



彭耀进, 中国科学院动物研究所, 北京干细胞与再生医学研究院双聘“致一”研究员, 科技伦理研究中心主任、商务法务平台主任; 中国科学院科技伦理委员会副主任、生命科学与医学伦理专业委员会主任, 中国科学院青年创新促进会会员。在*Nat Biotechnol*、*Nat Genet*、*Cell Stem Cell*等期刊发表论文40余篇; 主持或参与国家重点研发计划、中国科学院战略性先导科技专项、中国科协重大课题等国家级与部级项目十余项。兼任清华大学科技发展与治理研究中心学术委员会副秘书长、中国细胞生物学学会伦理工作委员会秘书长、国家干细胞资源库创新联盟专家委员会委员、国际标准化组织/生物技术委员会(ISO/TC276)委员等。

细胞与基因治疗的全球治理路径与中国制度跃迁

庞雪¹ 丁璐璐² 彭耀进^{1, 2, 3*}

(¹中国科学院动物研究所, 北京 100101; ²北京干细胞与再生医学研究院, 北京 100101;

³中国科学院大学, 北京 100049)

摘要 细胞与基因治疗(cell and gene therapy, CGT)作为生物医药领域的前沿技术, 正推动全球医疗创新和应用体系的深刻重构, 亦以高风险、高价值特征冲击既有规制。比较典型法域可见, 以风险分层与加速机制为枢纽, 配套条件性批准与国际认可等工具, 在统一监管与差异化例外之间实现动态均衡。中国虽已形成全流程治理雏形, 但仍面临法律位阶偏低、制度衔接不足、支付体系滞后以及伦理治理碎片化等问题。该文基于文献计量与制度比较, 主张以制度顶层设计与分层标准贯通研发、临床、注册、上市后全链条, 以嵌入式伦理、长期随访与真实世界证据夯实安全底线, 以差异化审评、前置沟通与监管沙盒提升转化效率, 并通过评审互认与标准对接嵌入全球治理网络, 推动由制度跟随走向制度塑造的战略跃迁。

关键词 细胞与基因治疗; 监管; 治理; 制度塑造

Global Governance of Cell and Gene Therapy and China's Institutional Transformation

PANG Xue¹, DING Lulu², PENG Yaojin^{1, 2, 3*}

(¹Institute of Zoology, Chinese Academy of Sciences, Beijing 100101, China; ²Beijing Institute for Stem Cell and Regenerative Medicine, Beijing 100101, China; ³University of Chinese Academy of Sciences, Beijing 100049, China)

Abstract CGT (cell and gene therapy), as a frontier technology in biomedicine, is reshaping global health-care systems while simultaneously challenging existing regulatory frameworks with its high-risk, high-value characteristics. A comparative view of representative jurisdictions shows that risk stratification and expedited pathways,

收稿日期: 2025-09-11 接受日期: 2025-12-10

中国科学院战略性先导科技专项(批准号: XDC0200000)和中国科学院青年创新促进会项目(批准号: 2021080)资助的课题

*通信作者。E-mail: Yaojin.peng@ioz.ac.cn

Received: September 11, 2025

Accepted: December 10, 2025

This work was supported by the Strategic Priority Research Program of the Chinese Academy of Sciences (Grant No.XDC0200000) and the Youth Innovation Promotion Association of the Chinese Academy of Sciences (Grant No.2021080)

*Corresponding author. E-mail: Yaojin.peng@ioz.ac.cn

complemented by instruments such as hospital exemptions, conditional approvals, and international recognition, have become pivotal in achieving a dynamic balance between unified regulation and differentiated exceptions. China has established a preliminary whole-process governance framework for CGT, yet continues to face structural constraints including insufficient legal hierarchy, fragmented regulatory pathways, lagging reimbursement mechanisms, and inconsistent ethical oversight. Drawing on bibliometric evidence and comparative regulatory analysis, this article argues for the adoption of dedicated legislation and tiered standards to connect the entire chain from research and development to clinical application, product registration, and post-marketing surveillance; the integration of embedded ethics, long-term follow-up, and real-world evidence to reinforce safety baselines; the use of differentiated review, early engagement, and regulatory sandboxes to accelerate translation; and active participation in international recognition and standard-setting to embed Chinese practices into global governance networks. Together, these measures can support China's strategic transition from a regulatory follower to a regulatory shaper in the global CGT landscape.

Keywords cell and gene therapy; regulation; governance; institutional shaping

1 问题的提出

细胞与基因治疗(cell and gene therapy, CGT)作为生命科学与医药产业的前沿技术,被广泛认为具有重塑疾病治疗范式的颠覆性潜能^[1]。其通过核酸修饰与细胞功能重构直接干预疾病机制,为恶性肿瘤、遗传性疾病、自身免疫病和神经系统疾病等带来新型治疗手段^[2]。然而,与技术的加速演进形成鲜明对照的是,现行法律规制与监管体系往往滞后于实践需要,由此构成科学前沿高速发展与规范体系相对滞后的结构性张力,使得如何以法治路径回应技术创新成为亟待破解的关键命题。

在全球层面,CGT已成为推动医学范式转型的制度考题。美国通过《21世纪治愈法案》确立“再生医学先进疗法”(Regenerative Medicine Advanced Therapy, RMAT)资格认定机制,以加速审评回应临床急迫^[3]。欧盟依托《先进治疗医学产品法规》建立先进治疗产品(advanced therapy medicinal products, ATMPs)框架,并辅以“医院豁免”,在集中监管与个体化需求之间寻求平衡^[4]。日本则借助《再生医学安全法》与《药品医疗器械法》确立双轨制,以条件性批准吸纳技术不确定性^[5]。

与此呼应,中国自“十三五”规划^[6]与《健康中国2030》^[7]以来,将CGT列为生物经济战略重点,逐步形成药物临床试验申请(investigational new drug, IND)与研究者发起的临床试验(investigator initiated trials, IIT)并行的临床研究双轨制,并通过药物监管路径实现上市管理。随着《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》)的

公布并将于2026年5月正式施行,这一格局有望进一步演化为“药物监管上市”与“新技术临床应用上市”双规并行、相互嵌合的制度结构,为CGT的临床转化提供更具弹性与层级分化的制度通道。然而,从现实运行情况来看,现行制度安排在一定程度上回应了产业快速发展的迫切需求,却仍难掩顶层立法缺位、制度路径衔接不畅以及伦理治理碎片化等结构性症结。问题从来不在于CGT是否需要规制,而在于能否构建科学、透明、可预期的制度体系,从而完成由制度跟随者向制度塑造者的跃迁。这不仅关乎患者对创新药的可及性与产业效率,更关乎国家在全球生命科技竞争中的制度竞争力与话语权。

基于此,本文拟在全球生命科技规制的视野下展开研究,以国际监管体系变迁与规制范式的转型作为问题意识的框架,回应技术加速度与制度再造并行的时代课题。具体而言,将围绕在风险治理与创新激励之间构建制度性均衡这一核心命题,审视中国CGT监管体系的现实逻辑与未来走向。首先,通过文献计量的实证分析揭示CGT的知识生产格局与技术演进逻辑,以确立观察的客观基点;继而,通过比较美国、欧盟、英国与日本的监管模式,辨析其路径差异与制度共性,厘清前沿规制的多元逻辑与内在张力;再进一步回到本土语境,梳理监管体系的历史演进、现实困境与制度障碍,揭示科学前沿与制度滞后之间的深层矛盾;最后,提出未来路径选择与制度建构方案,力求在创新驱动与风险治理之间寻求动态均衡。

2 全球研究格局与技术演进趋势

为全面把握CGT领域的全球研究发展态势,有必要从学术产出与研究主题的宏观层面进行系统观察。基于对2015年至2024年间国际主流学术文献的计量分析结果[基于Web of Science核心合集数据库进行文献计量分析。采用高级检索策略,设定检索式为“cell therapy”OR “genetic therapy”OR “gene therapy”(主题),限定时间范围为2015年1月1日至2024年12月31日,文献类型为期刊文章(article),共获得相关学术论文33 976篇。为分析全球研究格局,选取发文量排名前五的国家,使用Origin 2025Pro软件绘制其年度发文趋势折线图并进行比较分析。在研究主题层面,为识别各国高质量研究成果,按被引频次对文献进行降序排列,分别提取中国及其他国家前10%高被引论文,导入VOS viewer与Cite Space软件开展关键词共现与主题演化图谱分析,进一步揭示CGT领域的研究热点与前沿趋势]可以看到,十年来该领域的研究数量呈持续增长趋势,已逐渐成为生命科学与生物医药交叉研究的前沿热点。为揭示不同国家在该领域的地位与贡献,本文选取发文量居前的主要国家进行比较,并结合高被引论文的主题特征,梳理其研究方向与前沿演化脉络。

2.1 全球发文态势

2015年至2024年间,CGT领域的学术产出呈现出持续上升的总体趋势,并逐步形成以美国和中国为核心的双极格局(图1)。数据显示,美国在这一时期始终保持全球领先地位,发文量从2015年的约千余篇稳步增长至2024年的近1 500篇,显示出科研体系与制度供给的长期稳定性。

中国则在近十年内表现出快速增长态势,发文量从2015年的七百余篇提升至2024年的1 200余篇,增幅显著,已逐渐缩小与美国的差距。这一趋势表明,中国在政策引导、科研投入和产业布局的共同作用下,正加速进入全球CGT研究的第一梯队。相比之下,英国与德国虽保持稳定增长,但整体增幅有限,更体现出制度与科研体系的稳健延续,而非爆发式扩张。日本则在该领域维持相对稳定,其发文量变化不大,长期保持在200篇左右,反映出其在再生医学与细胞治疗上的传统积累,但缺乏持续突破的动能。

CGT研究的国际产出格局已逐渐显现。一方面,美国凭借制度优势与科研网络保持主导地位;另一方面,中国正在凭借快速增长趋势实现追赶;而欧洲主要国家和日本则更多表现为稳定推进。该格局不仅揭示了技术发展背后的国家竞争态势,也为制度研究提供了重要观察维度,即科研产出与监管政策之间的互动关系,正成为塑造未来产业竞争力的关键因素。

2.2 合作网络与热点研究分析

在整体发文趋势的基础上,若要进一步理解全球CGT研究格局的内在逻辑,仅从数量增长的线性比较已不足以揭示其学术生态与制度含义。科研产出的价值不仅体现在绝对数量的增加,更体现在其在全球知识网络中的位置与影响力,以及研究主题如何映射出技术演进与临床需求的动态变化。因而,有必要在文献计量的维度之外,借助高被引论文、合作网络与关键词聚类分析,揭示不同国家的制度嵌入性与学术驱动力。

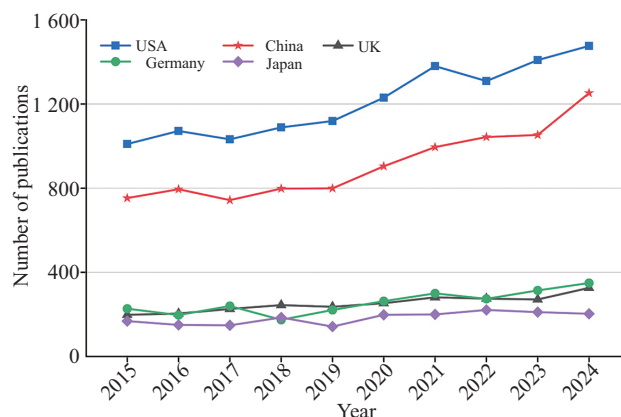


图1 代表性国家细胞与基因治疗研究发文趋势

Fig.1 Domestic publication trends for CGT research in representative countries

2.2.1 国家共现与学术网络格局 在高被引文献的比较中,可以清晰观察到不同国家在全球CGT研究中的地位、合作网络与科研影响力(图2)。美国以1 863篇高被引论文遥遥领先,显示出其长期的科研积累与制度供给,为学术传播与知识扩散提供了坚实基础。中国以841篇位居第二,反映出近年来快速增长的科研产出已逐渐获得国际认可,研究实力和学术影响力同步提升。英国、德国、法国、意大利、加拿大、荷兰、西班牙、日本等国虽论文数量相对有限,但仍为全球知识体系的丰富与完善提供了重要支撑。

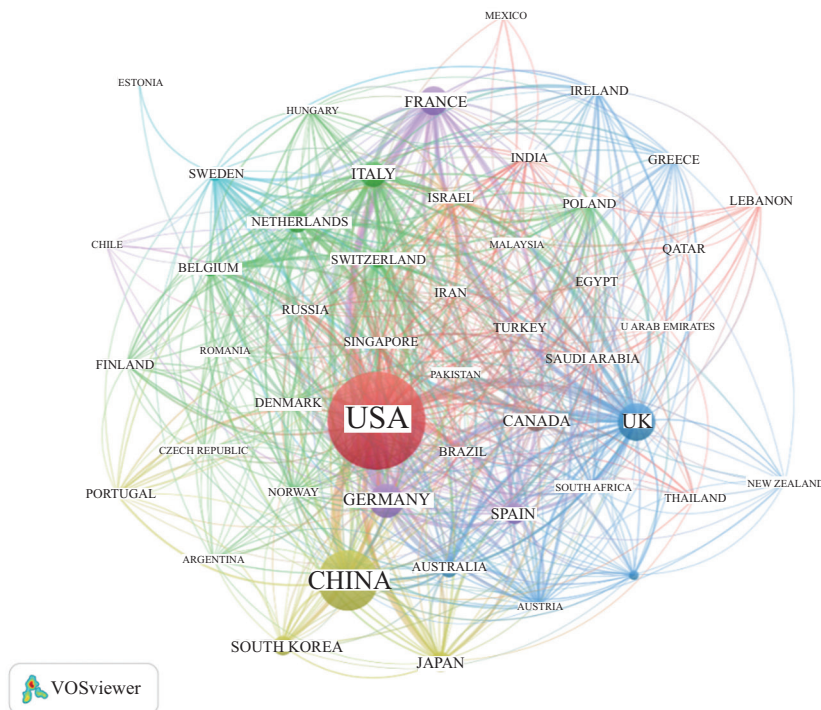
从被引频次来看,美国文献总被引超过28万次,凸显其成果在全球范围的高度参考价值和方法论引领作用。中国以逾10万次位列第二,表明其研究成果正逐渐从“数量扩张”走向“质量提升”,在全球学术共同体中的话语权不断增强。欧洲主要国家虽在总量上不及美中,但其高被引成果显示出较高的研究质量与专业贡献。从合作网络结构来看,美国以1633的总链接强度处于绝对核心位置,在学术网络中形成关键的节点与桥梁,显著推动了跨国科研合

作与知识流动。英国、德国、中国的链接强度分列其后(788、766、684),也在区域性和跨区域科研合作中发挥了重要作用。这表明,全球CGT研究正在形成以美国为核心节点、多国分布式参与的合作格局。

这一合作与影响力结构揭示出一个重要的制度启示。在CGT等前沿领域,科研产出的数量与质量固然重要,但更具决定性的,是能否在全球合作网络中占据核心位置,进而通过制度设计、学术资源与跨国协作来塑造技术发展的国际秩序。对于中国而言,如何在保持高产出的同时增强合作网络中的连接度和制度影响力,将直接决定其在未来全球治理中的话语权与战略地位。

2.2.2 研究主题与热点聚类 通过对2015年至2024年间细胞与基因治疗文献的关键词聚类分析,可以发现该领域的研究主题呈现出多维度并行演进的格局(图3)。总体而言,这些聚类结果可归纳为三大研究关切,并分别对应不同的制度与政策含义。

其一,核心治疗技术与基础研究的交织。基因治疗(gene therapy)、细胞治疗(cell therapy)与免疫



圆圈大小反映各代表性国家在高被引文献前10%中的发文量,线条数量表示合作强度,综合呈现各国在全球CGT研究格局中的地位与联系。

The size of each circle reflects the publication volume of representative countries within the top 10% of highly cited papers, while the number of connecting lines indicates the intensity of collaboration. Together, these elements illustrate each country's position and linkages within the global CGT research landscape.

图2 细胞与基因治疗研究Web of science国家分析

Fig.2 Country-level analysis of cell and gene therapy publications in Web of science

治疗(immunotherapy)、嵌合抗原(chimeric antigen)等关键词紧密关联,反映出嵌合抗原受体T细胞(chimeric antigen receptor T cells, CAR-T)等融合性技术已成为该领域的标志性方向。这类研究不仅推动肿瘤治疗的临床突破,也凸显出监管体系需要同时回应基因操作的风险控制与细胞治疗的质量标准,从而提出跨领域规范衔接的新挑战。

其二,特定细胞类型与疾病应用的拓展。间充质干细胞(mesenchymal stem cell)及间充质基质细胞(mesenchymal stromal cells)等研究主题,与心肌梗死、肝脏疾病、视网膜类器官等疾病和组织修复方向紧密相关。这表明,干细胞的多向分化潜能和免疫调节特性,使其在多疾病场景中展现出广泛临床价值。但与此同时,也要求制度体系在临床试验、疗效评估与长期随访上建立更为严密的规范,以避免因应用扩张而引发安全与伦理风险。

其三,特殊群体与新型材料的辅助应用。儿童(children)作为关键词聚类之一,体现出对弱势群体治疗的持续关注,这在伦理与监管层面尤具敏感性。与此同时,新型材料如氧化还原响应性聚合物(redox responsive polymer)也进入研究前沿,显示出其在递送系统与微环境调控中的潜在价值。这一趋势提示监管体系需要关注新型材料介入带来的不确定性,

并在特殊群体保护方面确立更严格的伦理审查与风险防控机制。由此可见,关键词聚类所揭示的主题不仅描绘出CGT研究的科学图景,更凸显出制度治理的多重挑战。

2.2.3 研究演进的时间线解析 对2015年至2024年间细胞与基因治疗研究关键词的时间线观察,可以清晰勾勒出该领域由基础探索到临床应用的演进轨迹,并揭示其背后所蕴含的制度关切(图4)。在早期阶段(2015—2017年),研究重点集中于CGT的基础性议题。高频出现的“gene therapy”“expression”“delivery”“vectors”等关键词,显示出学界对于核酸表达机制与递送技术的高度关注。同时,嵌合抗原受体(chimeric antigen receptor)的出现标志着免疫细胞改造路径的兴起。

进入中期阶段(2018—2020年),研究主题逐渐从单纯机制研究向临床关切拓展。关键词中出现了“management”“children”“cytokine release syndrome”等,表明学界开始关注治疗过程中可能出现的严重不良反应,以及儿童等特殊群体的伦理与安全问题。这意味着制度层面的要求也随之提升,不仅需要再在临床试验环节建立风险监测与干预机制,还必须对特殊群体的受试者保护制定更为严格的伦理审查标准。

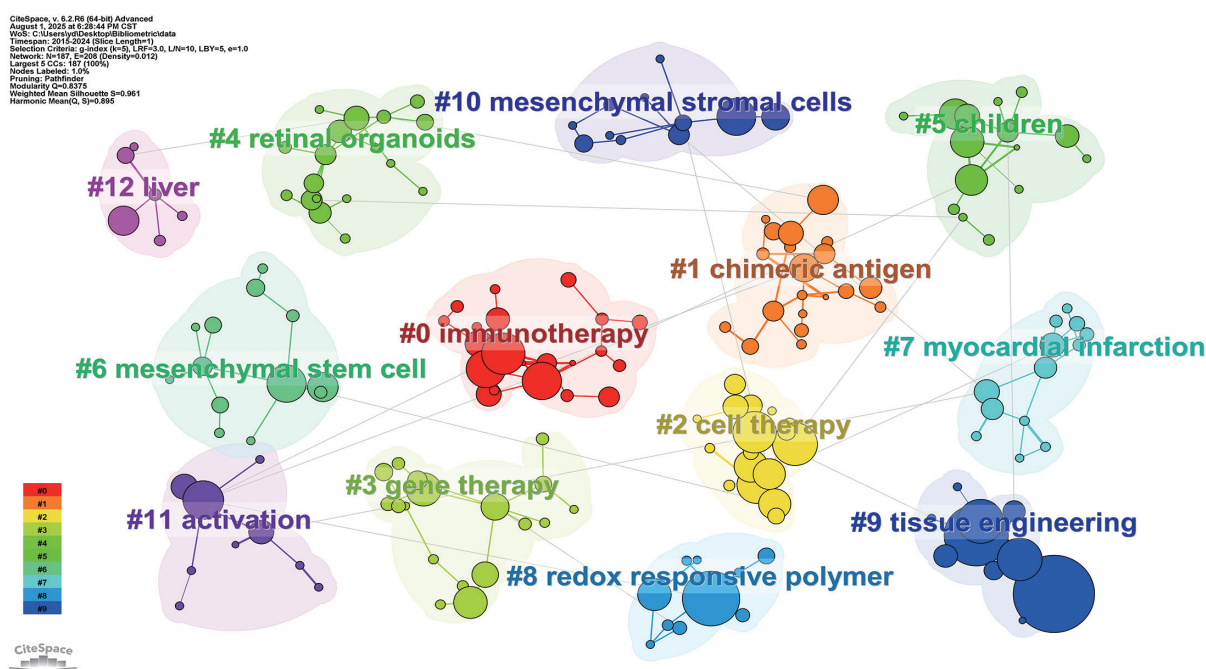


图3 细胞与基因治疗研究关键词聚类分析

Fig.3 Keyword clustering analysis of cell and gene therapy research

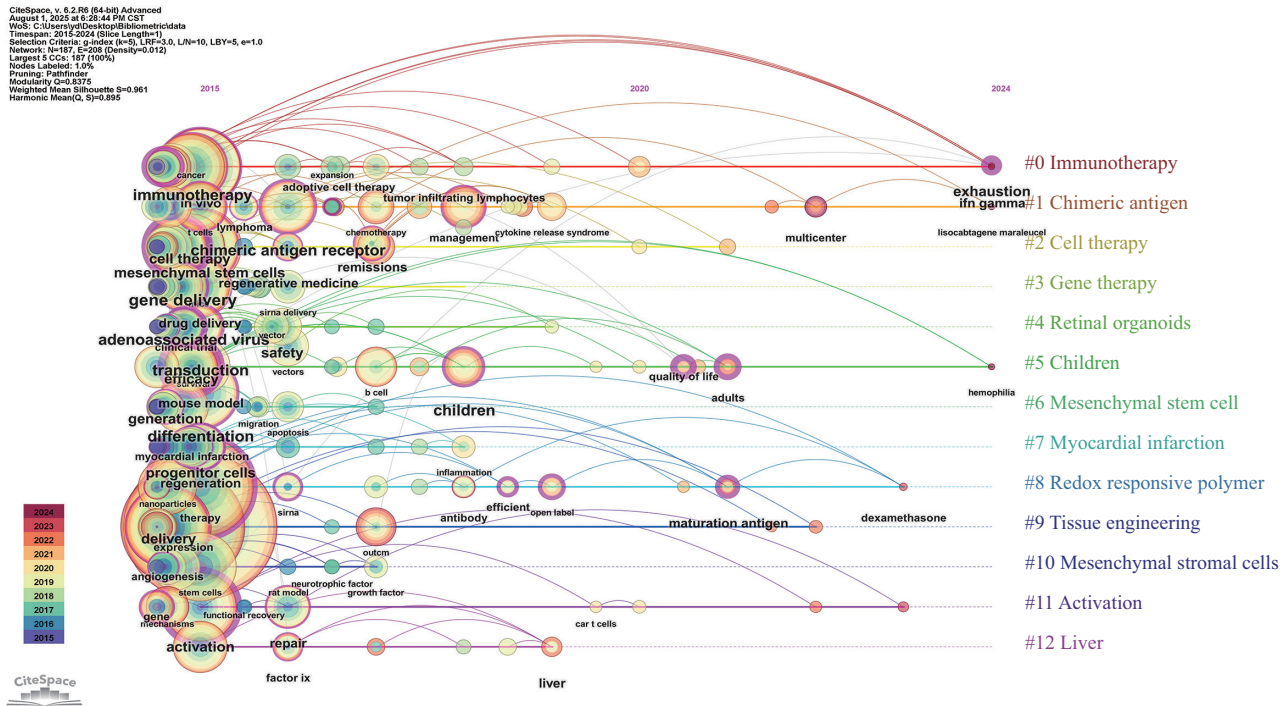


图4 细胞与基因治疗研究关键词时间线分析

Fig.4 Keyword timeline analysis of cell and gene therapy research

在后期阶段(2021—2024年),关键词的演化凸显出临床应用与多中心合作的重要性,如“adults”“multicenter”等。这一趋势反映出CGT研究已由个案性、探索性试验转向更具普遍性和可验证性的多中心临床路径。由此带来的制度挑战在于,如何通过统一的伦理标准和数据互认机制,保障多中心研究的效率与合规性;同时,如何在扩大临床试验规模的过程中,建立动态监管和长期随访的法律框架。

关键词时间线的变化不仅揭示了CGT研究的科学演进逻辑,更反映了其制度治理需求的阶段性转变。从早期的风险识别,到中期的不良反应管控与特殊群体保护,再到后期的多中心试验规范与临床体系完善。未来,随着CGT研究进一步迈向规模化应用,其治理体系亦必须实现由碎片化应对向全周期、系统化规制的转型。

3 国际监管体系比较

在全球治理的语境中,不同国家与地区在各自法律传统、医疗体系与产业战略的塑造下,逐步生成差异化的CGT监管模式。可以看到,各国制度设计一方面力求回应前沿疗法在临床层面的急迫需求,另一方面又不得不在风险防控与伦理约束之间

确立自身的底线秩序。正是在这种双重张力之中,制度选择呈现出独特的逻辑起点与演进方向。比较这些路径,不仅有助于洞察国际制度分化背后的治理理性,也为中国在制度重构过程中提供参照与差异化借鉴的可能。

3.1 主要国家监管体系现状

作为全球CGT研发、转化与监管制度创新的重要引领力量,美国、欧盟、英国及日本立足各自法律传统、医疗体系与产业战略,构建了各具特色的监管框架。

3.1.1 美国 在CGT的监管图景中,美国无疑占据制度创新的前沿位置。不同于传统药品以线性审评为核心的逻辑,美国逐步确立了一种以风险分层为轴心、加速机制为支点的治理模式。这种模式在技术高度不确定与临床迫切需求之间搭建起张力均衡的秩序,使制度既能承受创新的冲击,又不至于放弃安全的底线。

其一,在法律框架上,美国通过《公共卫生服务法》与《联邦食品、药品与化妆品法》奠定基础,并以《联邦法规》第21章第1271节为核心确立“361/351双路径”结构^[8]。低风险产品可经简化程序快速进入应用,高风险产品则被严格纳入生物制品审评。这种分层治理逻辑体现了美国将制度理性直接嵌入风

险等级的努力。其二,在组织架构上,美国食品药品监督管理局(Food and Drug Administration, FDA)于2022年将原“组织与先进疗法办公室”(Office of Tissues and Advanced Therapies, OTAT)升级为“治疗产品办公室”(Office of Therapeutic Products, OTP),以强化专业性与前瞻性。这一机构性调整不仅是行政优化,更是对CGT复杂性与产业化速度的回应。其三,在政策工具上,《21世纪治愈法案》下设立的“再生医学先进疗法”资格认定,成为美国最具代表性的加速机制^[3]。其通过条件性放宽换取临床急需,在优先审评、滚动提交和高频沟通中为企业提供更前所未有的制度红利,同时又以事中监管与后续验证抵消早期证据不足的风险。

更为关键的是,美国在二十余年的监管实践中不断积累技术指南,涵盖化学、制造与控制(Chemistry, Manufacturing and Controls, CMC)、非临床研究、临床设计、长期随访与风险监测,逐渐勾勒出全生命周期的治理雏形。尤其是在罕见病与儿童疾病等伦理敏感领域,美国通过孤儿药认定与动态风险评估展现出制度的柔性^[3,9]。总体而言,美国监管模式的制度逻辑在于,通过风险分层确立差异化治理秩序,通过加速机制维持效率与创新动力,两者结合形成一个科学评估与制度前瞻并存的多层次体系。这为全球CGT治理提供了重要参照,也表明了科学前沿与制度滞后之间,完全可以通过制度工具的灵活运用寻找到动态平衡。

3.1.2 欧盟 欧盟在CGT的监管建构中,选择了一条以集中化与例外化并置为特征的路径。其制度逻辑不在于单纯的技术规制,而在于在统一立法与多元差异之间维系动态张力。2007年颁布的《先进治疗医学产品法规》[Regulation (EC) No.1394/2007]首次将CGT纳入“先进治疗产品”的专门范畴,并通过修订既有药品法规,完成了从立法层面到制度框架的体系化整合^[4]。同时,围绕人体组织与血液的采集、捐赠与检测,欧盟辅以一系列专项指令,从源头将伦理与安全纳入法治逻辑之中,凸显出以法律技术塑造风险边界的制度自觉。

在实践层面,欧盟药品管理局(European Medicines Agency, EMA)通过先进治疗委员会(Committee for Advanced Therapies, CAT)、人用药品委员会(Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP)及药物警戒风险评估委员会(Pharmacovigi-

lance Risk Assessment Committee, PRAC)的分工协作,形成覆盖分类、科学评估、上市决定与后续风险监测的全链条治理^[4]。这一多委员会架构,表面上是审评程序的技术分化,实则体现了“科学性”与“合法性”的双重制度诉求。一方面集中监管资源以确保权威与一致性,另一方面以风险再评价回应不确定性,维持制度的动态可持续。

值得注意的是,2007年的《先进治疗医学产品法规》中特设的“医院豁免”机制,为成员国医疗机构在严格条件下为特定患者制备和使用未获集中许可的ATMP提供空间。这一例外制度既回应了个体化需求的紧迫性,也暴露出了国家间实施差异所引发的监管协调困境,成为了统一性与多样性张力的典型缩影^[10]。此外,欧盟并未固守既有架构,而是通过立法现代化不断调整监管边界。2023年提出的药品立法修订方案,正是试图在公共卫生危机与新兴疗法的双重挑战下重塑制度弹性^[11]。由此可见,欧盟的模式并非静态,而是通过集中化规则和例外化机制的双重结构,在安全性、效率与可及性之间寻求多重平衡。

3.1.3 英国 自21世纪第二个十年起,英国在CGT领域持续展现制度活力与临床突破。2015年,伦敦大奥蒙德街医院首次利用基因编辑细胞疗法救治“难治性”白血病患儿^[12]。2023年底,英国又率先批准基因编辑疗法Casgevy,用于12岁及以上镰状细胞病和输血依赖型 β 地中海贫血,标志着基因编辑治疗从实验室探索正式迈入常规临床^[13]。这些节点不仅是医学里程碑,更是监管制度与科学前沿互动的投射。

脱欧则成为英国监管体系的转折点。自2020年1月31日起,英国药品与保健品监管局(the Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency of the United Kingdom, MHRA)脱离EMA的集中授权,全面承担ATMP从临床试验到上市许可的全流程监管,既需确立独立的制度权威,也要在全球竞争格局中重塑合法性与效率^[11]。事实上,英国在脱欧过渡期仍维持与欧盟的制度接口,先后通过欧洲委员会决定依赖程序(European Commission Decision Reliance Procedure, ECD RP)和国际认可程序(International Recognition Procedure, IRP)采信FDA、EMA等机构的结论,在保持安全性的同时缩短审评周期,展现出制度自主化与国际化的双重性^[14]。

与此同时,英国并未止步于路径依赖,而是通

过多元机制回应临床急迫需求。早期准入计划(Early Access to Medicines Scheme, EAMS)与创新许可准入通道(Innovative Licensing and Access Pathway, ILAP)不仅允许滚动递交与前置沟通,更通过与国家卫生与临床优化研究所(National Institute for Health and Care Excellence, NICE)、英国国家医疗服务体系(National Health Service, NHSE)、苏格兰药品联盟(Scottish Medicines Consortium, SMC)等多方协作,将科学评估与支付决策嵌入同一框架^[15]。工党政府提出的“监管创新办公室”进一步释放出制度跨部门整合的信号^[16]。由此可见,英国的制度逻辑是在制度独立与全球衔接之间谋求平衡。其特征不在于,以制度接口维持国际信任,以灵活通道回应临床需求,并通过跨部门协调推动制度前瞻性。英国的经验表明,在后脱欧语境下,制度塑造不仅是法律与技术的安排,更是一种政治与战略选择。

3.1.4 日本 近年来,日本在CGT领域建立了一套独立于传统药品和医疗器械的监管路径,将相关产品统一定义为“再生医疗等制品(Regenerative Medical Products, RMP)”。2013至2014年,日本相继出台《再生医学安全法》(*Act on the Safety of Regenerative Medicine, ASRM*)、《再生医学推进法》与修订后的《药品医疗器械法》(*Act on Pharmaceuticals and Medical Devices, PMD Act*),首次将再生医疗产品自传统药械监管体系中独立出来,在法律层面确立了再生医学的独立身份^[11,17-18]。这主要是源于日本为了推进其人诱导多能干细胞(induced pluripotent stem cells, iPSCs)产业的发展。

在运行逻辑上,通过“双轨制”实现科研探索与产业转化的制度分野。日本厚生劳动省(Ministry of Health, Labour and Welfare, MHLW)依托《再生医学安全法》专责管理不以上市为目的的再生医学临床研究,并按照技术风险分为I~III级,形成差异化伦理与安全审查机制^[5,19]。日本药品和医疗器械管理局(Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, PMDA)则依据《药品医疗器械法》面向以产业化为目标的产品开发,确立注册试验与审批程序^[5]。

更为独特的是,在制度层面,日本在《药品医疗器械法》下设立了“条件性及时间限定批准制度”,允许在确认安全性与初步疗效后授予最长七年的有限上市许可,期间要求企业以真实世界数据支撑最终审批。这一机制在高风险与高需求的张力下提供了

“先应用、后验证”的路径,既满足患者的临床急迫性,又通过延后审查机制强化风险治理^[5]。然而,正是这种在制度边界上相对宽松的安排,使得医疗技术路径与药品注册程序并行运行,也因监管不确定性与患者保护不足而饱受批评,凸显出制度弹性与安全底线之间难以回避的内在张力^[20]。与此同时,日本引入了“先驱审查指定制度(Sakigake)”,要求企业必须优先或同步在日本申报,获批后可享受优先咨询、预审查、快速审评以及专属监管协调等政策支持,为具有重大潜力的疗法提供政策激励,形成与美国再生医学先进疗法资格认定、欧盟优先药物(Priority Medicines Scheme, PRIME)计划呼应的制度创新^[21]。此外,日本还在药品生产质量管理规范(*good manufacturing practice of medical products, GMP*)体系之外建立了再生医疗等制品生产与质量管理规范(*Good Gene, Cellular, and Tissue-Based Products Manufacturing Practice, GCTP*),允许企业在生产工艺尚未完全验证时先行上市,并在商业化过程中逐步积累工艺稳健性数据,这一设计特别契合自体细胞治疗产品“小批量、高异质”的特性。

由此,日本在再生医疗监管上展现出制度逻辑的多重面向。一方面,通过《再生医学安全法》与《药品医疗器械法》的双轨分野,确立研究与产业的法律边界;另一方面,通过条件性批准与先驱审查指定制度,将监管的灵活性嵌入制度结构之中。在监管策略上日本形成了“前快后严”的思路,前期以条件批准和GCTP降低研发与CMC门槛,以满足临床急迫性;后期则依托真实世界数据与上市后研究补足证据。然而,日本制度运行的代价亦不容忽视,其多数获批产品依赖小样本、无对照的临床研究,证据强度相对薄弱,由此引发监管审慎性与患者保护充分性之间的制度性争议^[22]。

3.2 差异、共性与制度启示

综观美国、欧盟、英国与日本在CGT监管上的制度实践,不难发现,不同法域在路径选择与制度工具上各具特色,而在治理逻辑与价值回应上又逐渐趋同。

其一,差异性主要体现在制度构造与政策工具的多元化。美国以内生于《公共卫生服务法》《联邦食品药品与化妆品法》的体系为基底,通过“再生医学先进疗法”资格认定与优先审评等机制,确立风险分层和加速通道并行的多层级结构。欧盟依托《先

进治疗医学产品法规》,辅之以集中授权与医院豁免,在统一监管与差异化例外之间形成双重逻辑。英国脱欧后则以强化其药品与保健品监管局独立裁量为依托,通过国际认可程序、创新许可与早期准入计划,开辟自主化兼国际化的并行路径。日本因国家战略推动诱导多能干细胞发展,借助《再生医疗安全法》与《药品医疗器械法》构建双轨制,并通过条件性批准与先驱审查指定制度,在灵活性与安全性之间寻求平衡。

其二,共性体现在对CGT“高风险-高价值”双重属性的回应逻辑。各国无不围绕如何在诸如CGT先进疗法的安全与创新之间求得均衡展开。美国着重长期随访与风险控制,欧盟强调药物警戒与全生命周期监管,英国与日本则通过多层级伦理审查与动态验证实现制度兜底。无论是美国的“再生医学先进疗法”资格、欧盟的PRIME优先药物计划、英国的早期准入与创新许可通道,抑或日本的条件性批准与先驱审查指定制度,均揭示出以患者急需与技术潜力为导向的差异化审评逻辑,体现出全球监管正转向动态评估与全链条治理的趋势。

总体观之,四大法域的制度实践表明,CGT监管的真正议题,不在于如何设定某一静态的规制模型,而在于如何在科学前沿与制度回应之间维持持续可调的动态平衡。从国际经验来看,CGT监管体系的演进普遍呈现出制度化、风险分层及动态平衡的三大逻辑,其内核在于以循证机制调节科学创新的高度不确定与社会需求与可接受性之间的张力。由此形成的灵活、审慎并行范式,已逐渐成为高风险创新领域的治理共识。以科学证据作为规制正当性的基底,以患者福祉与实际需求作为制度价值导向,并以制度适应性与程序透明性作为可持续运作的支撑结构。然而,制度设计从来不是抽象理念的简单移植,而是深植于各国法治传统、行政体制与产业战略的综合产物。因此,对中国而言,在比较借鉴中确立自主的制度逻辑,使制度设计既能契合科学性,又能承载国家在生命科技竞争中的制度战略与规范话语权。

4 中国监管体系的演进与现实困境

与美国、欧盟、英国和日本等主要法域相比,中国在CGT领域的制度建构虽起步稍晚,但在全球治理格局中已逐步展现出独特的路径选择。国家

层面将CGT纳入科技创新与生物经济发展的战略重点,推动监管科学与产业政策的深度融合。与国际经验类似,中国监管体系同样经历了从探索到规范、从局部到全链条的演进过程,但在制度位阶、路径衔接与伦理治理等方面仍存在独特的现实困境。要理解当前制度挑战与未来改进方向,必须回溯监管体系的历史演进,梳理其从最初的个案管理到制度确立的逻辑。

4.1 监管体系的历史演进与“双轨制”框架

我国CGT的监管体系经历了一个从零散探索到逐步规范,再到初步体系化和国际化的演进过程。20世纪90年代初,国内已经出现CGT的临床试验个案,但彼时监管制度尚不成熟,审批与质量控制缺乏明确依据^[23]。1993年,原卫生部药政管理局发布《人的体细胞治疗及基因治疗临床研究质控要点》^[24],首次将此类研究纳入《药品管理法》框架之下,标志着我国CGT初步进入法制化管理阶段。1999年,国家药监局又通过《新生物制品审批办法》^[25]和《药物临床试验管理规范》^[26],正式将基因治疗纳入药品监管范畴,奠定制度发展的起点。

进入21世纪后,监管逐步走向系统化。2003年,国家药品监督管理局药品审评中心发布细胞治疗和基因治疗质量控制技术指导原则^[27-28],首次提出较为完整的质量标准。同年,科技部与原卫生部联合颁布《人胚胎干细胞研究伦理指导原则》,补充了干细胞研究及应用的伦理维度规制。此后,2009年的《医疗技术临床应用管理办法》^[29]出台,将干细胞治疗、免疫细胞治疗、基因治疗等列为“第三类医疗技术”,强调临床应用须经审批与安全伦理评估。这一时期的制度特征,是通过技术规范和伦理审查的双重路径,为CGT提供了初步基本制度框架,但药品监管与医疗技术管理的边界愈发模糊。

2011至2013年间,随着我国干细胞治疗乱象频发^[30],国家卫生和计划生育委员会启动专项整顿,暂停未经批准的临床研究。2015年《干细胞临床研究管理办法(试行)》正式实施^[31],明确干细胞治疗不再按照“第三类医疗技术”管理,而是转入备案制。这标志着我国干细胞临床研究路径逐渐走向制度化、透明化。2017年成为转折点,国家药监局发布《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则(试行)》^[32],要求细胞治疗药物研发与生产严格遵循《药品生产质量管理规范》。由此,我国在细胞治疗尤其是干细胞临

床研究管理方面正式形成“双轨制”监管模式。一方面,以产业化为导向的产品须通过国家药监局递交IND申请,进入药品注册通道,实现标准化、可验证的审评体系,保证安全性、有效性与质量控制的确 定性,如2017年12月国家药监局受理国内首个CAR-T疗法的IND申请^[33]。另一方面,以探索性临床研究为目标的项目则通过研究者发起的IIT路径进行备案,由国家卫生健康委员会及地方卫生部门负责监督管理,保留科研探索的弹性,支持早期概念验证、剂量探索和作用机制研究。如有多款CGT产品通过IIT积累了关键临床数据^[34],不仅在早期评估了产品的安全性与有效性,也可为后续产品优化与研发策略调整提供了重要依据。这种临床研究“双轨制”的确立,使科研探索与药品开发各自进入制度化轨道,在一定程度上既强化了安全性与规范性,也为技术创新保留了一定程度的灵活性。

作为中国CGT监管体系中的关键制度装置,双轨制在早期临床探索与技术转化阶段承担了承前启后的枢纽功能。通过构建以IIT与IND并行运作为特征的制度安排,该框架一方面赋予了科研机构与临床团队更大的临床研究设计与路径选择空间,弱化了对传统的IND单一路径的过度依赖;另一方面显著压缩了诸如CGT等创新药从机制研究、概念验证到进入临床探索的时间窗口,形成了有别于传统药物研发注册路径的加速通道。在此意义上,双轨制的制度逻辑并不仅仅体现在程序上的高效灵活,更体现在其为高等学校、科研院所、企业等在早期阶段积累临床证据、校准产品开发策略与风险结构提供了制度化试验场,成为中国在全球CGT制度竞逐中培育后发优势、弯道超车可能性的关键支点。2025年6月,美国FDA在CGT专题圆桌会议上将中国双轨制作为重点案例,多位专家指出该模式在提升研发活跃度、缩短转化周期方面成效显著,并警示若美国继续固守单一路径监管,其先发优势可能被削弱^[35]。在干细胞临床研究的“双轨制”确立之后,其他细胞类型以及基因治疗的临床研究管理制度进一步将其作为参考,同时走向全链条的治理路径。2019年,国家卫生健康委员会发布《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^[36],推动临床研究规范化。2020年,国家市场监督管理总局发布《药品注册管理办法》^[37]及其配套文件,则明确了CGT产品注册路径与资料要求,提升了产业化可预

期性。2021年至今,国家药品监督管理局又陆续出台涉及基因修饰细胞、体内基因治疗、长期随访、风险管理及质量生产等多个领域的指导原则,初步构建了覆盖研发、临床、审批、生产与上市后监管的全生命周期治理体系(表1)。

进入2025年,我国监管体系进一步对接国际。国家药品监督管理局药品审评中心(Center for Drug Evaluation, CDE)在7月发布《先进治疗药品的范围、归类和释义(征求意见稿)》,首次系统界定“先进治疗药品”的范畴,涵盖细胞治疗、基因治疗及组织工程产品,并细化为非基因修饰细胞、基因编辑细胞、溶瘤病毒等亚类^[38]。这一分类标准借鉴美国FDA和欧盟EMA的经验,推动我国监管体系在科学性、透明性和可预期性上与国际接轨。同年6月,国家药监局又发布《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)》^[39],提出缩短审评时限、重点支持全球同步研发项目,进一步提升审评效率与制度响应力。

更为重要的是,2025年10月,《条例》正式出台并将于2026年5月实施,这标志着我国包括CGT在内的生物医学新技术临床研究和转化迈入新一轮制度化、规范化的发展阶段。《条例》在总结过去十年干细胞临床研究备案管理经验基础上,重构生物医学新技术临床研究与应用监管框架,有望进一步演化为“药物监管上市”与“新技术临床应用上市”双规并行、相互嵌合的制度结构,为CGT的临床研究和转化提供更具弹性与层级分化的制度通道。

纵观这一历史脉络,我国CGT监管体系从较为波动向逐渐稳定的路径演进(图5)。在这一过程中,制度逻辑始终围绕安全与创新的张力展开。一方面不断强化风险防控,另一方面通过临床研究的双轨制为创新疗法创造制度空间。

4.2 中央与地方的协同探索与制度试验

在国家战略的整体引导下,中国的CGT监管不仅依赖中央层面的法律法规与技术指南逐步建构起顶层制度框架,同时也通过地方“先行先试”的制度创新,实现了中央与地方的互动协同。这种自上而下与自下而上的结合,逐渐形成了兼顾产业促进、风险控制与权利保障的多层次治理格局。

在地方层面,深圳率先走出制度创新的一步。2023年3月,《深圳经济特区细胞和基因产业促进条例》^[40]正式施行,成为我国首部专门针对细胞与基因

表1 中国细胞与基因治疗领域主要技术指导原则与规范

Table 1 Principal technical guidelines and standards for cell and gene therapy in China

类别 Category	名称 Title	发布时间 Issuance date
Pharmaceutical evaluation	<i>Considerations for the Pharmaceutical Research and Application Dossier of Cell Therapy Products for Clinical Trial Applications</i>	March 2018
	<i>Technical Guideline for Pharmaceutical Research and Evaluation of Immune Cell Therapy Products (Trial Implementation)</i>	May 2022
	<i>Technical Guideline for Pharmaceutical Research and Evaluation of Ex Vivo Gene Modification Systems (Trial Implementation)</i>	May 2022
	<i>Technical Guideline for Pharmaceutical Research and Evaluation of In Vivo Gene Therapy Products (Trial Implementation)</i>	May 2022
	<i>Technical Guideline for Pharmaceutical Research and Evaluation of Human Stem Cell Products (Trial Implementation)</i>	April 2023
Non-clinical research	<i>Technical Guideline for Non-clinical Research of Genetically Modified Cell Therapy Products (Trial Implementation)</i>	November 2021
	<i>Technical Guideline for Non-clinical Research and Evaluation of Gene Therapy Products (Trial Implementation)</i>	December 2021
	<i>Technical Guideline for Non-clinical Research of Human Stem Cell Products</i>	January 2024
	<i>Technical Guideline for Non-clinical Research of Adeno-associated Virus Vector-based Gene Therapy Products</i>	December 2024
Clinical trials	<i>Guiding Principles for Quality Control and Preclinical Research of Stem Cell Preparations (Trial Implementation)</i>	July 2015
	<i>Technical Guideline for Clinical Trials of Immune Cell Therapy Products (Trial Implementation)</i>	February 2021
	<i>Technical Guideline for Long-term Follow-up Clinical Studies of Gene Therapy Products (Trial Implementation)</i>	December 2021
	<i>Technical Guideline for Clinical Risk Management Plans for Marketing Authorization Applications of Chimeric Antigen Receptor T Cell (CAR-T) Therapy Products</i>	January 2022
	<i>Technical Guideline for Clinical Trials of Tumor Active Immunotherapy Products (Trial Implementation)</i>	April 2023
	<i>Technical Guideline for Clinical Trials of Human Stem Cell and Derived Cell Therapy Products (Trial Implementation)</i>	June 2023
	<i>Technical Guideline for Clinical Communication and Exchange Related to Cell and Gene Therapy Products</i>	December 2023
	<i>Technical Guideline for Clinical Trials of Mesenchymal Stem Cells in the Prevention and Treatment of Graft-versus-Host Disease (Draft for Comments)</i>	September 2023
	<i>Q&A on Pharmaceutical Change Research for Autologous CAR-T Cell Therapy Products</i>	November 2023
	<i>Technical Guideline for Clinical Trials of Chimeric Antigen Receptor T Cells in the Treatment of Hematologic and Lymphatic System Malignancies (Draft for Comments)</i>	August 2024
	<i>Technical Guideline for Clinical Pharmacology Research of Cell Therapy Products (Trial Implementation)</i>	November 2024
	<i>Technical Guideline for Clinical Trials of Chimeric Antigen Receptor T Cells in the Treatment of Hematologic and Lymphatic System Malignancies (Trial Implementation)</i>	December 2024
Production	<i>Technical Guideline for Clinical Trials of Gene Therapy Products for Thalassemia (Trial Implementation)</i>	February 2025
	<i>General Requirements for Microbial Examination of Cell-Based Products</i>	October 2021
	<i>Guiding Principle for Bioassays Based on Genetically Modified Cell Lines</i>	December 2021
	<i>Guidelines for Quality Management in the Manufacture of Cell Therapy Products (Trial Implementation)</i>	October 2022
Quality research and control	<i>Guidelines for Manufacturing Inspection of Cell Therapy Products</i>	January 2025
	<i>Technical Guideline for Research and Evaluation of Cell Therapy Products (Trial Implementation)</i>	December 2017
	<i>Considerations for Quality Control Testing Research and Non-clinical Research of CAR-T Cell Therapy Products</i>	June 2018
Management of clinical studies	<i>Technical Guideline for Evaluation of Immune-Related Adverse Events in Antitumor Therapy</i>	May 2022
	<i>Administrative Measures for Clinical Research on Stem Cells (Trial Implementation)</i>	July 2015
	<i>Administrative Regulations on Clinical Application of Novel Biomedical Technologies (Draft for Comments)</i>	February 2019
	<i>Administrative Measures for Clinical Research and Translational Application of Somatic Cell Therapy (Trial Implementation) (Draft for Comments)</i>	March 2019
	<i>Administrative Measures for Clinical Research Initiated by Investigators in Healthcare Institutions (Trial Implementation)</i>	September 2021
	<i>Guidance for Clinical Research Work on Somatic Cells (Draft for Comments)</i>	May 2023
	<i>Guidance for Clinical Research Work on Somatic Cells (Trial Implementation)</i>	August 2023
	<i>Regulations on the Clinical Research and Clinical Translation Application of New Biomedical Technologies</i>	October 2025

产业的地方性法规。这部条例覆盖细胞采集与储存、产品研发、拓展性临床试验、基因技术应用、上市许可与生产等多个环节,既明确了监管的法律责任,也配套设置了产业支持与保障措施。通过这种全链条的制度设计,深圳在立法层面实现从研发到临床再到产业应用的整体规制,为地方推动战略性新兴产业提供系统化的法律工具,也为国家在尚处探索阶段的制度空白提供“试验田”式的经验。

与此同时,广东省亦在横琴粤澳深度合作区推动前沿制度试验。2023年3月,《横琴粤澳深度合作区发展促进条例》出台,明确支持干细胞与体细胞等前沿医疗技术研发,允许符合条件的医疗机构经备案后开展相关临床研究,并鼓励与内地及港澳机构开展合作交流,以提升临床研究能力^[41]。同年12月,商务部与国家发展改革委联合发布《关于支持横琴粤澳深度合作区放宽市场准入特别措施的意见》^[42],提出在医药健康领域探索新的市场准入机制,推动制定干细胞制剂质量复核与实验室资质认定标准,并支持建设具备细胞治疗产品检定能力的第三方机构。同时,该政策鼓励在合作区注册并实质经营的企业开展国际合作临床试验。由此可见,横琴的探索不仅体现出地方制度创新与国家战略的深度衔接,也可能为我国CGT产业在特定区域内的临床转

化与国际合作提供具有制度保障的实践范式。

2025年3月,上海则施行《上海市药品和医疗器械管理条例》^[43],这是全国首部全面覆盖药品和医疗器械研发、生产、经营与使用的地方性法规,其中专门对CGT提出了精准支持举措。例如,该条例鼓励符合条件的机构开展临床试验合作,推动真实世界数据在监管与临床评价中的应用,支持保险机制介入以降低试验风险,并指引全过程质量管理与数字化追溯体系的建设。以上海瑞金医院牵头的多中心CAR-T真实世界研究为例,全国17个中心纳入101例患者,中期数据显示12个月总生存率84.3%、缓解率83.2%,安全性良好,为我国CAR-T真实世界证据积累及上市后监测、疗效评估制度设计提供了重要实践依据^[44]。这些制度安排不仅强化了监管的科学化与透明化,也反映出上海作为全国医药创新高地,在政策层面力求探索与国际监管趋势对接的主动姿态。

与此同时,海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区在干细胞治疗监管制度探索方面迈开了新的一步。2025年第二届乐城干细胞大会,以首次成体系发布干细胞项目定价备案、准入条件与转化路径等规范性文件为标志,使这一特殊区域在干细胞治疗领域由政策倡导阶段正式迈入制度化试点与路径验证阶

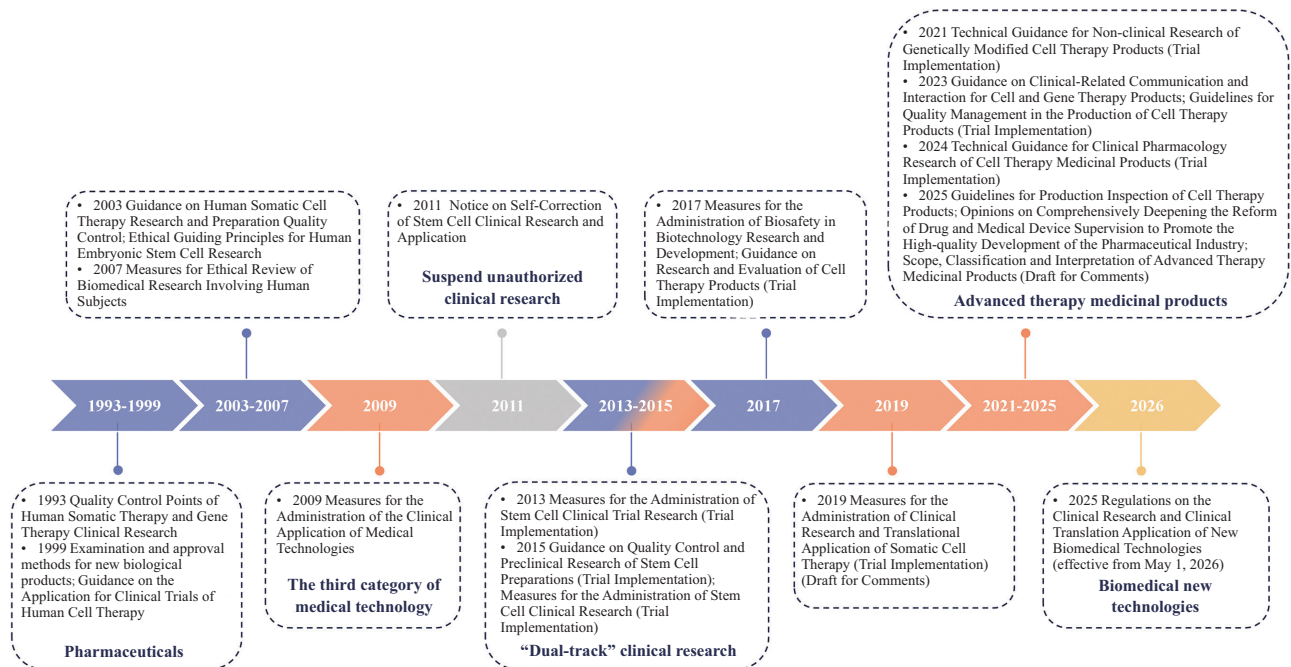


图5 中国细胞与基因治疗监管体系的演变路径与规范化进程

Fig.5 Evolution and standardization pathway of China's regulatory system for cell and gene therapy

段^[45]。然而,须注意的是,这种允许未经药品监管部门批准上市的干细胞治疗在特定条件下进入收费轨道的制度安排,对我国CGT的科学创新逻辑、临床转化路径乃至未来市场格局所可能带来的深远影响,仍需时间予以检验。面对这一监管沙盒式的创新机制,我们更应保持审慎姿态,以避免制度前行的速度超越风险控制的能力。

这些地方层面的积极探索与制度创新,本质上是国家战略在区域层面的具体化与实验化。中央通过顶层设计确立基本规范与政策导向,而地方则通过率先立法、试点政策和标准制定,将战略目标落地为可操作的制度实践。这种“中央-地方”互动的制度逻辑,使我国在CGT监管上逐渐形成多层次、全链条的政策组合。从整体效果来看,地方的先行先试不仅有助于提升我国在CGT产业治理上的制度适应性,也增强全球制度竞争中的战略灵活性。随着地方法规体系的不断完善、行业标准的持续制定以及临床应用试点的稳步推进,我国的CGT监管正从中央主导、地方补充逐渐形成中央与地方协同、顶层设计与基层创新互动的格局。

4.3 核心制度挑战

如前所述,在政策牵引与技术跃迁的双重驱动下,我国CGT快速崛起,监管体系雏形初具,临床研究数量与活跃度持续攀升^[34]。研发机构与企业已从早期跟随与试点,转向具备自主研发、临床研究、规模化生产及GMP与数据合规管理的系统能力,不仅在CAR-T、基因治疗等领域实现产品上市或进入国际多中心临床试验,也开始参与国际标准制定。科研投入、企业参与与政策支持三股力量加速汇聚,中国CGT正处于由探索试验转向规范发展的关键阶段。截至2024年,中国细胞治疗研发管线规模已居全球第二^[46],2025年前后干细胞药物与重组腺相关病毒(recombinant adeno-associated virus, rAAV)基因治疗相继获批,截至2025年第二季度,我国共6个CAR-T、1个干细胞疗法和1个基因疗法上市^[47-48],显示监管体系对前沿生物医学技术的积极回应。然而,我们应当清醒意识到,在这高速扩张的背后,制度的深层瓶颈与挑战亦日益凸显。

首先是制度衔接不足与规范碎片化的问题。目前我国CGT监管体系主要依托部门规章、政策文件和技术指南,缺乏一部具有统摄力与最高法律效力的专门立法。将于2026年5月施行的《条例》作为首

部系统规范前沿技术临床研究与转化应用的行政法规,对技术定义、伦理审查、备案制度、转化许可、监督管理及法律责任等作出了明确规定,在制度层面填补了长期的空白,初步构建了CGT从科研发现到临床转化的制度通道。然而,从规范层级与适用范围来看,该条例仍属行政法规,虽然确认了包括CGT在内的新技术临床研究在临床转化中的制度地位,但更为关键点是CGT在法律意义上究竟应被界定为“药”“技术”还是“药-技融合体”,其性质定位直接影响监管路径与权责结构,目前仍有待立法与司法进一步明确。

规范层级不高与性质界定模糊,已经在司法实践中表现为裁判标准的明显分裂。在若干涉及干细胞治疗的民事纠纷案件中,不同法院对干细胞干预行为的效力作出了截然相反的认识,反映出缺乏统一法律依据下的司法裁判分歧^[49]。由此可见,现有以分散条款和部门规章为主的立法格局,客观上导致部门职责交叉、监管逻辑不一致与规则适用割裂,亟须通过顶层设计予以系统整合,以实现从零散规制向体系规制的转变。

其次是研发向产业化转化的结构性瓶颈。尽管近年在IIT与IND双轨临床研究架构下,我国CGT临床研究数量快速攀升,但成果迈向产业化的整体效率仍然偏低。据《中国新药注册临床试验进展年度报告(2024年)》,当年登记的CGT临床试验115项,同比增长42%,但超过一半集中在I期,III期试验不足6%。这表明大量项目仍停留在早期探索阶段,真正进入关键临床验证和上市转化的比例极低^[50]。制度上的原因在于IND与IIT缺乏衔接机制,IIT积累的数据难以转化为IND注册的有效支撑,形成路径割裂。截至2024年8月,IIT项目数量占比超过90%,而医药企业发起的药物临床试验(industry-sponsored clinical trial, IST)不足10%,反映出科研热、产业冷的结构性矛盾^[46]。这种制度分离既延长研发周期,放大不确定性,又带来监管模糊,使创新生态缺乏持续性。在肯定IIT在早期临床探索中所具有的独特价值的同时,尤其是在新《条例》发布及配套细则构建的窗口期,更应着力搭建从IIT到IND的顺畅制度通道。提升IIT数据的可比性与可接受性、建立早期临床证据质量标准、强化伦理与知情同意程序,并探索真实世界证据的制度化和规范化使用,以实现从探索性创新到规范化转化的制度跃迁。

再次是资源分布不均与可及性障碍。CGT产品普遍存在价格高昂的问题,形成技术进步与支付能力之间的尖锐矛盾。以诺华CAR-T产品Kymriah为例,其单次治疗定价约47.5万美元,同类的Yescarta等细胞疗法亦在40万美元左右^[51]。国内自主研发的CAR-T产品虽然价格略低,但仍在99.9~129.0万元之间,远超多数患者的支付能力^[52]。近年来,国家层面亦已启动支付制度的探索。2025年,国家医保局出台《血液系统类医疗服务价格项目立项指南(试行)》^[53],将骨髓、外周血及脐带血干细胞的分离、制备、冷冻与回输等医疗服务项目纳入定价管理,旨在通过价格规范实现与医保政策的衔接。然而,该类政策集中于技术成熟度较高、风险相对可控的血液系统疾病,尚不足以覆盖高风险、高不确定性的CGT整体领域。可见,CGT国家医保覆盖范围仍然有限,商业保险参与度偏低,风险共担机制尚未建立,由此形成的支付真空将直接制约创新疗法的临床可及性。

尽管上海等地在地方立法中提出鼓励开发相关保险产品的尝试,但整体上仍停留在探索层面,难以形成制度化安排。更为突出的是区域间的不均衡。优质资源主要集中在北京、上海、广东等发达地区,而西部及基层医疗机构受制于技术门槛、专业人才与冷链条件,难以有效开展CGT服务。这种结构性差距,不仅放大临床可及性的地域不平等,也可能削弱新兴疗法在公共卫生层面的整体效能。

最后是长期安全性与伦理风险问题。CGT的前沿属性决定其长期安全性仍充满不确定。无论病毒载体基因治疗还是CAR-T等,均可能存在脱靶、基因组不稳定及免疫反应等风险^[54];干细胞治疗亦伴随异位分化、肿瘤形成等潜在危险^[55],这些都难以纳入传统的风险收益模型,增加了监管的复杂性。与此同时,我国伦理审查体系缺乏统一协调,不同地区与机构标准不一,尤其在CGT这种高技术门槛、高风险等治疗领域,临床研究审查尺度差异显著,既可能阻碍多中心研究,又不利于风险把控。2025年《湖南省细胞和基因产业促进条例》提出伦理审查互认,为地方探索提供范例,但全国层面的协调机制仍未建立^[56]。伦理治理的碎片化,正成为制约CGT跨区域合作与大规模应用的关键障碍。

可见,我国临床研究双轨制与药物上市监管体系虽已初步奠定CGT发展的制度框架,但法律位阶的不足、路径的割裂、支付的滞后、资源的失衡与

伦理的碎片化,仍然构成多重掣肘。其深层意涵在于,科学前沿的加速演进与制度回应的迟滞之间,始终存在一种难以消解的张力。未来,若要完成从规范化探索到体系化治理的跃升,唯有在顶层设计、路径衔接、支付保障与伦理统一等方面实现实质性突破,方能推动中国在全球CGT治理格局中完成从制度跟随到制度塑造的转型。

5 面向未来的路径选择与制度建构

随着CGT的加速演进,全球医疗体系正经历深层重构。这一技术通过直接干预疾病根源、改写生命进程,为临床带来前所未有的希望,也对既有治理体系提出前所未有的挑战。核心难题在于,如何在风险可控的前提下实现产业化落地,并在全球制度竞争中争取主动,已成为中国监管体系无法回避的问题。未来制度重塑的方向,应在于建构一套既契合CGT技术特性,又能回应伦理关切并衔接国际规则的治理框架。在这一框架中,监管体系必须在科学理性与风险防控、制度透明与可预期性、国内创新与国际接轨之间找到平衡点,从而使得中国在新一轮生命科技治理格局中,不仅是跟随者,更是塑造者。

首先,应当从法治体系与标准结构的重塑入手,破解制度碎片化与规则位阶不足的困境。现行政策体系过度依赖部门规章、指导原则与技术指南,缺乏法律、行政法规、行业标准纵向贯通,以及国家指南、行业共识、企业规范横向协同的多层级格局。对此,国家层面已开始推动顶层设计,将CGT产品纳入强制性法律规范,明确产品定义、审批机制与责任归属,以统一监管逻辑和法律适用标准。《条例》的出台,首次以行政法规的形式搭建了生物医学新技术临床研究与转化的统一框架,并对长期以来在实践中探索形成的干细胞iIT制度予以规范化确认,推动我国初步形成从科研发现到产业化应用的系统性转化通道。《条例》的实施及其后续制度构建,应自觉立足于创新与规范之间的结构性张力,在风险分层治理、动态备案与多源证据体系等监管工具的支撑下,寻求一种可调整、可验证的制度性均衡。《条例》理应被塑造为包括CGT在内的新技术临床研究与转化的加速器,成为技术路径与药物路径之间的制度接口,而非将“药”与“技”简单对立、截然分离。换言之,其更合理的定位,应是在药品监管与医学新

技术管理之间构建一种双轨融合的规制架构,而非二元对立,来回应前沿生物医药创新的复杂性与交叉性。

在立法推进过程中,还须正视部门间权责交叉、利益协调复杂以及科研自由与监管约束之间张力等现实制约。有必要在规则筹划阶段即建立跨部门协调机制与专家参与机制,将科学共同体、产业界与伦理界的代表制度化地纳入协商过程,使制度设计在科学性、可操作性与社会可接受性之间形成内在平衡,从而使法律规范既能反映前沿技术的实际需求,又具备可执行性与前瞻性。与此相配套,还应同步构建覆盖基础研究、临床研究、上市审批与上市后监管的全链条标准体系,推动IIT与IND在质量控制、安全验证和有效性评估上的衔接,并通过动态更新机制,使标准始终与科学前沿保持一致,形成支撑全生命周期监管的稳定技术底座。

其次,伦理治理必须由形式化审查走向嵌入式运行。CGT直接作用于生命基本结构,其风险不可逆且高度敏感,亟需制度化的伦理评估加以规制。未来,应制定国家层级的CGT伦理审查指南,在产前及未成年CGT等高敏感领域划定清晰红线,并将科研诚信与伦理审查置于双轨并行的架构之中。同时,建立国家级专家库与跨区域伦理互认机制,以消解标准不一与重复审查导致的制度摩擦,提高多中心研究的运行效率与风险识别的准确性。

然而,伦理治理方式的转型亦面临现实阻力,包括伦理审查委员会专业能力不均、资源配置不足与地方监管能力差异显著等问题。因此,有必要通过专项培训、中央财政支持以及数字化伦理审查与备案平台的建设,提升伦理治理的执行力与制度一致性。在运行逻辑上,伦理治理亦须转向事前、事中、事后相衔接的动态模式。将患者知情同意从一次性授权改造为全过程更新,尤其强化对儿童、罕见病患者等弱势群体的保护;建立全国性不良事件数据库与长期随访制度,实现风险的持续监测与动态应对。

再次,监管体系亟需优化审评机制,以打通研发与产业化之间的结构性梗阻。现行双轨制虽兼顾科研探索与药品注册,但路径割裂,使多数IIT数据难以支撑IND注册,导致资源浪费与转化延迟。从技术发展逻辑来看,CGT作为前沿技术双轨并行本身具有阶段性规律。早期依赖IIT积累临床证据,技

术路径与风险特征相对明确后,再向以药品注册为核心的IND审评体系收敛。中国的制度实践亦呈现出由“形式并行”向“逐步衔接”转变的趋势。一方面,部分产品依托高质量IIT数据进入IND申报阶段,体现出双轨之间正在形成事实上的证据转换通道;另一方面,监管部门通过明确IIT数据的可接受性、风险分级要求及其与药物临床试验规范之间的一致性边界,推动两类路径在功能上的互补。实践中,已有部分项目在完成探索性IIT后,基于较为充分的临床证据转入注册审评路径^[34]。与此同时,也有多个项目经过IIT之后未能进入注册临床试验。现有研究指出,截至2024年底,趋近半数的干细胞临床研究未进一步推进至IND申报阶段^[57]。

未来,应以《条例》的实施为契机,构建全国性多中心协作平台,同时在研究设计阶段即明确数据转化路径,确立IIT成果进入注册的质量门槛与数据要求,并通过前置沟通窗口提升审评效率。而且,监管机构应针对重点关键产品实行逐案定制的审评模式,依风险-效益特征与工艺复杂性量身设计研发路径,并在全生命周期实施动态监管。在此基础上,建立风险分级与差异化审批机制。对低风险项目实行简化审评并统筹遏制低质量、同质性重复试验,对高风险项目则由专家委员会全程把关并强化长期随访。对重大创新疗法,可在严格边界内运用监管沙盒与试点机制,以有限放宽换取制度经验与转化加速。监管沙盒作为一种创新监管工具,有望在可控环境下平衡创新激励与风险防控,为高风险、高不确定性的CGT创新疗法提供试点空间,支持早期概念验证、剂量探索及作用机制研究,同时维护安全性和伦理底线^[58]。当前,海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区逐步呈现出具备监管沙盒特征的探索路径等特征,通过限定区域、机构和技术类型的差异化监管,支持部分创新型生物医学技术在真实临床环境中的有限应用与评估。随着《条例》的落地实施,该类探索为在国家统一监管框架内,审慎引入试点化、阶段化监管工具提供了经验与制度基础。未来,在严格限定适用对象、研究阶段和风险等级的前提下,可依托北京、上海、广州等地具备成熟临床研究能力和伦理治理基础的三级甲等医院,探索工作试点,为CGT创新疗法监管路径优化和制度迭代提供可验证的实践依据。与此并行,还需强化审评队伍能力建设,完善跨部门培训与外部专家参与机制,

提升监管决策的科学性与一致性。总体而言,制度优化应在法律保障、伦理防护与产业激励之间形成协调结构,在防范风险与避免过度规制之间取得平衡,建构兼具安全与活力的中国特色CGT监管范式。

最后,资源协调与支付创新必须进入制度建构的核心议程。CGT成本高昂、门槛极高,若缺乏有效的支付与资源配置机制,必然会加剧可及性的不均与社会的不平。未来,应在国家战略层面推动系统布局,将CGT纳入战略性新兴产业,统筹科研、转化、支付与基础设施建设。在支付体系上,应逐步形成基本医保、商业保险与社会互助相结合的三层格局。医保通过有条件准入优先覆盖临床价值明确的疗法,并探索按疗效付费;商业保险开发创新产品以弥补空白;慈善捐助与风险共担机制缓解患者负担。但支付创新亦面临医保基金压力、商业险定价风险及多方谈判协调复杂性等现实制约,因而需推动国家医保局、银保监会与产业主管部门建立协同机制,构建基于成本-疗效评估的准入程序,并在重点疾病领域先行试点。区域发展层面,则需加大对中西部与基层的政策扶持,依托远程诊疗与跨区域会诊网络,推动技术服务的普惠与均等。

与此同时,中国有必要主动嵌入CGT国际治理网络,推动制度与标准的双向对接。CGT已成为全球制度竞争的前沿,不仅是技术较量,更是规则塑造的博弈。中国应通过多边与双边渠道,打通国产CGT产品进入国际市场及国际CGT国内引入的制度通道,例如探索建立在人类遗传资源跨境流通中设立针对细胞药物的豁免与快速通道机制,并建立评审与监管的国际互认机制等。在全球治理碎片化与技术快速迭代的背景下,中国亟需在部分细分领域率先形成具有示范效应的“中国方案”。以IIT数据支撑IND注册为例,通过建立核心指标体系、标准化研究设计、数据可追溯性管理,并在国际多中心研究中验证其科学性与适用性,可逐步形成跨境可认可的循证范式^[57]。依托《条例》所确立的研究-转化制度框架,中国有望在细胞治疗、基因治疗等前沿领域实现制度与技术的双重示范效应,为全球CGT治理提供可借鉴经验。在伦理与标准层面,中国亦需加强在国际干细胞研究学会(International Society for Stem Cell Research, ISSCR)、国际细胞与基因治疗学会(International Society for Cell and Gene Therapy, ISCT)、国际人类基因编辑峰会等

平台上的议题参与,推动跨国样本使用、知情同意与基因编辑边界的伦理共识;同时,积极参与国际标准化组织(International Organization for Standardization, ISO)与国际人用药品注册技术协调会(the International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ICH)等国际标准的制定,将中国方案嵌入全球规范体系。

在全球CGT治理格局加速演进的背景下,制度竞争正成为科技竞争的新维度。制度塑造并非对既有规则的机械承接,而是在前沿技术、高度不确定风险与全球规则博弈交织的场域中,通过立法定位、标准构建、伦理嵌入与国际对接的整体重构,塑造出带有自身内在逻辑的制度组合体。其核心不在某单一工具的巧妙设计,而在于如何在风险分层与加速转化、国家利益与人类福祉之间,建构一种可验证、可修正、可迭代的治理范式,从而实现由制度跟随与被动适应,迈向制度输出与规则共建的转型。

6 结语

细胞与基因治疗作为重塑生物医学版图的战略前沿,不仅为重大疾病的治疗开辟革命性路径,也持续冲击既有的法律规制与伦理框架。比较美国、欧盟、英国与日本的制度实践可见,路径虽各不相同,但其共通逻辑皆在于风险与创新的张力中寻找动态平衡,并通过立法完善、伦理嵌入、差异化审评及国际协作来回应科技快速演进的挑战。相较之下,中国监管体系虽经三十余年的积累,已初步形成全流程监管格局,但法律位阶不足、制度路径割裂、支付机制滞后以及伦理规范碎片化,仍构成难以忽视的结构性矛盾。

面向未来,制度重塑必须在法治化、伦理化、科学化与国际化四个维度协同推进。以专门立法实现规则的统一与权威,以嵌入式伦理治理筑牢安全底线,以差异化审评机制激发产业转化动力,以制度互认和国际接轨提升全球话语权。从更深一层看,CGT治理已不仅是生物医药监管的技术性议题,而且是国家生物经济体系韧性、科技主权塑造能力以及参与全球科技竞争与规则重构能力的集中映射。唯有在风险可控与创新共进的前提下,将CGT纳入国家发展与安全战略统筹布局,中国方能真正完成

由制度跟随向制度引领的战略跃迁, 以具有自身风格与普遍说服力的制度性方案回应全球先进治疗产品治理的时代课题, 并在新一轮生命科技竞争格局中赢得更大的主动权与战略空间。

参考文献 (References)

- [1] CETIN B, ERENDOR F, EKSI Y E, et al. Gene and cell therapy of human genetic diseases: recent advances and future directions [J]. *J Cell Mol Med*, 2024, 28(17): e70056.
- [2] WALFORD G A, BAUTMANS A, CANNON C, et al. Considerations for cell and gene therapy programs entering the clinical space [J]. *Clin Pharmacol Ther*, 2023, 114(3): 569-77.
- [3] SANDUJA S, LESSEY-MORILLON L, ALLEN R, et al. United States Food and Drug Administration regulation of human cells, tissues, and gene therapies [J]. *Adv Exp Med Biol*, 2023, 1430: 71-89.
- [4] SCHUESSLER-LENZ M, HERBERTS C, REISCHL I, et al. Marketing regulatory oversight of advanced therapy medicinal products in Europe [J]. *Adv Exp Med Biol*, 2023, 1430: 1-21.
- [5] 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: 155-79.
- [6] 国务院. 国务院关于印发“十三五”国家科技创新规划的通知[Z]. 北京: 国务院, 2016.
- [7] 中共中央、国务院. “健康中国2030”规划纲要[Z]. 中共中央、国务院, 2016. [2025-12-29]. https://www.gov.cn/zhengce/2016-10/25/content_5124174.htm.
- [8] JMURRAY I R, CHAHLA J, WORDIE S J, et al. Regulatory and ethical aspects of orthobiologic therapies [J]. *Orthopaedic Journal of Sports Medicine*, 2022, 10(11): 23259671221101626.
- [9] BAILEY A M, ARCIDIACONO J, BENTON K A, et al. United States Food and Drug Administration regulation of gene and cell therapies [J]. *Adv Exp Med Biol*, 2015, 871: 1-29.
- [10] HILLS A, AWIGENA-COOK J, GENENZ K, et al. An assessment of the hospital exemption landscape across European Member States: regulatory frameworks, use and impact [J]. *Cytotherapy*, 2020, 22(12): 772-9.e1.
- [11] YOON J, LEE S, KIM M J, et al. Brief summary of the regulatory frameworks of regenerative medicine therapies [J]. *Front Pharmacol*, 2024, 15: 1486812.
- [12] QASIM W, ZHAN H, SAMARASINGHE S, et al. Molecular remission of infant B-ALL after infusion of universal TALEN gene-edited CAR T cells [J]. *Sci Transl Med*, 2017, doi: 10.1126/scitranslmed.aaj2013.
- [13] HOY S M. Exagamglogene autotemcel: first approval [J]. *Mol Diagn Ther*, 2024, 28(2): 133-9.
- [14] NIZAR F, VARPE P, SAJI S, et al. Post-brexite regulatory strategy: MHRA's international recognition procedure and global reliance frameworks [J]. 2025, doi: 10.22541/au.175394901.18466186/v1.
- [15] PHG FOUNDATION. Regulating advanced therapy medicinal products in the UK after Brexit [R/OL]. [2025-12-29]. <https://www.phgfoundation.org/wp-content/uploads/2024/10/Regulating-Advanced-Therapy-Medicinal-Products-in-the-UK-after-Brexit.pdf>.
- [16] DEPARTMENT FOR SCIENCE I A T. Game-changing tech to reach the public faster as dedicated new unit launched to curb red tape [Z]. 2024. [2025-12-29]. <https://www.gov.uk/government/news/game-changing-tech-to-reach-the-public-faster-as-dedicated-new-unit-launched-to-curb-red-tape>.
- [17] AZUMA K. Regulatory landscape of regenerative medicine in Japan [J]. *Curr Stem Cell Rep*, 2015, 1(2): 118-28.
- [18] TOBITA M, KONOMI K, TORASHIMA Y, et al. Japan's challenges of translational regenerative medicine: act on the safety of regenerative medicine [J]. *Regen Ther*, 2016, 4: 78-81.
- [19] MAEDA D, YAMAGUCHI T, ISHIZUKA T, et al. Regulatory frameworks for gene and cell therapies in Japan [J]. *Adv Exp Med Biol*, 2015, 871: 147-62.
- [20] LYSAGHT T, SUGII S. Uncertain oversight of regenerative medicines in Japan under the ASRM [J]. *Cell Stem Cell*, 2016, 18(4): 438-9.
- [21] KONDO H, HATA T, ITO K, et al. The current status of sakigake designation in Japan, PRIME in the European Union, and breakthrough therapy designation in the United States [J]. *Ther Innov Regul Sci*, 2017, 51(1): 51-4.
- [22] CYRANOSKI D, SIPP D, MALLIK S, et al. Too little, too soon: Japan's experiment in regenerative medicine deregulation [J]. *Cell Stem Cell*, 2023, 30(7): 913-6.
- [23] 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 (JIANG L Y, KANG Q, JIN C L. The historical evolution and perspective of the regulation on cell and gene therapy products in China [J]. Chinese Journal of New Drugs), 2024, 33(23): 2462-6.*
- [24] 卫生部药政管理局. 卫生部药政管理局关于下发《人的体细胞治疗及基因治疗临床研究质控要点》的通知[Z]. 卫生部药政管理局. 1993.
- [25] 国家药品监督管理局. 新生物制品审批办法[Z]. 1999. [2025-12-29]. <https://www.nmpa.gov.cn/directory/web/nmpa/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/19990422010101146.html>.
- [26] 国家药品监督管理局. 药品临床试验管理规范[Z]. 1999. [2025-12-29]. <https://www.nmpa.gov.cn/directory/web/nmpa/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/19991201010101984.html>.
- [27] 国家食品药品监督管理局. 人基因治疗研究和制剂质量控制技术指导原则[Z]. 2003. [2025-12-29]. <http://www.ssctcell.com:10000/Upload/164068083849.pdf>.
- [28] 国家食品药品监督管理局. 人体细胞治疗研究和制剂质量控制技术指导原则[J]. 2003.
- [29] 卫生部关于印发《医疗技术临床应用管理办法》的通知(卫医政发〔2009〕18号)[J]. *中华人民共和国卫生部公报*, 2009(5): 32-8.
- [30] 邱仁宗. 从中国“干细胞治疗”热论干细胞临床转化中的伦理和管理问题[J]. *科学与社会 (QIU R Z. From the “stem cell therapy” fever in China to discuss the ethical and management issues in the clinical translation of stem cell research [J]. Science and Society), 2013, 3(1): 8-25.*
- [31] 国家卫生计生委、食品药品监管总局. 关于印发干细胞临床研究管理办法(试行)的通知[Z]. 2015. [2025-12-29]. <https://www.nmpa.gov.cn/yaopin/ypfgwj/ypfgbmgzh/20150720120001607.html>.
- [32] 国家食品药品监督管理局. 总局关于发布细胞治疗产品研究与评价技术指导原则的通告(2017年第216号)[Z]. 2017. [2025-12-29]. <https://www.nmpa.gov.cn/directory/web/nmpa/>

- xxgk/ggtg/ypggtg/ypqtggtg/20171222145101557.html.
- [33] WEI J, GUO Y, WANG Y, et al. Clinical development of CAR T cell therapy in China: 2020 update [J]. *Cell Mol Immunol*, 2021, 18(4): 792-804.
- [34] YANG Y, BIAN L, CHENG Y, et al. The role and challenges of investigator-initiated trials in the cell and gene therapy products boom in mainland China [J]. *Clin Transl Sci*, 2025, 18(2): e70148.
- [35] ADMINISTRATION F A D. Cell and Gene Therapy Roundtable – June 5, 2025 [Z]. U.S. Food and Drug Administration. 2025
- [36] 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)》[Z]. 2019. [2025-12-29]. <https://www.nhc.gov.cn/wjw/yjzj/201903/9ba6eac3684b4ac189f507e2cb408fa1.shtml>.
- [37] 市场监管总局. 药品注册管理办法[Z]. 市场监管总局. 2020. [2025-12-29]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/nbm-g-zh/20211223165631172.html>.
- [38] 国家药品监督管理局药品审评中心. 关于公开征求《先进治疗药品的范围、归类 and 释义(征求意见稿)》意见的通知[Z]. 2025. [2025-12-29]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCom-mon/0d19d9228c90f124053e92cda08331e0>.
- [39] 国家药监局综合司. 国家药监局综合司公开征求《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)》意见[Z]. 2025. [2025-12-29]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/zhqyj/zhqyjyp/20250616142133128.html>.
- [40] 深圳市人民代表大会常务委员会. 深圳经济特区细胞和基因产业促进条例[Z]. 2023. [2025-12-29]. https://www.sz.gov.cn/zfgb/2023/1277/content/post_10452128.html.
- [41] 广东省人大常委会. 横琴粤澳深度合作区发展促进条例[Z]. 广州: 广东省人大常委会, 2023. [2025-12-29]. https://www.hengqin.gov.cn/macao_zh_hans/ztjh/wqzc/zcqw/content/post_3484345.html.
- [42] 国家发展改革委、商务部. 国家发展改革委 商务部关于支持横琴粤澳深度合作区放宽市场准入特别措施的意见[Z]. 2023. [2025-12-29]. https://www.ndrc.gov.cn/xxgk/zcfb/tz/202312/t20231226_1362933_ext.html.
- [43] 上海市人民代表大会常务委员会. 上海市药品和医疗器械管理条例[Z]. 2024. [2025-12-29]. <https://www.nmpa.gov.cn/zhuanli/zt2025/shenhua/shzwcj/20250514104307181.html>.
- [44] WANG L, YUHUA L, ZOU D, et al. P1203: efficacy and safety of axicabtagene ciloleucel (AXI-CEL) for the treatment of relapse/refractory non-hodgkin lymphoma: first real-world data in chinese population [J]. *HemaSphere* 2023, 7(Suppl): e58435e0.
- [45] WEI W Y. 中国首批干细胞疗法定价公布[EB/OL]. 北京: China Daily(中国日报), 2025. [2025-12-29]. <https://www.chinadaily.com.cn/a/202504/23/WS6808469da3104d9fd3820fb9.html>.
- [46] DU X, LUO X, LIU L, et al. Mapping the cell therapy landscape: insights into clinical trials and regulatory advances in China [J]. *J Hematol Oncol* 2024, 17(1): 96.
- [47] 国家药品监督管理局. 国家药监局批准波派达可基注射液上市[Z]. 2025. [2025-12-29]. <https://www.nmpa.gov.cn/zhuanli/cxylqx/cxypxx/20250410095314169.html>.
- [48] LIU Y, GE C, CHEN X, et al. Trends in the development of cellular and gene therapy in China [J]. *Nat Rev Drug Discov*, 2025, doi: 10.1038/d41573-025-00126-7.
- [49] CHEN L, GAO J, FENG R, et al. The variability of judicial decisions in the stem cell industry in China [J]. *Cell Stem Cell* 2023, 30(10): 1294-8.
- [50] 国家药监局药品审评中心. 中国新药注册临床试验进展年度报告(2024年)[R]. 国家药监局药品审评中心, 2025.
- [51] ABOU-EL-ENEIN M, GAUTHIER J. The Value of CAR-T-cell Immunotherapy in Cancer [M]. KROGER N, GRIBBEN J, CHABANNON C, et al. The EBMT/EHA CAR-T Cell Handbook, 2022: 231-4.
- [52] ZHENG S L, ZHANG X Q. A New outcomes-based payment plan from a Chinese company to improve patient affordability of CAR-T product [J]. *Int J Health Policy Manag*, 2024, 13: 8543.
- [53] 国家医保局.《血液系统类医疗服务价格项目立项指南(试行)》[Z]. 2025. [2025-12-29]. https://www.nhsa.gov.cn/art/2025/3/3/art_201_15850.html?f_link_type=f_linkinlinenote&flow_extra=eyJpbmxbpVfZGlzcGxheV9wb3NpdGlvbil6MCwiZG9jX3-Bvc2l0aW9uIjowLCJkb2NfaWQiOiJiMTNkZDJkOGQ3M2E5ODlkLWYzYzRjZTVmNWlyZGNGOGlifQ%3D%3D.
- [54] YOUSSEF E, WEDDLE K, ZIMMERMAN L, et al. Pharmacovigilance in cell and gene therapy: evolving challenges in risk management and long-term follow-up [J]. *Drug Saf*, 2025, doi: 10.1007/s40264-025-01596-9.
- [55] YAMANAKA S. Pluripotent stem cell-based cell therapy-promise and challenges [J]. *Cell Stem Cell*, 2020, 27(4): 523-31.
- [56] 湖南省人民代表大会常务委员会. 湖南省细胞和基因产业促进条例[Z]. 2025. [2025-12-29]. https://sft.hunan.gov.cn/sft/xxgk_71079/zcfj/dfxfg/202508/t20250806_33766655.html.
- [57] HAO Y, CHEN Q, YIN J, et al. Optimizing translational efficiency in stem cell clinical research [J]. *Cell Stem Cell* 2025, 32(12): 1802-6.
- [58] EUROPEAN COMMISSION. Better Regulation Toolbox [R]: European Commission, 2023.