

津自贸发〔2025〕1号

## 关于印发《中国（天津）自由贸易试验区基因与细胞治疗新技术临床研究和临床转化应用分类分级标准规范（试行）》的通知

各有关单位：

为促进和规范中国（天津）自由贸易试验区（以下简称天津自贸试验区）在基因与细胞治疗领域开展改革试点，推动基因治疗与细胞产业发展，依据《中华人民共和国生物安全法》《中华人民共和国药品管理法》《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》《干细胞临床研究管理办法》《医疗技术临床应用管理办法》和《天津市基因和细胞产业促进条例》等法律法规和政策规定，结合天津自贸试验区实际，中国（天津）自由贸易试验区管理委员会、市卫生健康委员会、市药品监督管理局联合制定了《中国（天津）自由贸易试验区基因与细胞治疗新技术临床研究和临床转化应用分类分级标准规范（试行）》，现予印发，请遵照执行。

中国（天津）自由贸易 天津市卫生健康委 天津市药品监督管  
试验区管理委员会 员会 理局

2025 年 11 月 18 日

(联系人：自贸试验区管委会 王静；

联系电话：022-63004493)

(此件主动公开)

附件

# 中国（天津）自由贸易试验区基因与细胞治疗新技术临床研究和临床转化应用分类分级标准规范（试行）

为促进和规范中国（天津）自由贸易试验区（以下简称天津自贸试验区）在基因与细胞治疗领域开展改革试点，推动基因与细胞产业发展，依据《中华人民共和国生物安全法》《中华人民共和国药品管理法》《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》《干细胞临床研究管理办法》和《天津市基因和细胞产业促进条例》等法律法规和政策规定，结合天津自贸试验区实际，制定本规范。

## 一、实施目的

为加快高水平对外开放，落实天津自贸试验区提升战略，在天津自贸试验区开展先行先试，探索基因与细胞新技术临床研究和临床转化应用管理模式创新，建立天津自贸试验区基因与细胞治疗分类分级制度，解决基因与细胞产业发展桎梏，全力突破关键核心技术、提高临床研究和转化能力，全面提升天津自贸试验区基因与细胞科技创新策源能力和产业发展能级。

## 二、指导思想

坚持以习近平新时代中国特色社会主义思想为指导，把维护人民健康摆在更加突出的位置，贯彻落实习近平总书记视察天津

重要讲话精神和党中央、国务院对卫生健康工作的重大决策部署，在发展新质生产力上善作善成，加快推进以科学技术为新质生产力赋能，推动天津自贸试验区临床前沿医疗技术发展，统筹发展与安全，在有效防控风险的条件下，开展基因与细胞治疗领域改革试点。

### 三、适用范围

本规范适用于天津自贸试验区及联动区域（含联动创新区、联动创新示范基地、创新实践基地）内的纳入试点范围的三级甲等医疗机构、基因与细胞相关研发和生产机构。制备过程应参照《药品生产质量管理规范》及附录、基因与细胞治疗产品生产质量管理相关指南等执行。

本规范基因与细胞治疗新技术指的是将人的自体或同种异体的基因与细胞，经扩增、诱导、基因编辑等生物工程处理后，经临床研究验证安全有效后尚未应用于临床的医学专业手段和措施。基因与细胞治疗经国家药品监督管理部门审批取得药品批准文号的，其生产、经营、使用应符合《中华人民共和国药品管理法》规定。

### 四、总体原则

#### （一）风险控制原则

基于科学规范、符合伦理、自主可控、包容审慎原则，坚持底线思维，充分考虑该领域的特性和科学规律，遵循行业主管部门管理要求，有效防范和应对生物安全风险，确保基因与细胞产业稳定健康发展。

## （二）统筹兼顾原则

统筹安全和发展，既以受试者患者为中心，保护受试者患者安全和权益，解决患者对新兴治疗的临床需求，促进基因与细胞治疗规范应用，建立科学的监管法规体系，推动基因与细胞产业加快发展，构筑基因与细胞治疗发展新生态。

## （三）动态更新原则

根据基因与细胞科学技术的发展和新增治疗适应症等的变化，对基因与细胞分类分级进行动态调整。

### 五、基因与细胞治疗新技术分类依据

基因与细胞治疗新技术分类机制是指在全面了解我国基因与细胞治疗行业发展现状和国际发展趋势，充分掌握基因与细胞与传统小分子化药、大分子生物制品的区别和特性的情况下，参考国际分类原则，结合天津自贸试验区医疗机构临床管理实际和需求，将基因与细胞治疗新技术开展分类，原则上符合相应特征的基因与细胞治疗归属于相应类目。

#### （一）基因治疗

- 1.病毒载体：腺相关病毒、慢病毒、逆转录病毒、腺病毒等；
- 2.非病毒载体：质粒 DNA、mRNA、寡核苷酸等；
- 3.其他基因治疗。

#### （二）细胞治疗

- 1.免疫细胞治疗：CAR-T 细胞（嵌合抗原受体 T 细胞）疗法、TCR-T 细胞（T 细胞受体工程化 T 细胞）疗法、肿瘤浸润淋巴细胞（TIL）疗法、NK（自然杀伤）细胞疗法等；

2.干细胞治疗：造血干细胞移植（HSCT）、间充质干细胞（MSC）、多能干细胞（iPSC）等；

3.其他细胞治疗及其衍生物：软骨细胞、皮肤细胞、外泌体等其他细胞。

## 六、基因与细胞治疗新技术分级机制

基因与细胞治疗新技术分级是推进基因与细胞治疗领域监管科学研究，研究制定与之相适应的科学监管的路径和法规体系的基础工作。参考国际通行规则，在天津自贸试验区开展基因与细胞治疗新技术转化应用按照准入清单制，对类型及高中低风险等级予以区分。

基因与细胞治疗按照来源途径、产品特征、作用机理及其在体内的生物学过程以及伴随的生物学行为，结合临床情况分为 3 个级别，具体为高风险、中风险和低风险，行业主管部门另有规定的，从其规定。

### （一）高风险

经过复杂的操作过程，到达体内发挥的基本功能与供体有较大的差异，作用机理相对不明确，需要进一步通过临床数据验证效果，如：

1.未在人体使用过的细胞。

2.经过基因操作的细胞。

3.经过基因工程技术改造的病毒或重组 DNA、RNA 等遗传物质及其复（混）合物。

4.经过复杂操作，如诱导为其他功能细胞的。

5.在细胞制备过程中与其他药品或医材成分并用。

6.有成瘤风险。

## （二）中风险

经过一定程度的操作过程，到达体内发挥的基本功能与供体有一定的差异，有一定的临床数据证明其安全性及有效性，作用机理、作用效果相对明确，如：

7.经过了一定程度的操作，如较长时间的体外培养。

8.执行与内源性功能不同的作用，且作用相对明确。

9.预期在体内产生系统性的作用，且作用相对明确。

10.其他细胞衍生物。

## （三）低风险

经过干预最小化的操作过程，到达体内发挥的基本功能与供体基本无差异，有充分的临床数据验证其安全性及有效性，作用机理、作用效果明确，如：

11.干预最小化，执行与内源功能相似的作用。

12.干预最小化，执行与内源功能不同的作用，且不会对接受者的身体产生系统性作用。

13.来源自体细胞，经过一定程度的操作，且不会对接受者的身体产生系统性作用。

14.在积累大量临床数据验证其安全性和有效性后，经专家评估论证后可参照低风险管理的其他类。

经综合判定，基因与细胞治疗符合高风险特征时，优先识别为高风险；不符合高风险特征时，优先识别为中风险；依次判定

不符合高风险和中风险特征时，识别为低风险。

## 七、基因与细胞治疗分类分级程序

（一）成立自贸试验区基因与细胞治疗专家委员会。自贸试验区管委会联合卫生健康等相关管理部门成立自贸试验区基因与细胞治疗专家委员会，为基因与细胞新技术等级评估、项目开展等提供专业的意见和建议，为完善相关临床研究和临床转化应用政策和指南原则提供咨询和服务。

（二）开展基因与细胞治疗分类分级试点。自贸试验区管委会联合卫生健康等相关管理部门筛选开展分类分级试点的医疗机构及基因与细胞研发生产机构，纳入试点的医疗机构及基因与细胞研发生产机构根据本规范形成本机构的基因与细胞治疗新技术目录，并按照临床研究和临床转化应用要求实施。

（三）动态更新。根据基因与细胞治疗分类分级实际情况，自贸试验区管委会联合卫生健康等相关管理部门组织专家论证，对基因与细胞治疗新技术分类分级实行动态调整管理。

（四）推动基因与细胞治疗临床转化应用落地。医疗机构及基因与细胞研发生产机构应当遵循安全有效、符合伦理、风险可控、知情同意的原则，实施风险最小化措施，确保受试者患者的安全与权益，严格做好基因与细胞治疗管理的自查工作。自贸试验区管委会联合卫生健康等相关管理部门建立联合监管机制，对基因与细胞治疗新技术临床研究、临床转化和临床应用做好协同监管与全过程服务。

（五）做好基因与细胞治疗相关界定管理工作。落实基因与



细胞治疗新技术与药品、医疗器械的界定指导原则，研制药品、医疗器械开展临床试验的，依照《中华人民共和国药品管理法》、《医疗器械监督管理条例》等法律、行政法规规定执行。

（六）风险防控措施。医疗机构应根据基因与细胞治疗新技术风险等级建立完善的风险控制策略，采取相应的措施预防控制和处置基因与细胞治疗新技术实施中的风险。鼓励医疗机构、基因与细胞研发生产机构购买商业保险，为受试者提供更多保障，要求相关机构依法保护受试者患者的个人隐私、个人信息。

## 八、术语和定义

（一）“干预最小化”指的是在细胞的处理过程中，采取最小程度的体外处理，不能改变相关的生理特性（即未经过体外激活、包裹或基因改造等）。

（二）“内源功能相似”即“同源使用”，指的是基因与细胞在受者体内是否发挥的基本功能与供体相同。

（三）“不产生系统性作用”指不产生全身性反应，局部使用，且不依赖活体细胞的代谢过程发挥作用。

九、本规范由天津自贸试验区管委会负责解释。本规范自印发之日起施行，有效期3年，试行期间，国家有新规定的，从其规定。