

《细胞治疗药品范围和归类技术指导原则（2026 年版）》解读与展望

刘丹, 卢加琪, 寇雅真, 韦薇, 何伍, 余欢* (国家药品监督管理局药品审评中心 药品监管科学全国重点实验室, 北京 100163)

摘要 **目的:** 细胞治疗药品是我国新兴支柱产业生物医药的战略赛道之一。为规范我国细胞治疗药品的范围与归类, 基于国际药品监管分类框架调研, 结合我国相关产业发展阶段、监管实践及技术指导原则的制定情况, 国家药品监督管理局药品审评中心制定并发布了《细胞治疗药品范围和归类技术指导原则（2026 年版）》(简称《指导原则》)。本文深入剖析与解读《指导原则》, 以期为行业及监管机构提供参考。**方法:** 结合《指导原则》的起草思路、修订过程与主要内容, 以及国际监管分类对比, 对其核心内涵及外延进行系统梳理与解读。**结果:**《指导原则》首次明确了我国药品监管框架下细胞治疗药品的范围与边界, 基于物质基础与活性成分、生产工艺及作用机制三要素, 构建了细胞治疗药品的二级归类框架, 并阐明类别判定的科学原则与归类逻辑。进一步探讨了《指导原则》在助力科学归类指引、完善药品监管科学体系、规范引导研发与申报、出台鼓励政策以加速审评审批上市, 以及促进国际接轨方面。**结论:**《指导原则》立足当下, 同时为新产品、新业态预留了创新空间。未来, 基于动态调整机制, 将不断完善适配我国国情的科学归类体系, 赋能细胞治疗药品产业的高质量发展。

关键词: 细胞治疗药品; 范围和归类; 指导原则; 重要意义

中图分类号: R95 文献标识码: A 文章编号: 1002-7777(2026)09-0000-010

doi: 10.16153/j.1002-7777.2026-07-0039

Interpretation and Prospects of the Technical Guideline for Scope and Classification of Cell Therapy Medicinal Products (2026 Edition)

Liu Dan, Lu Jiaqi, Kou Yazhen, Wei Wei, He Wu, Yu Huan* (Center for Drug Evaluation, National Medical Products Administration, State Key Laboratory of Drug Regulatory Science, Beijing 100163, China)

Abstracts **Objective:** Cell therapy medicinal products (CTMPs) represent one of the strategic sectors within the biopharmaceutical industry, which is an emerging pillar industry in China. To standardize the scope and classification of CTMPs in China, based on a survey of international regulatory classification frameworks, combined with considerations of the development stage of relevant industry sectors, regulatory practices, and the formulation of technical guidelines in China, the Center for Drug Evaluation (CDE) of the National Medical Products Administration (NMPA) formulated and officially issued the “Technical Guideline for Scope and Classification of Cell Therapy Medicinal Products (2026 Edition)” (hereinafter referred to as the “Guideline”).

基金项目: 药品监管科学全国重点实验室课题 (编号 2026SKLDRS03103)

第一作者: 刘丹 E-mail: liudan@cde.org.cn

* 通信作者: 余欢 E-mail: yuhuan@cde.org.cn

This article provided an in-depth analysis and interpretation of the guideline, with the aim of providing references for the industry and regulatory authorities. **Methods:** By examining the drafting ideas, revision process, and main content of the Guideline, as well as a comparative analysis of international regulatory classification approaches, this article systematically elucidated the core connotations and extensions of the Guideline. **Results:** The Guideline established, for the first time, the scope and boundaries of CTMPs under the drug regulatory framework in China. Based on three key elements—material basis and active ingredients, manufacturing processes, and mechanisms of action, a two-tier classification framework for CTMPs was established, and the scientific principles and logic approaches for category determination were clarified. This article further explored the vital significance and impact of the Guideline in facilitating scientific classification guidance, improving the drug regulatory science system, standardizing and guiding research and development and regulatory submission, introducing supportive policies to accelerate review and approval for market access, and promoting alignment with international standards. **Conclusion:** The Guideline address current needs while reserving room for innovation to accommodate new products and emerging business formats. In the future, through a dynamic adjustment mechanism, the scientific classification system will be continuously refined to better suit China's national conditions, thereby empowering the high-quality development of CTMPs industries. **Keywords:** cell therapy product; scope and classification; guideline; vital significance

2026 年,我国“十五五”规划纲要提出,培育壮大生物医药等新兴产业及未来产业,明确了国家层面的战略定位^[1]。细胞与基因治疗(Cellular and Gene Therapy, CGT)作为生物医药领域的前沿赛道,是推动生物经济高质量发展的新质生产力之一,也是继小分子药物和抗体药物之后的重要创新方向之一,为恶性肿瘤、自身免疫性疾病、退行性疾病等疑难病症提供了新的治疗选择。上述未被满足的医疗需求带动了细胞治疗市场规模的快速增长,预计到 2026 年底全球市场规模将达 400 亿美元,2034 年将突破 1000 亿美元^[2]。近年来,我国细胞治疗产业持续发力,目前已有 10 款细胞治疗药品(Cell Therapy Medicinal Products, CTMPs)获批上市,2025 年我国细胞治疗类注册临床试验登记近 100 项,同比增长近 30%,临床试验登记数量位居全球前列,逐步迈入与国际并跑的新阶段^[3-4]。

与化学药品及重组蛋白类生物制品相比,CTMPs 的物质基础、技术路线及作用机制具有一定的特殊性。当前该类药品研发呈现多元化发展态势:多类型的细胞活性成分(如自体或异体来源的干细胞、免疫细胞等),创新密集且迭代迅速的技术路线(如细胞重编程、基因编辑等),多维度的潜在作用机制(如提高免疫学活性、再生与功能重建等)适用于不同临床应用场景。同时这类药品也

面临诸多问题与挑战:1)细胞类型和工艺复杂多样,具有个性化特点;质量控制缺乏通用标准,风险级别与控制要求差异显著;科学认知有限,研发及注册均存在较大的不确定风险;2)创新技术壁垒和瓶颈难突破,供应链管理要求高,研发成本及终端药物价格高昂,商业化可及性及市场普及率受限;3)全球化发展受政策、人类遗传资源管理、国际监管模式、跨境供应链、临床研发生态等多方面影响。细胞治疗产业创新转化和全球化机遇与挑战并存。

监管层面,美国、欧盟等国际药品监管机构在法律法规层面建立了 CGT 的分类监管框架,世界卫生组织(World Health Organization, WHO)也发布了相关技术指南^[5]。近年来,我国细胞治疗监管框架顶层设计逐步优化完善,存在“药品”“技术”两种监管路径^[6-8]。本文所述 CTMPs 特指按照药品路径进行研发和注册的细胞治疗药品。针对 CTMPs,我国监管机构结合研发与审评实践组织制定并发布了多项技术指南,覆盖免疫细胞、干细胞等多种 CTMPs 类别,构建了支撑临床试验、商业化上市至上市后变更全生命周期的指南体系;同时结合沟通交流、靠前服务、培训指导等途径,规范并加速了我国企业研发和申报进程,降低了药品注册的合规性风险、安全性风险及经济与时间成本;

此外,积极参与归类监管框架、变更研究等议题的国际协调工作。

为统一我国 CTMPs 的范围与归类,规范引导企业研发及审评,国家药品监督管理局(National Medical Products Administration, NMPA)药品审评中心(CDE)组织制定了《先进治疗药品的范围、归类和释义(征求意见稿)》(简称“征求意见稿”)^[9]。根据反馈意见,为聚焦更为成熟的两类药品,并为新兴发展中的药品留出后续接口,CDE 于 2026 年 7 月率先发布了《细胞治疗药品范围和归类技术指导原则(2026 年版)》(简称《指导原则》)^[10]与《基因治疗药品范围和归类技术指导原则(2026 年版)》^[11]。本文主要围绕新发布的《指导原则》进行深度剖析和解读,并探讨其在科学指导归类、完善监管科学体系、规范引导研发与注册、出台加速审评审批鼓励政策,以及促进国际接轨方面的重要意义和影响。

1 起草背景

当前,全球 CGT 药品的命名和分类尚未统一,但部分监管国家和地区已在法律法规中明确成文。起草工作组前期深入调研了美国食品药品监督管理局(Food and Drug Administration, FDA)、欧洲药品管理局(European Medicines Agency, EMA)、日本医药品医疗器械综合机构(Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, PMDA)等监管机构以及 WHO 对先进治疗药品(Advanced Therapy Medicinal Products, ATMPs)的定义及监管分类情况^[5]。其中, FDA 存在不同分类体系,包括人体细胞组织产品(Human Cells, Tissues, or Cellular or Tissue-based Products, HCT/PS)、再生医学疗法(Regenerative Medicine Therapy, RMT)以及 CGT 产品,其范畴均涵盖细胞治疗类^[12-14]。根据欧盟监管框架,体细胞治疗产品(Somatic Cell Therapy Medicinal Product, sCTMP)属于 ATMPs^[15],系由细胞或组织,经过实质操作,使其与预期临床用途相关的生物学特性、生理功能或结构特性被改变,或使其在受体和供体中表现不同的基本功能,通过细胞或组织的药理学、免疫学或代谢作用,用于人体,治疗、预防或诊断疾病的药品。根据日本《医药品和医疗器械法》^[16],再生医学产品(Regenerative Medicinal Product, RMP)涵盖加工的人类细胞产品及加工的动物细胞产品等,其中包括体外基因修饰细胞^[17]。

根据 WHO 发布的相关技术文件,ATMPs 涵盖细胞治疗产品(Cell Therapy Product, CTP),系指由人体有核细胞组成的细胞产品,用于体内细胞替换和组织重建,和/或通过调节细胞的药理、免疫和代谢状态,进而治疗或预防人体疾病的产品^[18]。

为适应快速更新的科技进展并明确新兴技术的市场准入路径,降低监管分类模糊可能导致的研发和监管路径的不确定性,国际各主要监管机构也拟更新既有分类框架。2026 年 3 月,欧盟发布了关于人用药品相关欧盟法典的指令的正式文本,进一步修订基因治疗药品(Gene Therapy Medicinal Products, GTMPs)的定义^[19]。2026 年 5 月,英国药品和健康产品管理局(Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency, MHRA)发布征求意见稿,拟更新《人类药物法规》中 ATMPs 的分类标准,以覆盖更多的创新产品类型^[20]。尽管国际人用药品注册技术协调会(The International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ICH)方面并未进行 CGT 命名及归类方面的协调,相关工作组仍沿用了 WHO 分类框架及相关术语定义^[21];同时,将 ATMPs 纳入 ICH S12、ICH Q1(R1)及 ICH Q6(R1)和 ICH Q5E ATMP 附录等指南框架考虑。此外,国际药品认证合作组织(The Pharmaceutical Inspection Co-operation Scheme, PIC/S)GMP 指南及附录亦纳入了基因治疗及人类体细胞治疗药品类型,以覆盖新的生物制品领域^[22]。

2 起草思路及修订考虑

2.1 基于调查分析与行业反馈

指导原则起草工作组基于前期全球 ATMPs 分类框架的调研,梳理分析国际主要监管国家归类共识,充分吸纳国际分类监管理念。《指导原则》中归类理念总体上与国际监管机构保持一致,同时结合我国监管框架与体系差异,求同存异,且融合产业发展前沿态势有所革新,以提高归类框架的科学性和适应性。此外,《指导原则》起草过程中经多次专家会议审议并向社会各界广泛征集意见,其间共收到 58 家机构 300 余条意见反馈,通过反馈意见梳理及座谈会研讨,充分考虑企业诉求及行业影响,吸纳合理建议并修订完善。

2.2 结合国情,立足当下

《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、科学认知水平及相关技术指南的制修订进展制定。鉴于目前已有多款 CGT 药品获批上市,国内其他类 ATMPs 尚处于临床开发阶段,同时为便于与我国相关政策文件衔接,相比“征求意见稿”^[9],正式发布指导原则立足我国现阶段产业发展成熟度,充分考虑国内监管实践,将内容限定至 CTMPs 和 GTMPs,分别形成两个指导原则,后续将结合这两类药品和其他类药品的研发进展、监管实践等不断完善。由此,初步建立了与我国监管体系及行业发展相适应的 CTMPs 归类体系。

2.3 与时俱进,预设动态调整机制

《指导原则》基于目前国内嵌合抗原受体 T 细胞(Chimeric Antigen Receptor T cell, CAR-T)类药物的发展态势,首次明确了我国体外 CAR-T 药品与体内 CAR-T 药品的不同类别定位,相比国际归类理念有所创新。此外,考虑到科技发展迅猛、技术创新迭代且多学科交叉融合、产品管线多元化发展,且监管路径尚存在较大的不确定性,为确保其科学性和适用性,《指导原则》以发布年份区分版本,明确了当前 CTMPs 的范围及归类,同时面向未来,秉承灵活审慎的理念,预设了动态调整机制,为未来产业创新及新兴产品预留空间。后续可根据技术、产业发展及科学认知积累适时更新。

2.4 考虑与现行法律法规及指南衔接

《指导原则》首先明确了 CTMPs 的药品属性,以区别于医疗技术、医疗器械等产品。需说明的是,《指导原则》所制定的归类体系主要从技术维度切入,不影响现行药品注册分类。在现行药品监管路径下,根据《药品注册管理办法》及其配套文件,CTMPs 按照生物制品进行管理^[23]。其中包括药物组成含细胞及支架等器械材料且经 NMPA 相关部门产品属性界定为药品或以药品为主的药械组合产品的药品部分^[24]。因此,《指导原则》仅适用于按照药品路径研发和申报的药品的归类。此外,考虑到 CTMPs 的研制和生产可能涉及利用人类遗传资源等,因此,明确其应遵守我国人类遗传资源管理、伦理及生物安全相关法律法规的要求。《指导原则》中 CTMPs 的亚类归属,进一步根据活性成分细胞的特性,纳入“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”细分类别,这与我国已发布的免疫细胞、干细胞等

技术指导原则相衔接^[25-28]。

3 核心内涵及外延

《指导原则》明确了我国 CTMPs 的释义、范围与归类,阐述了类别划分的总体原则与科学逻辑。其中第一、二部分关于名称及范围方面,参考国际主要监管机构及 WHO 命名规范,中文名称采用“细胞治疗药品”,英文名称沿用 CTMPs,有助于与国际接轨。范围部分明确了其“药品”属性,强调该类药品应按照药品路径进行研制和注册,即在药品监管框架下,应遵守《中华人民共和国药品管理法》《药品注册管理办法》《中华人民共和国药品管理法实施条例》及相关不断更新的药品相关法律法规要求。因此,明确排除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(如移植用造血干细胞等),用于生殖技术的人工胚胎、生殖细胞(如受精卵、配子等)等非药品类型。

在 CTMPs 的释义及范围方面,从起始原材料(人体细胞、组织或体液等)、生产工艺(经体外操作)、活性成分(细胞)及作用机制(调节细胞生物活性、免疫特性、代谢状态,或细胞替换、再生、功能重建等)4 个要素,结合示例共同进行了释义及范围限定,为 CTMPs 的归属判定提供了清晰的科学依据。与“征求意见稿”相比^[9],进一步扩展了 CTMPs 的范围,将征求意见稿“其他类”中部分药品,如作为非核酸递送载体的细胞类、新生抗原肽负载细胞类一并纳入 CTMPs 范畴,体现了一定的前瞻性和包容性。此外,对于异种来源细胞/组织生产的产品,因涉及人畜共患病防控、伦理问题及联合监管,暂未纳入《指导原则》的讨论范围。

《指导原则》第三部分,基于药品的归类原则,结合国际分类规范,明确了 CTMPs 的亚类划分及具体范围。同时,考虑到国内行业用语习惯及相关指导原则的制修订情况,基于不同的归类维度建立了两级归类体系。首先基于体外操作是否改变细胞遗传物质,将其划分为非基因修饰细胞治疗药品(Non-genetically Modified CTMPs)与体外基因修饰细胞治疗药品(*Ex vivo* Genetically Modified CTMPs)。基于活性成分的细胞来源及分化特性,每一亚类可进一步细分为“干细胞及干细胞衍生细胞治疗药品”和“免疫细胞及其他类型体细胞治疗药品”两个子类。

《指导原则》第四部分,具体阐述了 CTMPs 类别划分的总体原则与科学逻辑:以“物质基础及活性成分”为主,结合“生产工艺”“作用机制”等要素综合判断。从以上 3 个维度以列举形式清晰呈现类别判定的决策思路,并为部分复杂产品类型提供归类建议。明确该类药品发挥功能活性的主要成分聚焦于细胞本身(包括不同来源、类型及药物组合形式,可扩展至红细胞等无核细胞),以区别于以核酸作为活性物质的 GTMPs 以及细胞衍生物类药品(如细胞外囊泡、血小板类药品)。对于以细胞作为递送载体的药品,需结合递送的活性物质类型以及作用机制进行综合分析,例如采用红细胞递送非核酸(或非核酸酶)活性成分,且功能实现高度依赖于细胞的药品,一般建议纳入 CTMPs,区别于通过细胞递送核酸组分的 GTMPs。对于活性成分包含细胞与基质、支架或辅助装置等材料组合的产品,需结合 NMPA 相关部门对药械组合产品属性的界定结果,判断其是否可归属于 CTMPs 范畴。生产工艺要素方面,主要基于体外操作是否涉及基因修饰进行 CTMPs 亚类的判定。对于 CAR-T 细胞等体外基因修饰细胞类药品,考虑到其在体外完成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,因此,将其归属于 CTMPs 中的体外基因修饰细胞治疗药品亚类。此外,针对干细胞衍生类细胞的细分类别判定进行了说明,需综合考虑物质基础(多能干细胞)及最终活性成分细胞是否经过基因修饰。相比“征求意见稿”^[9],《指导原则》中并未纳入体外操作复杂程度的考量,因其不单独作为判定是否归属于 CTMPs 的依据。作用机制要素方面,基于临床预期用途的角度,除用于治疗疾病外,部分 CTMPs 也可用于预防或延缓肿瘤和/或其他疾病进展(区别于预防用疫苗)。由细胞发挥主导作用,并借助辅助器械材料等组合发挥体内生物学功能的,且产品属性界定为药品或以药品为主的药械组合产品中的药品部分,可纳入 CTMPs。微观作用机制层面,可基于不同的作用方式(如体外基因表达调控、免疫调节、细胞替换或功能再生等),结合活性成分要素,进一步判定 CTMPs 的不同亚类归属。

此外,《指导原则》对交叉或边界情形(如体外 CAR-T 与体内 CAR-T、细胞递送载体类、胰岛细胞类、新生抗原类药品)的归类考虑进行了说

明,以为行业提供参考。鉴于科技的快速发展和难以预见性,现有《指导原则》尚不能穷尽列举所有类别,鼓励研发者就复杂药品的归类与审评机构进行沟通。

4 《指导原则》发布的意义

4.1 厘清我国 CTMPs 边界,引导科学自主归类

《指导原则》的发布标志着我国 CTMPs 归类体系正式建立,为相关药品归类及研发路径选择提供了科学依据,是深入贯彻落实国务院办公厅《关于全面深化药品医疗器械监管改革 促进医药产业高质量发展的意见》^[29](国办发〔2024〕53 号)等文件精神的重要举措。伴随我国 CGT 产业快速发展与规模壮大,既往业界对此类药物的名称采用多种表述,例如“先进治疗药品”“先进治疗产品”“细胞和基因治疗产品”等,细分领域采用“免疫细胞产品”“干细胞产品”等,范围边界及归类模糊不清,尚缺乏针对此类药品范围与归类的共识。虽然国际主要监管机构建立了此类药品的归类框架,但全球范围内尚未形成统一规范。《指导原则》首次规范了我国 CTMPs 的名称术语,厘清了我国 CTMPs 的范围与边界;同时建立了两级归类体系,并进一步细化了类别判定的科学原则。该《指导原则》与《基因治疗药品范围和归类技术指导原则(2026 年版)》同步发布,互为补充,旨在科学引导企业自主归类,确保相关药品能够纳入相应归类框架,降低研发与注册路径的不确定性,助力科学合理地制定研发申报策略。

4.2 助力完善监管科学体系,规范引导研发与申报

近 10 年来,在药品监管科学行动计划的支持下,我国药品监管机构陆续发布了 CTMPs 细分领域的多项技术指南(见表 1),建立了覆盖免疫细胞、干细胞等药学、非临床和临床研究等多方位的指南标准体系。《指导原则》进一步完善了我国 CGT 药品监管科学体系,其所提出的归类原则可助力研发者判定特定产品的类别归属,从而进一步明确其研发策略以及需遵循的技术指南规范,降低研发注册的时间与合规成本,加速临床转化和商业化。同时,《指导原则》将引导监管机构依据现有归类框架进一步细化制定相适配的技术要求与标准,为研发和审评提供技术支撑,助力注册审评精细化管理,提升监管效能,共同推动我国 CGT 行业高质量发展。

表 1 我国已发布的 CTMPs 相关技术指南

技术指南名称	发布时间 / 年	适用领域
《细胞治疗药品药学变更研究与评价技术指导原则（试行）》	2026	药学
《可复制型慢病毒检测共性问题与技术要求》	2024	
《人源干细胞产品药学研究与评价技术指导原则（试行）》	2023	
《免疫细胞治疗产品药学研究与评价技术指导原则（试行）》	2022	
《体外基因修饰系统药学研究与评价技术指导原则（试行）》	2022	
《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则（试行）》	2017	
《人源干细胞产品非临床研究技术指导原则》	2024	非临床
《基因修饰细胞治疗产品非临床研究技术指导原则（试行）》	2021	
《细胞治疗产品临床药理学研究技术指导原则（试行）》	2024	临床 / 临床药理
《嵌合抗原受体 T 细胞治疗药品说明书临床相关信息撰写指导原则》	2026	
《间充质干细胞防治移植物抗宿主病临床试验技术指导原则（试行）》	2024	
《嵌合抗原受体 T 细胞治疗血液淋巴系统恶性肿瘤临床试验技术指导原则（试行）》	2024	
《人源性干细胞及其衍生细胞治疗产品临床试验技术指导原则（试行）》	2023	
《肿瘤主动免疫治疗产品临床试验技术指导原则（试行）》	2023	
《免疫细胞治疗产品临床试验技术指导原则（试行）》	2021	
《嵌合抗原受体 T 细胞（CAR-T）治疗产品申报上市临床风险管理计划技术指导原则》	2021	
《细胞治疗药品范围和归类技术指导原则（2026 年版）》	2026	多学科
《细胞和基因治疗产品临床试验沟通交流技术指导原则》	2023	

4.3 为出台鼓励加速政策奠定基础，赋能产业新格局

NMPA 高度重视 CGT 产业的发展与监管，于 2026 年 7 月同步发布了《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）》^[30]，针对涵盖临床试验准入、上市申请、上市后变更、注册检验以及标准体系建设等 CGT 药品全生命周期服务支持与全链条审评审批鼓励加速措施，征集公众意见，旨在鼓励 CGT 药品研发创新。《指导原则》为判定具体药品类型提供了科学依据，其发布为制定和适配 CTMPs 加速审评审批等鼓励措施奠定了前提基础，从而助力与国家及区域层面各类利好政策、监管科学体系完善等形成合力，在严守科学评价标准及安全底线的前提下，切实降低研发申报及审评审批的时间成本和合规风险，支持 CTMPs 等创新药物从研发、临床试验向商业化上

市快速推进，这对于推动形成“创新驱动、规范引领、合规生产”的行业高质量发展新格局，更好地满足人民健康需求具有重要意义。

4.4 接轨国际分类框架，助力国际监管协调

FDA、EMA 等国际主要监管机构针对 CGT 的归类监管模式已施行多年，《指导原则》所建立的我国 CTMPs 归类体系充分吸纳借鉴了国际归类理念，范围释义及归类逻辑总体上与国际保持一致（见表 2）。《指导原则》的发布实施将为 CGT 药品国际监管协调及全球化发展创造前置条件；一方面助力我国 CTMPs 适配国际市场注册准入要求，走出国门参与海外市场竞争，提升我国在相关战略赛道的核心竞争力与国际影响力；另一方面，与鼓励加速政策联动，吸引全球技术、资本、人才及产业链聚焦我国市场，拓展 CTMPs 管线布局，加速商业化落地，助力我国医疗普惠。

表 2 CTMPs 的范围归类与国际主要监管机构分类框架对比

监管机构	名称	法规 / 指南依据	定义 / 释义要素	范围	细分类别	分类逻辑	典型类别
WHO	细胞治疗产品 (CTP)(ATMPs 中的一类)	《制定人体细胞和组织及先进治疗产品监管框架的考虑因素》(WHO TRS No. 1048, Annex 3, 2023 年)	人体有核细胞经实质操作; 通过细胞替换和组织重建, 和/或调节细胞的药理、免疫和代谢状态, 治疗或预防疾病	不包括输血用成分、器官移植; 异种细胞未纳入讨论	未细分	物质基础、生产工艺、作用机制	体外基因修饰细胞归入基因治疗产品
EMA	体细胞治疗产品 (sCTMP)(ATMPs 中的一类)	Directive 2001/83/EC; Regulation (EC) No.1394/2007;《欧洲议会和理事会指令》(2026 年)	由细胞或组织, 经实质操作, 非同源使用; 通过细胞/组织的药理学、免疫学或代谢作用, 用于治疗、预防或诊断疾病	不包括输血用成分、器官移植; 包括异种细胞	未细分	物质基础、生产工艺、作用机制; 风险等级	体外基因修饰细胞归入 CTMPs 或基于细胞的 CTMPs
FDA	人体细胞组织产品 (HCT/Ps) (PHS 351 类产品)	《公共卫生服务法案》(2026 年修正); 联邦法规 (21 CFR 1271)	经体外操作和/或非同源使用	不包括输血用成分、器官移植; 不包括异种细胞	未细分	物质基础、作用机制、风险级别	体外基因修饰细胞属于 HCT/Ps
FDA	体细胞治疗产品 (CGT 中的一类)	人体细胞治疗产品及基因治疗的联邦公报 (1993 年)	经体外操作和/或非同源使用, 用于治疗、预防或诊断疾病	不包括完整器官及组织移植; 包括异种细胞	未细分	物质基础、生产工艺、作用机制	体外修饰细胞既符合基因治疗法定义, 亦属于体细胞疗法
FDA	细胞疗法 (RMT 中的一类)	《21 世纪医药法案》(2020 年)	通过恢复、替换或重建细胞、组织或器官以治疗或减轻疾病	不包括器官移植; RMT 包括异种细胞	细胞疗法 (自体、异体)	物质基础、作用机制	体外修饰细胞符合 RMT 定义
MHLW/ PMDA	加工的人类细胞产品 (RMP 中的一类)	《医药品和医疗器械法》(2025 年修订)	经加工处理的细胞; 用于治疗或预防疾病	不包括器官移植; RMP 包括异种细胞	未细分	物质基础、生产工艺、作用机制	体外基因修饰人细胞归入 RMP
NMPA	细胞治疗药品 (CTMPs)	《药品注册管理办法》(2020 年);《生物制品注册分类及申报资料要求》(2020 年);《细胞治疗药品范围和归类技术指导原则 (2026 年版)》	经体外操作生产, 活性成分为细胞, 通过调节细胞生物活性、免疫特性、代谢状态, 或替换、再生、功能重建等作用实现预期用途	排除: 输血用血液成分, 移植细胞、组织或器官, 人工胚胎、生殖细胞; 异种细胞未纳入讨论	非基因修饰 CTMPs; 体外基因修饰 CTMPs	物质基础为主, 综合生产工艺、作用机制	体外基因修饰细胞归入 CTMPs

另一方面,为适配我国监管实践与产业发展,《指导原则》并未完全采用 EMA 等国际分类方式,而是融入我国 CTMPs 范围与归类的特殊考虑和前瞻性,体现了监管科学的系统创新。国际上部分国家基于“体外实质操作”及“非同源使用(细胞在受体和供体中表现不同的基本功能)”区分药品与技术等不同监管路径,在《指导原则》中并未限定“体外实质操作”及“非同源使用”等要素。与国际上其他技术指南相比,《指导原则》突破了“有核细胞”的限定,纳入红细胞作为递送系统的新兴药物类型,涵盖了更为全面的创新型药品。随着生物技术的日新月异以及对产品认识的不断深入,国际监管归类也在不断地修订完善中。根据 FDA、EMA 及 WHO 现行的分类框架,体外基因修饰细胞类(如体外 CAR-T)属于 GTMPs;而我国主要依据其物质基础及活性成分将其纳入 CTMPs,这与近期 FDA 的归类理念更新(CAR-T 细胞归为“Cell-based Gene Therapy”)以及 EMA 新发布指南(表述为“Cell-based ATMPs”)所体现的监管理念相似^[31],表明体外基因修饰细胞类有别于其他 GTMPs 类型。综上所述,相比而言《指导原则》进一步扩展了我国 CTMPs 的范围。未来需进一步加强我国 CGT 药品归类信息的国际交流与协调。

5 实施挑战与未来完善方向

鉴于创新技术的快速发展与更新迭代,当前《指导原则》所建立的归类框架尚未覆盖所有 ATMPs 类别,且归类可能滞后于产品开发进程。对于原“征求意见稿”中所提及的其他类型药品,如细胞衍生物药品、组织工程类药品等,以及合成生物学改造细胞等新兴药物类别,目前阶段虽未纳入归类,未来将视产业发展及监管需求,必要时可进一步完善相应归类体系。考虑到《指导原则》所提出的 CTMPs 归类并不影响药品注册分类以及生物医学新技术等界定^[23,32],当前未设置《指导原则》施行的过渡期,未来可根据年份区分更新版本。

目前,美国、欧盟和日本均设立了针对 CGT 的认定程序,例如 FDA 的再生医学先进疗法认定、EMA 的 ATMPs 分类界定程序以及日本厚生劳动省(Ministry of Health, Labour and Welfare, MHLW)与 PMDA 推行的 SAKIGAKE 认定。经上述认定,相关产品可通过快速通道加速批准。现阶段,我国

尚未设立专门的 CGT 认定程序,对于复杂或新兴产品的归类判定,建议研发者与审评机构沟通凝聚共识。同时,需关注的是我国已经发布了《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)》^[30],后续还将启动相关的支持性计划^[33],以上政策将精准加速鼓励相应的创新型药品研发申报。

此外,需说明的是,《指导原则》所述归类并非直接反映特定药品的风险等级,同一亚类药品考虑药物特点及工艺路线差异,相应风险级别可能有所不同。归类框架并不改变不同 CTMPs 在质量、安全性及有效性方面的监管要求与评价标准,总体风险评估需结合具体药品类型、生产工艺、药代特性、给药途径、适应性等多因素综合考量。后续监管机构仍需针对不同类别药品,基于产品特性、风险特征及技术成熟度建立科学、审慎、差异化的评价尺度,并进一步完善相应的技术指南及标准,共筑行业安全底线。

6 总结与展望

CTMPs 代表着生物医药领域的前沿发展方向。《指导原则》的发布是我国 CGT 监管顶层设计及监管科学体系建设的重要里程碑。该《指导原则》首次厘清了我国 CTMPs 的范围边界,构建了与国际分类框架接轨、符合我国国情、兼顾科学原则与产业发展阶段的两级归类体系;同时通过建立前瞻性与动态灵活的监管归类框架,为新兴产品与新业态预留了创新的土壤与空间。《指导原则》将在科学引导自主归类,规范行业研发申报,促进产业高质量发展中发挥积极作用,也为出台加速相关药品审评审批的鼓励政策奠定坚实基础。

后续有待加强《指导原则》的宣贯解读与国际交流协调,持续强化政策牵引与支持,推动审评审批机制优化,不断完善相应的监管科学体系建设,为 CTMPs 等未来产业的发展和突破注入强劲动力,共同推动我国 CGT 产业的规范化发展,助力产业从“快速增长”向“高质量发展”转型升级。在新的历史起点与关键发展阶段,CTMPs 归类指引与加速政策协同,有望推动更多细胞治疗创新药物的临床转化和商业化,惠及全球更多患者,为人类健康事业发展及公共卫生需求贡献中国智慧与方案。

参考文献:

- [1] 新华社. 中华人民共和国国民经济和社会发展第十五个五年规划纲要 [EB/OL]. (2026-03-13) [2026-07-08]. https://www.gov.cn/yaowen/liebiao/202603/content_7062633.htm.
- [2] IIM 信息. 全球细胞药物市场深度发展研究报告 (2026 IIM9C5D6E) [EB/OL]. (2026-06-21) [2026-07-08]. <https://www.iim.net.cn/2358/view-279176-1>.
- [3] Liu Y, Ge C, Chen X, et al. Trends in the Development of Cellular and Gene Therapy in China[J]. Nat Rev Drug Discov, 2025, 24(9): 656-657.
- [4] 国家药品监督管理局药品审评中心. 中国新药注册临床试验进展年度报告 (2025 年) [EB/OL]. (2026-06-22) [2026-07-08]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/3c3e3f37c4b56cdd4896ef6256f5efcb>.
- [5] 卢加琪, 刘丹, 寇雅真, 等. 我国先进治疗药品的范围及分类研究和建议 [J]. 中国食品药品监管, 2024 (5): 10-25.
- [6] 国务院. 中华人民共和国国务院令 第 828 号 中华人民共和国药品管理法实施条例 [EB/OL]. (2026-01-16) [2026-07-08]. https://www.gov.cn/gongbao/2026/issue_12546/202602/content_7057461.html.
- [7] 国家卫生健康委员会. 国卫科教发〔2015〕48 号 关于印发干细胞临床研究管理办法 (试行) 的通知 [EB/OL]. (2015-08-21) [2026-07-08]. <https://www.nhc.gov.cn/qjjys/c100016/201508/ed1cb345d65d47dcadef9c501ca5f2c.shtml>.
- [8] 国务院. 中华人民共和国国务院令 第 818 号 生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例 [EB/OL]. (2025-10-10) [2026-07-08]. https://www.gov.cn/zhengce/content/202510/content_7043790.htm.
- [9] 国家药品监督管理局药品审评中心. 关于公开征求《先进治疗药品的范围、归类 and 释义 (征求意见稿)》意见的通知 [EB/OL]. (2025-06-10) [2026-07-08]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/0d19d9228c90f124053e92cda08331e0>.
- [10] 国家药品监督管理局药品审评中心. 细胞治疗药品范围和归类技术指导原则 (2026 年版) [EB/OL]. (2026-07-03) [2026-07-08]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/56c7aff3a0301d6d96d5e58efd2bfd44>.
- [11] 国家药品监督管理局药品审评中心. 基因治疗药品范围和归类技术指导原则 (2026 年版) [EB/OL]. (2026-07-03) [2026-07-08]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/e94169c94277cb7cd11a6fbacefe88e>.
- [12] FDA. Part 1271 of Title 21 Code of Federal Regulations (21 CFR) [EB/OL]. (2001-01-19) [2026-07-08]. <https://www.ecfr.gov/current/title-21/chapter-I/subchapter-L/part-1271>.
- [13] United States 114th Congress. Public Law 114-255 21st Century Cures Act. 2016., Section. 3033 [EB/OL]. (2020-01-31) [2026-07-08]. <https://www.fda.gov/regulatory-information/selected-amendments-fdc-act/21st-century-cures-act>.
- [14] FDA. Application of Current Statutory Authorities to Human Somatic Cell Therapy Products and Gene Therapy Products; Federal Register Notice [EB/OL]. (1993-10-14) [2026-07-08]. <https://www.fda.gov/media/76647/download>.
- [15] European Medicines Agency. Reflection Paper on Classification of Advanced Therapy Medicinal Products [EB/OL]. (2015-06-08) [2026-07-08]. https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/reflection-paper-classification-advanced-therapy-medicinal-products_en-0.pdf.
- [16] MHLW. Order for Enforcement of the Act on Securing Quality, Efficacy and Safety of Products Including Pharmaceuticals and Medical Devices [EB/OL]. (2025-05-14) [2026-07-08]. <https://elaws.e-gov.go.jp/document?lawid=336C00000000011>.
- [17] PMDA. Guidelines on Ensuring Quality and Safety of Products Derived from Processed Cell and Tissue (Allogeneic Cells), PFSB Notification No. 0912006 [EB/OL]. (2008-09-12) [2026-07-08]. <https://www.pmda.go.jp/files/000205398.pdf>.
- [18] WHO. Considerations in Developing a Regulatory Framework for Human Cells and Tissues and for Advanced Therapy Medicinal Products, TRS 1048, Annex 3 [EB/OL]. (2023-03-25) [2026-07-08]. <https://www.who.int/publications/m/item/considerations-in-developing-a-regulatory-framework-for-human-cells-and-tissues-and-for-advanced-therapy-medicinal-products>.
- [19] ECA. EU Pharma Package: Final Texts Officially Published [EB/OL]. (2026-03-11) [2026-07-08]. https://lib.shilinx.com/wiki/index.php?title=ECA_EU_Pharma_Package_Final_Texts_officially_published_20260311.

- [20] MHRA. Consultation on the Regulation of Gene Therapy Medicinal Products[EB/OL]. (2026-05-11)[2026-07-08]. https://lib.shilinx.com/wiki/index.php?title=MHRA_Consultation_on_the_regulation_of_Gene_therapy_medicinal_products#APPENDIX_2:_Proposed_changes_to_Regulation_2A_of_the_Human_Medicines_Regulations_2012.
- [21] ICH. Recommendations with Regard to Future ATMP Related Guidelines Output from Cell & Gene Therapy Discussion Group (CGTDG) (2023-2025) [EB/OL]. (2025-12-11)[2026-07-08]. https://lib.shilinx.com/wiki/index.php?title=ICH_Recommendations_with_Regard_to_Future_ATMP_Related_Guidelines_Output_from_Cell_and_Gene_Therapy_Discussion_Group_CGTDG_2023-2025_20251201.
- [22] PIC/S. PIC/S GMP Guide Annex 2A: Manufacture of Advanced Therapy Medicinal Products for Human Use[EB/OL]. (2023-06-21)[2026-07-08]. <https://picscheme.org/docview/8881>.
- [23] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局关于发布生物制品注册分类及申报资料要求的通告(2020年第43号)[EB/OL]. (2020-06-29)[2026-07-08]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/ggtg/ypggtg/ypqtggtg/20200630175301552.html>.
- [24] 国家药品监督管理局. 关于药械组合产品注册有关事宜的通告(2021年第52号)[EB/OL]. (2021-07-27)[2026-07-08]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/ggtg/zhggtg/20210727154135199.html>.
- [25] 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]. (2017-12-22)[2026-07-08]. <https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=452c529b299638297210fe4a1294eb31>.
- [26] 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]. (2022-05-31)[2026-07-08]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/0584963a84e01bb4d83022f559d22144>.
- [27] 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]. (2022-05-26)[2026-07-08]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/6f14372f020446361601bb074a09410d>.
- [28] 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]. (2023-04-27)[2026-07-08]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/1dfacaa7804aca84d648edb83b10c40b>.
- [29] 国务院办公厅. 国办发〔2024〕53号 关于全面深化药品医疗器械监管改革 促进医药产业高质量发展的意见[EB/OL]. (2025-01-03)[2026-07-08]. https://www.gov.cn/zhengce/content/202501/content_6996115.htm.
- [30] 国家药品监督管理局. 国家药监局综合司公开征求《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)》意见[EB/OL]. (2026-07-03)[2026-07-08]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/zhqyj/zhqyjyp/20260703163821159.html>.
- [31] EMA. Guideline on Quality, Non-Clinical and Clinical Requirements for Investigational Advanced Therapy Medicinal Products in Clinical Trials [EB/OL]. (2025-01-20)[2026-07-08]. https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-quality-non-clinical-clinical-requirements-investigational-advanced-therapy-medicinal-products-clinical-trials_en.pdf.
- [32] 国家卫生健康委员会. 国卫科教发〔2026〕12号 国家卫生健康委关于印发医学新技术与药品、医疗器械界定指导原则(暂行)的通知[EB/OL]. (2026-04-30)[2026-07-08]. <https://www.nhc.gov.cn/qjjys/c100016/202604/48372238fd674a2da5b0c3516a4943d8.shtml>.
- [33] 国家药品监督管理局药品审评中心. 关于公开征求细胞与基因治疗药品“先锐计划”相关工作文件意见的通知[EB/OL]. (2026-08-19)[2026-08-20]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/4a8ef5a0f7ae2e6dfca8cf3851841b1a>.

(收稿日期 2026 年 7 月 20 日 编辑 郑丽娥)