

T/CADZ

团 体 标 准

T/CADZ 0056—2025

基于诱导多能干细胞的疾病模型构建与药物筛选技术指南

Technical guidelines for disease modeling and drug screening based on induced pluripotent stem cells

2025 - 12 - 31 发布

2026 - 01 - 01 实施

中国开发区协会 发布

目 次

前言 II

1 范围 1

2 规范性引用文件 1

3 术语和定义 1

4 缩略语 2

5 技术要求 2

6 模型构建规范 3

7 药物筛选方法 4

8 质量控制 6

9 结果评估 7

10 数据记录与报告 9

前 言

本文件按照GB/T 1.1—2020《标准化工作导则 第1部分：标准化文件的结构和起草规则》的规定起草。

请注意本文件的某些内容可能涉及专利。本文件的发布机构不承担识别专利的责任。

本文件由中国开发区协会标准与认证专业委员会提出。

本文件由中国开发区协会归口。

本文件起草单位：中国食品药品检定研究院、淇嘉科技（苏州）有限公司、陕西九州生物医药科技集团有限公司、广州瑞臻再生医学科技有限公司、深圳官芯生物科技有限公司、HebeCell Corporation 赫贝赛尔公司、浙江大学、成都美杰赛尔生物科技有限公司、杭州环特生物科技股份有限公司、温州医科大学附属第二医院、安徽省干细胞学会。

本文件主要起草人：黄瑛、吴迪，万飞、朱艳丽、陈静、田丽军、张凌、何翠敏、吴庆玲、苏整会、王昱凯、汪会兵、张博雅、赵谦、卢世江、胡丽丹、邓涛、缪文钰、郭晓令、徐杰。

基于诱导多能干细胞的疾病模型构建与药物筛选技术指南

1 范围

本文件规定了基于诱导多能干细胞的疾病模型构建与药物筛选的技术流程、模型构建规范、药物筛选方法、质量控制、结果评估以及数据记录与报告。

本文件适用于科研院所、生物医药企业、医疗机构等开展基于诱导多能干细胞的疾病模型构建与药物筛选相关研究、技术开发、产品研发、质量控制及成果转化等工作。

2 规范性引用文件

下列文件中的内容通过文中的规范性引用而构成本文件必不可少的条款。其中，注日期的引用文件，仅该日期对应的版本适用于本文件；不注日期的引用文件，其最新版本（包括所有的修改单）适用于本文件。

GB/T 37864 生物样本库质量和能力通用要求

3 术语和定义

下列术语和定义适用于本文件。

3.1

诱导多能干细胞 induced pluripotent stem cells

通过导入特定转录因子或使用小分子化合物等方法，将成体细胞重编程后获得的具有与胚胎干细胞相似的自我更新和多向分化潜能的多能干细胞。

3.2

疾病模型 disease model

基于生物学原理，在细胞、组织、器官或整体动物水平，模拟人类疾病发生、发展过程及病理特征的实验系统，用于研究疾病机制、筛选治疗药物及评估治疗效果。

3.3

基于诱导多能干细胞的疾病模型 disease models based on induced pluripotent stem cells

利用诱导性多能干细胞技术，从特定患者的体细胞培育出干细胞，进而将其在体外分化为与疾病相关的细胞类型，从而在培养皿中模拟人类疾病病理特征的实验系统。

3.4

药物筛选 drug screening

采用特定的实验方法和技术，对大量候选化合物或生物制剂进行活性检测和评估，以发现具有潜在治疗作用的药物或先导化合物的过程。

3.5

重编程 reprogramming

将已分化的成体细胞通过特定技术手段，使其恢复到具有多能性状态的过程，即获得诱导多能干细胞。

3.6

定向分化 directed differentiation

在特定培养条件下，通过添加细胞因子、生长因子、化学小分子等诱导剂，引导iPSC向特定细胞类型或类器官类型进行分化的过程。

3.7

类器官 organoid

在体外培养条件下，由干细胞（如iPSC）自我组织、分化形成的具有三维结构，能够模拟体内器官的部分细胞组成、组织结构和生理功能的微型器官模型。

4 缩略语

下列缩略语适用于本文件。

iPSC：诱导多能干细胞（Induced Pluripotent Stem Cells）

5 技术要求

5.1 总体要求

总体宜符合以下要求，包括但不限于：

- 技术流程应确保基于 iPSC 的疾病模型构建科学规范、数据可靠；
- 药物筛选结果真实有效，具备可重复性和可验证性；
- 严格遵循生物安全、伦理规范及相关法规要求；
- 为了细胞系可追溯，应建立符合 GB/T 37864 的诱导多能干细胞库管理系统。

5.2 体细胞获取

体细胞获取宜符合以下要求，包括但不限于：

- 从疾病患者及健康对照个体获取合适的体细胞，包括但不限于：皮肤成纤维细胞、外周血单个核细胞等；
- 详细记录供体的临床信息，包括但不限于：疾病诊断、病程、治疗史等；
- 获取过程应符合伦理规范，获得供体知情同意；
- 样本采集、处理和存储宜符合生物安全要求；
- 如果用于商业化，需要捐献者签署知情同意书、放弃商业利益同意书。

5.3 诱导多能干细胞重编程

诱导多能干细胞重编程宜符合以下要求，包括但不限于：

- 采用病毒载体、非病毒载体或化学小分子等重编程方法，将体细胞诱导为多能干细胞；
- 重编程过程中控制培养条件，定期观察细胞形态和生长状态；
- 重编程完成后，对获得的诱导多能干细胞进行多能性鉴定，包括但不限于：多能性标志物检测、分化潜能评估、基因组稳定性分析和蛋白质表达与功能分析等。

5.4 定向分化

定向分化宜符合以下要求，包括但不限于：

- 根据目标疾病类型和研究需求，将诱导多能干细胞定向分化为与疾病相关的细胞类型；
- 选择合适的诱导分化因子、培养体系和培养条件，按照优化的分化方案逐步诱导细胞分化；
- 分化过程中，宜通过检测细胞特异性标志物、功能检测等方法，定期对细胞进行鉴定。

5.5 疾病模型构建

疾病模型构建宜符合以下要求，包括但不限于：

- 基于分化得到的疾病相关细胞，构建不同层次的疾病模型，包括但不限于：细胞模型、类器官模型或动物移植模型等；
- 细胞模型需模拟疾病相关的细胞表型和功能异常；
- 类器官模型应重现器官的多谱系特征、部分结构及功能特征；
- 动物移植模型需选择合适的动物模型，将疾病相关细胞或类器官移植到动物体内，观察疾病表型的发生和发展；
- 构建过程中，通过与临床数据对比、病理分析、功能检测等手段对模型进行充分验证。

5.6 药物筛选

药物筛选宜符合以下要求，包括但不限于：

- 设计合理的药物筛选实验方案，选择候选药物或化合物库；
- 在疾病模型上进行药物处理，设置药物浓度梯度、处理时间和对照实验；
- 采用细胞活力检测、基因表达分析、蛋白质功能检测、病理形态学观察等方法，评估药物对疾病模型的治疗效果，筛选出具有潜在治疗作用的药物或化合物，并对其作用机制进行初步探究。

6 模型构建规范

6.1 细胞模型构建规范

6.2 细胞选择与准备

细胞选择与准备宜符合以下要求，包括但不限于：

- 依据目标疾病类型，挑选经定向分化且鉴定合格的疾病相关细胞，如研究神经退行性疾病时选诱导多能干细胞分化的神经元细胞；
- 细胞复苏、传代培养遵循无菌操作，维持细胞活性与正常生理状态。

6.2.1 培养体系优化

培养体系优化宜符合以下要求，包括但不限于：

- 为所选细胞匹配适宜的培养基、血清及添加剂，依据细胞特性调控培养温度、二氧化碳浓度与湿度；
- 检测培养基成分与细胞代谢产物，调整培养体系，维持细胞生长微环境稳定。

6.2.2 疾病表型模拟

疾病表型模拟宜符合以下要求，包括但不限于：

- 运用基因编辑、化学处理、病毒感染等手段，在细胞中引入疾病相关基因突变、蛋白表达异常或病理刺激因素，模拟疾病发生发展的细胞表型变化；
- 操作过程严格控制条件。

6.2.3 模型验证

模型验证宜符合以下要求，包括但不限于：

- 采用细胞生物学、分子生物学等多种技术，如免疫荧光染色、蛋白质印迹法、聚合酶链式反应等，检测疾病相关标志物表达水平、细胞功能指标；
- 与临床患者细胞数据对比，验证细胞水平疾病模型准确性与可靠性。

6.3 组织类器官模型构建规范

6.3.1 类器官诱导分化

以诱导多能干细胞为起始材料，依据目标组织器官类型，运用特定分化方案与培养体系，诱导其分化为相应组织类器官。

6.3.2 培养环境优化

培养环境优化宜符合以下要求，包括但不限于：

- 为类器官提供支持其三维生长的基质材料，优化培养体系中营养成分、生长因子、氧气与营养物质扩散条件；
- 借助微流控芯片、生物反应器等技术，模拟体内生理环境，促进类器官发育与功能成熟。

6.3.3 结构与功能验证

结构与功能验证宜符合以下要求，包括但不限于：

- 通过组织学染色观察类器官组织结构，免疫组化或免疫荧光检测组织特异性标志物分布；
- 利用代谢组学、转录组学、蛋白质组学等技术，分析类器官功能相关基因与蛋白表达谱，验证其与体内对应组织器官结构和功能的相似性。

6.3.4 疾病特征模拟

针对目标疾病，在类器官构建过程中引入疾病相关因素（包括但不限于特定基因突变、致病微生物感染、环境毒素刺激等）诱导类器官产生疾病相关病理变化，模拟疾病发生发展过程。

6.3.5 模型稳定性评估

模型稳定性评估宜符合以下要求，包括但不限于：

- 对构建的疾病类器官模型进行检测，评估模型在培养过程中的稳定性，包括但不限于组织结构、细胞组成、功能特性及疾病相关表型的稳定性；
- 监测类器官长期培养过程中的变化。

6.4 动物移植模型构建规范

6.4.1 动物模型选择

动物模型选择宜符合以下要求，包括但不限于：

- 综合考虑疾病特点、研究目的与实验要求，挑选合适的动物模型；
- 对于部分复杂人类疾病，宜选用免疫缺陷动物或转基因动物，提高模型与人类疾病的相关性。

6.4.2 细胞或类器官移植

细胞或类器官移植宜符合以下要求，包括但不限于：

- 将构建好的疾病相关细胞或类器官移植到动物体内特定部位；
- 移植过程遵循无菌操作，控制移植细胞或类器官的数量、体积与质量。

6.4.3 疾病表型观察与监测

移植后，定期观察动物的行为、体征变化，利用影像学技术、生物化学检测、组织病理学分析等方法，监测疾病相关表型在动物体内的发生发展过程。

6.4.4 模型验证与标准化

模型验证与标准化宜符合以下要求，包括但不限于：

- 将动物移植模型的疾病表型、病理特征及分子生物学变化与临床患者数据对比，验证模型对人类疾病的模拟程度；
- 建立标准化的动物移植模型构建流程与评价指标体系。

6.4.5 动物福利与伦理考量

在动物移植模型构建与实验过程中，遵循动物福利伦理原则，减少动物痛苦，控制动物数量，优化实验设计。

7 药物筛选方法

7.1 筛选方案设计

7.1.1 确定筛选目标与范围

确定筛选目标与范围宜符合以下要求，包括但不限于：

- 依据疾病模型特点和研究目的，明确药物筛选的目标，包括但不限于寻找能够改善疾病相关细胞功能、抑制病理进程或调节异常分子通路的药物；
- 同时界定筛选药物的范围，选择特定的化合物库、天然产物提取物库或已上市药物库，如基因治疗药物等。

7.1.2 设置实验分组

设置实验分组宜符合以下要求，包括但不限于：

- 设置对照组与实验组，对照组包括空白对照（未添加药物处理的疾病模型组）、阴性对照（添加无活性物质的疾病模型组）和阳性对照（添加已知具有治疗效果的药物或化合物的疾病模型组）；
- 实验组根据药物浓度梯度设置多个组，浓度梯度设置应涵盖预期有效浓度范围，梯度设计应设置足够的重复次数以满足统计学分析要求。

7.1.3 选择检测指标

选择检测指标宜符合以下要求，包括但不限于：

- 根据疾病模型的特征和药物作用机制，选择检测指标；
- 对于细胞模型，宜检测细胞活力、凋亡率、氧化应激指标、特定蛋白表达量等；
- 组织类器官模型宜检测类器官组织结构变化、代谢功能指标、分泌因子水平等；
- 动物移植模型宜检测动物行为学指标、血液生化指标、组织病理评分等。

7.2 药物处理

7.2.1 药物配制与稀释

根据药物的性质，选择合适的溶剂进行配制，按照预设的浓度梯度进行稀释。

7.2.2 给药方式

给药方式宜符合以下要求，包括但不限于：

- 根据疾病模型类型选择给药方式；
- 细胞模型宜采用直接添加药物至培养基的方式；
- 组织类器官模型通过浸泡、灌注等方式给药；
- 动物移植模型采用口服、腹腔注射、静脉注射、局部注射等方式，给药途径的选择应模拟临床用药方式或符合实验设计需求。

7.2.3 给药时间与剂量

给药时间与剂量宜符合以下要求，包括但不限于：

- 确定药物处理的时间点和持续时间，需考虑药物的起效时间、作用持续时间以及疾病模型的发展进程；
- 严格控制给药剂量，确保实验组与对照组之间剂量准确一致，避免因剂量误差影响实验结果。

7.3 效果评估

7.3.1 细胞水平评估

细胞水平评估宜符合以下要求，包括但不限于：

- 在药物处理后，检测细胞活力；
- 通过流式细胞术检测细胞凋亡率；
- 运用蛋白质印迹法、酶联免疫吸附试验等技术检测疾病相关蛋白表达水平；
- 利用实时荧光定量 PCR 检测相关基因表达变化，综合评估药物对细胞水平疾病模型的影响。

7.3.2 组织类器官水平评估

组织类器官水平评估宜符合以下要求，包括但不限于：

- 对药物处理后的组织类器官进行组织学染色，观察组织结构变化；
- 采用代谢组学、蛋白质组学等技术分析类器官功能相关代谢产物和蛋白表达谱的改变；
- 通过检测类器官分泌的特定因子（包括但不限于细胞因子、生长因子等）水平，评估药物对组织类器官功能的调节作用。

7.3.3 动物移植模型评估

动物移植模型评估宜符合以下要求，包括但不限于：

- 在动物给药期间，定期观察动物的行为学变化（包括但不限于活动能力、饮食情况、体重变化等）；
- 在实验终点（包括但不限于特定时间点、特定疾病表型出现、人道终点等）采集血液样本，检测血液生化指标（包括但不限于肝肾功能指标、炎症因子水平等）；
- 对移植组织或相关器官进行组织病理学检查，通过病理评分判断药物对疾病病理进程的改善情况；
- 运用影像学技术观察器官形态和功能变化。

7.4 数据分析与结果判定

7.4.1 数据采集与整理

准确采集各项检测指标数据，并进行整理，剔除异常值，按照实验分组分类。

7.4.2 统计分析

对数据进行处理，比较实验组与对照组之间的差异，判断差异是否具有统计学意义。

7.4.3 结果判定

根据统计分析结果，结合预设的筛选要求，判定药物是否具有潜在治疗效果。若实验组在多个检测指标上与对照组相比有显著改善，且符合预期的作用机制，则认为该药物具有进一步研究和开发的价值。反之，则判定为无效药物。

8 质量控制

8.1 细胞培养质量控制

8.1.1 原材料质量把控

原材料质量把控应符合以下要求，包括但不限于：

- 体细胞来源应明确，供体的临床信息、健康状况等记录完整，且符合伦理要求；
- 诱导多能干细胞培养基、血清、细胞因子及耗材需选用符合质量要求的产品，每批次耗材使用前应进行细胞生长测试。

8.1.2 细胞鉴定与监测

细胞鉴定与监测应符合以下要求，包括但不限于：

- 对诱导多能干细胞及分化细胞进行鉴定，包括但不限于细胞形态学观察、干细胞标志物或分化特异性标志物检测、核型分析等方法；
- 建立细胞生长监测记录，检测细胞活力、增殖速率，发现并处理细胞培养过程中的污染、老化等问题。

8.1.3 细胞库管理

细胞库管理应符合以下要求，包括但不限于：

- 建立标准化的诱导多能干细胞及分化细胞库，记录细胞代数、冻存条件、复苏成功率等信息；
- 冻存和复苏过程应遵循操作规程。

8.2 疾病模型构建质量控制

8.2.1 模型构建过程监控

模型构建过程监控应符合以下要求，包括但不限于：

- 在基于诱导多能干细胞的疾病模型构建各环节，包括但不限于重编程、定向分化、类器官形成或动物移植等，应详细记录操作步骤、使用试剂及关键参数；
- 对构建中的模型进行中间检测，包括但不限于类器官构建过程中监测其结构生发情况，动物移植模型观察移植部位早期排斥反应等，调整培养或操作条件。

8.2.2 模型验证与标准化

模型验证与标准化应符合以下要求，包括但不限于：

- 构建完成的疾病模型需通过多维度验证，包括与临床疾病特征对比、功能验证等；
- 建立标准化的模型评价指标体系，模型验证结果需经至少两位独立实验人员确认。

8.3 药物筛选质量控制

8.3.1 药物管理

药物管理应符合以下要求，包括但不限于：

- 明确药物来源，记录药物名称、批号、纯度、储存条件等信息；
- 药物配制过程需双人核对，且配制后药物需在规定时间内使用，避免降解影响实验结果。

8.3.2 实验操作规范

实验操作应符合以下要求，包括但不限于：

- 药物筛选实验严格遵循预设方；
- 实验过程中，对给药时间、剂量、方式等关键操作进行记录；
- 设置足够数量的生物学重复和技术重复，减少实验误差。

8.3.3 数据质量保证

数据质量保证应符合以下要求，包括但不限于：

- 数据采集宜使用经校准的仪器设备；
- 实验数据宜及时、完整记录，原始数据不得随意修改，若需修正需注明原因并签字确认；
- 数据分析前对数据进行完整性和逻辑性检查，采用合适的统计方法，必要时邀请统计学专家参与分析。

8.4 人员与环境质量控制

8.4.1 人员资质与培训

参与基于诱导多能干细胞的疾病模型构建与药物筛选的人员需具备相关专业知识和技能，参加技术培训和考核，掌握最新的实验技术和质量控制要求。

8.4.2 实验室环境管理

实验室环境应符合以下要求，包括但不限于：

- 实验室需符合生物安全要求，对实验区域进行清洁、消毒，监测温湿度、洁净度等环境参数；
- 实验仪器设备需定期校准和维护，建立设备使用和维护记录。

9 结果评估

9.1 评估原则

9.1.1 科学性

结果评估需基于实验设计与检测方法，采用已验证的技术手段和分析方法。

9.1.2 客观性

评估过程应避免人为干扰与主观偏见，数据采集、分析及结果判定需以实际实验数据为依据。

9.1.3 全面性

从疾病模型构建的准确性到药物筛选的有效性，对各个环节进行多维度、多层次评估，综合考量细胞、组织、功能等多方面指标。

9.2 疾病模型构建结果评估

9.2.1 细胞水平模型评估

9.2.2 细胞特性检测

细胞特性检测宜符合以下要求，包括但不限于：

- 通过免疫荧光染色、流式细胞术等方法检测疾病相关细胞标志物表达情况，评估细胞分化方向的准确性；
- 采用细胞活力检测、细胞周期分析等方法，判断细胞功能状态是否符合疾病模型预期。

9.2.2.1 疾病表型验证

对比疾病模型细胞与临床患者细胞的基因表达谱、蛋白表达差异，检测疾病相关基因突变或异常表达情况，验证细胞水平疾病表型的模拟程度。

9.2.3 组织类器官模型

9.2.3.1 组织结构分析

运用组织学染色观察类器官的组织结构特征，与正常组织及临床疾病组织进行对比，评估类器官结构的完整性与疾病特征的相似性。

9.2.3.2 功能指标检测

功能指标检测宜符合以下要求，包括但不限于：

- 通过代谢组学分析类器官的代谢产物，判断其代谢功能；
- 检测类器官分泌的细胞因子、生长因子和激素等物质水平，评估其内分泌和旁分泌功能是否符合疾病模型需求。

9.2.4 动物移植模型

9.2.4.1 临床症状观察

定期记录动物的行为学变化（包括但不限于运动能力、饮食情况、精神状态等）、体征指标（包括但不限于体重、体温等），与疾病临床症状进行对照，评估模型动物疾病表型的出现与发展情况。

9.2.4.2 病理与功能检测

病理与功能检测宜符合以下要求，包括但不限于：

- 对移植组织或相关器官进行组织病理学检查，通过病理评分量化组织损伤程度；
- 利用影像学技术观察器官形态和功能变化，结合血液生化指标检测（包括但不限于肝肾功能、炎症因子水平等），综合评估动物移植模型的疾病模拟程度。

9.3 药物筛选结果评估

9.3.1 药物有效性评估

9.3.1.1 细胞与组织水平

细胞与组织水平宜符合以下要求进行评估，包括但不限于：

- 对比药物处理组与对照组在细胞活力、凋亡率、特定蛋白表达量、类器官组织结构修复等指标上的差异，判断药物对疾病模型细胞或组织的改善效果；
- 分析药物处理后疾病相关信号通路的激活或抑制情况，探讨药物作用机制。

9.3.1.2 动物水平

动物水平宜符合以下要求进行评估，包括但不限于：

- 通过动物行为学改善程度、血液生化指标恢复情况、组织病理损伤修复程度等，评估药物在整体动物模型中的治疗效果；
- 统计药物处理组与对照组动物的生存率、疾病进展时间等，量化药物对疾病进程的影响。

9.3.2 药物安全性评估

9.3.2.1 细胞毒性检测

细胞毒性检测宜符合以下要求进行评估，包括但不限于：

- 采用体外细胞毒性实验评估药物对正常细胞的毒性作用；
- 检测药物处理后细胞内活性氧水平、DNA 损伤情况等，判断药物潜在的细胞毒性机制。

9.3.2.2 动物毒性观察

动物毒性观察宜符合以下要求进行评估，包括但不限于：

- 在药物筛选实验过程中，密切观察动物的不良反应（包括但不限于呕吐、腹泻、过敏反应等）；
- 实验结束后，对动物重要脏器进行组织病理学检查，评估药物对器官的潜在损伤。

9.4 数据处理与结果判定

9.4.1 数据分析方法

运用合适的统计学软件对实验数据进行处理，比较不同组间数据差异，确定差异的统计学显著性。

9.4.2 结果判定

结果判定宜符合以下要求进行判定，包括但不限于：

- 依据预设的评估指标和阈值，结合统计学分析结果，对疾病模型构建质量和药物筛选效果进行判定；
- 若疾病模型在关键指标上与临床疾病特征高度相似，则认定模型构建成功；
- 若药物处理组在有效性指标上显著优于对照组，且安全性指标符合要求，则判定药物具有潜在研发价值。

9.4.3 结果报告

结果报告宜符合以下要求，包括但不限于：

- 实验结果需以规范的报告形式呈现，内容包括实验目的、方法、数据、分析过程及结论；
- 报告中的数据需附原始记录、统计分析图表等资料。

10 数据记录与报告

10.1 数据记录

10.1.1 总体要求

数据记录应遵循真实、准确、完整、及时的原则，任何修改均需注明原因并由相关人员签字确认。

10.1.2 细胞培养数据

10.1.2.1 原材料信息

原材料信息宜符合以下要求，包括但不限于：

- 详细记录体细胞及诱导多能干细胞相关原材料来源，包括但不限于供体临床信息（包括但不限于疾病诊断、年龄、性别等）、细胞系编号、获取时间、运输与保存条件等；
- 记录培养基、血清、细胞因子等耗材的生产厂家、批号、有效期及质量检测结果。

10.1.2.2 培养过程

每日记录细胞培养环境参数（包括但不限于温度、二氧化碳浓度、湿度等），细胞生长状态（包括但不限于形态、密度、污染情况等），传代时间、传代比例、冻存与复苏操作细节及复苏后细胞活力检测结果。

10.1.2.3 细胞鉴定

记录诱导多能干细胞及分化细胞鉴定的时间、方法（包括但不限于免疫荧光染色、流式细胞术、核型分析等）、检测指标及结果，保存原始图像、数据文件及分析报告。

10.1.3 疾病模型构建数据

10.1.3.1 构建过程

构建过程记录宜符合以下要求，包括但不限于：

- 记录疾病模型构建各步骤的操作时间、使用试剂及浓度、关键设备参数等；
- 对于基因编辑、诱导分化等操作，记录具体方案、处理时间及处理后细胞或组织的状态变化。

10.1.3.2 中间检测

在疾病模型构建过程中，记录中间检测的时间、方法（包括但不限于类器官形态观察、动物移植部位检查等）、检测指标及结果，发现问题并记录调整措施。

10.1.3.3 验证数据

保存疾病模型验证过程中的所有数据，包括与临床数据对比的分析结果、功能验证实验数据（包括但不限于细胞代谢活性、组织器官生理功能指标等），以及病理分析、基因表达检测等原始数据及图像。

10.1.4 药物筛选数据

10.1.4.1 药物信息

记录药物名称、来源、批号、纯度、储存条件、配制过程（包括但不限于溶剂、浓度计算及稀释步骤等）。

10.1.4.2 实验操作

实验操作宜符合以下要求，包括但不限于：

- 记录药物处理时间、剂量、给药方式，实验分组情况，每组样本数量；
- 记录实验过程中环境参数变化、仪器设备运行状态及异常情况处理。

10.1.4.3 检测数据

完整记录药物筛选过程中各项检测指标的原始数据，包括细胞活力、凋亡率、蛋白表达量、类器官组织结构参数、动物行为学及血液生化指标等。

保存检测过程中的原始图像（如免疫组化染色图片、影像学资料）、仪器输出数据文件。

10.2 报告撰写

10.2.1 报告基本要求

报告基本要求宜符合以下内容，包括但不限于：

- 报告应结构清晰、内容完整，采用规范的学术语言，数据准确无误；
- 报告宜包含实验目的、方法、结果、结论等核心内容，必要时附上参考文献。

10.2.2 报告内容构成

报告内容的构成宜包含封面、目录、摘要、引言、材料与方法、结果、讨论、结论和附录等要素。

10.2.3 报告审核与归档

报告审核与归档宜符合以下要求：

- 报告完成后需经相关人员审核，审核通过后加盖单位公章；
- 建立报告归档制度，应符合《药物临床试验质量管理规范》的要求。

参 考 文 献

[1] 国家药品监督管理局, 国家卫生健康委员会. 2020. 药物临床试验质量管理规范 [国家药监局 国家卫生健康委]. [2026. 12. 31]. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/2020-04/28/content_5507145.htm.

T/CADZ 0056—2025

中 华 人 民 共 和 国
团 体 标 准
基于诱导多能干细胞的疾病模型
构建与药物筛选技术指南

T/CADZ 0056—2025

*

中国开发区协会
网址: www.cadz.org.cn

*

开本 880×1230 1/16 印张 1.5 字数 9 千字
2025 年 12 月第一版 2025 年 12 月第一次印刷

*

如有印装差错 由中国开发区协会调换

版权专有 侵权必究

举报电话: 010-64626215



T/CADZ 0056—2025