

# 细胞治疗药品范围和归类技术指导原则

## (2026年版)

国家药品监督管理局药品审评中心

2026年7月

## 目录

一、前言 .....	1
二、细胞治疗药品的范围 .....	1
三、细胞治疗药品的归类 .....	2
四、划分原则 .....	3
(一) 物质基础及活性成分 .....	3
(二) 生产工艺 .....	4
(三) 作用机制 .....	5
(四) 其他说明 .....	6
五、参考文献 .....	9

## 一、前言

近年来，细胞治疗药品（Cell therapy medicinal products, CTMPs）领域发展与迭代迅速。该类药品涵盖多种类别，具有高度创新性，其结构、生产工艺及作用机制复杂，不同类别之间的风险特征与控制要求差异显著。明确其范围并进行科学归类，对制定相关技术要求、规范引导研发及鼓励行业发展具有重要意义。

本指导原则所称“细胞治疗药品”，系根据药品相关法律法规及管理规定，按照药品的路径进行研制、申报、生产、经营、使用和监管，并在人体发挥预期用途的药品。凡涉及利用人类遗传资源等进行细胞治疗药品研制和生产的，应当遵守我国关于人类遗传资源的管理规定，应符合相关伦理以及生物安全相关法律法规要求。

本指导原则旨在明确我国细胞治疗药品的范围与归类，不影响现行药品注册分类。本指导原则主要基于当前行业发展与申报现状、国内外监管与标准协调实践、科学技术发展与认知水平及相关技术指导原则的制修订进展制定。随着科技发展与研发推进以及科学认知积累，后续将结合该领域的发展情况适时更新。

## 二、细胞治疗药品的范围

本指导原则中，细胞治疗药品是指采用人体细胞、组织或体液等作为起始原材料，经体外操作生产，以细

胞作为活性成分，作用机制包括但不限于通过调节细胞的生物活性、免疫特性或代谢状态，和/或通过体内细胞替换、再生和功能重建等，进而用于人体实现预期用途的药品。例如，干细胞及干细胞衍生细胞治疗药品、免疫细胞及其他类型体细胞治疗药品等。

本指导原则中，细胞治疗药品不包括：

一 经采血来源的输血用血液成分，直接由供者捐献的未加工的移植用人体细胞、组织或器官。

一 用于生殖技术的人工胚胎、生殖细胞（受精卵、配子等）等。

### 三、细胞治疗药品的归类

#### 1. 非基因修饰细胞治疗药品（**Non-genetically modified CTMPs**）

在体外操作时，未经基因修饰的细胞治疗药品，其活性成分制备过程可能涉及细胞的分离、扩增、激活、诱导分化或其他物理化学处理，而不改变细胞的遗传物质。

#### 2. 体外基因修饰细胞治疗药品（**Ex vivo genetically modified CTMPs**）

在体外操作时，采用基因修饰系统/技术（如病毒或非病毒载体）等，将核酸物质等导入活性成分细胞，通过插入、表达、敲除/敲低、替代、补偿、阻断、修正特

定基因等，最终通过细胞活性成分发挥生物学作用的细胞治疗药品。

以上两类 CTMPs 根据活性成分细胞来源与分化状态等因素，均可进一步细分为干细胞及干细胞衍生细胞治疗药品（例如成体干细胞、多能干细胞衍生神经细胞、胰岛细胞等）、免疫细胞及其他类型体细胞治疗药品（例如终末分化的树突状细胞、T 淋巴细胞等）。

#### 四、划分原则

一般情况下，以“物质基础及活性成分”要素为主，综合考虑“生产工艺”、“作用机制”等要素进行类别判定。

##### （一）物质基础及活性成分

CTMPs 的活性成分细胞可来源于人体直接分离培养的原代细胞，或来源于分离/改造的细胞系/株等。活性成分细胞的类型多样，比如干细胞或其衍生细胞、免疫细胞、胰岛细胞等。活性成分细胞可能为有核或无核细胞。

如活性成分为血小板前体细胞，人体给药后逐步裂解成血小板发挥作用，考虑其活性成分和作用机制，建议归属于 CTMPs。如采用无核细胞类（如红细胞）作为递送载体用于递送非核酸（或非核酸酶）活性成分的，考虑到其物质基础为细胞，且不涉及通过改变基因序列

或调控基因表达等机制发挥作用，建议纳入 CTMPs。

此外，除活性成分细胞外，CTMPs 的组成成分还可能包含生物大分子、基质、支架或辅助装置等材料组合。

根据活性成分细胞的来源和分化潜能，也可进一步判定 CTMPs 的细分类别。若活性成分为具备自我更新能力、具有分化为一类或多种功能细胞潜能的干细胞及（或）其衍生的细胞，可归属于干细胞及干细胞衍生细胞治疗药品，例如多能干细胞（Human pluripotent stem cell, hPSC）衍生胰岛细胞药品；若活性成分分离自人体外周血终末分化的细胞，如自然杀伤（Natural killer, NK）细胞、T 淋巴细胞，可归属于免疫细胞及其他类型体细胞治疗药品。

## （二）生产工艺

基于体外操作是否涉及基因修饰进行 CTMPs 亚类的判定。

在体外操作时，如活性成分细胞不涉及基因修饰改造，不改变细胞的遗传物质，则归类于 CTMPs 中的非基因修饰细胞治疗药品亚类，例如肿瘤浸润淋巴细胞（Tumor infiltrating lymphocyte, TIL）、NK 细胞、树突状细胞、T 淋巴细胞药品等。

在体外操作时，如活性成分细胞涉及采用基因修饰系统/技术等，将核酸物质整合或装载于细胞完成体外

基因修饰的情况，核酸序列可由非微生物载体、微生物载体，亦可通过其他物理或化学方式递送至细胞内或负载在细胞上，考虑到在输注体内之前即在体外完成了基因序列的导入或修饰，且最终起作用的活性物质形式为细胞，将其归属于 CTMPs 中的体外基因修饰细胞治疗药品亚类。例如体外嵌合抗原受体 T 细胞（*Ex vivo* chimeric antigen receptor T cell, *ex vivo* CAR-T）、体外工程化 T 细胞受体 T 细胞（*Ex vivo* T cell receptor T cell, *ex vivo* TCR-T）、经基因修饰的造血干细胞药品等。

如活性成分细胞为 hPSC 衍生的功能细胞，需综合考虑 hPSC 及最终活性组分细胞是否经基因修饰系统改造。hPSC 来源且最终活性组分经体外基因修饰的 CAR-NK 等免疫细胞药品，属于体外基因修饰细胞治疗药品。对于诱导多能干细胞（Induced pluripotent stem cell, iPSC）衍生细胞类药品，如果重编程和/或诱导分化等步骤涉及采用病毒载体、质粒等基因修饰系统对细胞遗传物质进行改造的，建议归属于体外基因修饰细胞治疗药品。

### （三）作用机制

CTMPs 的作用机制包括多种方式，例如可通过调节人体细胞的生物活性、免疫特性或代谢状态发挥作用，或主要通过修复、再生、替代细胞或组织等发挥作用。

CTMPs 还包括通过上述作用方式，预防或延缓肿瘤和/或其他疾病进展等的药品，例如用于防止肿瘤复发的免疫细胞类药品等。此外，还可能借助器械材料等辅助支持组分组合发挥体内生物学功能。

通过体外调节细胞基因表达，但不涉及体内基因层面遗传学改变，从而改变细胞的生物活性、免疫特性或代谢状态进而实现预期功能的，属于体外基因修饰细胞治疗药品。例如，通过体外基因修饰调控细胞免疫特性进而杀伤肿瘤细胞、清除异常免疫细胞等治疗疾病的体外 CAR-T 类免疫细胞药品。

通过活性成分细胞对人体受损细胞进行补充或替换进而促进细胞功能、组织修复与再生，或通过活性成分细胞归巢、细胞间相互作用、旁分泌等方式重塑病理微环境、调节代谢等途径实现预期用途的 CTMPs，一般属于干细胞及干细胞衍生细胞治疗药品，例如造血干细胞治疗药品、hPSC 衍生视网膜色素上皮细胞治疗药品等。主要通过分离或改造的活性成分免疫细胞调节细胞免疫特性的 CTMPs，一般属于免疫细胞及其他类型体细胞治疗药品，例如 T 淋巴细胞药品、NK 细胞药品等。

#### **（四）其他说明**

根据上述活性成分、生产工艺特点及作用机制评估，

某些药品可能同时符合多种不同类别的特点，或者属于两种亚类的边界产品，相关说明如下：

体外基因修饰细胞（如体外 CAR-T 细胞等药品）的物质基础及特征符合 CTMPs 的特点，且最终起作用的活性物质形式为细胞，因此，归类于 CTMPs。进一步评估该类药品涉及体外基因修饰相关操作，因此归属于体外基因修饰 CTMPs。而对于以 *in vivo* CAR-T 为代表的，主要通过递送载体直接递送核酸成分，改造人体内的体细胞，从而发挥预期生物学功能的一类药品，不纳入 CTMPs。

对于通过细胞作为递送载体，用于装载非核酸或非核酸酶活性成分的药品，考虑到其功能实现高度依赖于细胞，建议纳入 CTMPs。如细胞载体递送的活性成分为核酸和/或核酸酶，且主要通过改变基因序列或调控基因表达等机制发挥作用，不纳入 CTMPs。

如药品活性成分由多种类型细胞形成的特定结构组成，建议基于其活性成分及作用机制评估其具体类别归属。例如，hPSC 衍生胰岛细胞治疗药品，其活性成分包括胰岛  $\alpha$  细胞、胰岛  $\beta$  细胞等多种不同类型细胞，经体外复杂操作，以细胞团形式输注或植入体内，且由不同细胞的生理功能协同发挥调节代谢的方式治疗疾病，并非通过组织/器官原位重构发挥作用，建议将其归

属于 CTMPs。

新生抗原类药品的活性成分存在多种形式，对于活性成分涉及细胞负载新生抗原肽的药品，考虑到其最终通过细胞组分发挥主要作用且主要通过特异性调控细胞的免疫特性发挥功能，建议纳入非基因修饰 CTMPs。

对于其他复杂情形或随着技术发展出现的新情况，鼓励研发者/申请人就类别判定与审评机构进行沟通交流。

## 五、参考文献

[1] World Health Organization. Considerations in developing a regulatory framework for human cells and tissues and for advanced therapy medicinal products. TRS 1048, Annex 3 [EB/OL].2023. <https://www.who.int/publications/m/item/considerations-in-developing-a-regulatory-framework-for-human-cells-and-tissues-and-for-advance-therapy-medicinal-products--annex-3--trs-1048>.

[2] European Medicines Agency. Reflection Paper on classification of advanced therapy medicinal products ( EMA/ CAT/600280/2010 rev.1 ) [EB/OL].2015. <https://www.eurogct.org/research-pathways/therapy-classification/atmps-applicable-regulatory-pathways/cat-scientific>.

[3] European Medicines Agency. Procedural advice on the provision of scientific recommendation on classification of advanced therapy medicinal products in accordance with article 17 of regulation (EC) no 1394/2007[EB/OL].2021.<https://www.eurogct.org/research-pathways/therapy-classification/atmps-applicable-regulatory-pathways/cat-scientific>.

[4] Food and Drug Administration. Part 1271 of Title 21 Code of Federal Regulations (21 CFR) [EB/OL]. 2026. <https://ecfr.io/Title-21/Part-1271>.

[5] United States 114th Congress. Public Law 114-255 21 Century Cures Act. Section.3033 [EB/OL].2016. <https://www.fda.gov/regulatory-information/selected-amendments-fdc-act/21st-century-cures-act>.

[6] Pharmaceuticals and Medical Devices Agency. Regulatory frameworks of regenerative medicines and products review in JAPAN [Z/OL]. 2018. <https://www.pmda.go.jp/english/review-services/reviews/0003.html>.

[7] The Pharmaceutical Inspection Co-operation Scheme. Guide to Good Manufacturing Practice for Medicinal Products Annexes [EB/OL]. 2023. <https://picscheme.org/docview/8881>.

[8] 国家食品药品监督管理总局.细胞治疗产品研究与评价技术指导原则（试行）[EB/OL].2017. <https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=452c529b299638297210fe4a1294eb31>.

[9] 国家药品监督管理局药品审评中心.免疫细胞治疗产品药学研究与评价技术指导原则（试行）[EB/OL].2022.<https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/0584963a84e01bb4d83022f559d22144>.

[10] 国家药品监督管理局药品审评中心.人源干细胞产品药学研究与评价技术指导原则（试行）[EB/OL].2023.<https://www.cde.org.cn/main/news/viewIn>

foCommon/1dfacaa7804aca84d648edb83b10c40b.

[11] 国家药品监督管理局药品审评中心.体外基因修饰系统药学研究与评价技术指导原则（试行）[EB/OL].2022.<https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/6f14372f020446361601bb074a09410d>.