

# 国家药监局关于优化细胞与基因治疗药品 审评审批有关事项的公告

(征求意见稿)

为进一步鼓励细胞与基因治疗药品研发创新，更好满足人民群众用药需求，国家药监局决定优化细胞与基因治疗药品审评审批工作机制。有关事项公告如下：

一、鼓励研发创新，提高临床研发质效。支持以临床价值为导向的细胞与基因治疗药品研发创新，聚焦恶性肿瘤、罕见病、遗传性疾病、免疫系统疾病、神经退行性疾病等重点领域开展研究，鼓励在中国开展全球同步研发和国际多中心临床试验，将符合条件的细胞与基因治疗药品纳入创新药临床试验审评审批 30 日通道，提高临床研发质效。

二、优化审评审批，服务支持重点创新品种。对新靶点、新机制或者具有重要临床价值的细胞与基因治疗药品，按照“提前介入、一企一策、全程指导、研审联动”的工作原则，加强研发申报审评全过程服务。国家药监局药品审评中心对重点品种纳入专项计划予以支持。

(一) 提高沟通交流效率。对于纳入细胞与基因治疗药品专项支持计划的品种，申请人可以按照 I 类会议申请开展沟通交流。

(二) 加强受理靠前服务。对于创新细胞与基因治疗药

品以及经沟通交流确认可纳入优先审评审批程序和附条件批准程序的品种上市许可申请、纳入细胞与基因治疗药品专项支持计划的品种，申请人可以向国家药监局药品审评中心、药品审评检查分中心提出受理靠前服务申请。

（三）加快上市审评审批。对符合条件的具有明显临床价值的细胞与基因治疗药品上市许可申请，纳入优先审评审批范围，加快审评审批。

（四）优化补充申请审评审批。针对于已上市细胞与基因治疗药品生产工艺优化升级的重大变更，涉及药品注册核查、检验的补充申请，审评时限由 200 个工作日缩短为 130 个工作日。鼓励有能力、有条件的省级药品监督管理部门为辖区内细胞与基因治疗药品上市后补充申请提供前置指导、立卷服务等。

三、优化注册检验，体现细胞与基因治疗药品特点。中国药品检定研究院进一步加强提前介入服务、技术交流指导、注册检验事项沟通和交流。鼓励申请人根据研发进度，尽可能在临床试验早期阶段，与中国药品检定研究院开展质量研究、分析方法转移或共建，以降低注册检验的重复实验次数，保障时限效率，同时为合理评估注册检验样本量提供依据。

四、扩大专家队伍，健全咨询机制。进一步加强细胞与基因治疗药品审评专家库建设，扩充细胞治疗、基因治疗等领域多学科专家力量，充分发挥专家在政策制定、指导原则制修订、药品技术审评等环节的专业支撑作用。

五、发展监管科学，持续完善技术评价标准体系。紧跟

细胞与基因治疗药品国际监管科学前沿，加强国内外学术交流，聚焦关键领域，提前布局药品监管科学研究，加快开发支持监管决策的新工具、新标准、新方法。充分借鉴国际经验，持续完善适合我国的细胞与基因治疗药品技术指导原则及标准体系。

特此公告。

国家药监局

2026年 月 日