
突破性疗法认证 (Breakthrough Therapy Designation, BTM)	对药物的筛选更为严格，它要求初步临床试验表明，药物在一个或多个有临床意义的指标上，较现有疗法有显著改善，使用该渠道不但享有“快速通道”的所有权利，还能得到 FDA 从 1 期临床试验开始的格外关照。FDA 在收到 BTM 申请后 60 天内回复。
加速批准 (Accelerated Approval)	可使药物在最终临床结果得出前获批。只针对最后的审评阶段，不加速临床试验。每种药物申请时，FDA 都会决定是否适用这一程序。先批准后验证，如果上市后验证了临床疗效，则 FDA 维持原先的批准。
再生医学先进疗法 RMAT 认定 (regenerative Medicine Advanced Therapy)	CBER 对于获得 RMAT 认定的药物有相应的政策和审评程序，以提供加速研发和审评的组织保障。研发公司将获得与 FDA 频繁沟通交流的机会与 FDA 的技术指导，并且可以在提交上市申请时向 FDA 滚动递交新药研究资料。

六、政策特点及效果

美国干细胞疗法监管呈现“联邦严控 vs 州级放行”的双轨制。

联邦层面纳入药品管理：美国将细胞治疗纳入药品法规，接受 FDA 监管。依据《21 世纪治愈法案》设立再生医学先进疗法（RMAT）认定，针对严重疾病的再生医学产品，允许临床试验早期与 FDA 高频沟通优化研发。截至 2025 年 6 月，FDA 共收到 317 项 RMAT 申请，151 项获批。2024 年 12 月，FDA 批准同种异体骨髓间充质干细胞疗法 Ryoncil 用于治疗≥2 月龄儿童类固醇难治性急性移植抗宿主病（SR-aGVHD），成为首款间充质干细胞药物，验证了 RMAT 路径可行性。FDA 已出台 20 多个技术性指导原则直接指导干细胞产品研发。

州级层面依托州立法开展尝试：以“患者自主权”为由立法扩大治疗选择，加速临床转化与商业化。该模式为资金不足的生物公司提供研发机会，同时让患者更早接触创新疗法，但也引发伦理安全争议，导致未充分验证疗法入市增加患者风险。

未来挑战：面对干细胞疗法的快速发展和州级立法的挑战，美国联邦政府通过加强监管、支持创新和打击非法行为等措施，不断调整干细胞监管策略，以适应快速发展的技术需求。北美干细胞产业仍是全球最大的市场，美国加州政府已投入 30 亿美元用于干细胞基础研究，带动约 5.6 万个就业岗位，创造经济效益超过 100 亿美元。2024 年底，FDA 批准了首款间充质干细胞药物，标志着美国干细胞疗法进入商业化关键阶段。整体来看，美国干细胞产业在政策支持、技术创新和市场需求的共同推动下，未来有望继续保持高速增长。

第二节 欧盟干细胞监管法规政策

欧盟细胞治疗监管分两条路径：一是欧洲药品管理局（EMA）将组织工程、细胞及基因治疗产品纳入先进技术治疗医学产品（ATMP），需集中审批；二是遵循医院豁免条款，允许医疗机构开展个体化细胞治疗，平衡审批与临床可及性。监管以“科学—伦理—市场”三角平衡为框架，通过集中审批与成员国自治结合应对技术复杂性。专利限制、政策碎片化及支付难题仍是瓶颈，近年 EMA 加速审批（如 Zemcelpro）、医疗器械法规（MDR）认证扩容及真实世界证据（RWE）机制落地，正通过监管灵活性推动再生医学转化。

一、法律

欧盟人用医药产品领域上位法为医药产品法（2001/83/EC）和医疗器械法（93/42/EEC）。医药产品法确立上市许可、质量安全及流通框架，要求药品通过集中审评或互认程序获批，生产需符合药品生产质量管理规范（GMP），临床试验遵守药物临床试验质量管理规范（GCP），上市后提交定期安全性更新报告（PSUR）并建立药物警戒体系，配套法规细化先进治疗 medicinal products（ATMP）、儿科用药等领域管理要求。医疗器械法采用风险分级管理模式，制造商需建立 ISO 13485 质量管理体系，通过公告机构评审并加贴 CE 标志；《医疗器械法》（93/42/EEC）于 2017 年被《医疗器械法规》（MDR, EU 2017/745）取代，2021 年 5 月起强制实施，新规以强化全生命周期监管为核心，通过要求证据持续性和追溯刚性重塑市场准入标准。

二、法规

欧盟细胞治疗法规框架以《先进治疗医药产品（ATMP）法规》（Regulation (EC) No. 1397/2007）为核心。该法规 2007 年颁布、2008 年 12 月 30 日实施，将基因治疗、体细胞治疗及组织工程产品定义为先进技术治疗医学产品，其中细胞治疗产品指经处理改变生物学特性的细胞或组织，用于疾病治疗、诊断或预防。医院豁免条款（Hospital Exemption, HE）是 ATMP 法规下的特殊机制，需成员国国内法转化后实施，按药物申报由先进技术治疗医学委员会审批（时间 1~2 年）。条款允许医院在基础与临床研究验证有效性和安全性后，生产小规模细胞产品用于特定患者，主要适用于临床中心开展的自体细胞治疗，具体详见表 2-6。

表2-6 欧盟细胞治疗产品主要监管法律法规及指南规范

分类	名称	简介
法律	医药产品法 Medical Products 2001/83/EC	对医药产品的临床前研究、临床研究、制造和销售进行全产业链条的系统提供法律监管框架
	医疗器械法 Medical Devices 93/42/EEC	
	先进技术治疗医学产品法规 Advanced Therapy Medicinal Product Regulation (EC) No 1394/2007	
法规		本法规于2008年12月30日实施，将基因治疗产品、体细胞治疗产品及组织工程产品定义为先进技术治疗医学产品。按照药物申报，先进技术治疗医学委员会审批，审批时间1~2年
	医院豁免条款 Article 28 of Regulation (EC) 1394/2007	此豁免条款于上述法规中提出，对某一医生进行的，为患者个体进行的治疗应用行为进行豁免。条款允许欧洲医院在经过基础研究、临床研究验证有效性与安全性后，可生产小规模细胞产品用于特定患者，主要是临床中心进行自体细胞治疗

三、指南与规范

欧盟针对基因与细胞治疗产品制定系列科学指导原则，提出 ATMP 研发和监管要求，包括基于风险的开发与评价、细胞与组织组分相互作用要求、临床/非临床灵活性考虑、GCP 特殊要求及上市后安全有效性跟踪与风险管理等，历年监管政策与指南详见表 2-7。

表2-7 EMA对ATMPs的监管指导原则

日期	文件名称
2008年5月	人类细胞药物产品指南
2008年11月	关于安全性和有效性后续行动的指导原则—前沿药物的风险管理
2009年10月	基于异种细胞的药物产品指南
2009年12月	前沿药物的临床试验质量管理规范（GCP）
2010年1月	欧盟人用和兽用药物GMP：附件13实验性药物
2012年6月	欧盟人用和兽用药物GMP：附件2生物活性物质和人用药品的生产
2013年2月	根据指令2001/83/EC附录1第IV部分适用于前沿药物的基于风险的方法指南

日期	文件名称
2015年10月	欧盟人员和兽用药物GMP：附件16合格人员的批准和放行
2016年7月	基于细胞的免疫治疗药物用于治疗癌症的效力测试指南
2017年1月	前沿药物的非临床研究质量管理规范（GLP）
2017年7月	开发非基本操纵的基于干细胞的前沿药物：通过应用基于风险的方法引入的灵活性
2017年11月	前沿药物的生产质量管理规范（GMP）
2017年12月	根据欧盟（EC）第1394/2007号条例第8条评估前沿药物的程序性建议
2021年11月	基因修饰细胞产品质量、非临床与临床指南
2022年6月	制品工艺优化与效力测试指南（EMA/CHMP/2022）
2023年11月	干细胞药物反思文件更新版（强调干细胞一致性、可追溯性及长期随访；新增基因编辑干细胞（CRISPR-Cas）风险管理章节）
2025年2月	临床试验用 ATMP 质量、非临床与临床要求综合指南
2025年3月	新兴制造技术监管路线图

信息来源：<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/advanced-therapies>

四、审批监管框架

欧盟规定 ATMP 必须执行集中化审评程序，并成立先进技术疗法委员会（CAT）负责技术审评。CAT 意见提交至人用医药产品委员会（CHMP），由 CHMP 提出上市许可相关建议并发送欧盟委员会作决定。产品上市后需持续评价安全性和有效性。为鼓励 ATMP 研发，欧盟提供减免费用、科学支持等特殊政策。

欧洲药品管理局（EMA）发布“优先药物”计划（Priority Medicines），为前景产品提供专用联络点、科学建议及 150 天加速评估（标准为 210 天）等支持。资格条件为：比现有疗法有明显治疗优势，或为无药可用患者提供效益。

企业需提交早期临床数据证明产品在未被有效治疗疾病中的突破潜力。获 PRIME 资格后，EMA 将采取以下措施：①委派 CHMP/CAT 专员提供技术支持；②组织多学科专家召开启动会议指导研发与注册策略；③安排专属沟通时点；④在关键里程碑提供科学建议并协助接洽利益相关方；⑤确认提交上市申请时的加速审评可能性。欧盟细胞治疗审评审批流程与周期详见图 2-2 和表 2-8。

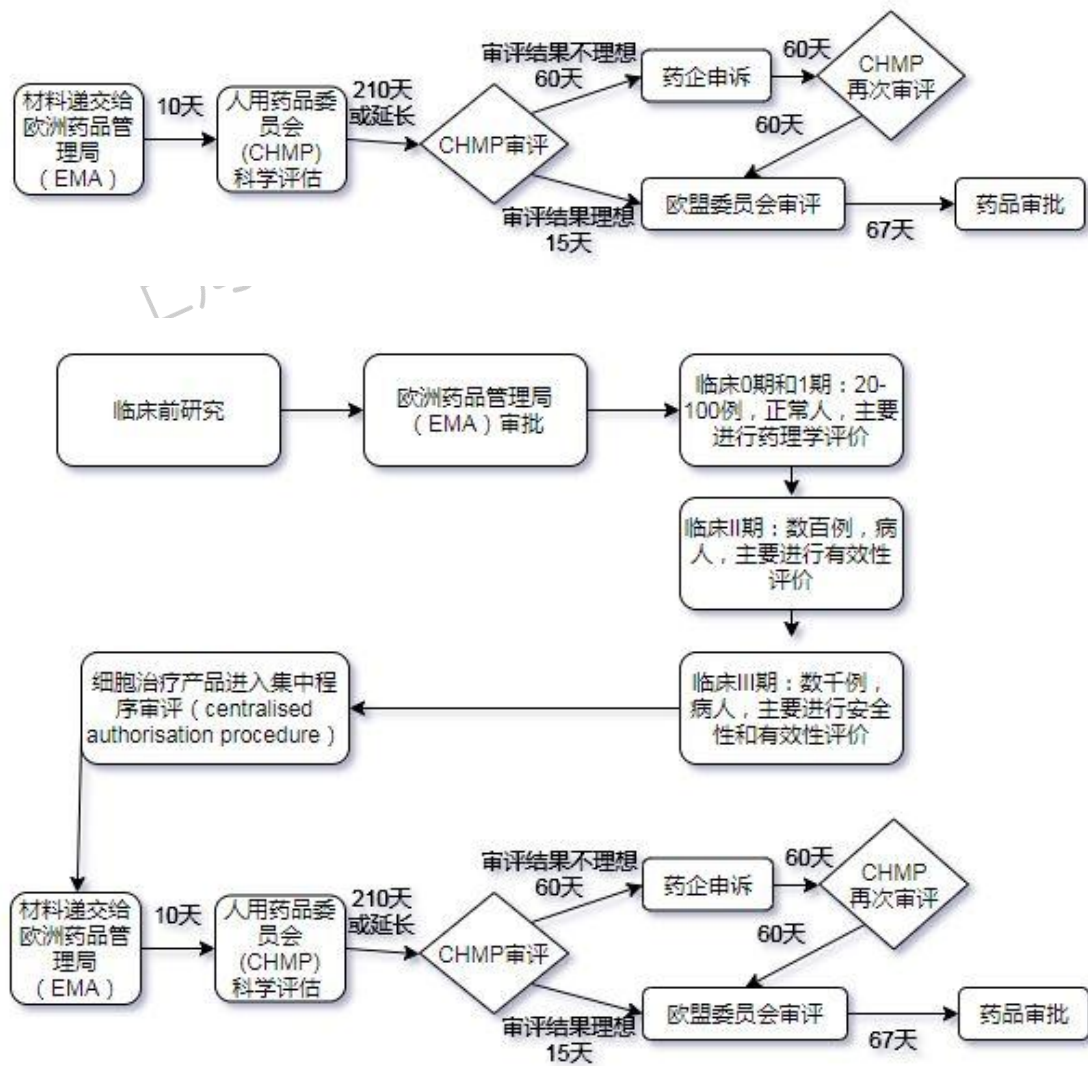


图 2-2 欧盟细胞治疗审评审批流程与周期

表2-8 欧洲经济区境内药品上市三种途径：集中程序、互认可/分权程序、成员国程序

欧盟药品上市审评审批三种途径

审批途径	内容
集中程序	欧洲药品局（EMA）负责审评经由集中程序提交的药品申请。（1）含有用于治疗以下疾病的新活性成分的药品，必须通过集中程序审批：艾滋病、癌症、神经退行性疾病、糖尿病、病毒性疾病、自身免疫疾病和其他免疫缺陷疾病、罕见病用药；（2）以下药品必须通过集中程序审批：通过生物技术工艺和基因工程制备的药品；前沿治疗药品，如基因治疗、体细胞治疗或组织工程治疗药品。（3）以下药品可选择申请集中程序审批：含有新活性成分且适应证不在上述适应证范围内的；为重大治疗学、科学或技术创新的；批准授权对欧盟公众或动物健康有益处的。
互认可（MRP） / 分权程序（DCP）	互认可程序（MRP）是指药品已经在至少一个欧盟成员国获准上市，并且希望在其它成员国获得同样批准的申请。经 MRP 审批的产品为互认可产品。已经批准该药品的国家为参照成员国（RMS），RMS 将其审评药品的材料提供给其他国家，即相关成员国（CMS）。如果申请得到批准，相关成员国（CMS）会在其国内发布上市授权。 DCP 是指未在任何一个欧盟国家获得批准且不再集中程序强制要求的范围内的产品，可在欧盟至少两个成员国同时为该药品申请上市许可。经 DCP 审批的产品为互认可产品。其中一个成员国按照申请者的请求被作为参照成员国（RMS），其他的为相关成员国（CMS）。参照成员国（RMS）首先审评并起草一份审评报告，CMS 对该报告提问，当所有问题解决时，产品在申请所涉及的成员国获准上市。 互认可程序和分权程序审批没有自己独立的审批机构、程序和技术要求，成员国药品审批部门是其实体的官方机构，药品局总部（HMA）负责协调分权程序（DCP）和互认可程序（MRP）申请的审批。
成员国程序（INP）	INP 指欧盟成员国各自的药品管理机构根据特定成员国的药品管理法规和技术要求对药品进行审批的过程，其适用范围是除了必须通过集中审批程序的药品之外的药品。该程序通常包括药品上市许可、顺势疗法注册和传统草药制剂注册。

五、特别审批监管框架

医院豁免条款：治疗上限≤50 例/医院/年（2026 年新规拟定量化标准）；禁止基因编辑胚胎干细胞及异体通用型细胞治疗；需满足 GMP Annex 1 标准；申报流程为向成员国药监机构备案→伦理委员会批准→治疗数据录入欧盟 HE 数据库。

PRIME 计划（优先药物计划）：2016 年 3 月推出，适用于无有效疗法的罕见病、重大疾病突破性疗法（如 CAR-T、基因治疗），需初步临床证据证明显著疗效优势。审评周期缩短 30%（常规 210 天→150 天），提供早期科学建议优化试验设计，允许分阶段提交数据以减少审评停摆时间。

加速临床试验倡议（Accelerating Clinical Trials in the EU, ACT EU）：2022 年 1 月由欧盟委员会、EMA 及各国药监局联合启动，在突发公共卫生事件中可启动 90 天快速审评、30 天临时限制豁免，保障疫苗、细胞制品等紧急试验快速启动。

真实世界证据（RWE）补充路径和替代路径：补充路径为当前主流，在传统随机对照试验（RCT）基础上用 RWE 强化证据链；替代路径适用于罕见病、紧急公共卫生事件等场景，可部分或完全替代 RCT。

六、政策特点及效果

双路径灵活并进：欧洲 ATMP 框架下干细胞监管以集中审评与灵活豁免并行为核心，CAT 主导统一技术审评，辅以 PRIME 加速、ATMP 认定、RWE 替代等工具；同时通过医院豁免条款为个体化、非商业化治疗留出口。体系兼顾创新激励与患者安全，覆盖全周期并衔接 MDR，形成跨部门协同。

多端推荐先进疗法应用：PRIME 将突破性干细胞疗法平均审评周期从 210 天压缩至 150 天，Alofisel、Zemcelpro 等获批；HE 通道在意大利、德国等地转化 300 余例个案，9 项升级为正式临床试验。CTIS 与 ATMP-RWE 数据库实现 10 年随访，降低 CAR-T 继发肿瘤漏检率。支付端首创“分期付款+跨境基金”，将 200 万欧元级疗法可及率从不足 20%提升至 35%，覆盖部分低收入患者的跨境治疗需求。

仍存在较多痛点：各国对胚胎干细胞研究态度差异显著；依赖“卓越中心”但资源不均，患者跨境治疗困难；成员国 HE 条款收费、产能和备案标准不一导

致“豁免旅游”；意大利等国 RWE 随访缺失率超 60%削弱证据可信度；基因编辑干细胞、AI 制造设备等缺乏统一技术规范。

未来展望：对现状，欧盟已计划在 2026 年《ATMP 修正案》中统一医院豁免条款（HE）条件，推进德法等 7 国 GMP 互认“优先走廊”，并借 EHDS 法案赋予 RWE 法律效力。2023 年 7 月，《欧洲健康数据空间法案》（EHDS Regulation, EU 2023/2854）和 2024 年 3 月《ATMP 监管框架一揽子修订》COM(2024)127）正式通过欧盟决议，ATMP-RWE 数据库的上线将整合医院豁免与上市后数据，推动监管向“全周期证据治理”转型。但支付机制（如 200 万欧元疗法的医保覆盖）仍是产业化的核心瓶颈。但后续能否通过支付改革与标准统一，将决定干细胞疗法从“加速上市”迈向“广泛可及”的关键跨越。

第三节 日本干细胞监管法规政策

日本在干细胞领域发展迅速，是首个将诱导多能干细胞（iPSC）应用于人类眼病临床治疗的国家。政府对再生医学产业给予大力支持，采取“双规”策略：以上市为目的的干细胞技术作为药物审批，不以上市为目的的作为先进治疗技术审批。

一、法律

2012 年，iPSC 创始人山中伸弥获诺贝尔生理或医学奖后，日本政府加速推动再生医学发展。2013 年起修订相关法规，颁布《促进再生医疗安全并迅速推进法》《再生医疗安全确保法》，并于 2014 年将《药事法》修订为《医药品和医疗器械质量、有效性及安全性确保法》，大幅缩短再生医疗产品审批时间，使日本成为最早将干细胞技术用于临床的国家之一。

《促进再生医疗安全并迅速推进法》出台后，日本修订《药事法》并更名，将细胞治疗、基因治疗等再生医学产品独立监管。《再生医疗安全确保法》规制安全性、有效性未确定的加工细胞医疗技术，要求医院提交临床试验计划，允许外包细胞处理；《医药品和医疗器械质量、有效性及安全性确保法》则规治再生医学产品生产销售企业，形成完善法律框架，具体详见表 2-9。

表 2-9 日本再生医学法律法规框架

名称	颁布时间	层级	主要内容
《促进再生医疗安全并迅速推进法》	2013 年 5 月	法律	促进再生医学的研究及基础设施建设
《再生医疗安全确保法》	2014 年 11 月 2024 年 6 月修订	法律	监管所有使用安全性、有效性尚未确定的加工细胞的医疗技术
《医药品和医疗器械质量、有效性及安全性确保法》	2014 年 11 月	法律	对原有《药事法》进行修订，并更名，定义“再生医疗产品”。

二、法规

日本药事监管由厚生劳动省（MHLW）和药品医疗器械综合机构（PMDA）负责：MHLW 管理最终审批、指南制定及监督 PMDA；PMDA 负责产品审查、GCP/GMP 审查及临床试验咨询。为规范“双轨制”实施，MHLW 颁布《再生医

疗产品安全性非临床实施规范》（GLP）、《临床试验实施规范》（GCP）、《上市后检测研究规范》（GPSP）、《临床研法》及《再生医疗安全确保法实施细则》等法规。

三、指南与规范

厚生劳动省为推动再生医学发展并保障安全规范，建立分级管理制度，配套形成了对应的法规指南体系，历年规范与指南详见表 2-10。

表 2-10 日本再生医疗相关规范与指南

年份	主要指南
2016	《关于使用脐带血的再生医疗等》（6.3）
	《关于癌症免疫细胞疗法与免疫检查点抑制剂联用的注意事项》（7.28）
	《关于再生医疗等提供状况定期报告书等的记载要领》（10.19）
	《关于细胞培养加工设施的结构设备确认》（11.30）
2019	《关于再生医疗等研究的利益冲突管理》（3.20）
	《关于使用研究用 iPS 细胞库的再生医疗等的审查思路》（10.29）
2021	《关于修订特定认定再生医疗等委员会对使用人多能干细胞的再生医疗等提供计划的致瘤性评估审查要点》（3.9）
2023	《关于间充质干细胞等静脉内投用安全实施的建议》（周知）（7.14）
2024	《关于细胞保管在〈再生医疗等安全确保法〉中的思路》（4.15）
	《关于“认定再生医疗等委员会恰当实施审查等业务的指南（手册）”》（5.31）
	《关于干细胞培养上清液及外泌体等医疗应用的通知（周知）》（7.31）
2025	《关于在〈关于确保再生医疗等安全性的法律〉框架下实施异种移植的实施事宜》（1.17）
	《关于特定细胞加工物制造过程中微生物污染防治》（2.28）
	《关于〈关于确保再生医疗等安全性的法律〉中的细胞保管的思路》的 Q&A 集》（3.7）

信息来源：

https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/saisei_iryuu/index.html

四、审批监管框架

（一）以上市为目的的干细胞药物审批

《医药品和医疗器械质量、有效性及安全性确保法》将再生医疗产品单独列为第四类医疗产品（独立于药品、医疗器械、化妆品），建立专门上市审批制度，由 PMDA 下设细胞与组织类产品审批办公室负责。传统审批需先经临床研究、临床试验，证明安全性和有效性后方可上市；因使用人体细胞存在个体差异，需长期收集数据评价有效性。

为加速临床应用，日本建立快速审批制度：与普通药品不同，快速审批只需临床试验证明安全性并推定有效性，即可获附条件、附期限批准，在具备资质的医疗机构使用。批准最长期限 7 年，期限内需完成有效性确认并持续跟踪安全性，期满重新申请获批后可继续销售。区别于其他国家（需 GCP 临床试验验证有效性），日本法律明确以“有效性的推定”为标准，流程见图 2-3。

应对再生医疗产品实用化的附条件、期限的审批上市制度

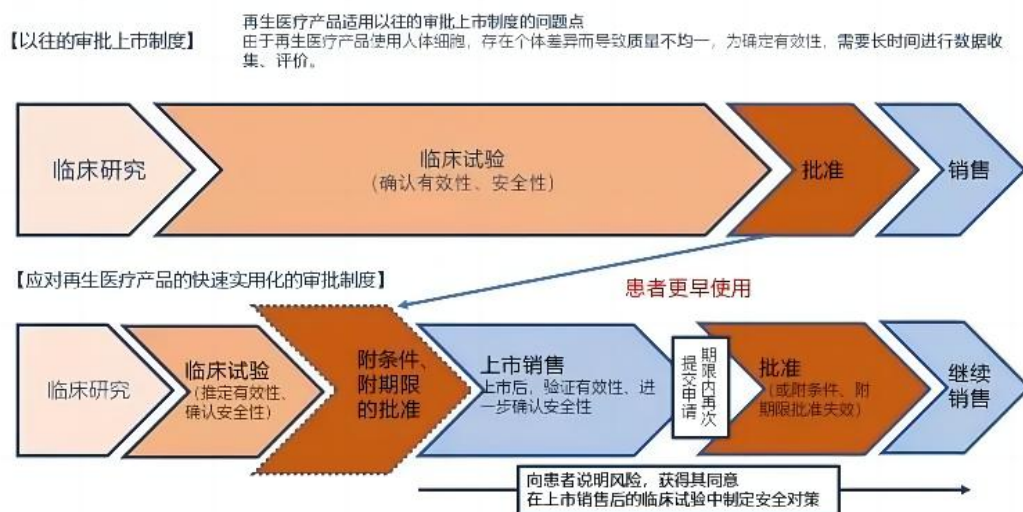


图 2-3 日本再生医学产品审批路径

（二）不以上市为目的的干细胞医疗技术（医疗机构开展）

《促进再生医疗安全并迅速推进法》推动再生医学研究与基础设施建设，将 iPSCs 作为药物发现工具；《再生医疗安全确保法》采用三级风险分层监管：高风险（胚胎干细胞、iPS 细胞等）需特别认定再生医疗委员会、厚生科学审议会及厚生劳动大臣三方 90 天内审批；中风险（经特殊处理的自体细胞疗法）由特别认定再生医疗委员会审查；低风险（未特殊处理的自体细胞加工）经再生医疗委员会审查即可，分级体系见图 2-4。

按风险高低实行分类的审批制度

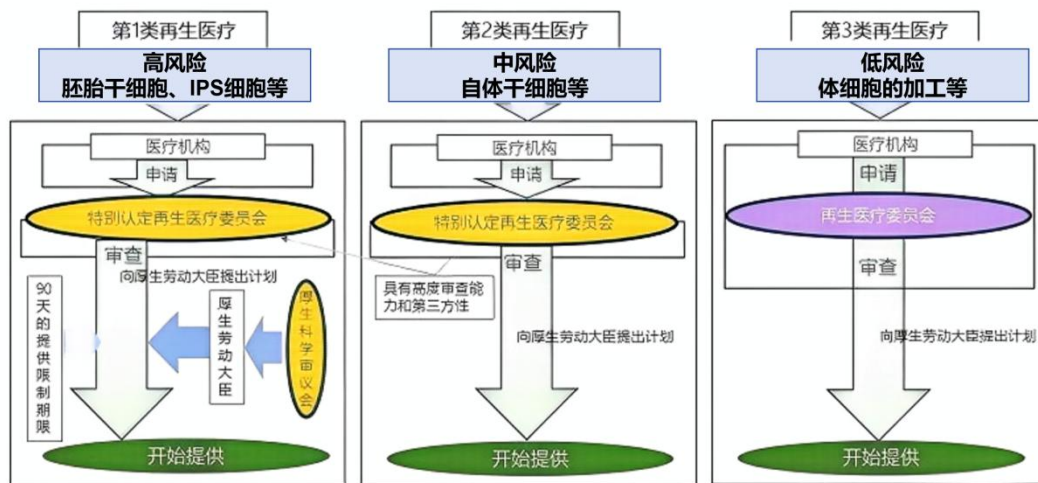


图 2-4 《再生医疗安全确保法》基于风险评估的三级分层体系

截至 2025 年 3 月 31 日，已认可 78 家细胞生产企业，高风险治疗 18 项，中风险治疗 2225 项，低风险治疗 4174 项，具体项目见表 2-11。

表 2-11 关于再生医疗等安全性确保法的实施状况（截至 2025 年 3 月 31 日）

（1）认定再生医疗等委员会

委员会分类	认定再生医疗等委员会数量							合计
	北海道	东北	关东信越	东海北陆	近畿	中国四国	九州	
特定认定再生医疗等委员会	2	1	43	8	14	3	7	78
认定再生医疗等委员会 ※	0	3	46	7	11	4	14	85
合计	2	4	89	15	25	7	21	163

※仅实施针对第 3 种再生医疗等提供计划的审查等业务的委员会

（2）细胞培养加工设施

许可等分类	细胞培养加工设施数量							合计
	北海道	东北	关东信越	东海北陆	近畿	中国四国	九州	
许可	0	2	45	4	19	1	7	78
申报	89	133	1,787	314	627	215	397	3,562
合计	89	135	1,832	318	646	216	404	3,640
认定（国家/地区别）	韩国（14）、中国大陆（1）、中国台湾（2）、澳大利亚（1）、希腊（1）							19

(3) 再生医疗等提供计划

再生医疗等分类	治疗/研究区分	再生医疗等提供计划数量							合计
		北海道	东北	关东信越	东海北陆	近畿	中国四国	九州	
第1种再生医疗等提供计划	治疗	1	1	1	1	2	0	2	8
	研究	0	0	4	3	3	0	0	10
第2种再生医疗等提供计划	治疗	52	29	1,183	122	444	57	193	2,080
	研究	1	0	23	4	11	1	5	45
第3种再生医疗等提供计划	治疗	88	138	2,087	366	771	240	443	4,133
	研究	0	0	36	1	3	0	1	41
合计	治疗	141	168	3,271	489	1,217	297	638	6,221
	研究	1	0	63	8	17	1	6	96

五、特别审批监管框架

(一) 针对干细胞药物的“有条件/期限上市许可”

日本《药品和医疗器械法》为干细胞药物设立“有条件/期限上市许可”，企业提交I/II期临床试验数据证明安全性及潜在疗效后可申请，PMDA 9个月内完成审批，获批产品市场化但需7年内用真实世界数据验证长期安全有效性，定期提交报告。适用于危及生命疾病时，在安全、知情同意和可预测效果下获批，加速临床应用。

该制度体现“早期准入+动态监管”：审批周期缩短（如 Alofisel 7个月获批，2024年全球首个脑再生治疗剂 AKUUGO 基于II期数据获批，需指定医疗机构使用并监测）；上市后严格监管（未达预期产品撤回）；风险分级管理（高风险需多层审议，中低风险流程简化）。

(二) 针对再生医疗的医疗保险与救济制度

日本实行全民医疗保险，获批再生医疗产品列入《国家医保药品名录》或《国家医保医疗材料名录》享受报销；未产业化技术通过尖端医疗评估或完成II期临床试验可纳入医保。

对于没有实现产业化仍处在医疗机构内实施状态的再生医疗技术，则视技术本身的风险与成熟度来决定是否给予报销。具体来说，在定点医疗机构内应用未经上市批准的细胞产品实施临床治疗仍能通过两条途径享受国家医保，一是处在临床研究中的再生医疗技术若通过尖端医疗评估，即可作为尖端医疗纳入医保行

列；二是临床研究结束后进入临床试验阶段，若成功完成II期临床试验即可纳入医保行列。

日本建立再生医疗救济机制：上市产品损害由“不良反应救济基金”（正常使用不良反应赔偿）和“感染救济系统”（感染赔偿，资金来自政府补贴及企业捐赠）赔付；非获批疗法损害由医疗机构事前商业保险赔付。

六、政策特点及效果

（一）技术审批与产品上市较为激进

日本建立再生医疗分类审批体系（详见图 2-5），将再生医疗产品单列为第四类医疗产品，截至 2025 年 7 月，厚生劳动省收到临床研究计划 213 项（含胚胎干细胞疗法 38 项、基因编辑研究 27 项），治疗方案 6371 项，批准上市再生产品 26 个（含成体细胞、基因治疗等）。



图 2-5 日本再生医学“双轨制”监管体系

（二）技术认可度高

日本再生医疗市场规模预计 2025 年达 1.2 万亿日元（约 80 亿美元），细胞疗法占比 65%。企业技术输出主导东南亚市场（如九州再生医疗中心 AGP-1 疗法在泰国、新加坡获批），《再生医疗产品生产规范》被 ISCT 采纳为全球标准，PMDA 与 FDA、EMA 建立数据互认机制，缩短跨国临床试验周期 30%。

（三）未来展望与挑战

日本积极推进再生医学的转化应用，厚生劳动省、PMDA 官网实时更新再生医疗产品数据库，包含临床试验结果、不良事件及企业合规记录，以助行业高速发展。其次，日本通过“早期准入+动态监管”模式，构建了以 iPSC 技术为特色的再生医学政策。然而，日本的再生医学仍面临伦理争议（如胚胎干细胞问题），再生医疗产品患者自付比例高，美中两国在干细胞领域的大量投入和快速发展，也对日本形成压力等主要挑战。未来，日本需在技术创新与社会接受度、

安全监管与商业化效率之间寻求更优平衡，以巩固其全球再生医学部分领域的领先地位。



第四节 韩国干细胞监管法规政策

韩国政府通过降低准入门槛鼓励干细胞研发，由食品药品安全部（MFDS）依据《生物伦理和生物安全法》集中监管。干细胞产品属细胞治疗产品（CTPs），按生物制品监管，涵盖体外培养增殖或筛选的自体、同种及异种细胞产品。

一、法律

韩国干细胞产品属细胞治疗产品（CTPs），MFDS 依据《药事法》将其作为生物制品监管。CTPs 定义为通过物理、化学、生物学方法体外培养增殖或筛选自体、同种及异种细胞制成的医学产品，监管范围见下表。

医疗实践中，医生执行不导致安全问题的细胞最小操作（如手术中使用自体/异体细胞）视为豁免个案，无需适用 CTPs 监管规定。

除医疗中心批准的最小操作外，CTPs 均基于《药事法》审批，覆盖研发各阶段及上市后管理。研发阶段需遵循 GCP、GLP，审批阶段需验证质量、安全性和有效性，上市后需重新评估和复查，具体监管范围详见表 2-12。

表 2-12 韩国细胞产品监管范围

生产方式	自体细胞	同种异体细胞	异种细胞
在医疗中心的最小操作 ^a	医疗实践（医疗服务法）	医疗实践（医疗服务法）	细胞治疗产品（药事法）
医疗中心外的最小操作 ^a	细胞治疗产品（药事法）	细胞治疗产品（药事法）	细胞治疗产品（药事法）
不符合最小操作 ^a	—	—	—

a.是指切除、擦刮、离心过滤、清洗等

2019 年 8 月韩国颁布《先进再生医学和先进生物制品安全与支持法案》，定义关键术语并规定国家责任及五年规划。2024 年 2 月修订《先进再生生物法》，2025 年 2 月生效后放宽限制：允许对渐冻症、帕金森病等难治性疾病使用研究阶段干细胞疗法，医疗机构可收费支持治疗实施。

二、法规

韩国建立操作性强的监管模式，涵盖伦理规范、GMP/GLP、金融方案、市场许可及随访。适用于生物制品的监管框架同样覆盖干细胞药品，MFDS 针对 CTPs 特殊性制定专项法规以鼓励产业发展，具体监管体系详见表 2-13。

表 2-13 韩国干细胞药品的监管法规体系

阶段	相关法律法规
研发阶段	研发阶段临床试验审批（药事法）
	药品毒性试验标准（监管规则）
	药品临床试验计划审批标准（监管规则）
审批阶段	申请 药品的制造和进口（药事法）
	CMC 试验方法和规格综述（生物制品的注册审查和授权）
	临床，非临床 安全性和有效性的审查（生物制品的注册审查和授权）
	GMP GMP 标准（药事法实施条例）
	对药房、药品生产商和进口商的一般规定和须遵守的实施条例
上市后管理	复查 新药检验标准
	重新评估 药品再评价条例
	安全信息收 药品安全信息管理条例
	分销管理 ①（分销）药事法执行条例
	②（广告夸大）药事法执行条例 ③（收集和检测）药事法执行条例

三、指南与规范

除法规外，韩国还建立了完善的指南体系，历年指南详见表 2-14（信息来源：https://www.mfds.go.kr/eng/brd/m_27/list.do）。

表 2-14 韩国食品和药品安全部公布的关于细胞治疗产品的重要指南

发布时间/年	指南名称
2004	关于细胞治疗产品和基因治疗产品的指南
2006	行业指南：慢性皮肤溃疡和烧伤创面开发治疗制剂
2008	细胞治疗产品支原体检测指南
2010	细胞治疗产品有效性测试指南
2010	关于临床试验中的生物制品的质量要求指南
2010	微生物安全评估准则指南
2011	关于干细胞产品的指南（草案）
2012	临床关于细胞治疗产品的 GMP 指南
2012	对生物制品工艺验证的指南
2013	细胞治疗产品命名指南（草案）
2014	干细胞产品致癌性评估考虑因素
2014	细胞治疗剂条件许可运营方针（修订版）
2016	细胞治疗剂条件许可运营方针（修订版）
2019	基于基因编辑的先进治疗药物质量评估指南
2019	细胞外囊泡治疗产品的质量、非临床和临床评估指南

四、审批监管框架

韩国干细胞产品需经新药临床试验申请批准后，完成 I 至 III 期试验验证安全性和有效性，方可申请上市许可。医疗中心的最小细胞操作（如切除、离心过滤）纳入《医疗服务法》监管，不视为细胞治疗产品，具体流程见图 2-6，自 2006

年 10 月 2 日起，申办者已通过韩国食品药品管理局（KFDA）在线系统以电子文档形式提交申请。



图 2-6 韩国干细胞产品审批流程

2012 年 MFDS 引入 CTPs 预审程序，允许开发者在临床试验和上市许可申请前提交文件并获取反馈。研发阶段可基于非临床数据进行孤儿药早期设计，自体 CTPs 需经安全性审查后，其研究者发起试验数据方可用于 I 期临床。上市后 2 年重新评估期内，制造商需提交每例 CTPs 的安全性报告，预审和上市后流程见图 2-7。

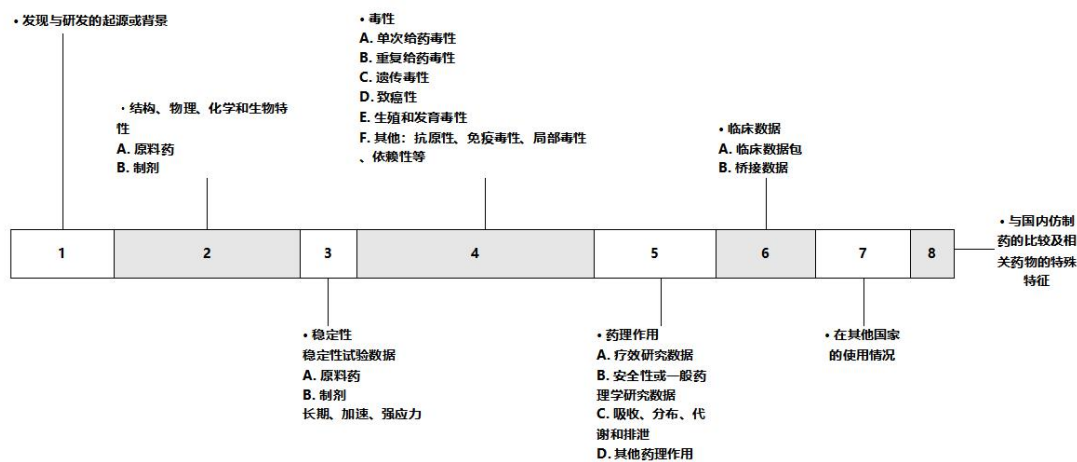


图 2-7 韩国 CTPs 预审与上市后监管流程

五、特别审批监管框架

（一）简化审批流程和附条件批准上市

韩国《细胞治疗剂条件许可运营方针》（2016 年修订）旨在加速创新疗法临床应用，对安全性和疗效已部分确认的细胞治疗剂给予附条件、附期限上市许可。低风险自体细胞产品审批要求放宽，I 期临床数据若已发表可豁免提交。

MFDS 允许特殊药品（如艾滋病、癌症治疗药）上市后提交疗效文件，与日欧“附条件批准”制度类似，体现韩国细胞治疗监管的灵活性与创新导向。

（二）允许医疗机构对尚处于研究阶段的干细胞疗法收费

2024 年《先进再生生物法（修订版）》允许医疗机构对渐冻症、帕金森病等难治性疾病使用研究阶段干细胞疗法，扩展至神经系统疾病、器官损伤等六大领域，允许自体及异体干细胞治疗。法律明确医疗机构可收费支持治疗实施，经审查委员会批准后 CGT 即可应用，无需等待正式批准，扩大患者可及性，成为亚洲首个全面合法化干细胞治疗的国家。

六、政策特点及效果

（一）审批政策灵活性强

韩国 MFDS 对 CTPs 实施宽松审批框架，为每个产品指定项目经理，全球率先批准间充质干细胞药品（Hearticellgram-AMI）。截至 2025 年 7 月，批准 7 款干细胞药物居亚洲首位，新法实施后预计相关企业超 200 家，形成完整产业链。

（二）商业化过度带来潜在风险

韩国细胞治疗市场面临商业化过度风险：私立医疗机构占比超 90% 导致资源集中，44% 机构存在虚假宣传；医保仅覆盖少数项目且自付比例高，新法允许收费但医保未同步扩面。

（三）未来展望

韩国在难治性疾病的干细胞治疗领域进展显著，帕金森病、糖尿病等适应证的干细胞疗法 I/II 期临床数据亮眼，且通过 2025 年生效的《先进再生生物法》的“特殊支持机制”加速技术转化，放宽治疗限制并允许医疗机构收费。韩国市场呈现“本土精细化+国际医疗旅游”双轮驱动，医疗旅游凭借价格优势（仅为日本同类疗法 16%）吸引亚洲及中东患者，2024 年收入达 8.7 亿美元。未来十年，韩国产业将向技术融合、医保扩面、整合集中及伦理协同方向演进，若能平衡创新与风控，韩国将是干细胞领域的技术应用强国。

第五节 其他主要国家干细胞监管法规政策

一、英国干细胞监管法规政策

2020 年英国“脱欧”后不再沿用欧盟法规，当前干细胞转化政策以风险分层监管为核心，结合多机构协作与技术转化支持，形成从基础研究到临床应用的全链条管理框架。

（一）监管机构及职责

英国对干细胞的管理主要由两大部门分工负责。

英国人体组织管理局（HTA）：卫生部设立的非政府公共机构，负责制定干细胞研究与临床应用标准，监督细胞采集、处理、储存、分配及患者知情同意与治疗。从事相关细胞治疗活动的机构必须获得 HTA 许可。

英国药品和医疗产品监管局（MHRA）：卫生部直属机构，负责干细胞产品的生产、销售、评估授权及不良反应监测，制定质量安全指南，按 ICH-GCP 标准审批临床试验（CTA）。

（二）监管特点

英国对干细胞治疗产品进行分类。

按先进技术治疗医学产品（ATMPs）申报的，2021 年脱欧后由 MHRA 独立审批。同年推出的药品创新许可与访问路径（ILAP）通过“早期介入、全程协作”缩短研发周期，适用于罕见病异体疗法等场景，提供滚动审评、附条件批准等灵活工具，获批产品完成 II 期临床即可加速上市。

另一路径为医院豁免条款：自体干细胞治疗风险较低，通常仅需 HTA 许可；异体治疗需同时满足 HTA 供体筛查和 MHRA 产品审批。2024 年实施的模块化生产框架允许医院内小规模生产个性化治疗，无需传统 GMP 车间。

英国实行严格许可制度，相关机构需获 HTA 许可证或与持证机构合作；建立全链条可追溯制度，确保细胞从捐赠者到接收者的全程溯源管理。

对于涉及人类胚胎的干细胞研究，还需额外通过人类受精与胚胎学管理局（Human Fertilisation and Embryology Authority, HFEA）的伦理评估。HFEA 专门监管涉及人类胚胎的干细胞研究，限定研究目的（如治疗严重疾病）和时间（不超过 14 天），禁止将干细胞衍生的胚胎模型植入人类或动物子宫。

（三）政策特点及效果

英国以“监管灵活性+技术创新性”为双轮驱动，2021年ILAP路径加速了突破性疗法上市，拥有欧洲最大的细胞与基因治疗产业集群（仅次于美国）。

当前面临多机构协作效率、产品分类模糊及国际监管协调等挑战，正与欧盟谈判 ATMPs 互认审批协议，避免重复审查。

二、新加坡干细胞监管法规政策

2021年新加坡出台《健康产品（细胞、组织和基因治疗产品）》法规及相关指南，将干细胞治疗纳入 CTGTP 分类管理，按风险等级实施差异化监管：高风险产品需临床试验授权（CTA）严格审评；低风险自体疗法可通过临床试验通知（CTN）快速报备（5个工作日启动），成为亚洲首个“风险适配型”干细胞监管国家。

（一）监管机构及职责

新加坡健康科学局（HSA）负责干细胞治疗产品的上市注册审批，需评估产品安全性、治疗效果后方可批准销售。

（二）监管特点

新加坡将细胞、组织和基因治疗产品（CTGTP）的风险分为以下两类：

1 类 CTGTP（低风险）：需满足最小操作（不改变细胞生物学特征）、同源用途（同解剖部位功能）、不与其他产品结合，如骨移植、羊膜等。

2 类 CTGTP（高风险）：未归类为 1 类的产品，如基因修饰细胞、支架培养细胞、异种来源产品等。

对罕见病或危及生命疾病的干细胞疗法，HSA 提供附条件批准，允许 II 期临床后上市，需 2-5 年内提交长期安全性数据。

（三）政策特点及效果

1. 国际规范对接

新加坡规定，细胞产品若已获澳、加、欧盟、英、美中至少两国药监机构批准，仅需提交验证性文档；境内完成的非临床和临床数据可直接用于欧美申报。

2. 国际合作网络

新加坡主导东盟联合审批机制，秉持“一次申报、多国互认”理念，2025 年 SCGT 峰会重点研讨区域审批标准统一与流程优化。

三、印度干细胞监管法规政策

印度 2018 年将干细胞疗法纳入《药品和化妆品法案》，要求临床应用需经临床试验验证安全性和有效性，结束此前 300 余家诊所未经审批的乱象。

（一）监管机构及职责

印度医学研究理事会（ICMR）曾设国家干细胞研究和治疗最高委员会（NAC-SCRT）监管高风险项目，2024 年 5 月解散后职责移交伦理委员会（EC），要求所有干细胞研究需经机构或独立伦理委员会审查，且委员会含至少两名干细胞专家。

印度药品管理总局（DCGI）负责干细胞治疗产品的审批与上市监管，将其纳入《药品和化妆品法案》管理，要求通过临床试验验证安全性与有效性。

（二）监管特点

印度区分自体与异体干细胞监管：异体需经中央药物标准控制组织（CDSCO）严格审评；自体在符合最低操作标准时可豁免部分审批（如造血干细胞移植因成熟被豁免），其他自体疗法仍需伦理委员会批准。

（三）政策特点及效果

2023 年印度首个异体间充质干细胞疗法获批用于骨关节炎治疗，为南亚首个商业化干细胞药物。国际合作以独联体国家为主（如与白俄罗斯共建干细胞库），国际多中心研究参与度较低。

四、俄罗斯干细胞监管法规政策

俄罗斯 2020 年通过《生物安全法》，将干细胞研究纳入国家安全战略；2025 年启动“健康保护新技术”国家项目，投入 375 亿卢布支持生物医学细胞产品研发。

（一）监管机构及职责

干细胞产品按医疗器械Ⅲ类（高风险）管理，需经俄罗斯联邦卫生监督局（Roszdravnadzor）注册，包括毒理学测试、临床试验和生产质量管理审核。国家控股的俄罗斯生物医学署（RBMH）主导多项干细胞项目，80%研发资金来自政府预算。伦理审查参考《生物医学研究伦理指南》，由机构伦理委员会负责，缺乏全国统一标准。

（二）监管特点

极度严格的高风险分类。所有干细胞产品均划入医疗器械Ⅲ类（最高风险），需通过毒理学、生物相容性、临床试验和 cGMP 四轮审核，审批周期 18 个月。临床试验法规未完全接轨 ICH-GCP，增加外资企业合规成本；伦理审批较简化，上市后监测体系待完善，监管侧重准入而非全生命周期风险控制。

（三）政策特点及效果

俄罗斯模式以“高门槛准入+国家资本”为核心，保障重点项目技术可控与安全，但抑制产业多元化和外资流入。市场端因伦理审批宽松，存在未经注册的“干细胞旅游”服务，2023 年查处 12 家违规机构，地下市场仍在扩大。

五、泰国干细胞监管法规政策

泰国凭借“全球医疗旅游之都”定位，干细胞治疗以抗衰老和慢性病干预为主，2023 年吸引超 15 万国际患者，费用较欧美低 40%~60%，早期存在监管宽松、部分诊所夸大疗效问题。

（一）监管机构及职责

细胞药物通道：细胞药物（Cell-Based Medicinal Products）被定义为“经体外处理、培养或扩增的活细胞/组织制品”，归入《药品法》Ⅲ类生物制品（高风险），需向泰国食品药品监督管理局（TFDA）提交完整注册申请。

医疗技术通道：“院内自体制备即时回输”产品（如 SVF、骨髓单个核细胞）需向卫生服务支持司（DHSS）备案获 HE 编号。2024 年《先进细胞和再生疗法服务管理条例》升级为“机构—产品—过程”全链条监管，机构需取得 JCI 认证或 ISO 20387+15189 双认证，证书有效期 3 年，TFDA 每 18 个月核查一次，未达标暂停执业。

（二）监管特点

1. 胚胎干细胞全面禁令

泰国禁止人类胚胎干细胞（ESC）用于临床治疗；研究用 ESC 须经伦理委员会（REC）与国家干细胞研究中心（NRCT）双重批准，且不得衍生收费服务。

2. 按风险等级划分

泰国将细胞治疗分低、中、高三级风险：低风险可在二级以上医院日间手术室进行，需 BSL-2 级感染控制；中风险须在 DHSS 备案的细胞制备单元（CPU），CPU 需 ISO 14698 认证及专职合格人员（QP）；高风险须经国家级 REC 与 NRCT

双重审查。

3. 全流程管理

泰国规定所有项目须经卫生部认可的 REC 审查并上传至国家试验注册平台，采用“患者唯一识别码”追溯系统，数据保存 ≥ 15 年，严重不良反应 24 小时内直报，隐瞒不报追责。向国际患者提供服务须获旅游与体育部特别许可，禁止宣称“治愈”“抗衰老”等疗效用语。

（三）政策特点及效果

泰国通过“高门槛准入+数字监管+医疗旅游”模式推动产业集中与外资流入，2024 年起取缔灰色地带。康民医院、曼谷医院等推出抗衰老、神经退行性疾病治疗套餐，吸引国际患者。2024 年医疗旅游市场总值超 152 亿泰铢（约 4.4 亿美元），年增长 15%，干细胞治疗增速 35%。

第三章 我国干细胞监管政策

本章系统梳理了我国干细胞监管政策体系，从我国干细胞政策监管发展历程开始叙述，以国家与地方两个层面详细解读我国干细胞监管政策特点及实施效果。我国呈现“严格性与灵活性并存”“国际化接轨与本土化创新结合”特征，当前面临备案项目转化路径不清、区域资源分布不均、医保支付标准待统一等挑战，未来需通过立法统一、制度创新与区域互认实现全域可及与产业升级。

第一节 国家层面干细胞监管法规政策

一、发展历程

我国干细胞监管政策历经探索、规范与创新三个阶段：

探索期（2006—2012年）：2006年将干细胞研究纳入国家重大科技规划，因监管宽松导致行业乱象；2012年原卫生部叫停未经批准的干细胞治疗活动，推动政策转型。

规范期（2015—2023年）：2015年《干细胞临床研究管理办法》确立“双备案制”（机构与项目备案），要求研究机构为三甲医院且禁止收费；2017年明确细胞治疗产品按药品审批；2023年发布首部《人源干细胞国家标准》，覆盖样本库全流程管理。

创新期（2024年至今）：延续“安全优先、鼓励创新、全链条可控”核心逻辑，通过细化法规填补技术空白（如类器官监管）、强化全生命周期管理（从供者到上市后）、推动国际接轨（如MRCT规范），平衡行业创新与患者安全。

具体法规历程详见附表—我国干细胞产业政策。

二、法律

目前我国尚未出台专门针对干细胞的上位法，相关监管主要依托现有法律框架，核心依据包括：

（一）《中华人民共和国药品管理法》（2019年修订）

该法将干细胞制品纳入药品监管，定义为生物制品，需通过国务院药监局指定机构批签审核，未经检验合格不得销售进口。《药品生产质量管理规范》附录针对细胞治疗产品制定全流程质控标准，包括实时数据采集和质量授权人制度。

（二）《中华人民共和国基本医疗卫生与健康促进法》（2020年实施）

该法第八条明确“国家加强医学基础研究，鼓励医学科技创新”，为干细胞临床转化提供法律依据；第四十八条要求医疗机构“改进防治康复技术、推广适宜技术”，规范了干细胞临床研究的机构资质与伦理审查要求。

（三）其他相关法律

《中华人民共和国民法典》：第一百零六条明确完全民事行为能力人有权自主决定无偿捐献人体细胞；第一百零七条禁止买卖人体细胞；第一百零九条要求与人体基因、胚胎相关的科研活动不得危害健康或违背伦理，强化干细胞研究伦理约束。

《中华人民共和国刑法》：无医生执业资格开展干细胞治疗可能触犯第三百三十六条“非法行医罪”，最高可处十年以上有期徒刑；第一百四十一条规定生产销售不合格干细胞制品可构成“生产、销售假药罪”，情节特别严重者可判死刑。

《中华人民共和国生物安全法》：第五十六条限制境外组织在华采集、保藏人类遗传资源，要求干细胞研究涉及的遗传资源需通过安全审查，防范生物数据泄漏风险。

上述法律构建了干细胞“全链条管控”体系，覆盖研发、生产、临床研究及应用各环节，既保障技术创新空间，又通过资质要求与刑事威慑防范风险。

三、法规

我国干细胞监管法规体系从2015年临床研究规范、2017年药品审批路径到2025年生产检查细则，形成“临床一审批一生产”闭环监管。通过海南自贸港试点（允许临床研究政府定价，严格限定适应证与机构资质）等机制平衡创新与安全，构建了防范风险且保障技术转化的监管体系。

（一）《干细胞临床研究管理办法（试行）》（2015年）

国家卫生计生委与食品药品监管总局联合印发（国卫科教发〔2015〕48号），是我国首部干细胞临床研究系统性法规，标志着管理从“第三类医疗技术”转向备案制。要求医疗机构（三甲医院且具备药物临床试验资质）与项目双重备案，需经省级卫生与药监部门审核后报国家卫健委与药监局备案。

（二）配套指导原则

国家药监局发布系列技术指导原则规范细胞治疗产品研发注册：2017年《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则》涵盖各类细胞及研发全过程；2021年发

布《免疫细胞治疗产品临床试验》《基因修饰细胞治疗产品非临床研究》指导原则；2022 年发布《免疫细胞治疗产品药学研究与评价》指导原则；2024 年《细胞治疗产品临床药理学研究技术指导原则》要求开展剂量探索、细胞动力学及免疫原性研究，为临床方案设计提供技术标准。

四、指南与规范

我国干细胞临床研究与转化应用深入推进，2016-2024 年间发布 16 项重要诊疗指南与专家共识，涵盖抗衰老、消化、传染病、心血管等 10 余个临床领域，由中国整形美容协会、中华医学会各学组等权威机构牵头，体现多学科协作共识，具体详见表 3-1。

表 3-1 我国干细胞治疗相关诊疗指南与专家共识

序号	标题	发布人/发布单位	内容	发布时间
1	《干细胞抗衰老技术规范 化指南》	中国整形美容协会抗衰老分 会	干细胞是维持人体动态平衡的种子细胞。机体通过干细胞增殖和分化，实现细胞更新。随着年龄的增长，人体中各个组织器官的干细胞数量逐渐减少，干细胞的增殖分化能力下降，使受损的组织和器官得不到及时的修复和再生，直接导致人体，衰老和疾病的发生。	2016
2	《中国衰老与抗衰老专家 共识（2019 年）》	何琪杨，刘光慧，保志军， 孔庆鹏，陶军，于艳秋，雷 燕	抗衰老的策略包括：清除衰老细胞、服用药物、限制饮食、干预肠道菌群（肠道微生物）、补充干细胞和活性因子等方面。	2019
3	《克罗恩病肛瘘诊断与治 疗的专家共识意见》	克罗恩病肛瘘共识专家组	干细胞局部注射等其他治疗方法对克罗恩病肛瘘有一定治疗作用，等级判定：推荐。并列举一项多中心的三期随机对照的临床试验，显示局部注射自体脂肪来源的间充质干细胞症状缓解率为 49.5%，与对照组有显著差异，且尚未见干细胞相关不良反应的报道。	2019
4	《干细胞在整形修复美容 领域研究和临床试验的专 家共识》	中国医师协会整形美容医师 分会干细胞和再生医学学组	干细胞及其衍生物治疗是具有广阔前景的再生医学手段，多年的研究表明，它在皮肤再生、组织修复、血管化、软组织及骨软骨再生、组织年轻化、毛囊再生等方面具有显著疗效。	2021
5	《干细胞移植规范化治疗 肝硬化失代偿的专家共识 （2021）》	中华医学会医学工程学分会 干细胞工程专业学组	该共识囊括了干细胞移植治疗肝硬化失代偿期的临床应用规范以及干细胞移植治疗肝硬化失代偿期的研究重点，提到干细胞移植途径主要有经肝动脉移植、经门静脉移植、肝内注射、脾脏注射、外周静脉输注等途径。应根据患者自身条件和状态确定所用干细胞类型及移植途径。	2021
6	《间充质干细胞治疗新型 冠状病毒肺炎专家共识	国家感染性疾病临床医学研 究中心，中华医学会感染病	间充质干细胞治疗 COVID-19 安全性良好，在缩短病程、减轻肺部损伤、降低炎症因子	2021

序号	标题	发布人/发布单位	内容	发布时间
	《(2021, 北京)》	学分会, 中国研究型医院学会生物治疗学专业委员会	水平等方面显示出较好的临床疗效, 并对间充质干细胞治疗 COVID-19 提出了建议, 包括了患者的选择、细胞输注的准备、细胞输注的监测和不良反应处理、疗效评价指标等。推荐剂量为每次 $1-3 \times 10^6 \text{cells/kg}$, 每次间隔 3~7 天, 共进行 3 次输注。	
7	《自体干细胞移植规范化治疗下肢慢性缺血性疾病专家共识(2021)》	中华医学会医学工程学会干细胞工程专业委员会, 中国医院协会临床新技术管理委员会, 首都医科大学下肢动脉硬化闭塞症临床诊疗与研究中心, 北京华炎血管疾病诊疗产业创新战略联盟	自体干细胞移植对下肢慢性缺血性疾病治疗的安全性和有效性已成为学界公认。	2021
8	《慢性移植物抗宿主病(cGVHD)诊断与治疗中国专家共识(2021年版)》	中华医学会血液学分会造血干细胞应用学组, 中国抗癌协会血液病转化委员会	间充质干细胞在预防和治疗慢性移植物抗宿主病方面具有一定的应用前景, 可通过促进调节性 T 细胞增殖活化、调控 Th1/Th2 比例等方式发挥免疫调节作用。	2021
9	《骨关节炎临床药物治疗专家共识》	中华医学会运动医疗分会, 中国医师协会骨科医师分会运动医学学组, 中国医师协会骨科医师分会关节镜学组	间充质干细胞广泛存在于各类组织中, 经诱导后可分化为成骨细胞或软骨细胞, 可用于修复受损的骨或软骨, 在 OA 的治疗中已有应用, 但其临床疗效和安全性尚需大量随机对照试验验证。	2021
10	《自体干细胞移植治疗心力衰竭中国专家共识(2022)》	中华医学会组织修复与再生分会	该共识重点对自体干细胞移植过程中的相关关键技术问题进行了阐述, 并对自体干细胞移植治疗心血管病的未来研究方向提出了建议, 以期规范和促进干细胞的临床研究及应用。	2022
11	《异体间充质干细胞治疗系统性红斑狼疮专家共识》	中华医学会风湿病学分会, 中国医院协会临床新技术应用专业委员会	多项临床研究已证实间充质干细胞治疗系统性红斑狼疮患者安全且有效, 大大提高了患者的疗效, 改善了生存质量和预后。	2022
12	《中国骨关节炎诊疗指南(2024版)》	中国老年保健协会疼痛病学分会	间充质干细胞通过直接组织生长、分化为特定软骨细胞和促进组织修复等来治疗膝骨关节炎, 并通过抗炎和免疫调节、旁分泌为关节修复创造了最佳环境。	2024
13	《延缓衰老药物干预研究中国老年医学专家共识(2024)》	中华医学会老年医学分会	干细胞治疗被认为是一种补充再生细胞的有效方法。临床试验结果显示, 老年衰弱患者注射干细胞后, 某些症状得到改善, 炎症标志物水平有所下降。基于干细胞及其衍生生物的技术, 在延缓衰老和治疗衰老相关疾病等领域展现出了巨大的临床应用前景, 为解决衰老相关疾病的临床困境提供了新思路。	2024
14	《干细胞在银屑病研究领域和临床试验的专家共识》	中南大学湘雅医院皮肤科	该共识明确了银屑病治疗常用的干细胞类型、干细胞治疗银屑病的方法、剂量和途径, 以及干细胞治疗银屑病的临床评价。此外, 此共识还规范了干细胞及其相关产品的采集、制备、保存和质量控制过程, 为银屑病干细胞治疗领域提供了最新的具体参考标	2024

序号	标题	发布人/发布单位	内容	发布时间
			准和实践指南。	
15	《慢性移植物抗宿主病诊断与治疗中国专家共识（2024 年版）》	中华医学会血液学分会干细胞应用学组	推荐可以尝试根据临床需求应用间充质干细胞预防 cGVHD。	2024
16	《肾脏病领域“十大创新方向”中国专家共识（2024 年版）》	肾脏创新与转化联盟肾脏病领域“十大创新方向”专家组	在肾脏病领域，应用干细胞治疗多种急性肾损伤及慢性肾脏病动物模型显示出多靶点的肾脏保护作用，具有临床转化前景。	2024
17	《细胞治疗产品生产检查指南》	国家药监局核查中心	替代 2022 年《药品生产质量管理规范—细胞治疗产品附录（征求意见稿）》，目前生产环节最权威的实操规范。质量管理体系：需建立风险分级管理机制，对细胞采集、培养、冻存等关键步骤进行失效模式分析（FMEA）；数据管理需实现全流程追溯，电子记录须具备审计追踪功能，不可篡改。	2025

五、审批监管框架

我国干细胞领域构建了“临床研究 与药品审批并行”的“类”双轨制监管框架，由国家卫生健康委员会与国家药品监督管理局分工协作，实现从基础研究到临床转化的全链条规范化管理，具体机制如下：

（一）按药品监管

为规范细胞治疗产品的研发与注册，原国家食品药品监督管理总局于 2017 年底发布《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则（试行）》，明确人体来源活细胞产品的技术要求。该指导原则强调细胞制品生产全过程必须符合《药品生产质量管理规定（GMP）》并严格执行，同时通过非临床和临床试验验证其有效性和安全性。《药品注册管理办法》（2020 年版）规定，包括干细胞在内的细胞与基因治疗产品作为治疗用生物制品，需按新药要求进行临床试验和上市申报注册，由国务院药品监管机构审批。随着细胞治疗技术的不断进步，我国监管机构也在不断优化和调整监管政策，以适应行业发展需求。例如，国家药品监督管理局于 2020 年 7 月发布三项审评工作程序，包括突破性治疗药物、附条件批准和优先审评审批。纳入该程序的产品将享有审评时限缩短、优先核查检验等政策支持。

随着国内多家企业申报干细胞产品的注册临床试验，2023 年 4 月，国家药品监督管理局药品审评中心制定《人源干细胞产品药学研究与评价技术指导原则（试行）》，为干细胞产品的药学研究提供针对性的技术建议。同年 6 月，国家

药品监督管理局药品审评中心发布《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）》，旨在规范干细胞相关产品的临床试验规划、设计、实施和数据分析，确保受试者安全和权益。2024 年 1 月，CDE 发布《人源干细胞产品非临床研究技术指导原则》，该指导原则详细阐述非临床研究阶段对人源干细胞产品的药理药代动力学研究、安全性评价、免疫原性以及致癌性风险评估等方面的具体要求，强调在非临床研究中应采用科学合理的方法，确保研究结果的准确性和可靠性。2025 年 1 月，CDE 发布《细胞治疗产品生产检查指南》，该本指南涉及细胞治疗产品的生产现场检查，包括从供者材料的运输、接收、产品生产和检验到成品放行、贮存和运输的全过程，也包括直接用于细胞产品生产的基因修饰载体或其他赋予细胞特定功能的材料的生产、检验和放行等过程。至此我国已经建立涵盖药学、非临床和临床研究等关键环节的技术指南文件体系，对尽快满足临床急需发挥积极作用。国家药品监督管理局药品审评中心按产品生命周期分类发布核心指导原则见表 3-2。

截至 2025 年 8 月 31 日，国内共有 79 家企业（不含子公司）的 186 款干细胞药物临床试验申请获得受理，140 项通过默示许可进入临床，涉及急性心肌梗死、特发性肺纤维化等重大疾病。

表 3-2 国家药品监督管理局药品审评中心发布的干细胞药物研发相关指南

生命周期阶段	指导原则名称	发布时间
临床指导	《间充质干细胞防治移植物抗宿主病临床试验技术指导原则》	2024 年 1 月
早期发现与非临床	《人源干细胞产品非临床研究技术指导原则》	2024 年 1 月
	《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则（试行）》	2017 年 12 月
	《免疫细胞治疗产品药学研究与评价技术指导原则》	2022 年 5 月
	《细胞治疗药品药学变更研究与评价技术指导原则（征求意见稿）》	2023 年 4 月
	《细胞治疗产品临床药理学研究技术指导原则（试行）》	2024 年 11 月
药学(CMC)开发	《细胞治疗药品药学变更研究与评价技术指导原则（征求意见稿）》	2025 年 7 月
	《细胞治疗产品生产质量管理指南（试行）》	2022 年 4 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）》	2023 年 6 月
GMP 生产	《免疫细胞治疗产品临床试验技术指导原则（试行）》	2021 年 2 月
临床前与早期临床	《人体细胞治疗研究和制剂质量控制技术指导原则》	2003 年 3 月
历史文件		

（二）按医疗技术双备案路径

除药品申报途径外，我国还构建了以医疗机构为主体的医疗技术备案途径。该备案管理工作由国家卫生健康委员会与药品监督管理局联合开展。依据 2015 年《干细胞临床研究管理办法》，医疗机构需完成“机构+项目”的双重备案。备案机构必须为三级甲等医院，且应具备符合药品生产质量管理规范（GMP）级别的实验室，项目需经伦理审查后提交。截至 2025 年 8 月，全国共有 158 家备案机构（其中广东 22 家、北京 21 家、上海 16 家，占全国总数的 32%），山西、青海、西藏等地区尚无备案机构，资源分布呈现集中态势；累计备案临床研究项目 186 项，主要集中于血液病、神经系统疾病等领域。

《干细胞临床研究管理办法》第五十一条明确“备案项目不得直接进入临床应用”，但后续转化路径细则尚未出台，导致部分项目“备案后难推进”。2025 年 9 月 12 日，国务院常务会议审议通过《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例（草案）》，明确技术路径独立地位，允许符合标准的医疗机构在

审批后将备案研究项目申请进入收费临床阶段,可能为解决备案项目转化难题提供了制度依据。

（三）各地区创新审批模式

各地区积极推进干细胞产业发展进程。海南凭借“国九条+乐城条例”，率先开创以真实世界数据替代III期临床的“特许医疗”模式；深圳颁布全国首部细胞和基因产业专项立法，实施“双轨制”管理模式；成都借助服务业开放试点契机，将再生医学纳入外资准入清单，率先推行按疗效付费模式并开展医保商保试点；天津通过“并联审查+容错清单”举措，将审批时限缩短一半；北京着重关注外籍人才持股与医美场景备案事宜；上海以三年行动方案为依托，打造“细胞治疗医院”新型业态；湖南（长沙）依托自贸区“先行先试”政策以及20亿元产业基金，推动伦理互认工作；南沙允许备案开展限制类细胞移植项目，成为粤港澳大湾区具有灵活性的试验区域。

已达成从“政策破冰”至“区域赛马”的阶段性跨越，成都、海南、南沙分别代表着以医保支付驱动、特许立法驱动和标准化监管驱动的转化模式。未来，需在立法统一、支付创新以及国内互认等方面采取有效举措，以实现全域可及性与产业升级。

六、政策特点及效果

中国干细胞监管政策历经“探索—规范—创新”三阶段演变，构建起覆盖研发、临床、生产、应用全链条的法规体系，呈现“严格性与灵活性并存”“国际化接轨与本土化创新结合”的特征。

（一）分阶段推进，监管逐步收紧与开放平衡

我国干细胞监管呈“宽松、收紧、再开放”三段演进：2006—2012年探索期，纳入重大科技规划但乱象丛生，2012年原卫生部叫停未批治疗；2015至今为规范期，实行“双备案”，锁定三甲主体并禁收费，2017年将细胞治疗纳入药品审批；2024年起创新期，逐步探索临床转化路径，2025年部分省市开始尝试开放技术转化路径与医保试点，实现安全与创新动态平衡。

（二）法规依托现有框架，核心法律明确监管底线

我国依托《中华人民共和国药品管理法》《中华人民共和国民法典》《中华人民共和国刑法》《中华人民共和国生物安全法》构建“全链条管控”：干细胞

制品按生物制品管理，须遵守 GMP 生产规范；民法典确立捐献自愿、禁止买卖原则；刑法将非法无证干细胞治疗纳入非法行医罪（最高十年以上有期徒刑），制售不合格产品可构成生产销售假药罪（情节特重者可判死刑）；生物安全法严控境外采集我国人类遗传资源，干细胞研究须通过安全审查防范数据泄露。

（三）审批监管“类双轨制”，兼顾效率与安全

我国实行“药品申报”与“医疗技术备案”类双轨监管：药品路径由国家药品监督管理局药品审评中心按《药品注册管理办法》执行 IND→临床→BLA 全流程，项目不得直接用于临床，作为技术路径，海南博鳌乐城先行区已立法先行先试。2025 年《细胞治疗产品生产检查指南》要求风险分级与电子追溯；2016—2024 年 16 项专家共识覆盖抗衰老、肝硬化等 10 余领域，实现临床应用标准化。

七、挑战与未来方向

干细胞治疗是一种充满创新且具有颠覆性的医疗方式，目前正处于快速发展的黄金阶段。虽然干细胞的临床价值非常显著，但其个性化需求高、技术创新突出、专利壁垒明显，质量控制以及有效性和安全性评估体系仍有待完善，同时还涉及人类遗传资源的利用和伦理议题，这无疑对产品监管提出了更高要求。迫切需要在我国现有监管体系的基础上，持续优化和完善我国细胞治疗产品的监管机制，确保监管政策能够与创新技术的发展和突破同步，实现监管与创新的良性互动及协同发展。

第二节 地方层面干细胞监管法规政策

随着国家对细胞治疗领域监管体系的逐步完善，地方层面也积极响应，结合自身发展需求与特色，出台了一系列针对性的干细胞监管法规政策，旨在推动干细胞技术的临床应用与产业发展，具体如下。

一、海南省

2013 年，国务院批复设立海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区（“国九条”），允许申报干细胞临床研究；2019 年四部委印发实施方案（新“国九条”），支持研究转化，但存在周期长、不适用《医疗技术临床应用管理办法》的局限。

2019 年，海南省四委局出台《暂行规定》，按新“国九条”申报研究转化：小样本探索性研究由机构承担费用；大样本研究可收取细胞制剂与临床成本费用；完成小样本研究经省卫健委、药监局核准后，可在先行区内转化应用。

2020 年，海南省人大常委会通过《海南自由贸易港博鳌乐城国际医疗旅游先行区条例》，第十九条明确医疗机构可在先行区开展干细胞、免疫细胞治疗等新技术研究和转化应用。

2023 年，海南省发改委印发《间充质干细胞大样本临床研究系列规范》，涵盖制剂制备、质控、存储、运输、临床应用及安全保障 6 大专题，特色为可操作落地，明确机构负责人为临床应用管理第一责任人。

2024 年 12 月，发布《海南自由贸易港博鳌乐城国际医疗旅游先行区生物医学新技术促进规定》（2025 年 2 月施行），明确干细胞技术可商业化应用及合法收费，审查程序为：先行区医疗机构申报→省药监局→管理局技术评估→省医保局和卫健委价格备案。

2025 年 2—3 月，乐城先行区发布两批《生物医学新技术转化应用实施目录》，共 31 项技术，涵盖肝功能损伤、糖尿病、阿尔茨海默病、帕金森病、关节退行性病变及肿瘤等疑难病症。

2025 年 8 月 30 日，海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区正式公布了新一批（第三批）获批的细胞与基因治疗（CGT）新技术项目，同时明确了这些项目的定价标准及对应的落地医疗机构。三批获批项目清单详见表 3-3。

表 3-3 乐城先行区生物新技术项目及收费

批次	获批医院	项目名称	价格
第一批	瑞金医院海南医院	膝骨关节炎的脐带间充质干细胞治疗技术	3.6 万/次
	瑞金医院海南医院	间质性肺疾病的自体肺上皮细胞治疗技术	15 万/次
	四川大学华西乐城医院	改善射血分数减低性心力衰竭的人脐带来源间充质干细胞治疗技术	6 万/次
第二批	瑞金医院海南医院	间质性肺疾病的气道基底层干细胞治疗技术	15 万/次 (疗程结束)
	瑞金医院海南医院	支气管扩张症的气道基底层干细胞治疗技术	15 万/次 (疗程结束)
	瑞金医院海南医院	RPE65 双等位基因突变相关遗传性视网膜营养不良的基因治疗	单眼 48 万/次
	四川大学华西乐城医院	恶性肿瘤个性化 DC 疫苗治疗技术	15 万/次 (6~7 次)
	四川大学华西乐城医院	缓解骨髓移植后抗宿主病的间充质干细胞治疗技术	8 万/次
第三批	四川大学华西乐城医院	抗 EB 病毒感染的细胞疫苗技术	1.6 万/次
	树兰(博鳌)医院	治疗肺纤维化的宫血间充质干细胞治疗技术	14 万/疗程
	海南慈铭博鳌国际医院	早发性卵巢功能不全的脐带间充质干细胞治疗技术	8 万/次

二、广东省

2020 年 3 月,深圳发布《支持体细胞治疗临床研究平台建设的若干措施》支持体细胞治疗临床研究平台建设,推动干细胞技术创新应用。

2020 年 4 月,广东多部门联合出台《支持深圳发展细胞治疗产业实施方案》,支持深圳发展细胞治疗产业,实施精准医学与干细胞专项。

2020 年 6 月,广东出台《粤港澳大湾区干细胞临床研究机构备案管理办法》支持粤港澳大湾区干细胞临床研究机构及项目备案,探索协同创新机制。

2020 年 8 月,《深圳经济特区前海蛇口自由贸易试验区条例》允许开展干细胞、免疫细胞等新技术研究转化。

2020 年 10 月,广东五部门发布《精准医学与干细胞产业发展行动计划》,推进干细胞等专项,提升医药制造水平。

2021 年 3 月,深圳推进《细胞和基因产业促进条例》立法,支持研发创新与高质量发展。

2021 年 6 月,深圳南山区发布《干细胞临床试验先行先试实施方案》,支持干细胞临床试验先行先试及标准化建设。

2021年9月，广东发布《“精准医学与干细胞”专项研究指南》，涵盖类器官构建、功能亚群鉴定等5个研究方向。

2021年11月，深圳发布《细胞和基因产业促进条例（征求意见稿）》，规范细胞采集储存及临床试验。

2021年11月，深圳《细胞和基因产业促进条例（征求意见稿）》对细胞治疗攻关项目给予最高3亿元资助。

2021年12月，广州越秀区发布《干细胞治疗技术创新发展规划》支持干细胞治疗等新技术，建设华南精准治疗中心。

2022年1月，国家发展改革委支持深圳开展干细胞、免疫及基因治疗研发。

2022年3月，深圳大鹏新区规划发展干细胞临床研究，探索特许医疗试点。

2022年6月，深圳培育“20+8”产业集群，重点发展细胞与基因治疗技术。

2022年6月，大鹏新区规划推动细胞治疗产业，发展精准医疗旅游。

2022年7月，深圳支持建设细胞与基因生物安全检测平台，培育干细胞新业态。

2022年1月，国家发展改革委发布《关于支持深圳开展干细胞、免疫及基因治疗研发的若干意见》支持深圳开展干细胞、免疫及基因治疗研发。

2024年1月，广州出台《广州市细胞基因领域合作研发与临床试验支持政策》支持细胞基因领域合作研发与临床试验，建设公共服务平台，允许拓展性试验用于病情相同患者。

2024年2月，广东印发《广东省细胞治疗技术攻关计划》加快细胞治疗技术攻关，研发免疫细胞改造、干细胞一类器官筛选等技术，开展恶性肿瘤等疾病临床研究；4-5月广州开发区及南沙出台《细胞基因技术全生命周期奖励办法》，覆盖细胞基因技术应用、临床试验等全生命周期奖励。

2024年3月，南沙发布《南沙新区细胞基因产业市场准入放宽措施》放宽市场准入，准许细胞基因企业备案后开展限制类细胞移植，允许港澳企业利用境内遗传资源开展医学研究。

2025年4月2日，深圳市发展和改革委员会、深圳市卫生健康委员会、深圳市市场监督管理局、深圳市医疗保障局联合发布《深圳市全链条支持医药和医疗器械发展若干措施》，措施提出在前海蛇口自贸片区选择符合条件的外资企业，

开展人体干细胞、基因诊断与治疗技术开发和应用扩大开放试点，推动细胞与基因产业集聚发展，积极争取试点范围拓展到河套深港科技创新合作区深圳园区。支持医药企业在统一的药品质量管理体系下，以自建产能或者委托生产形式向国家药品监督管理局申请开展跨境分段生产。

2025 年 6 月，南沙批准“异体骨髓间充质干细胞治疗慢急性肝功能衰竭”试点，由中山大学附属第一（南沙）医院等承担，后续将扩展至其他高水平医院。

2025 年 7 月 21 日，广州开发区管理委员会、广州市黄埔区人民政府联合印发《广州开发区（黄埔区）促进生物医药产业高质量发展若干措施》。本措施布局细胞与基因治疗等新赛道，从支持开展临床试验、支持开展 IIT 研究、加快公共平台建设、打造生物医药特色园区等进行发力。

三、北京市

2020 年 11 月，北京发布《北京市干细胞临床研究伦理审查指南》，制定干细胞等新技术伦理指南，规范临床研究审查。

2020 年 11 月，北京“十四五”规划支持干细胞与再生医学等领域新型研发机构，布局基础研究与核心技术攻关。

2021 年 3 月，北京科教工作要点提出做好干细胞临床研究备案初审，支持机构与企业合作推动临床应用。

2021 年 4 月，北京印发《北京市干细胞技术研发与临床转化实施方案》支持干细胞等新技术研发，引导创新成果在本市转化，突破卫生健康“卡脖子”技术。

2021 年 7 月，北京发布《北京市生物医药创新产品监管创新行动计划》提出争取人类遗传资源服务站等试点，支持干细胞等创新产品监管创新。支持干细胞与再生医学等前沿技术研发，推动精准诊断和突破性治疗。推进细胞与基因治疗等第三方技术平台建设，推动国家动物模型技术创新中心建设。加快医疗器械、细胞与基因治疗等 70 万平方米标准厂房建设，规划新建 180 万平方米诊断试剂、核酸药物厂房。

2022 年 8 月，北京自贸区印发《中国（北京）自由贸易试验区干细胞技术开放发展试点方案》探索干细胞等技术开放发展模式，制定细胞检验机构资质标准，支持第三方药物检验机构出具临床研究报告。

2021年8月,北京卫健委发布《北京市干细胞临床研究专项经费资助指南》鼓励开展干细胞治疗相关研究,给予市财政专项经费资助。

2021年8月,北京“十四五”规划搭建基因编辑平台,加快间充质干细胞、CAR-T等产品研制,推动医药制造与健康服务发展。

2021年11月,北京国际科创中心规划提出到2025年研发经费占比保持6%左右,建设世界科学中心和创新高地。推动干细胞与再生医学等核心技术研发,建立重大疫病、疑难罕见疾病精准诊断和治疗方法。支持细胞和基因治疗等原创新药研发,加速重大疾病药物研发,建立新药孵化平台。

2021年11月,北京国际科创中心印发《北京国际科技创新中心建设干细胞与再生医学发展规划》提出到2025年研发经费占比保持6%左右,建设世界科学中心和创新高地。

2021年11月,中关村发布《中关村国家自主创新示范区细胞与基因治疗产业发展规划》支持干细胞与再生医学等生命科技研究。建设细胞和基因治疗中试生产平台,对符合条件的中试基地给予专项资金支持。加快发展基因编辑、合成生物学等未来生命健康产业。

2022年1月,北京市政府工作报告提出加快新型细胞治疗等技术转化,推动创新药、高端医疗器械产业化。

2022年3月,北京市卫健委工作要点提出做好干细胞临床研究备案初审和政策咨询辅导。

2023年2月,北京经开区印发《北京经济技术开发区细胞与基因治疗产业聚集区建设措施》,发挥细胞与基因治疗领域创新及临床资源优势,重点发力品种开发、市场应用等,打造产业聚集区和全球“新药智造”高地。

2023年9月,北京多部门措施支持化妆品新原料研发,鼓励基因编辑和新型细胞培养底层技术攻关。

2024年2月,北京市政府任务清单提出加强细胞基因治疗等前沿领域布局,推进集群化发展。

2024年2月,雄安新区措施支持生物医药企业疏解落地,围绕细胞治疗等加强新药创制。

支持新区医疗机构申报开展干细胞临床研究，允许使用境外未注册药械发展高端医疗，加速国际创新药械中国注册。

2024年2月，海淀区发布《海淀区医药健康产业高质量发展支持措施（细胞与基因治疗专项）》，重点支持创新药、高端医疗器械及数字医疗研发生产。药品领域涵盖干细胞治疗、CAR-T等细胞与基因治疗药物及创新化学药、现代中药等。对细胞与基因治疗药物按临床阶段给予最高500万-3000万元研发支持，累计不超过5000万元；获注册证并产业化的企业奖励3000万元，销售收入达3000万元再奖300万元；同时获NMPA和FDA临床试验批件的额外补贴500万元。支持细胞与基因治疗药物IIT研究，按入组病例数及实际费用30%补贴，每个项目不超过50万元，企业年补贴不超过300万元。

2024年4月，北京多部门联合发布《北京市支持创新医药全链条发展若干措施》，从研发、临床、审批等八方面支持创新医药发展。措施通过政策协同支持创新药械全链条发展，推动医疗健康数据赋能及产业数字化升级，完善多元支付体系减轻医疗负担。强化投融资支持，用好医药健康产业基金，带动社会资本推动细胞与基因治疗等前沿项目落地及产品快速上市。

2024年5月，北京印发《北京市细胞基因治疗领域“核爆点”专项行动计划》，在细胞基因治疗等领域部署“核爆点”专项；支持研究型医院与三甲医院合作开展早期临床研究，鼓励商业保险开发创新药保险产品，推动细胞疗法快速形成产业增量，提升第三方研发生产服务能力，构建全球领先生命科学创新走廊。

2024年7月，北京出台《北京市干细胞临床试验及国际合作管理办法》支持医疗机构开展干细胞临床试验及国际合作，便利港澳企业人类遗传资源管理，探索基因诊断与治疗领域开放试点。4月7日，北京市医疗保障局、北京市卫健委、北京市药品监督管理局等九部门联合发布《北京市支持创新医药高质量发展若干措施（2025年）》。

2025年4月7日，北京市医疗保障局、北京市卫健委、北京市药品监督管理局等九部门联合发布《北京市支持创新医药高质量发展若干措施（2025年）》。措施提出高质量建设国际医药创新园区，启动建设北京临床研究中心，聚焦医学人工智能、细胞和基因治疗、合成生物等前沿领域开展全球领先的临床研究和成果转化；加快建设干细胞创新转化中心、疫苗与蛋白药物智造研究院等重大平台，

持续建设小分子、核酸药物等合同研发生产组织平台；持续提升中关村生命科学园产业发展能级，聚焦细胞与基因治疗、脑机接口等领域，做优服务科学家创业全过程的专业孵化器，加速科学家原创成果转化。不断提升审评审批效能，与国家监管机构紧密配合，围绕细胞和基因治疗产品、脑机接口、3D 打印生物材料等领域，探索人工智能赋能科学监管，推进国家级监管科学创新研究基地建设。

四、上海市

2020 年 5 月，上海发布《上海市干细胞技术研发科创计划》部署干细胞体内命运示踪技术研究，建立移植细胞质量控制标准。

2020 年 11 月，上海“十四五”规划提出推动生物医药等先导产业规模倍增，打造国际竞争力高端产业集群。

2021 年 5 月，上海出台《上海市高端生物制品研发支持政策》支持抗体药物、基因治疗、细胞治疗等高端生物制品研发。

2021 年 5 月，上海药监局推进《上海市细胞治疗全产业链培育与监管创新方案》细胞治疗全产业链培育与监管创新，关注干细胞药物研发进程。

2021 年 7 月，上海印发《上海市先进制造业（生物医药）发展规划》聚焦干细胞与再生医学等前沿领域，攻关关键装备材料研发。

2021 年 7 月，上海发布《上海市战略性新兴产业（生物医药）发展规划》推动干细胞修复、组织再生等细胞技术临床应用，发展抗体药物、细胞治疗等高端生物制品。

2021 年 9 月，上海印发《上海科创中心建设（干细胞与再生医学）专项规划》提出突破干细胞与再生医学关键技术，打造相关产业集群。突破细胞治疗、基因治疗等关键技术，促进再生医学、肿瘤免疫治疗等领域应用。建立细胞与基因治疗关键技术体系，覆盖载体研发、生产工艺等环节，推动技术创新与产业化。

2021 年 12 月，浦东发布《浦东新区人体细胞和基因技术研发产业化支持草案》支持人体细胞和基因技术研发产业化，强化风险管控与监管。

2022 年 1 月，浦东发布《浦东新区世界级生物医药产业集群建设行动方案》，推动世界级生物医药产业集群建设与空间布局。

2022 年 10 月，上海印发《上海市基因和细胞治疗产业集群发展方案》打造基因和细胞治疗产业集群，突破载体递送等技术，推动产品研发转化。

2022 年 11 月，上海发布《上海市细胞治疗产业发展方案（2022—2024 年）》目标 2024 年产业规模 100 亿元，建成创新策源地与产业高地。

2022 年 11 月，浦东印发《浦东新区细胞与基因治疗产业发展方案（2022—2025 年）》目标 2025 年新增创新产品 4~5 个，产业规模超 100 亿元，新增上市企业 5 家以上。

2023 年 9 月，上海通过《上海市基因治疗产业创新发展方案》通过 12 项任务和 8 项措施，提升创新转化与产业能级。

2024 年 1 月，上海出台《上海市细胞治疗创新生物制品研发转化支持政策》加强注册指导服务，重点支持细胞治疗等创新生物制品研发转化。

2024 年 7 月，上海发布《上海市外商投资细胞和基因治疗药品临床试验管理办法》鼓励外商企业开展境外已上市细胞和基因治疗药品临床试验。

2024 年 7 月上海发布《上海市支持生物医药全链条创新 37 条措施》支持生物医药全链条创新，覆盖研发、审批等关键环节。

五、天津市

2020 年 6 月，天津滨海新区出台《天津滨海新区干细胞临床应用试点工作方案》争取干细胞等临床应用试点，推动优惠政策制定。

2021 年 4 月，天津自贸区上报《天津自贸区细胞治疗先行先试报告》，推动临床转化应用。

2021 年 7 月，天津自贸区批复建设《天津自贸区基因与细胞治疗联动创新示范基地建设方案》，以中国医学科学院血液病医院等为主体，探索基因与细胞治疗试点，试点期 3 年。示范基地依托全闭环管理环境，对标国际标准开展细胞治疗临床转化试点，为国家试制度、试标准。推动形成细胞治疗技术规范与分级分类管理制度，探索临床试验同期用药等突破，形成可复制经验。

2021 年 11 月，天津“十四五”规划围绕双城格局，建设“滨城”生物医药聚集核心区与“津城”重点区，形成产业空间布局新格局。

2022 年 12 月，天津自贸区印发《天津自贸区基因和细胞治疗示范基地实施方案》打造基因和细胞治疗示范基地，形成技术规范与制度创新，探索 IIT 研究等突破。

2023 年 7 月，天津通过《基因和细胞产业促进条例》，引领产业高质量发展，满足健康需求。

六、湖南省

2022 年 7 月，湖南三部门印发《湖南省细胞治疗临床研究管理通知》加强细胞治疗临床研究、质量及信息发布管理，严厉打击违法违规行为。

2022 年 6 月，湖南省药监局发布《湖南省药监局关于支持干细胞研究的提案回复》，支持干细胞研究，搭建创新平台，推荐基础研究与应用基础研究项目。

2022 年 4 月，湖南召开《湖南省干细胞与再生医学产业集群发展座谈会纪要》建议吸引干细胞企业聚集，支持药物申报，促进干细胞与再生医学产业集群发展。

2022 年 9 月，湖南自贸区长沙片区获批《湖南自贸区长沙片区干细胞临床前沿技术研究试点方案》，成立生物医学区域伦理委员会，选取源品细胞等为试点单位，在物价部门指导下试行成本性收费。

2025 年 7 月 31 日，湖南省十四届人大常委会第十七次会议表决通过《湖南省细胞和基因产业促进条例》，自 2025 年 10 月 1 日起施行，系全国首个省级细胞与基因产业专项法规，明确支持细胞治疗临床研究与转化应用，建立拓展性使用与临床试验管理机制。

七、四川省

2022 年 6 月，四川出台《四川省支持细胞治疗等创新药物研发生产的若干措施》，支持细胞治疗研发生产；成都纳入服务业开放试点，2024 年将细胞与基因治疗列为前沿医疗试点重点，明确三甲牵头准入条件并启动项目申报。

2025 年 1 月，成都启动干细胞治疗牙周病试点，由华西口腔医院牵头实施“人牙囊间充质干细胞治疗牙周病临床新技术应用”项目。

2025 年 5 月 15 日，四川省医药健康产业链协同推进机制办公室发布《四川省促进医药健康产业发展若干措施》，提出瞄准细胞治疗、基因治疗、合成生物学、脑科学等赛道，强化关键技术攻关，布局一批创新药开发项目，制定创新药重点研发目录；扩大干细胞临床研究试点医疗机构，支持企业与医疗机构合作开发细胞和基因治疗产品。

八、山东省

2021 年 8 月，烟台发布《烟台市细胞与基因治疗产业发展意见》，聚焦细胞与基因治疗等八大领域，建设关键技术平台，推动成立产业联盟，打造再生医疗临床试验中心。

2023 年 1 月，山东自贸区印发《中国（山东）自由贸易试验区细胞治疗临床转化试点方案》，支持多中心临床试验及伦理互认，探索标准体系并开展转化试点。

2025 年 9 月，山东省发改委、卫健委、医保局、药监局、教育厅、科技厅、工信厅、财政厅等 13 个单位联合发布《关于支持细胞与基因治疗产业高质量发展的若干措施》的通知。政策聚焦于提升创新策源能力，包括突破关键技术、推动人工智能与生物医药融合、实现核心设备与材料自主可控；提高临床研究和转化水平，布局细胞制备中心、支持第三方服务平台、鼓励临床研究与转化并给予资金支持；加快培育产业发展生态，纳入现代医药产业链、打造产业加速园、引导社会资本投入、创新人才培养模式；强化创新制度供给，在自贸区开展试点、提供上市许可指导、优化伦理审查、鼓励商业保险覆盖、完善研发物品进口制度。旨在全链条推动产业高质量发展，打造全国产业新高地。

九、江西省

2020 年 2 月，江西依据《江西省干细胞治疗新冠肺炎临床研究应急通道管理办法》开通应急通道，完成南昌大学一附院、二附院项目初审并报国家备案。

十、安徽省

2024 年 5 月，合肥发布《合肥市推进生物制造产业高质量发展行动方案(2024—2026)》，《行动方案》明确 3 个重点方向 10 项主要任务。重点加强应用基础研究，聚焦合成生物学基因编辑等环节建设研发平台，以“揭榜挂帅”形式攻关关键技术，支持共建企业研发平台。

十一、江苏省

2020 年 8 月，南京发布《南京市打造新医药与生命健康产业地标行动计划》，重点发展细胞存储、免疫细胞治疗、干细胞治疗等细胞与基因产业，构建从存储到临床应用的全产业链。

2021年8月，南京江北新区发布《南京江北新区“十四五”发展规划》，以基因技术和细胞治疗为主攻方向，促进“医药研教康养”融合发展，鼓励干细胞等生物医学技术研究应用。

2021年8月，江苏发布《江苏省“十四五”制造业高质量发展规划》，将生物医药集群列为重点，推进细胞免疫治疗等创新药物研发，支持建设国家生物药技术创新中心。

2021年9月2日，江苏省发布《江苏省“十四五”科技创新规划》，指出生物医药技术是新引擎，把握全球生物底层技术成熟与应用突破机遇，重点发展新一代基因编辑、新型测序等前沿技术，加快突破生物技术药等关键技术，培育壮大细胞治疗产品等生物技术药，攻克上下游技术瓶颈，推动高端细胞培养基等国产化替代，打造全球影响力的生物医药创新策源地。

十二、福建省

2021年8月13日，厦门市印发《厦门市“十四五”先进制造业发展专项规划》，明确基于现有基础和创新优势，重点发展生物药等，瞄准肿瘤等重大疾病，开展溶瘤病毒治疗、干细胞或免疫细胞治疗等个体化生物治疗技术和肿瘤精准医疗技术。

十三、黑龙江省

2020年2月24日，黑龙江省药监局发布《关于对疫情防控急需药品和医疗器械应急审评审批相关工作的通知》，推出“提前办”“当日办”等举措，指导哈医大一院完成人胚胎干细胞治疗重症新冠肺炎药物临床试验备案，为重症患者寻找治疗方案。

十四、吉林省

2023年12月5日，吉林省人民政府办公厅发布《关于打造吉林省生物医药与高端医疗器械产业新赛道的实施方案》，提出细胞治疗领域重点开展细胞制剂产品开发、制备技术研究及项目备案推进。

十五、河南省

2025年2月17日，郑州航空港经济综合实验区发布促进中原医学科学城细胞和基因治疗产业高质量集聚发展若干措施。该政策基于先行先试、平台赋能和全链发展三大原则，围绕四个方面共九项具体政策提供支持。政策内容包括：支持先行先试，通过建立细胞标准体系和探索“风险分级、准入分类”管理制度来

突破监管壁垒，并对制定行业标准给予最高 200 万元奖励；支持成果转化，为 1 类创新药提供最高 5100 万元的临床和上市奖励，并支持医疗机构开展临床研究；支持项目集聚，对固定资产投资 2000 万元以上的项目按投资额 10% 给予最高 2000 万元支持，对公共技术服务平台按投资额 30% 给予最高 6000 万元奖励；支持做优做强，对年销售收入突破不同梯度的产品给予最高 600 万元奖励，并鼓励开发科技保险。

十六、中国香港

中国香港卫生署 2021 年 8 月 1 日实施《2020 年药剂业及毒药（修订）条例》，将“细胞/基因治疗产品”列为“先进治疗产品”由药剂业及毒药管理局独家审批。设立 Health@InnoHK 创新平台聚焦于与医疗相关的各种科技。

十七、中国澳门

中国澳门地区目前依赖《在生物学及医学应用方面保障人权及人类尊严公约》（第 11/199/M 号法令）等现有法律约束，未针对干细胞制定细化标准。

十八、中国台湾

中国台湾地区 2014 年颁布《人类细胞治疗产品临床申请作业与审查基准》（2019 年修订），为细胞治疗管理奠定基础，《基准》与美日标准同步，缩短研发上市周期。2018 年修订《特定医疗技术检查检验医疗仪器施行或使用管理办法》，开放 6 项临床细胞治疗技术及适应证（国外常规治疗、安全性高且疗效明确的技术）。

2024 年 6 月，中国台湾地区通过《再生医疗法》，为台湾首部系统性再生医学法律，明确细胞治疗、基因治疗及组织工程监管要求：涵盖自体、同种异体及异种异体细胞（异种需严格审批）；除“恩慈治疗”外需完成人体试验；禁止胎儿细胞，羊水等组织不受限；仅医疗机构可执行，非医疗机构最高罚款 2000 万新台币。

第四章 干细胞转化应用前景展望

通过对全球干细胞监管政策演进脉络的梳理，我们清晰地看到，各国正致力于在安全底线、伦理红线与产业发展之间构建一种动态的、精细化的平衡机制。然而，政策的完善仅仅是干细胞技术真正造福于民的“上半场”。当监管的框架逐步明晰，产业的浪潮随之奔涌而来。如何将政策构建的“可能性”转化为市场认可的“可行性”，如何让实验室的突破真正满足临床巨大的需求，并经受住资本与市场的检验，成为我们必须直面并深入探讨的“下半场”核心议题。

换言之，监管挑战的破题为产业前景的展开设定了舞台与规则。接下来，我们将把视角从“政策制定者”转向“产业实践者”，深入剖析在既定规则下，技术迭代与临床需求将如何双轮驱动全球干细胞市场的格局演变，资本与政策又如何在其中扮演关键变量。我们将特别关注，中国如何凭借其独特的制度创新与市场纵深，在全球竞合的“下半场”中，将潜在的规模优势转化为实实在在的标准优势与产业优势，从而完成从“跟跑”到“并跑”乃至“领跑”的关键一跃。

第一节 干细胞产业发展与现行监管挑战

一、全球政策发展路径

全球政策近二十年呈螺旋式升级路径：

2000—2010 年，美欧日完成“伦理红线”立法（美国 NIH 人类胚胎干细胞指南、欧盟《奥维耶多公约》），核心为“防范先行”。

2010—2018 年，技术临床推动监管转向“产品监管”：美国《21 世纪治愈法案》、欧盟 ATMP 法规将细胞治疗纳入药品法体系，形成“上市前审批+上市后警戒”规则；日本出台《再生医学促进法》《再生医学安全法》奠定法律基础。

自 2018 年起至今，产业需求对监管创新形成反向驱动，构建起“加速通道+豁免通道”的双轨模式：美国的再生医学先进疗法（RMAT）、欧盟的优先药物计划（PRIME）/人道主义使用授权（HE）、日本的条件上市制度、韩国的研究阶段收费机制，均在确保安全的基础上，提供了“可承受的合规途径”。

中国同步经历三个阶段：2012 年“叫停乱象”阶段体现“防范先行”理念；2015-2023 年“双备案+IND”阶段反映产品监管的逐步完善；2024 年《海南自

由贸易港博鳌乐城国际医疗旅游先行区《生物医学新技术促进规定》的出台以及地方立法浪潮的涌现，标志着迈入双轨创新的第三阶段。

二、全球各国政策对比

中美欧日韩因其监管特征与技术优势，已成为全球干细胞转化研究领域的主导力量，政策对比数据参见表 4-1。

表 4-1 全球主要干细胞研发国家监管政策对比

政策	中国	美国	欧盟	日本	韩国
监管框架	“类”双轨制：药物 BLA+医疗技术双备案+特区先行先试	“类”双轨制：联邦药物 BLA+州级立法技术应用	双轨制：EMA 集中 BLA 审评+医院豁免（HE）	双轨制：药品 PMDA+医疗技术三级风险分级	单轨制+提前收费：CTPs 药物管理+临床研究阶段收费
核心法规	《干细胞临床研究管理办法》（2015） 《海南自由贸易港博鳌乐城国际医疗旅游先行区生物医学新技术促进规定》（2024） 《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例（草案）》（2025）	《21 世纪治愈法案》（2016） 《实验性干细胞治疗方案》（2017）	《关于先进治疗医药产品的第 1394/2007 号法规》（2007） 《第 2017/745 号医疗器械法规》（2017）	《再生医疗安全确保法》（2014） 《医药品医疗器械法》（2014）	《细胞治疗剂条件许可运营方针》（2016）、 《先进再生生物法》（2024 修订）
审批路径	①IND→I/II/III期→BLA（60 天默示许可） ②医院备案项目不得收费 ③生物医学新技术先行先试区备案收费	①IND→I/II/III期→BLA（12-18 月） ②州级 HE/Right-to-Try	①EMA 集中程序（210 缩短至 150 天 PRIME） ②成员国 HE（≤50 例/年）	①IND→IST→NDA 附条件上市（7 年验证期） ②医疗技术 I/II/III 级分级备案	①CTA→附条件批准（I/II 期数据） ②医院研究阶段收费
创新通道	突破性治疗药物、附条件批准、优先审评审批、特别审批	RMAT、BTD、优先审评	PRIME、Priority Medicines	SAKIGAKE（优先审评）	条件许可、研究阶段收费
支付体系	地方医保试点（成都按疗效付费）、商业保险补充	商业保险+Medicare 特殊通道	跨境基金+分期支付	医保覆盖限制性批准产品	医保覆盖不足（自付>60%）
上市产品	1 款间充质干细胞药物（2025）	8 款细胞治疗药，其中 1 款间充质干细胞药物	7 款干细胞药物	26 款再生医疗产品，其中 4 款干细胞药物	7 款干细胞药物
主要瓶颈	个案研究后的转化路径不清、区域资源不均	州级立法削弱联邦权威	HE 标准碎片化，不同医疗机构研究数据不统一	技术集中在几种自体细胞，面临中国和韩国的挑战	商业化过度、虚假宣传

第二节 干细胞产业市场前景分析

一、技术迭代与临床需求双轮驱动产业增长

全球在老龄化疾病（骨关节炎、神经退行性疾病）及罕见病（渐冻症、移植物抗宿主病）领域存在巨大需求。诱导多能干细胞（iPSC）、基因编辑（CRISPR-Cas9）、3D 生物打印与类器官模型等技术突破，推动产业从单一细胞治疗向“细胞+基因+材料”多学科融合升级。日本京都大学 iPSC 衍生视网膜细胞疗法已完成Ⅲ期临床，有望成全球首个获批 iPSC 产品；全球超 200 家药企将类器官模型纳入新药研发，降低临床试验失败率。

二、全球资本与政策密集布局构建差异化竞争格局

各国加大研发投入：美国 NIH 年度专项资金超 15 亿美元；中国“十四五”规划将干细胞专项共计立项约 30 亿元；日本设千亿日元基金加速转化。Precedence Research 数据显示，2024 年全球干细胞市场 167.3 亿美元，2034 年预计达 488.3 亿美元，年复合增长率 11.3%。北美 2023 年占比 43.60%（美国主导），亚太依托中韩间充质干细胞及抗衰老应用突破，2024—2034 年增速 18.76%，抗衰老消费级市场成型，再生医学器官修复增速突出。

三、中国以制度创新破解技术转化瓶颈成效显著

针对全球伦理争议、法规碎片化难题，中国通过政策创新破局：海南乐城“真实世界数据”替代Ⅲ期临床试验，缩短上市周期 1~2 年；成都开展“按疗效付费”医保试点；国家药品监督管理局药品审评中心加速指南将干细胞新药审批周期压缩至 28 个月。产业本土化能力提升：国产培养基替代率从 10%跃升至 40%。

当前全球 30%细胞治疗企业处于无临床管线的概念阶段，存在投资泡沫风险；中国 2024 年获批的 25 个干细胞 IND 中，间充质干细胞（MSC）占 70%（22/25），其中脐带 MSC 占 52%，同质化竞争突出。但依托“区域试点+新药加速”双轮驱动，中国干细胞治疗市场仍有望高速发展，需在技术爆发与资本退潮交汇点把握机遇、规避风险。

全球干细胞监管步入“深度竞合”阶段：技术迭代远超立法周期，需在伦理底线、产业诉求与患者可及间动态平衡。中国凭借制度弹性与市场纵深，已具备从“跟跑”转向“并跑”乃至“领跑”基础；关键在于将地方试点经验上升为国

家规则，规模优势转化为标准优势，占据全球再生医学“场景极+规则极”双重高地。



第五章 附录

我国干细胞产业政策一览表

序号	发文年月	发文部门	政策名称
1	1999年5月	中华人民共和国卫生部	《脐带血造血干细胞库管理办法（试行）》
2	2006年2月	国务院	《国家中长期科学和技术发展规划纲要（2006-2020）》
3	2006年7月	中华人民共和国卫生部	《非血源造血干细胞移植技术管理规范》
4	2006年7月	中华人民共和国卫生部	《非血源造血干细胞采集技术管理规范》
5	2009年11月	中华人民共和国卫生部	《脐带血造血干细胞治疗技术管理规范（试行）》
6	2010年10月	国务院	《国务院关于加强培育和发展战略性新兴产业的决定》
7	2011年12月	中华人民共和国卫生部	《关于开展干细胞临床研究和应用自查自纠工作的通知》
8	2012年5月	中华人民共和国科学技术部	《干细胞研究国家重大科学研究计划“十二五”专项规划》
9	2013年3月	卫生部办公厅 国家药品监督管理局 办公室	《干细胞临床试验研究管理办法（试行）》
10	2013年3月	卫生部办公厅 国家药品监督管理局 办公室	《干细胞临床试验研究基地管理办法（试行）》
11	2013年3月	卫生部办公厅 国家药品监督管理局 办公室	《干细胞制剂质量控制和临床前研究指导原则（试行）》（征求意见稿）
12	2015年2月	科技部基础研究司	《国家重点研发计划干细胞与转化医学重点专项实施方案（征求意见稿）》
13	2015年7月	国家卫生计生委 食品药品监管总局	《干细胞临床研究管理办法（试行）》
14	2015年7月	国家卫生计生委办公厅 食品药品监管总局办公厅	《干细胞制剂质量控制及临床前研究指导原则（试行）》
15	2016年1月	国家卫生计生委	延长脐带血造血干细胞库规划设置时间
16	2016年3月	国家卫生计生委办公厅 食品药品监管总局办公厅	成立国家干细胞临床研究管理工作领导小组
17	2016年3月	国家卫生计生委办公厅 食品药品监管总局办公厅	成立国家干细胞临床研究专家委员会
18	2016年5月	国家卫生计生委	首批干细胞临床研究机构备案公示
19	2016年7月	国务院	《“十三五”国家科技创新规划》
20	2016年10月	科技部	“干细胞及转化研究”试点专项 2017年度项目申报指南
21	2016年10月	中共中央 国务院	《“健康中国 2030”规划纲要》
22	2016年11月	国务院	《“十三五”国家战略性新兴产业发展规划》
23	2016年12月	国家食药监总局	《细胞制品研究与评价技术指导原则（征求意见稿）》
24	2016年12月	国家发展改革委	《“十三五”生物产业发展规划》
25	2017年1月	国家发展改革委	《战略性新兴产业重点产品和服务指导目录（2016版）》
26	2017年3月	国家卫生计生委办公厅 食品药品监管总局	关于加强干细胞临床研究备案与监管工作的通知

序号	发文年月	发文部门	政策名称
		局办公厅	
27	2017 年 4 月	科技部	《“十三五”生物技术创新专项规划》
28	2017 年 5 月	科技部 国家卫生计生委 国家体育总局 国家食品药品监管总局 国家中医药管理局 中央军委后勤保障部	《“十三五”卫生与健康科技创新专项规划》
29	2017 年 5 月	科技部 发展改革委 工业和信息化部 国家卫生计生委 国家体育总局 国家食品药品监管总局	《“十三五”健康产业科技创新专项规划》
30	2017 年 5 月	国家科技部 教育部 中国科学院 国家自然科学基金委员会	《“十三五”国家基础研究专项规划》
31	2017 年 9 月	科技部	“干细胞及转化研究”试点专项 2018 年度项目申报指南
32	2017 年 11 月	国家卫生计生委 食品药品监管总局	第二批干细胞临床研究备案机构的公告
33	2017 年 12 月	食品药品监管总局	《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则（试行）》
34	2018 年 1 月	国家知识产权局	《知识产权重点支持产业目录（2018 年本）》
35	2018 年 3 月	药品审评中心	细胞治疗产品申请临床试验药学研究和申报考虑要点
36	2018 年 5 月	中国生物技术发展中心	国家重点研发计划“干细胞及转化研究”重点专项 2018 年度项目公示
37	2018 年 10 月	国务院	《国务院关于同意设立中国（海南）自由贸易试验区的批复》
38	2018 年 11 月	国务院	《关于支持自由贸易试验区深化改革创新若干措施的通知》
39	2018 年 12 月	国家卫生健康委员会	《关于政协第十三届全国委员会第一次会议第 4443 号（医疗体育类 434 号）提案答复的函》
40	2019 年 1 月	国家卫生健康委员会	对十三届全国人大一次会议第 6238 号建议的答复
41	2019 年 1 月	中华人民共和国科学技术部	“干细胞及转化研究”重点专项 2019 年度项目申报指南公布
42	2019 年 2 月	国家卫健委	《生物医学新技术临床应用管理条例》
43	2019 年 3 月	国家卫生健康委办公厅	《体细胞治疗临床研究和转化应用管理办法（试行）（征求意见稿）》
44	2019 年 6 月	科技部、财政部	《国家科技资源共享服务平台优化调整名单的通知》
45	2019 年 8 月	国务院	《关于 6 个新设自由贸易试验区总体方案的通知》
46	2019 年 9 月	国家发展改革委、国家卫健委、国家中医药局、国家药监局	《关于支持建设博鳌乐城国际医疗旅游先行区的实施方案》
47	2019 年 9 月	国家科技部	“干细胞及转化研究”试点专项 2020 年度项目申报指南
48	2019 年 9 月	国家 21 部委	《促进健康产业高质量发展行动纲要（2019—2022 年）》
49	2019 年 10 月	科技部	“干细胞及转化研究”重点专项 2019 年度拟立项目
50	2019 年 10 月	国家药监局药品审评中心	《细胞治疗产品申报临床试验药学研究问题与解答（第一期）》
51	2019 年 10 月	国家发展改革委	《产业结构调整指导目录（2019 年本）》

序号	发文年月	发文部门	政策名称
52	2019 年 11 月	国家药品监督管理局食品药品审核查验中心	《GMP 附录-细胞治疗产品》（征求意见稿）
53	2019 年 11 月	国家卫健委	《关于印发自由贸易试验区“证照分离”改革卫生健康事项实施方案的通知》
54	2019 年 12 月	中共中央、国务院	长江三角洲区域一体化发展规划纲要
55	2020 年 3 月	国家科技部	关于发布国家重点研发计划“干细胞及转化研究”等重点专项 2020 年度项目申报指南的通知
56	2020 年 8 月	国家药品监督管理局药品审评中心	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
57	2020 年 9 月	国务院	关于印发北京、湖南、安徽自由贸易试验区总体方案及浙江自由贸易试验区扩展区域方案的通知
58	2020 年 12 月	国家卫生健康委科教司	关于医疗卫生机构开展研究者发起的临床研究管理办法（征求意见稿）公开征求意见的公告
59	2021 年 2 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《免疫细胞治疗产品临床试验技术指导原则（试行）》
60	2021 年 2 月	国家卫健委	对十三届全国人大三次会议第 4371 号建议的答复
61	2021 年 2 月	国家卫健委	对十三届全国人大三次会议第 7606 号建议的答复
62	2021 年 2 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《基因修饰细胞治疗产品非临床研究评价技术指导原则（试行）》
63	2021 年 5 月	国家科技部	2021 年“干细胞研究与器官修复”国家重点研发专项申报指南
64	2021 年 5 月	国务院办公厅	关于全面加强药品监管能力建设的实施意见
65	2022 年 1 月	国家药监局	《药品生产质量管理规范—细胞治疗产品附录（征求意见稿）》
66	2022 年 1 月	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、《“十四五”医药工业发展规划》 国家药品监督管理局、国家中医药管理局等九部门	
67	2022 年 2 月	国家科技部	对国家重点研发计划“干细胞研究与器官修复”等 5 个重点专项 2022 年度项目申报指南征求意见
68	2022 年 4 月	国家卫生健康委	关于印发国家限制类技术目录和临床应用管理规范（2022 年版）的通知
69	2022 年 4 月	科技部官网	国家重点研发计划“干细胞研究与器官修复”等重点专项 2022 年度项目申报指南
70	2022 年 5 月	国家发展改革委	《“十四五”生物经济发展规划》
71	2022 年 8 月	国家卫生健康委	《“十四五”卫生健康人才发展规划》
72	2022 年 10 月	国家药监局	《大力推动干细胞应用转化大力发展国家干细胞产业促进机制》作出回复
73	2022 年 10 月	国家药监局核查中心	《细胞治疗产品生产质量管理指南（试行）》
74	2022 年 12 月	商务部	《国家服务业扩大开放综合试点示范最佳实践案例》
75	2023 年 3 月	中共中央办公厅、国务院办公厅	《关于进一步完善医疗卫生服务体系的意见》
76	2023 年 4 月	国家药品监督管理局药品审评中心（国家药品监督管理局药品审评中心）	《人源干细胞产品药学研究与评价技术指导原则（试行）》

序号	发文年月	发文部门	政策名称
77	2023 年 5 月	国家卫生健康委科教司	《体细胞临床研究工作指引（公开征求意见稿）》
78	2023 年 5 月	科技部	《人类遗传资源管理条例实施细则》
79	2023 年 6 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《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）》
80	2023 年 6 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《自体 CAR-T 细胞治疗产品药学变更研究问题与解答（征求意见稿）》
81	2023 年 7 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《细胞和基因治疗产品临床相关沟通交流技术指导原则（征求意见稿）》
82	2023 年 8 月	国务院	《关于进一步优化外商投资环境 加大吸引外商投资力度的意见》
83	2023 年 8 月	国务院	《河套深港科技创新合作区深圳园区发展规划》
84	2023 年 9 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《间充质干细胞防治移植物抗宿主病临床试验技术指导原则（征求意见稿）》
85	2023 年 10 月	科技部、教育部、工业和信息化部、国家卫生健康委等十部门	《科技伦理审查办法（试行）》
86	2023 年 10 月	国务院	《中国（新疆）自由贸易试验区总体方案》
87	2023 年 11 月	国务院	《支持北京深化国家服务业扩大开放综合示范区建设工作方案》
88	2024 年 1 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《间充质干细胞防治移植物抗宿主病临床试验技术指导原则》
89	2024 年 1 月	国家发展改革委、商务部、市场监管总局	《关于支持广州南沙放宽市场准入与加强监管体制改革的意见》
90	2024 年 1 月	工业和信息化部、教育部、科技部、交通运输部、文化和旅游部、国务院国资委、中国科学院	《关于推动未来产业创新发展的实施意见》
91	2024 年 3 月	国务院、国家发展改革委、财政部、税务总局	《海南自由贸易港鼓励类产业目录（2024 年本）》
92	2024 年 3 月	国家发展改革委、商务部、市场监管总局	《关于支持广州南沙放宽市场准入与加强监管体制改革的意见》
93	2024 年 7 月	国家药品监督管理局食品药品审核查验中心（CFDI）	《细胞治疗产品生产现场检查指南（征求意见稿）》
94	2024 年 9 月	商务部、国家卫生健康委、国家药监局	《关于在医疗领域开展扩大开放试点工作的通知》
95	2024 年 11 月	商务部	《支持苏州工业园区深化开放创新综合试验的若干措施》
96	2024 年 11 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《细胞治疗产品临床药理学研究技术指导原则（试行）》
97	2025 年 2 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《生物制品注册受理审查指南（试行）》
98	2025 年 3 月	国家卫生健康委科教司	《中华人民共和国生物安全法》《中华人民共和国人类遗传资源管理条例》《人类遗传资源管理条例实施细则》
99	2025 年 6 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《先进治疗药品的范围、归类和释义（征求意见稿）》
100	2025 年 6 月	国家药监局综合司	《关于优化创新药临床试验审评审批有关事项的公告（征求意见稿）》
101	2025 年 6 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《中国新药注册临床试验进展年度报告（2024 年）》

序号	发文年月	发文部门	政策名称
102	2025 年 7 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《细胞治疗药品药学变更研究与评价技术指导原则（征求意见稿）》
103	2025 年 9 月	国家卫健委	《关于支持横琴粤澳深度合作区开展干细胞技术“先行先试”及转化应用的建议》
104	2025 年 9 月	国家药品监督管理局药品审评中心	《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）》



免责声明

- ❖ **版权声明：**本系列蓝皮书的所有内容（包括但不限于文字、图表、数据、观点及设计）的版权及相关知识产权均归上海干细胞临床转化研究院所有。未经研究院授权，任何单位或个人不得以任何形式复制、转载、摘编、修改、出版、传播或用于商业用途。违者将依法追究法律责任。
- ❖ **信息用途：**本蓝皮书仅供学术交流与参考之用，不构成任何形式的医疗建议、技术推广或投资决策依据。读者应根据自身需求咨询专业人士或机构。
- ❖ **内容准确性：**研究院已尽力确保蓝皮书内容的准确性与时效性，但干细胞领域研究进展迅速，部分信息可能存在滞后或疏漏。研究院不对因使用本内容而产生的直接或间接损失承担责任。
- ❖ **第三方引用：**蓝皮书中可能包含引自第三方机构或个人的观点、数据或图表，此类内容仅为学术讨论之目的，其版权归原作者所有。研究院不对第三方内容的准确性或合法性负责。
- ❖ **免责范围：**任何单位或个人依据本蓝皮书内容所采取的行动，均视为独立判断后的行为，上海干细胞临床转化研究院不承担由此产生的一切法律后果。
- ❖ **解释权：**本免责声明的最终解释权归上海干细胞临床转化研究院所有。

上海干细胞临床转化研究院

《干细胞监管政策蓝皮书》

《临床级干细胞资源库发展蓝皮书》

《干细胞标准化研究蓝皮书》

《人诱导多能干细胞（iPSC）标准化与产业化发展蓝皮书》

《干细胞外泌体产业发展蓝皮书》

《干细胞来源类器官技术发展蓝皮书》

《干细胞伦理规范蓝皮书》

《干细胞内分泌体技术与产业发展蓝皮书》

总主编	刘中民	汤红明			
编 委	白志慧	叶青松	乐文俊	史小媛	刘 芳
按姓氏笔画排序	李宗金	何 斌	赵庆辉	贾文文	康九红
秘 书	陈 莉	李佳潞			



上海干细胞临床转化研究院