

## 细胞与基因治疗 IIT 与商业化迈入新纪元 — 《生物学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》要点评析

作者：顾泱 | 郑杜之韵 | 张玉臻 | 于逢祺 | 张乃方 | 孙舒闻 | 赵小荷 | 盛凌钰<sup>1</sup>

近年来，基因编辑、CAR-T/NK、干细胞疗法、辅助生殖等前沿生物医学技术迅速发展，并展现出广阔的前景，吸引大量企业和主体投入相关领域。为此，随着 2015 年《干细胞临床研究管理办法（试行）》以及 2019 年《生物学新技术临床应用管理条例（征求意见稿）》（下称“《征求意见稿》”）的发布，一个“药品”和“技术”双轨规制的框架正在逐步形成。而在这六年间，尽管药品相关法规不断完善，生物医学“技术”领域的立法却相对滞后。人们开始期待生物医学新技术立法能为技术创新与发展提供更加明确的制度路径，同时进一步规范生物医学新技术的临床研究与转化应用，避免相关转化和应用无法可依的局面。最终，2025 年 10 月 10 日，国务院正式公布《生物学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》（下称“《条例》”），《条例》将于 2026 年 5 月 1 日正式施行。

本文将围绕《条例》的适用范围、针对的临床研究和临床转化应用两方面活动，分析其对相关主体的影响，供业界参考、讨论。

### 一、适用范围

《条例》规定，“生物学新技术”指以对健康状态作出判断或者预防治疗疾病、促进健康为目的，运用生物学原理，作用于人体细胞、分子水平，在我国境内尚未应用于临床的医学专业手段和措施。

第一，“运用生物学原理”、“作用于人体细胞、分子水平”和“我国境内尚未应用于临床”是三个核心特征和判断要素。与《征求意见稿》相比，《条例》新增的“在我国境内尚未应用于临床”的限定条件，体现了《条例》的创新导向。

第二，值得强调的是，《条例》规定为研制药品、医疗器械开展临床试验的，仍依照《药品管理法》、《医疗器械监督管理条例》等法律、行政法规规定执行。后续国家卫健委与国家药监局将根据科学技术的发展，制定、调整生物学新技术与药品、医疗器械的界定指导原则。我们理解这样规定的思路是既明确后者存在区分，也为与时俱进地调整相关边界保留空间。

第三，需要注意的是，生物学新技术同样受限于其他有效的医疗技术法规。例如，2018 年《医疗技术临床应用管理办法》中设立有禁止临床应用的医疗技术负面清单，截至目前如代孕技术、克隆治疗技术等

<sup>1</sup> 实习生许菁菁对本文的写作亦有贡献。

以及其他存在重大伦理问题的生物医学技术仍属于禁止应用于临床的技术。

## 二、核心制度解读

《条例》主要针对生物医学新技术的两个核心活动：**临床研究**，即进行生物医学新技术试验，以判断其安全性、有效性，明确其适用范围、操作流程、技术要点，和**临床转化应用**，即临床研究结束后转化应用于临床。

### （一）临床研究

**生物医学新技术临床研究制度采用备案制**。生物医学新技术临床研究有明确界定范围，包括“直接对人体进行操作的”、“对离体的细胞、组织、器官等进行操作，后植入或者输入人体的”、“对人的生殖细胞、合子、胚胎进行操作，后植入人体使其发育的”以及其他国家卫健委规定的方式。

就参与主体而言，《条例》明确了临床研究发起机构与临床研究机构的角色，其中发起生物医学新技术临床研究的机构应当是在我国境内依法成立的法人，**不再局限于医疗机构**。可以理解为《条例》将允许医疗机构发起生物医学新技术临床研究（即 IIT），也将允许由生物医药企业发起生物医学新技术临床研究（即 IST）。

就临床研究机构资质而言，《条例》规定临床研究机构必须为**三级甲等医疗机构**。值得提示的是，机构须具备“符合要求的**临床研究学术委员会和伦理委员会**”，其中的“要求”除《涉及人的生命科学和医学研究伦理审查办法》等生物医学研究伦理规定外，是否有更具体或详细的要求，也有待我们持续关注。

在备案程序方面，《条例》规定临床研究机构应在项目通过学术与伦理审查后 5 个工作日内完成备案。与《征求意见稿》原先设定的审批制相比，《条例》在行政程序上实现了明显简化，体现了从事前审批向备案管理的制度转变。目前，具体备案流程仍有待后续工作规则进一步明确。

同时，《条例》着重强化事后监管，明确国家卫健委有权对已完成备案的临床研究进行监督评估，如发现存在技术或伦理风险，可要求其暂停、调整或终止。此外，《条例》不再沿用《征求意见稿》中按风险等级实行地方、中央分级管理的机制，转由国家卫健委统一负责备案管理与评估监督，进一步突出以备案为基础、以事后监管为重点的管理思路。

此外，《条例》同时对临床研究前的非临床研究、备案变更、记录和材料保存时限、第三方技术机构的技术支持、研究定期报告、临床研究的暂停和终止情形进行了特别的规定。其中，**生物医学新技术临床研究过程中发生严重不良反应的，临床研究机构应当暂停临床研究**，体现了在促进创新的同时监管部门仍然对相关新技术的安全性和稳定性的审慎态度。

### （二）临床转化应用

生物医学新技术临床转化应用制度一直是业界关心的重点。对比临床研究，其允许医疗机构按规定向患者收取费用，这标志着技术迈向“有价值”临床应用的关键一步。

在《条例》的规定中，**生物医学新技术临床转化应用制度采用审批制**。《条例》明确规定了审批流程和时限、临床应用场景，同时也新增了再评估机制、优先审批机制等制度，体现了对临床研究证明安全、有效，且符合伦理原则的生物医学新技术实现转化应用的支持态度。

就审批流程中的涉及主体而言，**临床转化应用申请主体为临床研究发起机构**（有别于《征求意见

稿》中由医疗机构提出转化应用申请)。临床转化应用申请的受理和批准主体为国家卫健委,放弃了《征求意见稿》中两级审查的程序,实现一定的流程简化。《条例》中还明确申请资料将**转交专业机构评估**,其是否为类似于CDE的内部审评机构,亦或是第三方主体,有待进一步观察。而临床研究结束后,临床研究机构应当向国家卫健委报告研究结果和临床转化应用建议,也体现出其重要性。

就审批流程而言,国家卫健委应当自受理申请后**5个工作日内**将资料转交专业机构评估,并自收到评估意见之日起**15个工作日内**作出决定,但**未明确专业机构评估的时限**,可见其审批周期可能较长。此外,专业机构除技术评估外同步将进行伦理评估,也是不同于药械审评的一大亮点。

审批通过后,技术名称、应用该技术的医疗机构和卫生专业技术人员应当具备的条件以及临床应用操作规范将会公布。值得提示的是,**在临床研究中不得向受试者收取与生物医学新技术临床研究有关费用**,但是**医疗机构开展临床应用可以按照规定收取费用**。因此,这是否将形成在药械产品上市之外,实现相关技术临床落地和商业化的又一途径,值得期待。

《条例》同步建立了再评估机制。对于出现严重不良反应或不可控风险的、已批准的生物医学新技术,经评估不能保证安全、有效的,监管机关有权决定禁止临床应用该技术,以实现审批通过后的有效监督。

### 三、新规影响与实务启示

《条例》作为国务院令公布的行政法规,吸收整合了《干细胞临床研究管理办法(试行)》和《体细胞临床研究工作指引(试行)》等规定,从行政法规层面对生物医学新技术的临床研究与临床转化应用予以落实。对于着眼于如**CAR-T/NK、干细胞疗法等细胞与基因治疗领域(CGT)以及辅助生殖等前沿技术**并开展临床研究(如IIT)的企业、科研机构和医疗机构而言,《条例》也将为相关生物医学新技术的临床工作提供制度依据。

《条例》为生物医学新技术从临床研究到转化应用提供制度化的通道和稳定的预期。例如,《干细胞临床研究管理办法(试行)》规定按其完成的干细胞临床研究不得直接进入临床应用,因此实践中相关企业必须通过药品上市路径实现商业化;而《条例》的实施将明确进入临床应用的前置条件,也将《干细胞临床研究管理办法(试行)》的规定从禁止性的规定变为了实现落地应用的依据。

考虑到生物医学新技术更需要对于安全性、有效性和伦理的审慎评估,《条例》的实施既带来了新的发展机遇,也对相关主体提出了特别的合规要求。我们有若干提示要点供参考,包括但不限于:

对于生物医学新技术的潜在临床研究发起机构而言:

- 企业应持续关注相关立法动态,包括开展临床研究和申请应用转化的相关要求,用以新规实施后推进符合要求的临床前研究、临床工作和转化应用申请;
- 对于已开展的相关技术的临床研究(如干细胞和体细胞相关的IIT研究项目),考虑到《条例》与其他现行规定指引的适用关系有待进一步梳理,建议关注《条例》提出的最新要求,并根据实际情况在正式施行前予以准备;
- 对于已开展的药品和器械的以注册为目的的临床试验,仍适用《药品管理法》、《医疗器械监督管理条例》等与药械临床试验相关的规定执行;
- 如果拟与医疗机构开展相关技术的临床研究,应当选取符合要求的三级甲等医疗机构,并对符合

《条例》要求的备案工作进行准备；在与相关医疗机构签署临床研究协议时，需要注意《条例》中的特殊规定。

对于生物医学新技术的潜在临床研究机构而言：

- 评估自身是否符合相关要求，并持续关注针对临床研究机构的更多细则要求的出台（如有）；
- 关注《条例》不同于药物临床试验的特殊规定（例如记录和原始材料的保存期限等），并指导相关临床研究管理制度的更新与完善；
- 重视相关临床研究的学术审查与伦理审查，完善相关审查制度。

#### 四、结语

《条例》的正式发布，标志着我国生物医学前沿领域的监管体系迈入了新阶段。其在政策层面释放出鼓励创新、促进转化的明确信号，也为相关生物医学新技术在保障安全性、有效性和伦理原则的前提下实现稳定落地提供了制度支撑。我们预计在《条例》正式施行前，将会逐步出台更多配套的工作细则，例如生物医学新技术与药品、医疗器械的界定规则、临床转化应用申请的办事指南、相关技术审查的技术要求、伦理要求和评估工作规则等，有待业界进一步观察。

## 特别声明

汉坤律师事务所编写《汉坤法律评述》的目的仅为帮助客户及时了解中国或其他相关司法管辖区法律及实务的最新动态和发展，仅供参考，不应被视为任何意义上的法律意见或法律依据。

如您对本期《汉坤法律评述》内容有任何问题或建议，请与汉坤律师事务所以下人员联系：

### 顾泱

电话： +86 21 6080 0505

Email: [aaron.gu@hankunlaw.com](mailto:aaron.gu@hankunlaw.com)