

专刊 · 细胞与基因治疗转化研究



特约主编

程涛, 中国工程院院士, 北京协和医学院首批长聘教授, 中国医学科学院学术咨询委员会学部委员, 中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所)院长、血液与健康全国重点实验室主任, 任中国生理学会副理事长、中国医院协会血液学机构分会主任委员。长期致力于血液学和再生医学研究, 创立“干细胞效能”学说, 发现具有超级移植潜力的高效能HSC, 并揭示其失能的关键机制; 提出“血液生态”概念, 解码血液生态形成与重建, 制定抗氧化造血重建新策略并获得临床验证; 建立修复冻存脐血造血活性新方法, 开发新型造血细胞系列产品, 拓展更多临床应用场景。先后主持国家重大科研(973、重点研发计划、基金委重大项目等)和人才项目17项。共发表SCI论文316篇, 连续4年入选爱思唯尔“中国高被引学者”和2024年科睿唯安“全球高被引科学家”及“全球前2%顶尖科学家”。授权发明专利41项(含国际专利4项), 转化合同金额过亿元。以第一完成人获国家自然科学奖二等奖、全国创新争先奖、天津市自然科学特等奖和一等奖以及吴阶平-保罗·杨森医学药学奖(吴杨奖)等重大奖项。

前言

董芳^{1,2} 程涛^{1,2}

(¹中国医学科学院血液病医院(中国医学科学院血液学研究所), 血液与健康全国重点实验室, 国家血液系统疾病临床医学研究中心, 细胞生态海河实验室, 天津 300020; ²天津医学健康研究院, 天津 301600)

目前, 细胞与基因治疗(CGT)已从实验室概念跃升为临床现实并不断迭代更新, 例如CAR-T细胞让晚期的血液肿瘤患者实现长期无病生存, 基因编辑疗法一次性矫正 β -地中海贫血的遗传缺陷等。这些突破性进展不仅改写了难治/复发性疾病和罕见病的治疗范式, 也倒逼了监管科学、产业生态与伦理治理同步升级。与传统小分子、生物制剂不同, CGT产品源于活体, 兼具个体化制备、批次异质性高、疗效差异大等特征, 其研发、生产、质控、流通和随访链条更长也更加复杂, 亟需一部兼顾“促创新”与“保安全”的顶层法规。在CGT产业发展与临床转化的关键时刻, 2025年9月28日国务院正式发布《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》(以下简称《条例》)。该《条例》首次在国家层面确立了“医疗技术”与“药品/医疗器械”双轨并行、分类管理的治理框架, 对备案准入、过程监管、风险控制、法律责任做出了闭环设计, 为CGT从“创新”到“产业”铺就了法治轨道, 也向世界展示了中国以人民健康为中心、创新发展与强化安全的政策保障。

值此政策窗口期, 我们策划出版《细胞与基因治疗转化研究》专刊, 邀请国内细胞和基因治疗领域政策监管、基础前沿以及相关产业的资深专家和典型代表共同执笔, 设置“专家展望”“前沿进展”“经验分享”三大板块。其中专家展望: 解读《条例》要义, 剖析伦理底线与监管红利, 描绘中国CGT未来5-10年路线图; 前沿进展: 系统梳理干细胞、免疫细胞、基因编辑、细胞衍生物等赛道最新数据, 直击“卡脖子”科学与关键技术; 经验分享: 由国内首批通过备案或注册检验的企业/机构现身说法, 从工艺开发、质量管理体系、临床供应链到真实世界随访, 提供可复制、可推广的“中国方案”。

我们希望, 这期专刊不仅能成为科研、临床、产业与监管多方对话的“圆桌”, 更能成为广大从业者手中的“路线图”与“工具书”, 在合规前提下加速CGT产品落地, 促进该领域健康快步发展, 最终让更多患者用得上、用得起、用得好本土创新的细胞或可供临床应用的生物医学新技术。