

【编者按】值此《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》)正式颁布,并将于2026年5月1日起施行之际,本刊特刊发此篇深度思考文章。作为我国首部专门针对干细胞、基因治疗等生物医学新技术前沿领域的行政法规,《条例》的出台,标志着我国在该领域的行业监管从探索性规范阶段迈入系统化、法制化新阶段。其确立的“宽进、严出、强监管”原则与“3+2+2”实施框架,不仅将对整个生物医学新技术生态产生深远重塑,更为推进“健康中国”战略中“加快生物医药科技创新、保障人民生命健康”的宏伟目标,提供了关键制度支撑与实践路径。

本文并非简单的政策解读,而是一篇源于实践一线、兼具洞察力的操作指南与战略前瞻。作者依托长期深耕干细胞临床转化的经验,精准剖析了《条例》背后“程序简化与责任强化相统一”的治理逻辑,系统阐释了“双轨制”中医疗技术路径得以疏通的重要价值。尤为可贵的是,文章未止步于文本分析,而是创造性提出面向医疗机构的“1443”能力建设框架,以及面向企业的“五步行动路线图”。这些基于实践凝练的实施方案,旨在为各相关方面将《条例》的制度要求转化为具体行动提供一份有价值的参考,也为深入思考如何推动生物医学新技术的安全有效应用与提升百姓可及性贡献了清晰的实践思路。

当前,《条例》配套细则仍在制定过程中,行业对未来发展既充满期待,也面临诸多实操困惑。在此背景下,本文的发表恰逢其时。它不仅有助于读者深刻理解监管逻辑的变革方向,更能启发医疗机构、企业等主体主动开展前瞻性布局,在合规框架内寻求创新突破。本刊希望借此文,推动学术界与产业界更深入地思考:在新的监管范式下,如何进一步夯实科学研究基础、完善质量控制体系、强化伦理审查意识,共同构建安全、有效、可及、可持续的生物医学新技术创新生态系统。最终让先进的生物医学新技术成果真正惠及人民健康,为我国在生物医学前沿领域实现引领发展、助力“健康中国”战略目标落地注入强劲的学术与产业动力。

## 《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》的深度思考:机遇、挑战及实施路径

汤红明

【摘要】《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》)的颁布是我国生物医学新技术监管史上的里程碑,标志着该领域正式迈入“宽进、严出、强监管”的治理新阶段。本文基于笔者在干细胞临床研究和临床转化领域的长期实践,对《条例》的立法背景、核心框架与治理逻辑进行系统性剖析与深度思考。《条例》所确立的“宽进”,其本质乃程序性门槛简化与实质性责任强化的辩证统一;其所强调的“严出”,通过国家级“双评估”机制与全周期动态监管,为临床转化构筑坚实的质量与伦理防线;其所依托的“强监管”,则通过赋予实质性执法权、设定梯度化法律责任及推行个人“双罚制”,构建贯穿全程的责任链条与威慑体系。值得注意的是,《条例》彻底疏通干细胞治疗“双轨制”中的医疗技术路径,并通过“三阶段、双审查、双评估”(即“3+2+2”)监管框架,为技术创新与转化提供了清晰路径。然而,作为一部框架性立法,《条例》在审查机制、评估主体资质、临床应用准入标准及技术产品分类界定等关键环节的配套细则仍待明确,其落地仍面临从“文本”到“实践”的挑战。基于此,本文从医疗机构、企业及监管协同等多维视角,提出具有可操作性的系统实施建议,强调各方需前瞻布局、夯实内功、协同共建,方能将政策机遇转化为临床价值,共同推动我国生物医学新技术产业在规范中创新、在监管下突破。

【关键词】 生物医学; 干细胞; 监管科学; 临床转化; 监管框架

DOI: 10.3877/cma.j.issn.2095-1221.2026.01.008

作者单位: 200123 上海, 同济大学附属东方医院干细胞基地 国家干细胞转化资源库 上海干细胞临床转化研究院

通信作者: 汤红明, Email: thmlzrmht@163.com

**A deep thinking on the Regulations on the Clinical Research and Clinical Translation Application of New Biomedical Technologies: opportunities, challenges and implementation pathways** Tang Hongming. *Translational Medical Center for Stem Cell Therapy, Shanghai East Hospital, Tongji University; National Stem Cell Translational Resource Center; Shanghai Institute of Stem Cell Research and Clinical Translation, Shanghai 200123, China*

Corresponding author: Tang Hongming, Email: thmlzrmht@163.com

**【Abstract】** The promulgation of the "Regulations on the Clinical Research and Clinical Translation Application of New Biomedical Technologies" (hereinafter referred to as the "Regulations") constitutes a milestone in the history of regulating new biomedical technologies in China, marking the formal entry of this field into a new stage of rule-of-law characterized by "lenient entry, strict exit, and strong supervision". Based on the author's long-term practice experience in the field of clinical research and clinical transformation of stem cells, this article provides a systematic analysis and deep thinking on the legislative background, core framework, and underlying governance logic of the "Regulations". The article points out that the "lenient entry" established by the "Regulations" is, in essence, a dialectical unity of simplified procedural thresholds and strengthened substantive responsibilities. The "strict exit" emphasized by the "Regulations" builds a solid quality and ethical defense line for clinical translation through a national-level "dual-evaluation" mechanism and whole-cycle dynamic supervision. The "strong supervision" it relies on constructs a whole-process, clear-responsibility chain and deterrent system by granting substantive enforcement powers, establishing graded legal liabilities, and implementing a "dual punishment" system for individuals. Particularly importantly, the "Regulations" thoroughly unblock the medical technology pathway within the "dual-track" system for stem cell therapy, and provide clear guidance for technological innovation and translation through the "three stages, dual reviews, dual evaluations" (i.e., "3+2+2") regulatory framework. However, as a framework legislation, the supporting rules and technical guidelines for key links such as the review mechanism, qualification of assessment bodies, clinical application access standards, and the classification criteria of technologies and products in the "Regulations" still need to be clarified, and its implementation still faces challenges from "text" to "practice". Based on this, from the multiple perspectives of medical institutions, enterprises, and regulatory coordination, this article proposes systematic and actionable implementation suggestions, emphasizing that all parties need to plan ahead, consolidate internal capabilities, and collaborate to build together, in order to translate policy opportunities into clinical value, and jointly promote the standardized, safe, and efficient development of China's new biomedical technology industry.

**【Key words】** Biomedical; Stem Cells; Regulatory Science; Clinical Translation; Regulatory Framework

生物医学新技术,特别是干细胞、免疫细胞和基因治疗等前沿领域,正以前所未有的力量重塑疾病治疗的格局,为众多难治性疾病患者带来希望,已成为全球科技竞争与医学技术革命的核心焦点。然而,这些技术因其作用机制复杂、个体差异显著、伦理考量深远,以及患者潜在的长期不确定性,对建立在传统小分子药物和医疗器械基础上的监管科学(regulatory science)体系构成了严峻挑战。如何构建一个既能有效管控风险、保障研究参与者(即受试者,下同)与患者权益,又能充分激发创新活力、加速前沿成果转化的监管范式,是全球主要国家面临的共同课题。

我国在生物医学新技术监管领域经历长达10余年的积极探索与实践摸索。自《干细胞临床研究管理办法(试行)》(2015年)<sup>[1]</sup>、《体细胞治疗临床研究和转化应用管理办法(试行)》等部门规章相继出台以来,初步构建我国细胞治疗领

域的监管雏形,为后续工作积累宝贵经验。然而,这些规章也存在法律层级偏低、部分条款约束力不足、不同规章间协调不畅,以及最被业界所诟病的“转化路径不清晰”等系统性问题。其中,干细胞治疗长期处于“身份不明”与“出口堵塞”的尴尬境地。尽管“医疗技术”与“药品注册”的“双轨制”监管思路早已提出,但2015年《干细胞临床研究管理办法》第五十一条“按照本办法完成的干细胞临床研究,不得直接进入临床应用”的规定<sup>[1]</sup>,如同一道无形的闸门,使得“医疗技术”这一路径在实践层面长期处于“断路”状态,使得部分完成临床研究的技术成果无法合法、合规地惠及更广泛的患者群体。2024年海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区在“双轨制”上的区域性试点突破,为国家层面的制度创新提供宝贵的“压力测试”与实践经验<sup>[2]</sup>。

在此背景下,2025年10月10日,国务院正式颁布《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》),并定于2026年5月1日起施行<sup>[3]</sup>。作为国家层面首部专门针对干细胞、体细胞、基因治疗等前沿生物医学技术的行政法规,《条例》的出台不仅填补法律空白,更是一次深刻的治理理念革新与监管模式的系统性重构。它标志着我国生物医学新技术监管从相对分散、主要依赖部门规章和规范性文件的“前法规时代”,正式迈入系统化、法制化的“强监管时代”。

基于笔者多年在干细胞临床研究、资源库建设及临床转化一线的实践经验与体会:《条例》绝非简单的旧规整合或流程修补,其背后蕴含的是国家对于平衡科技创新与风险管控、激发市场活力与促进人民健康的顶层设计与战略考量。本文旨在透过表层的条文解读,从实践者与思考者的双重角度,对《条例》的立法精髓、核心创新、潜在挑战与未来实施路径进行深度剖析与前瞻思考,以期为医疗机构、研发企业、监管部门及广大科研同行理解和贯彻《条例》,并规划未来发展提供有价值的参考。

## 1 “宽进、严出、强监管”: 治理逻辑的深刻变革与内在统一

《条例》最核心的贡献在于其系统性地确立“宽进、严出、强监管”这一核心治理原则。必须深刻认识到,这三者并非简单的线性组合或孤立存在,而是一个相互关联、互为支撑、内在统一的有机整体,共同构成了新时期我国生物医学新技术治理的底层逻辑与鲜明特色。

### 1.1 “宽进”: 程序简化与责任强化的辩证统一, 绝非标准的降低

“宽进”最直观的体现是临床研究启动环节从事前审批制向备案管理制的根本性转变。《条例》第十六条规定, 临床研究机构在通过其学术委员会与伦理委员会的“双审查”并提交真实、准确、完整的备案资料后, 即可开展研究, 无需等待<sup>[3]</sup>。从实践视角看, 这一转变将极大地优化流程, 缩短研究启动周期, 是国家鼓励创新、信任科研主体自律能力的创新之举, 旨在从源头上解决“启动难”的瓶颈问题。

相较于《干细胞临床研究管理办法》等既往文件中可能存在的更高条件(如要求机构“承担干细胞研究领域重大研究项目”)<sup>[1]</sup>, 《条例》第十一条将临床研究机构资质明确为具备三级甲等医院资质、设有合规的学术与伦理委员会、拥有相适应的设施、设备、人员及管理制度等条件; 第十三条将项目负责人资格明确为“具备执业医师资格与高级职称”(包含副高级)。这些规定扩大了潜在合格主体的范围, 使得全国约1300家已完成药物临床试验机构(GCP)备案的三甲医院, 特别是其中已积累经验的139家干细胞临床研究备案机构, 能够更广泛地参与到生物医学新技术的临床研究中<sup>[4]</sup>。

然而, 我们必须清醒地认识到, “宽进”的实质是“监管关口的前移与责任的压实”, 绝非安全性与科学性标准的降低。其核心在于将准入管理的重心, 从前置性行政审批转移并压实至2个关键环节: 一是研究机构自身的学术与伦理审查能力与责任; 二是临床研究发起机构对技术非临床研

究证据充分性与真实性的“主体责任”。《条例》第九条明确规定, “开展临床研究前, 应当通过非临床研究(包括实验室研究、动物实验等)证明该技术安全、有效”<sup>[3]</sup>。这一要求是开展生物医学新技术临床研究不可逾越的门槛。因此, 这实质上是一种“程序性门槛优化, 实质性标准趋严”的治理智慧——通过简化行政流程以释放创新活力, 通过强化源头责任以确保研究质量, 实现“放管服”改革的有机融合。笔者认为, 这种模式对研究机构和发起机构的内部质量管理体系和科学诚信提出了远比形式审查更高的要求。

### 1.2 “严出”: 国家级权威评估与全周期动态监管, 构筑临床应用的双重防线

“严出”是针对技术从研究走向规模化临床转化应用所设置的严格、权威的放行闸口, 体现对人民生命健康负责的审慎原则和底线思维。《条例》第二十九、三十一条明确规定, 技术的临床转化应用必须报请国务院卫生健康部门批准, 其决策依据是由其认定的专业机构并行开展的“技术评估”与“伦理评估”所构成的“双评估”机制<sup>[3]</sup>。笔者在多年的临床研究管理与转化实践工作中深刻体会到, 这一国家级、第三方、专业化的评估体系, 旨在建立一个独立、客观、公正的技术筛选机制, 是确保临床转化应用前技术安全、有效、合规的核心保障, 也是对每一位未来潜在患者生命健康的承诺。

其中, 《条例》并未对“双评估”阶段设置明确的时限规定, 这为整体审批周期带来了一定的不确定性, 也要求所有申请主体必须摒弃“短平快”的侥幸心理, 以最高标准做好充分的技术准备、数据储备及时间规划。

更为重要的是, “严出”的责任与监管并未终止于批准临床转化应用的一刻。《条例》第三十七条创造性地设立动态再评估机制, 明确规定当出现“科学研究发展对技术安全性、有效性产生新认知”、“临床应用中出现严重不良反应”或“其他不可控风险”等特定情形时, 国务院卫生健康部门将依法启动对其安全性和有效性的强制性再评估<sup>[3]</sup>。再评估期间, 该技术的临床应用必须暂停; 若最终结论确认其无法保障安全有效, 则将永久禁止其临床应用。这与国际先进的监管科学中强调的“全生命周期管理(total product lifecycle)”理念高度契合。

### 1.3 “强监管”: 贯穿全程的责任链条与梯度威慑, 确保治理逻辑的有效落地

“强监管”是确保“宽进”不放任、“严出”不落空的坚实保障, 其核心在于构建一个覆盖从研究备案、过程实施到转化应用乃至退出市场全过程的、权责清晰、惩罚有力、威慑有效的监管与法律责任体系。

《条例》第三十八、三十九条明确赋予县级以上地方人民政府卫生健康主管部门实质性的监督检查权与执法手段, 其中包括: 进入现场检查、查阅复制资料、查封扣押涉嫌违法的药品、器械、设施和设备等<sup>[3]</sup>。这使得监管权力真正“长出牙齿”, 能够对违法行为形成即时、有效的干预与震慑。

《条例》第六章“法律责任”部分设定严厉且梯度极其分明的罚则。对违规开展禁止类临床研究或应用的机构,最高可处违法所得10倍以上20倍以下的罚款,并可吊销医疗机构执业许可证;对未经安全有效性验证或未通过“双审查”即开展临床研究的,最高可处违法所得5倍以上10倍以下的罚款<sup>[3]</sup>。特别地,第四十五条等条款明确了对“负有责任的领导人员和直接责任人员”个人进行处罚的“双罚制”,依法处以罚款,并可以责令暂停执业活动直至吊销执业证书<sup>[3]</sup>。笔者看来,这种穿透法人实体的个人追责机制,是此次立法的一大亮点,它能有效根治过去可能存在的“单位担责、个人无涉”的顽疾,真正将合规意识与责任压力传导至每一个决策与执行环节。卓文利等<sup>[5]</sup>在早期的干细胞实验研究中亦强调,明确且严格的责任划分是保障技术安全应用的基石。

这种贯穿全程、动真格的强监管体系,最终目的在于引导所有参与方——包括临床研究机构、发起单位及研究者——将合规要求内化于心、外化于行,在整个行业生态中培育一种对生命负责、对科学敬畏、对规则尊重的普遍自觉与文化。

## 2 “3+2+2”监管框架:全链条、系统性的路径设计与科学内涵

《条例》所确立的“宽进、严出、强监管”治理原则,并非抽象的理念,而是通过一套制度化、结构化的操作框架得以具体实现与贯穿始终。这一框架即“三阶段、双审查、双评估”(“3+2+2”),它是对三大治理原则的系统性承接与实践转化:“宽进”精神主要体现在以机构“双审查”为核心的临床研究备案制启动阶段;“严出”要求则通过国家级“双评估”这一终极关卡及贯穿研究阶段的科学严谨性予以保障;“强监管”依托于覆盖从非临床到转化应用全过程的动态监督与法律责任体系,确保前两大原则的有效落实。

### 2.1 三阶段递进:证据链的持续生成与技术成熟度的阶梯式提升

#### 2.1.1 非临床研究阶段

非临床研究阶段是技术转化的“奠基石”与科学起点。此阶段的核心目标是通过系统的实验室研究、体外实验及动物实验,为拟开展的临床研究提供初步但坚实的安全性与有效性证据。《条例》明确,临床研究发起机构(中国境内依法成立的法人)必须对此阶段所有验证工作的真实性、充分性及科学性承担无可推卸的“主体责任”<sup>[3]</sup>。这一定位至关重要,它从源头上明确了技术创新的第一责任主体。

#### 2.1.2 临床研究阶段

临床研究阶段是在人体中进行系统验证的“试金石”。此阶段必须在符合《条例》规定资质的三级甲等医疗机构中,严格按照共同制定的、科学严谨的临床研究方案实施。其核心目标是在可控的环境下,于研究参与者中进一步确认技术的安全性、探索有效剂量与用法,并为是否能够进入最

终的临床转化应用提供至关重要的决策依据。这一设计体现从探索性研究到确证性研究,最终实现标准化临床转化应用的科学规律,符合国际通行的证据生成模式。

#### 2.1.3 临床转化应用阶段

临床转化应用阶段是技术普惠广大患者的“准入门”与价值实现环节。《条例》第三十四条创新性地采用“申请-实施”相分离的机制。临床研究发起机构是提出临床转化应用的法定主体,负责汇总并提交从非临床到临床研究的全部证据链;而任何具备“国务院卫生健康部门规定条件”的医疗机构,均可成为该技术的实施主体<sup>[3]</sup>。这一方面明确前期研发者的核心权责,保障其创新投入的回报预期;另一方面打破以往可能存在的技术壁垒,有利于技术一旦获批后,能够在更广泛的合规医疗机构中快速、规范地转化应用,极大地促进了技术的可及性与普惠性。

### 2.2 双审查机制:研究启动的伦理与科学双重阀门,缺一不可

在每一项生物医学新技术临床研究启动之前,都必须同时开启学术审查与伦理审查这两个至关重要的“安全阀门”,二者并行不悖,构成研究质量与伦理合规的源头保障。

#### 2.2.1 学术审查

学术审查由临床研究机构内设的学术委员会执行,其核心职责是从科学层面评估研究的创新性、理论依据的充分性、研究设计的合理性以及实施的可行性。简言之,学术审查旨在回答“这项研究在科学上是否值得做,以及是否能够严谨地做成”。

#### 2.2.2 伦理审查

伦理审查由独立设立的伦理委员会负责,其核心使命是保护研究参与者的权益与安全。审查重点包括风险与受益的评估是否合理、研究参与者的选择是否公平、知情同意过程是否充分、自由且规范,以及对隐私保护和数据安全的措施是否到位。伦理审查本质上是对“这项研究在伦理上是否应该进行”的价值判断,设定研究的道德底线。笔者体会,近年来全球范围内对研究伦理的重视程度日益提升,2024年第七十五届世界医学会通过的《赫尔辛基宣言》最新修订版,已将以往指代参与医学研究人群的“受试者(subject)”调整为更具主动性与尊重意味的“研究参与者(research participant)”。这一术语转变体现对个体自主性与贡献的更深刻尊重。我国2023年发布的《涉及人的生命科学和医学研究伦理审查办法》也已体现这一理念<sup>[6]</sup>。因此,笔者建议,在未来《条例》修订或其配套细则制定时,考虑对相关术语进行更新,以更好地与国际伦理准则同步,彰显理念的进步。

### 2.3 双评估机制与双特定程序:转化应用的终极关卡与灵活应对

#### 2.3.1 双评估机制

“双评估”是生物医学新技术迈向临床转化应用所必须通过的、国家级别的“终极关卡”。技术评估由国务院卫生健康部门认定的专业机构执行,旨在从专业技术的角度,对拟

转化技术的成熟度、安全性数据、有效性证据以及质量控制体系进行全面的、权威的验证与评判。伦理评估同样由专业机构执行,但其视角更为宏观和前瞻。它不仅复核临床研究阶段伦理审查的执行与合规情况,更需要深入评估该技术在未来大规模临床转化应用时可能引发的社会、伦理及法律问题,确保技术的发展与应用符合国家伦理准则和社会核心价值观。正如 Daley 等<sup>[7]</sup> (2016) 在 *Cell Stem Cell* 中强调的,对于干细胞等前沿技术,前瞻性地评估其广泛的社会伦理影响,是负责任创新不可或缺的一环。

### 2.3.2 双特定程序

在“双评估”之外,《条例》还设立“双特定”程序,体现了监管的原则性与灵活性的高度统一:一是针对在临床应用中出现特定严重安全问题的技术,启动“强制性再评估”;二是为治疗严重危及生命且尚无有效手段的疾病,或应对重大公共卫生事件的技术,开设“优先审查审批”通道<sup>[3]</sup>。这既坚守安全底线,又满足迫切的临床需求。

## 3 干细胞治疗“双轨制”的关键疏通:路径选择与战略考量

“双评估”机制为所有生物医学新技术设定了统一的、高标准的出口,而对于干细胞治疗而言,《条例》的另一项具有里程碑意义的突破,在于从国家层面彻底疏通了其特有的“双轨制”转化路径。

历史性的制度突破体现在 2015 年《干细胞临床研究管理办法》第五十一条“按照本办法完成的干细胞临床研究,不得直接进入临床应用”的规定被《条例》实质性取代和废止<sup>[1]</sup>。这意味着,通过《条例》规定的程序完成临床研究的干细胞技术,终于可以合法地以“医疗技术”的身份申请进入临床转化应用,从而结束医疗技术路径长期“堵塞”的状态。

### 3.1 路径比较与战略选择方面

至此,企业或研发机构可以根据自身产品的技术特点、目标适应证、生产规模化能力、质量控制水平及商业模式等,自主、灵活地选择最适合的转化路径。医疗技术路径通常适用于技术相对成熟、个性化程度较高、与特定医疗机构临床能力结合紧密、标准化生产与质控挑战较大的项目。该路径审批周期可能相对较短,更强调技术在特定医疗场景下的安全有效应用。药品注册路径适用于具备明确药理学作用、可进行标准化、规模化生产、质量控制体系完善,且目标市场广泛的干细胞产品。此路径遵循《药品管理法》及相关技术指导原则,审批标准极其严格、周期长、投入大,一旦获批,更易于实现全国范围内的市场准入、价格谈判与医保支付。

### 3.2 企业的战略考量方面

笔者建议研发主体应在项目立项之初,甚至临床研究设计阶段,就进行深入的路径评估。这一定位将直接影响后续的研发方向、合作伙伴选择、资源投入策略以及最终的商业化模式。正确的路径选择是成功转化的第一步,也是至关重要的一步。

## 4 待明细则与实施挑战:从“文本”到“实践”的最后一公里

《条例》作为一部框架性、原则性的顶层立法,其有效实施和精准落地,高度依赖于一系列配套实施细则、技术指南及工作规范的及时出台与协同完善。当前,仍有若干关键环节存在模糊地带,构成《条例》从“宏伟蓝图”变为“生动实践”必须跨越的“最后一公里”。

### 4.1 审查机制的具体渊源亟待明确

《条例》第十四条要求两委员会“按照规定”进行审查,但条例本身并未明确其具体的组成与运作规则。其操作是直接适用 2023 年国家卫生健康委等发布的《涉及人的生命科学和医学研究伦理审查办法》<sup>[8]</sup>,还是需要针对生物医学新技术的特殊性另行制定专门规定?这需要主管部门予以明确,以统一全国审查尺度。

### 4.2 评估主体的资质与规范尚待确立

《条例》第十七条、三十一条、三十七条中承担评估与再评估职责的“专业机构”,其认定标准、资质要求、利益冲突回避机制,以及评估的具体工作规范、流程与技术标准,均属于待定事项。笔者尤为关切的是,若这些核心要素长期不明,可能导致“双评估”在实际操作中出现机构能力参差不齐、评估标准尺度不一的现象,进而影响审批的效率与公信力,这与《条例》力求构建全国统一、专业、高效的监管体系的初衷相悖。

### 4.3 临床应用准入的具体条件有待细化

《条例》第三十四条中,医疗机构开展临床转化应用应具备的“规定条件”是决定技术获批后能否快速推广的核心。这些条件预计将在细胞制备能力、人员资质、设施设备、管理体系等方面设立较高门槛。其具体内容亟待细化,以便医疗机构能够提前对标建设。

### 4.4 技术与产品的分类界定原则亟需出台

《条例》第五十五条授权国务院卫生健康部门会同药品监督管理部门,制定生物医学新技术与药品、医疗器械的分类界定指导原则<sup>[3]</sup>。这一原则的清晰与否,直接关系到“双轨制”边界的具体划定,是避免监管重叠、空白的关键前提。

## 5 多元主体协同推进的实施建议与前瞻布局

面对《条例》带来的历史性机遇与系统性挑战,行业各相关主体需要以积极、主动、专业的姿态,迅速将政策认知转化为体系化的行动能力。

### 5.1 医疗机构:系统构建临床研究与应用的核心能力——基于“1443”框架的实施方案

医疗机构作为技术临床研究与转化的关键实施主体,其体系化能力建设是《条例》有效落地的重要基础。为系统回应《条例》对医疗机构提出的新要求,本文基于监管科学与机构治理理念,结合行业实践需求,提出一套集成化、操作性的“1443”临床研究与应用能力建设框架。该框架旨在为医疗机构系统规划发展路径提供参考。具体而言,医疗机构应注重以下 4 个方面的协同推进。

一是紧扣一个监管认知前提。决策层、管理层、研究团队需深入研读《条例》，准确理解“宽进”中备案制的程序便利与主体责任、“严出”中双评估的权威性与不确定性，以及“强监管”中法律责任尤其是个人“双罚制”的严肃性，从而牢固树立合规红线意识。

二是落实四项研究启动基础。在具体项目启动前，医疗机构需：明确聚焦临床需求与自身优势的适应证；建立覆盖细胞“来源-采集-制备-质检-储存-运输”全链条、可追溯的闭环质控体系；通过纵向课题、横向合作、机构自筹等多渠道规划可持续的经费来源；与临床研究发起机构共同制定科学、严谨且符合监管要求的研究方案。

三是完成四项机构能力准备。为实现研究的规范实施与未来的转化承接，医疗机构应：高标准组建独立运作的学术与伦理委员会；建立并完善涵盖质量、风险、数据、伦理等全流程的内部管理制度体系；尽快完成药物临床试验机构(GCP)备案以获取基础资质；参照药品GMP等高标准，前瞻性布局临床转化应用所需的人员、设施与管理能力。

四是关注行业三大发展态势。医疗机构需具备战略眼光，关注：技术获批后准入放开带来的市场普惠化机遇；国家即将公布的临床应用高标准准入条件所带来的现实挑战；以及已完成干细胞临床研究备案的机构所积累的先发优势，并思考如何巩固与扩大该优势。

郭丰丽等<sup>[8]</sup>的研究表明，完善的院内治理体系是保障临床研究质量与效率的关键。因此，系统性地构建上述能力，不仅是满足《条例》合规要求，更是医疗机构夯实其作为生物医学技术创新策源地与临床应用主阵地核心竞争力的必然选择。

## 5.2 企业：主导转化全过程，构建“五步行动路线图”

《条例》明确企业作为“临床研究发起机构”与“转化应用申报主体”的法律地位，实质上确立其在生物医学新技术从研发到临床应用全链条中的核心责任与主导作用。面对这一根本性转变，企业需要系统建立应对策略。为将《条例》设定的主体责任与全周期管理要求转化为可执行的行动指南，本文综合考量企业战略管理与质量管理核心要素，提出一个清晰的“五步行动路线图”框架。该框架旨在为企业战略转型与能力建设提供结构化的思路。

第一步，重塑角色认知，确立全过程主体责任。企业需超越传统的“参与者”或“资金支持者”定位，从战略层面认识到自身已成为技术从实验室走向临床的第一责任主体与全程管理者。这意味着必须主动承担起从早期技术立项、非临床研究，到临床研究组织、数据管理，直至临床转化应用申报的全链条、一体化管理职责。

第二步，审慎评估路径，制定清晰的临床转化应用策略。在研发项目启动或早期阶段，企业即应对“医疗技术”与“药品注册”双轨转化路径进行前瞻性、系统性地评估。路径决策应基于产品技术特点、目标市场、生产模式、资金规划及团队能力等综合因素，并使后续所有研发、质控及注册活动均围绕这一战略核心展开，避免方向摇摆。

第三步，夯实质量体系，构建全链条管控能力。质量是转化的生命线。企业必须建立并持续完善覆盖“细胞来源-制备-质检-储存-运输-临床使用”的全过程、可追溯、可核查的质量管理体系。同时，需配套建立独立、有效的药物警戒(安全性监测)、数据管理、风险管控等专项制度与执行团队，确保研究数据的真实性、完整性及产品的安全可控。

第四步，开放协同创新，融入产业生态系统。企业难以独立完成复杂转化。应主动构建开放式的“研发-临床-资本-产业”协同网络，与具备相应资质和研究能力的高水平医疗机构建立长期、深度的战略合作；积极对接并引入契合发展阶段的产业基金与社会资本；并参与或引领相关技术标准、临床操作规范的讨论与制定，从而在产业生态中提升影响力和话语权。

第五步，建立响应机制，动态适应政策环境。《条例》作为框架性立法，其具体实施依赖于后续一系列配套细则的出台。企业需建立常态化的政策跟踪、研究与内部响应机制，密切关注监管动态，及时研判影响，并据此对研发策略、项目规划与申报方案进行前瞻性调整与动态优化，以在持续变化的监管环境中保持主动与合规。

通过系统性地构建这一“五步行动路线图”，企业不仅能够有效履行《条例》所赋予的法定责任，更能将政策要求内化为驱动自身研发体系升级、管理能力跃迁的战略机遇，从而真正扮演好生物医学技术创新与转化的核心引擎角色。

## 5.3 多方协同共治：构建健康可持续的创新生态系统

《条例》的有效实施与行业的健康发展，有赖于监管机构、行业组织、学术界及公众等多元主体的共同参与和协同共治。一个权责清晰、沟通顺畅、相互支撑的治理生态系统，是平衡创新活力与风险管控、推动生物医学新技术行稳致远的关键。

从监管机构角度，首要任务在于完善配套制度供给。需加快制定并发布关于审查机制、评估标准、机构准入条件等关键环节的实施细则、技术指南与工作规范，为《条例》的精准执行提供清晰、可操作的技术与管理依据。同时，为保障监管的专业性、统一性及高效性，探索建立或明确一个常设性、高规格的专职协调机构(如跨部门办公室或专门司局)来统筹全国监管工作，或许是有益的组织保障考虑。这有助于统一尺度、集中资源，并确保对新兴技术挑战的快速响应能力。

行业组织作为连接政策与市场的桥梁，其作用至关重要。应主动组织高质量的政策解读、专业技术培训与跨机构经验交流，帮助各类主体准确理解监管意图、掌握合规要求。更重要的是，通过倡导行业自律、组织制定团体标准、推广最佳实践，推动形成自我规范、有序竞争、追求卓越的行业文化，从内部夯实整个生态的治理基础。

学术界与公众的积极参与，则为这一生态系统注入了科学理性与社会价值考量。学术界，特别是生命伦理、法律、社会学等领域的研究者，应更深入地参与到技术评估、伦理审查及社会影响的前瞻性讨论中，为监管决策和行业实践提供

多维度的学理支撑。同时,加强面向公众的、客观准确的前沿科技传播,增进社会对技术潜力与局限性的理解,建立基于知情和理性的公众信任,是技术获得长期社会认可、营造负责任创新氛围的基石。

最终,通过监管的科学引领、行业的自律发展、学术的理性审视与公众的知情参与,各方协同共治,方能构建一个既能激发创新活力,又能有效防范风险,兼具包容性与韧性的生物医学新技术创新生态系统,确保前沿技术真正服务于人民健康。

## 6 总结与展望

《条例》的颁布,标志着我国生物医学创新治理迈入体系化、法治化的新阶段。通过确立“宽进、严出、强监管”的治理原则,并构建起“三阶段、双审查、双评估”的系统框架,《条例》为行业规范发展提供清晰的制度预期与坚实的法律基础,既致力于激发创新活力,也牢牢守住安全与伦理的底线。

尽管制度蓝图已然绘就,但从文本规范到实践落地,依然任重道远。这不仅要求监管机构加快完善配套细则、提升专业监管能力,也需要医疗机构与企业迅速构建与之相适应的内部治理体系,更需要学术界、行业组织及社会公众的广泛参与和监督,形成协同共治的合力。

基于笔者在转化一线的观察,新政的有效实施,关键在于实现政策的“确定性”、科学探索的“不确定性”及市场机制的“灵活性”三者间的动态平衡。同时,制度的成功不仅依赖于顶层设计,更取决于执行层面的支撑要素:包括高水平、跨学科评审专家队伍的培育;跨部门政策协调与数据共享机制的畅通;对前沿探索中固有风险与失败的科学认知与适度包容的文化;以及监管机构自身学习与适应能力的持续建设。这些制度执行层面的支撑要素,将在更深层次上决定《条例》的实施效能与行业的创新质量。

在夯实国内实施基础的同时,也应认识到,我国《条例》所确立的“医疗技术”转化路径,本身即为全球生物医学监

管提供独特的“中国方案”。未来,在配套细则的制定与动态调整中,可积极借鉴美国食品药品监督管理局、欧洲药品管理局等机构在风险管理、伦理评估框架以及真实世界证据应用等方面的先进监管科学理念,实现国际经验与中国国情和实践需要的有机结合,持续提升我国监管体系的专业性与国际兼容性。

展望未来,机遇与挑战交织。唯有各方深刻理解《条例》鼓励创新与防控风险并重的立法本意,主动顺应监管转型,着力夯实从研发、质控到临床转化应用的全程管理能力,并在开放协作中不断优化创新生态,我国生物医学新技术领域方能稳步、健康地发展。通过将制度优势切实转化为治理效能与发展动能,有望推动中国从生物医学技术大国稳步迈向技术强国,最终让更多前沿科技成果安全、有效地惠及广大患者,为“健康中国”建设贡献坚实的科技力量。

## 参 考 文 献

- 1 国家卫生计生委,食品药品监管总局.细胞临床研究管理办法(试行)[S].国家卫生健康委员会,2015.
- 2 海南省人民代表大会常务委员会.海南自由贸易港博鳌乐城国际医疗旅游先行区生物医学新技术促进规定[S].海南省人民政府,2024.
- 3 国务院.生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例[S].中华人民共和国中央人民政府,2025.
- 4 汤红明.生物医学新技术迎来“宽进、严出、强监管”时代[N].医学科学报,2025,2025-10-31(7).
- 5 卓文利,徐廷昭,吴卫真,等.骨髓间充质干细胞对移植肾缺血再灌注损伤保护作用的实验研究[J/CD].中华细胞与干细胞杂志(电子版),2011,1(1):14-24.
- 6 国家卫生健康委,教育部,科技部,等.涉及人的生命科学和医学研究伦理审查办法[S].国家卫生健康委员会,2023.
- 7 Daley G Q. The promise and peril of stem cell therapeutics[J]. Cell Stem Cell, 2012, 10(6):740-749.
- 8 郭丰丽,李利娟,阮先辉,等.甲状腺髓样癌复发或转移的影响因素[J].中华医学杂志,2022,102(48):3849-3855.

(收稿日期:2025-12-02)

(本文编辑:李少婷)

汤红明.《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》的深度思考:机遇、挑战及实施路径[J/OL].中华细胞与干细胞杂志(电子版),2026,16(1):56-62.