

附件 1

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）

第一章 总 则

第一条 为满足临床需求，规范和促进体细胞治疗临床研究及转化应用，依照《中华人民共和国药品管理法》和《医疗机构管理条例》等法律法规，制定本办法。

第二条 体细胞治疗是指来源于人自体或异体的体细胞，经体外操作后回输（或植入）人体的治疗方法。这种体外操作包括细胞在体外的激活、诱导、扩增、传代和筛选，以及经药物或其他能改变细胞生物学功能的处理。

第三条 本办法适用于由医疗机构研发、制备并在本医疗机构内开展的体细胞治疗临床研究和转化应用。

按照本办法管理的体细胞治疗转化应用项目目录由国家卫生健康委制定并进行动态管理。

第四条 开展体细胞治疗临床研究和转化应用的医疗机构及其临床研究项目和转化应用项目均应当具备相应条件，在国家卫生健康委备案，并在备案项目范围内开展体细胞治疗临床研究和转化应用。

第五条 医疗机构是体细胞治疗临床研究和转化应用的责任主体，对体细胞制备的质量负责。

第六条 国家卫生健康委负责体细胞治疗临床研究和转化应用的管理工作，参照药品生产质量管理规范的核心技术标准组织制定和发布《体细胞治疗临床研究和转化应用技术规范》，组建体细胞治疗专家委员会，为体细胞治疗临床研究和转化应用规范管理提供技术支撑和伦理指导，建立和维护体细胞治疗临床研究和转化应用登记备案信息系统（以下简称备案信息系统）。

第七条 国家卫生健康委负责对体细胞治疗临床研究和转化应用备案医疗机构进行监督检查，省级卫生健康行政部门负责行政区域内备案医疗机构的日常监督管理，发现问题和存在风险时及时督促医疗机构采取有效处理措施，并报告国家卫生健康委。

第二章 医疗机构和项目备案管理

第八条 开展体细胞治疗临床研究和转化应用的医疗机构应当具备以下条件，并提交医疗机构备案材料（附件1）。

（一）三级甲等医疗机构，具备较强的医疗、教学和科研能力，具有与所开展体细胞治疗项目相应的诊疗科目并完成药物临床试验机构备案；

（二）承担过省级及以上科技部门或卫生健康行政部门立项的体细胞治疗领域研究项目；

（三）具有与开展体细胞治疗相适应的项目负责人、临床医师、实验室技术人员、质量控制人员及其他相关人员；

（四）具有符合《体细胞治疗临床研究和转化应用技术

规范》要求，满足体细胞制备所需要的实验室以及相应的设施设备；

（五）建立体细胞治疗质量管理及风险控制制度体系，具有与所开展体细胞治疗相适应的风险管理和承担能力；

（六）成立学术委员会和伦理委员会，建立本医疗机构体细胞治疗临床研究和转化应用项目立项前审查制度。

第九条 体细胞治疗临床研究项目应当具备以下条件，并由医疗机构提交临床研究项目备案材料（附件 2）。

（一）具备充分的科学依据，用于尚无有效干预措施的疾病，或用于严重威胁生命和影响生存质量的疾病，旨在提高现有治疗方法的疗效；

（二）适应证明确、临床研究设计合理，且有前期研究基础；

（三）通过本机构学术委员会的科学性审查和伦理委员会的伦理审查，并由医疗机构主要负责人审核立项；

（四）具有相应的项目研究经费支持。

第十条 体细胞治疗临床研究项目进入转化应用阶段应当具备以下条件，并由医疗机构提交转化应用项目备案材料（附件 3）。

（一）在临床研究取得体细胞治疗安全性、有效性等证据的基础上，总结形成针对某种疾病（适应证）的治疗方案和技术标准（包括细胞治疗的种类/途径、治疗剂量/次数和疗程等）；

（二）通过本机构学术委员会的转化应用评估审查和伦

理委员会的伦理审查；

（三）具有完善的体细胞治疗转化应用持续评估方案。

第十一条 医疗机构应当在备案信息系统登记并上传备案材料扫描件，同时将纸质件提交省级卫生健康行政部门。省级卫生健康行政部门自收到备案材料之日起 15 日内完成形式审核，提交国家卫生健康委。

第十二条 国家卫生健康委自收到备案材料之日起 2 个月内组织体细胞治疗专家委员会进行评估，向社会公示完成备案的医疗机构及临床研究或转化应用项目清单，接受社会监督。

经查不符合备案条件的，可整改后再次提交备案材料，整改期不少于 6 个月。

第十三条 医疗机构进行首次机构备案时，须同时提供医疗机构备案材料和临床研究项目备案材料。新增临床研究项目时，只需提交临床研究项目备案材料。

第十四条 参与多中心体细胞治疗临床研究项目的医疗机构，应当符合医疗机构备案条件，由牵头单位负责汇总提交医疗机构及临床研究项目备案材料。

第三章 项目过程管理与体细胞制备质量控制

第十五条 医疗机构应当严格按照《体细胞治疗临床研究和转化应用技术规范》开展体细胞治疗临床研究和转化应用。

第十六条 体细胞治疗临床研究项目经备案转入转化应

用后，不得擅自扩大适应证范围。如果需要扩大适应证范围，医疗机构应当重新备案开展临床研究。

第十七条 医疗机构应当建立完备的体细胞治疗质量管理体系，保证体细胞制备质量的标准化和临床研究及转化应用方案实施的规范化。

第十八条 开展体细胞治疗临床研究和转化应用须遵循伦理原则和国家有关法律法规，涉及伦理问题时提交医疗机构伦理委员会讨论。

临床研究阶段不得向受试者收取任何研究相关费用。

第十九条 医疗机构应当根据信息公开原则，在备案信息系统上逐例报送体细胞治疗项目开展情况数据信息，公开项目进展和不良反应的发生及处置等有关情况，并对登记内容的真实性负责。

第二十条 医疗机构应当建立健全档案管理制度，有效管理分析体细胞治疗临床研究和转化应用有关数据信息，原始资料应当至少保存 30 年。

第二十一条 医疗机构应当建立完善的培训机制，对开展体细胞治疗临床研究和转化应用的人员进行业务和伦理学知识培训。

第二十二条 医疗机构对进入转化应用的项目，应当继续积累数据，开展系统评估，按年度进行总结，每年 1 月 20 日前向省级卫生健康行政部门提交上一年度工作报告。

第二十三条 体细胞制备应当符合《体细胞治疗临床研究和转化应用技术规范》的基本原则和相关要求。

第二十四条 体细胞制备应当优先采用已经获得批准用于人体的或符合药典标准的原材料，最大限度地降低制备过程中的污染、交叉污染，确保持续稳定地制备符合预定用途和质量要求的体细胞。

每批次制备的体细胞必须留样备查。

第二十五条 医疗机构应当授权体细胞制备质量授权人全权负责体细胞制备工艺全过程的质量，负责对制备的体细胞进行签批放行。未经体细胞制备质量授权人签批的体细胞不得应用于临床。

第四章 监督管理

第二十六条 国家卫生健康委采取飞行检查等方式对备案医疗机构和项目进行抽查、专项检查或有因检查，并将检查结果公示。

第二十七条 省级卫生健康行政部门做好本辖区医疗机构开展体细胞治疗临床研究和转化应用的日常监督管理，每年向国家卫生健康委报送监督管理工作报告。

第二十八条 医疗机构中体细胞治疗临床研究和转化应用有以下情形之一的，省级卫生健康行政部门应当责令其暂停体细胞治疗临床研究或转化应用项目，整改期不少于6个月，并将有关情况报告国家卫生健康委。

- （一）医疗机构体细胞治疗质量管理体系不符合要求；
- （二）项目负责人和质量授权人不能有效履行其职责；
- （三）不及时报告发生的严重不良反应或不良事件、差

错或事故等；

（四）擅自更改临床研究或转化应用方案；

（五）不及时报送项目进展及结果；

（六）对随访中发现的问题未及时组织评估、鉴定，并给予相应的医学处理；

（七）体细胞制备不符合《体细胞治疗临床研究和转化应用技术规范》要求；

（八）其他违反本办法规定的行为。

第二十九条 医疗机构管理工作中发生下列行为之一的，国家卫生健康委将责令其停止体细胞治疗临床研究和转化应用，予以通报批评，并按照有关法律法规的规定进行处理。

（一）未完成备案擅自开展体细胞治疗临床研究和转化应用；

（二）整改不合格；

（三）违反临床研究规范和伦理原则；

（四）损害供者或受者权益；

（五）非法进行体细胞治疗的广告宣传等商业运作；

（六）其他严重违反本办法规定的行为。

第五章 附 则

第三十条 医疗机构拟将产品申请药品注册的，参照国家药品监督管理部门发布的《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则（试行）》进行自评，对符合药品注册有关技术要

求、药物非临床研究质量管理规范以及临床试验质量管理规范等相关规定的，可按药品管理的有关程序申请临床试验，已获得的研究数据可以提交用于药品评价。

第三十一条 有专门管理办法的体细胞治疗按照现行规定执行。

第三十二条 本办法由国家卫生健康委负责解释，自发布之日起实施。

附件：1. 体细胞治疗医疗机构备案材料

2. 体细胞治疗临床研究项目备案材料

3. 体细胞治疗转化应用项目备案材料

附件 1-1

体细胞治疗医疗机构备案材料

(一式两份)

一、体细胞治疗临床研究机构备案申请表及备案信息采集表。

二、医疗机构执业许可证书复印件。

三、药物临床试验机构备案证明复印件。

四、医疗机构体细胞临床研究组织管理体系（框架图）和各部门职责。

五、医疗机构体细胞临床研究管理主要责任人、质量受权人资质，以及相关人员接受培训情况。

六、医疗机构学术委员会和伦理委员会组成及其工作制度和标准操作规范。

七、体细胞制备标准操作规程和设施设备、人员条件。

八、体细胞临床研究质量管理及风险控制程序和相关文件（含质量管理手册、临床研究工作程序、标准操作规范和试验记录等）。

九、体细胞质量评价标准和检测设备设施情况。

十、防范体细胞临床研究风险的管理机制和处理不良反应、不良事件的措施。

十一、其他相关资料。

附件 1-2

体细胞治疗临床研究项目备案材料

(一式两份)

一、体细胞治疗临床研究项目备案申请表及备案信息采集表。

二、项目立项申报材料诚信承诺书。

三、项目伦理审查申请表及伦理审查批件。

四、临床研究经费情况。

五、研究人员的名单和简历，体细胞临床研究质量管理手册。

六、供者筛选标准和供者知情同意书样稿。

七、体细胞制备过程中主要原辅料标准。

八、体细胞制备的工艺，质量控制标准和制定依据，以及工艺稳定性数据等。

九、体细胞制备的完整记录和体细胞制备质量检验报告。

十、体细胞制备的标签、储存、运输和使用追溯方案。

十一、不合格和剩余的制备体细胞的处理措施。

十二、前期研究报告，包括体细胞治疗的临床前或临床安全性和有效性评价。

十三、临床研究方案，应当包括以下内容：

1. 研究题目；

2. 研究目的；

3. 立题依据；
 4. 预期效果；
 5. 研究设计（应当遵循随机、对照、前瞻的设计原则，包括受试者纳入、排除标准和分配入组方法，以及所需的病例数等）；
 6. 所制备体细胞的使用方式、剂量、时间及疗程，如需通过特殊手术导入治疗制剂，应当提供详细操作过程；
 7. 中止和终止临床研究的标准；
 8. 疗效评定标准；
 9. 不良事件的记录要求和严重不良事件的报告方法、处理措施；
 10. 病例报告表样稿；
 11. 研究结果的统计分析；
 12. 随访的计划及实施办法。
- 十四、临床研究风险预判和处理措施，包括风险评估报告、控制方案及实施细则等。
- 十五、临床研究进度计划。
- 十六、资料记录与保存措施。
- 十七、受试者知情同意书样稿。
- 十八、研究者手册。
- 十九、相关知识产权证明文件。
- 二十、其他相关材料。

附件 1-3

体细胞治疗转化应用项目备案材料

(一式两份)

- 一、体细胞治疗项目转化应用备案申请书。
- 二、伦理审查申请表及医疗机构伦理审查批件。
- 三、医疗机构学术委员会审查意见。
- 四、项目临床研究报告和质控报告。
- 五、体细胞治疗转化应用方案。
- 六、体细胞治疗转化应用评估方案。
- 七、知情同意书样稿。
- 八、临床研究风险预判和处理措施,包括风险评估报告、控制方案及实施细则等。
- 九、不良事件的记录要求和严重不良事件的报告方法、处理措施。
- 十、体细胞制备的标签、储存、运输和使用追溯方案。
- 十一、不合格和剩余体细胞制备的处理措施。
- 十二、其他相关材料。