

《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》解读问答

《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》)将于2026年5月1日起正式施行,为做好《条例》贯彻实施,国家卫生健康委制定发布了相关配套文件。日前,国家卫生健康委科教司负责人就各方关注问题回答了记者提问。

1.《条例》与《中华人民共和国药品管理法》《医疗器械监督管理条例》的关系是什么?将会发挥什么样的作用?

答:《条例》与《中华人民共和国药品管理法》《医疗器械监督管理条例》是互补、协同的关系,共同构成覆盖生物医学创新全链条的管理体系。在核心目标上,两者都坚持以保障安全、鼓励研发和满足临床需求为根本,共同管控风险红线,守护人民群众生命健康。《条例》的实施,将进一步规范临床研究活动的开展,提高临床研究能力水平,系统积累高质量临床研究数据,畅通临床转化路径,助力构建一个更加多元、有活力的行业创新生态,更好促进产业发展和增进人民健康。

2.《条例》所指生物医学新技术与药品、医疗器械是如何界定的?

答:《条例》对生物医学新技术的界定坚持统筹发展和安全、以满足人民群众健康需求为导向、充分考虑不同阶段特点,并注重部门间的政策衔接和协同。在临床研究阶段,临床研究发起机构应参照《生物医学新技术临床研究备案指导清单》,对拟开展临床研究的新技术属性进行自主界定。在临床转化应用阶段,只有已列入《生物医学新技术临床研究备案指导清单》且满足以下要求之一的技术,才纳入审批范围:一是个性化程度高,国内尚没有使用同类机制原理的药品获得上市许可或者已启动确证性临床试验;二是用于治疗罕见病,国内尚没有使用同类机制原理、针对相同适应症的药品获得上市许可或者已启动确证性临床试验。同时明确规定,对符合《医疗器械监督管理条例》定义的,应当按照医疗器械法规要求开展注册工作,不纳入生物医学新技术临床转化应用审批范围。

3.生物医学新技术采用“清单式”管理的考虑是什么?

答:生物医学新技术采用“清单式”管理,即制定《生物医学新技术临床研究备案指导清单》并实施动态调整,主要基于以下考虑:一是在临床研究等早期阶段,生物医学新技术迭代速度快、影响技术发展的因素众多,未来是以药品、医疗器械还是以医疗技术转化应用具有较大不确定性。按照“包容审慎”原则,通过“清单式”管理能够为临床研究发起机构提供清晰的技术界定参考,指导其自主对拟开展临床研究的新技术属性进行界定,提高备案效率和质量。二是“清单式”管理体现了“统筹发展和安全”的总体思路,既支持生物医学新技术创新发展,又通过明确纳入原则守住安全和伦理底线。三是国务院卫生健康部门根据技术发展情况和临床需求变化对清单进行动态调整,建立增加调入、删减调出和论证后调出的工作机制,既能及时吸纳符合条件的新技术,又

能够在出现重大伦理问题、安全性有效性存疑或已有同类药品、医疗器械上市或者作为医疗技术获批临床转化应用时及时调出，确保管理的前瞻性和灵活性。四是该方式有助于实现与药品、医疗器械管理体系的“错位发展”，引导研发资源投向真正具有技术创新价值和临床需求的方向，避免重复研究。

4. 临床研究机构应该如何按照《条例》要求进行备案？

答：《条例》配套出台了系列备案指引文件，对临床研究备案提出了通用性技术指导，旨在确保临床研究的科学性、安全性和伦理合规性。备案指引文件对各类技术所需受试物制备和质量控制、非临床研究、临床研究方案设计与实施、伦理合规等关键环节细化明确了技术要求，指导研究者科学、规范地开展研究，保障受试者权益，推动技术进步与创新。临床研究备案材料除《条例》第十六条明确需要提交的材料以外，还应提供受试物制备和质量控制报告、质量受权人相关材料等。临床研究机构应通过生物医学新技术临床研究和临床转化应用在线服务系统（国家医学研究登记备案信息系统）提交材料，并对材料的真实性、准确性和完整性负责。

5. 《条例》对临床研究的数据质量有何要求？

答：临床研究的数据质量是支撑技术临床转化应用的核心基础。临床研究发起机构和临床研究机构必须确保临床研究结果和数据的真实、完整、可追溯，应建立完善的数据记录、保存和管理体系，切实履行主体责任，严禁数据造假行为。在临床研究备案或临床转化应用审批过程中，如发现存在提供虚假资料、数据造假等问题的，将按照《条例》有关规定予以严肃处理，并公开通报。构成犯罪的将依法依规追究刑事责任。

6. 《条例》对临床转化应用审批范围有哪些规定？

答：生物医学新技术临床转化应用审批范围聚焦个性化程度高的新技术和治疗罕见病的新技术，主要基于以下考虑：一是以满足人民群众健康需求为导向。临床上有些疾病的治疗，因传统药物研发成本高、周期长，罕见病领域还存在市场机制失灵问题，导致患者缺乏有效治疗手段。生物医学新技术的发展为这些患者提供了新的治疗选择，聚焦这些领域有助于为尚无有效治疗手段的疾病开辟新的治疗方向。二是实现与药品管理体系的“错位发展”与功能互补。对于个性化程度高、难以形成标准化药品的技术，以及针对罕见病、因市场机制失灵，通过技术路径进行转化应用，加速新技术从概念走向临床研究。聚焦这两个方面避免了与现有药品审批体系的重复，又精准回应了临床亟需、市场机制失灵的特殊领域，体现了“临床必需、稳慎有序”的原则。

7. 在临床转化应用审查中，为何要强调开展伦理评估？

答：在生物医学新技术临床转化应用审查中强调开展伦理评估，是由生物医学新技术本身的特殊性和风险性决定的。生物医学新技术往往伴随着较大的技术、伦理风险，容易引发社会质疑，因此必须确保技术应用不危害人体健康、不违反伦理原则、不损害公共利益和国家安全。伦理评估重点审查技术的伦理合规性、患者权益保护、社会

伦理与公共安全等内容。伦理评估与技术评估并列，两者缺一不可——技术评估回答的更多是该技术“能不能用”，而伦理评估重点考量技术“该不该用”的问题。通过伦理评估，确认技术不存在重大伦理风险且能够充分保障患者权益，方可进入后续审批程序。这充分体现了《条例》坚持以人民健康为中心，坚持创新引领发展，坚持发展和安全并重，确保开展临床转化应用不得危害人体健康的原则。

8.问：对生物学新技术临床转化应用进行风险分级的考虑是什么？

答：对生物学新技术临床转化应用实行风险分级管理，主要基于以下考虑：一是生物学新技术从发明创造到临床研究的用时总体较短，成熟度相对不足，在有限的研究过程中，一些潜在的、未知的安全性问题可能未得到充分暴露；二是受当前科技发展水平和认知局限性的影响，部分技术可能存在难以预见的远期风险。因此，有必要根据技术特点划定风险等级，实施差异化监管。通过在获批后的一定期限内限制使用范围、并要求开展长期随访跟踪，可以收集更丰富的真实世界证据，动态控制技术应用风险，更好保障公众健康安全。

9.《条例》对生物学新技术临床转化应用获得批准后的生物学新技术如何进行管理？

答：生物学新技术获得批准后，其临床应用须遵循严格的管理要求。一是技术涉及的生物样本采集、制备、质控、保存、实施等全过程应在医疗机构、由卫生专业技术人员开展。二是按风险等级设定限定期限（高风险5年、中风险3年、低风险1年），期间仅限在参与该技术临床研究且符合条件的医疗机构内应用，期满如无特定情形或再评估确认获益大于风险，方可扩大至其他符合条件的机构，参照限制类医疗技术进行备案。三是医疗机构承担临床应用管理主体责任，应建立全流程管理制度，加强质控工作，对医务人员实行权限授权管理，确保其具备规定条件。四是必须保障患者或其监护人的知情同意权，并签署知情同意书。五是医疗机构需制定风险防控措施与应急处置预案。六是医疗机构应当通过信息系统向省级卫生健康部门逐例报送应用情况，发生严重不良反应或者医疗事故的，医疗机构应当按照规定进行处理，并第一时间通过信息系统向省级卫生健康部门报告。七是国家卫生健康委在科学认识发生重大变化、出现严重不良反应或不可控风险、造成重大社会稳定风险等情形下，将启动再评估并暂停应用，经评估无法保证安全有效的，将禁止临床应用并向社会公布。