

干细胞临床研究管理办法（试行）

第一章 总则

第一条 为规范和促进干细胞临床研究,依照《中华人民共和国药品管理法》、《医疗机构管理条例》等法律法规,制定本办法。

第二条 本办法适用于在医疗机构开展的干细胞临床研究。

干细胞临床研究指应用人自体或异体来源的干细胞经体外操作后输入(或植入)人体,用于疾病预防或治疗的临床研究。体外操作包括干细胞在体外的分离、纯化、培养、扩增、诱导分化、冻存及复苏等。

第三条 干细胞临床研究必须遵循科学、规范、公开、符合伦理、充分保护受试者权益的原则。

第四条 开展干细胞临床研究的医疗机构(以下简称机构)是干细胞制剂和临床研究质量管理责任主体。机构应当对干细胞临床研究项目进行立项审查、登记备案和过程监管,并对干细胞制剂制备和临床研究全过程进行质量管理和风险管控。

第五条 国家卫生计生委与国家食品药品监管总局负责干细胞临床研究政策制定和宏观管理,组织制定和发布干细胞临床研究相关规定、技术指南和规范,协调督导、检查机构干细胞制剂和临床研究管理体制机制建设和风险管控措施,促进干细胞临床研究健康、有序发展;共同组建干细胞临床研究专家委员会和伦理专家委员会,为干细胞临床研究规范管理提供技术支撑和伦理指导。

省级卫生计生行政部门与省级食品药品监管部门负责行政区域内干细胞临床研究的日常监督管理,对机构干细胞制剂和临床研究质量以及风险管控情况进行检查,发现问题和存在风险时及时督促机构采取有效处理措施;根据工作需要共同组建干细胞临床研究专家委员会和伦理专家委员会。

第六条 机构不得向受试者收取干细胞临床研究相关费用,不得发布或变相发布干细胞临床研究广告。

第二章 机构的条件与职责

第七条 干细胞临床研究机构应当具备以下条件:

- (一) 三级甲等医院,具有与所开展干细胞临床研究相应的诊疗科目。
- (二) 依法获得相关专业的药物临床试验机构资格。
- (三) 具有较强的医疗、教学和科研综合能力,承担干细胞研究领域重大研究项目,且具有来源合法,相对稳定、充分的项目研究经费支持。
- (四) 具备完整的干细胞质量控制条件、全面的干细胞临床研究质量管理体系

系和独立的干细胞临床研究质量保证部门；建立干细胞制剂质量授权人制度；具有完整的干细胞制剂制备和临床研究全过程质量管理及风险控制程序和相关文件（含质量管理手册、临床研究工作程序、标准操作规范和试验记录等）；具有干细胞临床研究审计体系，包括具备资质的内审人员和内审、外审制度。

（五）干细胞临床研究项目负责人和制剂质量授权人应当由机构主要负责人正式授权，具有正高级专业技术职称，具有良好的科研信誉。主要研究人员经过药物临床试验质量管理规范（GCP）培训，并获得相应资质。机构应当配置充足的具备资质的人力资源进行相应的干细胞临床研究，制定并实施干细胞临床研究人员培训计划，并对培训效果进行监测。

（六）具有与所开展干细胞临床研究相适应的、由高水平专家组成的学术委员会和伦理委员会。

（七）具有防范干细胞临床研究风险的管理机制和处理不良反应、不良事件的措施。

第八条 机构学术委员会应当由与开展干细胞临床研究相适应的、具有较高学术水平的机构内外知名专家组成，专业领域应当涵盖临床相关学科、干细胞基础和临床研究、干细胞制备技术、干细胞质量控制、生物医学统计、流行病学等。

机构伦理委员会应当由了解干细胞研究的医学、伦理学、法学、管理学、社会学等专业人员及至少一位非专业的社会人士组成，人员不少于7位，负责对干细胞临床研究项目进行独立伦理审查，确保干细胞临床研究符合伦理规范。

第九条 机构应当建立干细胞临床研究项目立项前学术、伦理审查制度，接受国家和省级干细胞临床研究专家委员会和伦理专家委员会的监督，促进学术、伦理审查的公开、公平、公正。

第十条 机构主要负责人应当对机构干细胞临床研究工作全面负责，建立健全机构对干细胞制剂和临床研究质量管理体系机制；保障干细胞临床研究的人力、物力条件，完善机构内各项规章制度，及时处理临床研究过程中的突发事件。

第十一条 干细胞临床研究项目负责人应当全面负责该项研究工作的运行管理；制定研究方案，并严格执行审查立项后的研究方案，分析撰写研究报告；掌握并执行标准操作规程；详细进行研究记录；及时处理研究中出现的问题，确保各环节符合要求。

第十二条 干细胞制剂质量授权人应当具备医学相关专业背景，具有至少三年从事干细胞制剂（或相关产品）制备和质量管理的实践经验，从事过相关产品过程控制和质量检验工作。质量授权人负责审核干细胞制备批记录，确保每批临床研究用干细胞制剂的生产、检验等均符合相关要求。

第十三条 机构应当建立健全受试者权益保障机制,有效管控风险。研究方案中应当包含有关风险预判和管控措施,机构学术、伦理委员会对研究风险程度进行评估。对风险较高的项目,应当采取有效措施进行重点监管,并通过购买第三方保险,对于发生与研究相关的损害或死亡的受试者承担治疗费用及相应的经济补偿。

第十四条 机构应当根据信息公开原则,按照医学研究登记备案信息系统要求,公开干细胞临床研究机构和项目有关信息,并负责审核登记内容的真实性。

第十五条 开展干细胞临床研究项目前,机构应当将备案材料(见附件1)由省级卫生计生行政部门会同食品药品监管部门审核后向国家卫生计生委与国家食品药品监管总局备案。

干细胞临床研究项目应当在已备案的机构实施。

第三章 研究的立项与备案

第十六条 干细胞临床研究必须具备充分的科学依据,且预防或治疗疾病的效果优于现有的手段;或用于尚无有效干预措施的疾病,用于威胁生命和严重影响生存质量的疾病,以及重大医疗卫生需求。

第十七条 干细胞临床研究应当符合《药物临床试验质量管理规范》的要求。干细胞制剂符合《干细胞制剂质量控制及临床前研究指导原则(试行)》的要求。

干细胞制剂的制备应当符合《药品生产质量管理规范》(GMP)的基本原则和相关要求,配备具有适当资质的人员、适用的设施设备和完整的质量管理文件,原辅材料、制备过程和质量控制应符合相关要求,最大限度地降低制备过程中的污染、交叉污染,确保持续稳定地制备符合预定用途和质量要求的干细胞制剂。

第十八条 按照机构内干细胞临床研究立项审查程序和相关工作制度,项目负责人须提交有关干细胞临床研究项目备案材料(见附件2),以及干细胞临床研究项目伦理审查申请表(见附件3)。

第十九条 机构学术委员会应当对申报的干细胞临床研究项目备案材料进行科学性审查。审查重点包括:

- (一)开展干细胞临床研究的必要性;
- (二)研究方案的科学性;
- (三)研究方案的可行性;
- (四)主要研究人员资质和干细胞临床研究培训情况;

(五)研究过程中可能存在的风险和防控措施;

(六)干细胞制剂制备过程的质控措施。

第二十条 机构伦理委员会应当按照涉及人的生物医学研究伦理审查办法相关要求,对干细胞临床研究项目进行独立伦理审查。

第二十一条 审查时,机构学术委员会和伦理委员会成员应当签署保密协议及无利益冲突声明,须有三分之二以上法定出席成员同意方为有效。根据评审结果,机构学术委员会出具学术审查意见,机构伦理委员会出具伦理审查批件(见附件4)。

第二十二条 机构学术委员会和伦理委员会审查通过的干细胞临床研究项目,由机构主要负责人审核立项。

第二十三条 干细胞临床研究项目立项后须在我国医学研究登记备案信息系统如实登记相关信息。

第二十四条 机构将以下材料由省级卫生计生行政部门会同食品药品监管部门审核后向国家卫生计生委与国家食品药品监管总局备案:

机构申请备案材料诚信承诺书;

(二)项目立项备案材料(见附件2);

(三)机构学术委员会审查意见;

(四)机构伦理委员会审查批件;

(五)所需要的其他材料。

第四章 临床研究过程

第二十五条 机构应当监督研究人员严格按照已经审查、备案的研究方案开展研究。

第二十六条 干细胞临床研究人员必须用通俗、清晰、准确的语言告知供者和受试者所参与的干细胞临床研究的目的是、意义和内容,预期受益和潜在的风险,并在自愿原则下签署知情同意书,以确保干细胞临床研究符合伦理原则和法律规定。

第二十七条 在临床研究过程中,所有关于干细胞提供者和受试者的入选和检查,以及临床研究各个环节须由操作者及时记录。所有资料的原始记录须做到准确、清晰并有电子备份,保存至临床研究结束后30年。

第二十八条 干细胞的来源和获取过程应当符合伦理。对于制备过程中不合格及临床试验剩余的干细胞制剂或捐赠物如供者的胚胎、生殖细胞、骨髓、血液等，必须进行合法、妥善并符合伦理的处理。

第二十九条 对干细胞制剂应当从其获得、体外操作、回输或植入受试者体内，到剩余制剂处置等环节进行追踪记录。干细胞制剂的追踪资料从最后处理之日起必须保存至少 30 年。

第三十条 干细胞临床研究结束后，应当对受试者进行长期随访监测，评价干细胞临床研究的长期安全性和有效性。对随访中发现的问题，应当报告机构学术、伦理委员会，及时组织进行评估鉴定，给予受试者相应的医学处理，并将评估鉴定及处理情况及时报告省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门。

第三十一条 在项目执行过程中任何人如发现受试者发生严重不良反应或不良事件、权益受到损害或其他违背伦理的情况，应当及时向机构学术、伦理委员会报告。机构应当根据学术、伦理委员会意见制订项目整改措施并认真解决存在的问题。

第三十二条 在干细胞临床研究过程中，研究人员应当按年度在我国医学研究登记备案信息系统记录研究项目进展信息。

机构自行提前终止临床研究项目，应当向备案部门说明原因和采取的善后措施。

第五章 研究报告制度

第三十三条 机构应当及时将临床研究中出现的严重不良反应、差错或事故及处理措施、整改情况等报告国家和省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门。

第三十四条 严重不良事件报告：

（一）如果受试者在干细胞临床研究过程中出现了严重不良事件，如传染性疾病、造成人体功能或器官永久性损伤、威胁生命、死亡，或必须接受医疗抢救的情况，研究人员应当立刻停止临床研究，于 24 小时之内报告机构学术、伦理委员会，并由机构报告国家和省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门。

（二）发生严重不良事件后，研究人员应当及时、妥善对受试者进行相应处理，在处理结束后 15 日内将后续工作报告机构学术、伦理委员会，由机构报告国家和省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门，以说明事件发生的原因和采取的措施。

(三)在调查事故原因时，应当重点从以下几方面进行考察：干细胞制剂的制备和质量控制，干细胞提供者的筛查记录、测试结果，以及任何违背操作规范的事件等。

第三十五条 差错报告:

(一)如果在操作过程中出现了违背操作规程的事件，事件可能与疾病传播或潜在性的传播有关，或可能导致干细胞制剂的污染时，研究人员必须在事件发生后立即报告机构学术、伦理委员会，并由机构报告国家和省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门。

(二)报告内容必须包括：对本事件的描述，与本事件相关的信息和干细胞制剂的制备流程，已经采取和将要采取的针对本事件的处理措施。

第三十六条 研究进度报告:

(一)凡经备案的干细胞临床研究项目，应当按年度向机构学术、伦理委员会提交进展报告，经机构审核后报国家和省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门。

(二)报告内容应当包括阶段工作总结、已经完成的病例数、正在进行的病例数和不良反应或不良事件发生情况等。

第三十七条 研究结果报告:

(一)各阶段干细胞临床研究结束后，研究人员须将研究结果进行统计分析、归纳总结、书写研究报告，经机构学术、伦理委员会审查，机构主要负责人审核后报告国家和省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门。

(二)研究结果报告应当包括以下内容：

- 1.研究题目；
- 2.研究人员名单；
- 3.研究报告摘要；
- 4.研究方法与步骤；
- 5.研究结果；
- 6.病例统计报告；
- 7.失败病例的讨论；
- 8.研究结论；
- 9.下一步工作计划。

第六章 专家委员会职责

第三十八条 国家干细胞临床研究专家委员会职责:按照我国卫生事业发展要求,对国内外干细胞研究及成果转化情况进行调查研究,提出干细胞临床研究的重点领域及监管的政策建议;根据我国医疗机构干细胞临床研究基础,制订相关技术指南、标准、以及干细胞临床研究质量控制规范等;在摸底调研基础上有针对性地机构评估、现场核查,对已备案的干细胞临床研究机构和项目进行检查。

国家干细胞临床研究伦理专家委员会职责:主要针对干细胞临床研究中伦理问题进行研究,提出政策法规和制度建设的意见;根据监管工作需要,对已备案的干细胞临床研究项目进行审评和检查,对机构伦理委员会审查工作进行检查,提出改进意见;接受省级伦理专家委员会和机构伦理委员会的咨询并进行工作指导;组织伦理培训等。

第三十九条 省级干细胞临床研究专家委员会职责:按照省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门对干细胞临床研究日常监管需要,及时了解本地区干细胞临床研究发展状况和存在问题,提出政策建议,提供技术支撑;根据监管工作需要,对机构已备案的干细胞临床研究项目进行审查和检查。

省级干细胞临床研究伦理专家委员会职责:主要针对行政区域内干细胞临床研究中的伦理问题进行研究;推动行政区域内干细胞临床研究伦理审查规范化;并根据监管工作需要,对行政区域内机构伦理委员会工作进行检查,提出改进意见;接受行政区域内机构伦理委员会的咨询并提供工作指导;对从事干细胞临床研究伦理审查工作的人员进行培训。

第四十条 国家和省级干细胞临床研究专家委员会和伦理专家委员会应当对机构学术、伦理审查情况进行监督检查。

学术方面的检查主要包括以下内容:

(一) 机构的执业许可、概况、相应专业科室的药物临床试验机构资格及卫生技术人员和相关技术能力与设施情况。

(二) 机构学术委员会组成、标准操作规范。

(三) 承担国家级干细胞相关研究情况。

(四) 对以下内容的审查情况:

1. 干细胞临床研究负责人、主要临床研究人员的状况,参加干细胞临床试验

技术和相关法规培训的情况等；

2.研究方案的科学性、可行性；

3.防范干细胞临床研究风险的管理机制和处理不良反应事件的措施；

4.干细胞临床研究管理制度和标准操作规程的制定；

5.按照《干细胞制剂质量控制及临床前研究指导原则（试行）》的要求对干细胞制剂的质量管理、评价标准和相应的设备设施管理情况。

（五）学术审查程序是否合理。

（六）有无利益冲突。

（七）其他有关事宜。

伦理方面的检查主要包括以下内容：

（一）机构伦理委员会组成、标准操作规范；

（二）研究项目伦理审查过程和记录，包括风险/受益评估及对策等；

（三）对知情同意书的讨论和批准的样本；

（四）伦理审查程序的合理性；

（五）有无利益冲突；

（六）其他有关事宜。

第四十一条 省级干细胞临床研究专家委员会和伦理专家委员会应当对行政区域内机构开展的干细胞临床研究项目建立从立项审查、备案到过程管理、报告审议等全过程督导、检查制度。

第四十二条 省级干细胞临床研究专家委员会和伦理专家委员会应当对机构提交的严重不良事件报告、差错或事故报告和处理措施等及时分析，提供咨询意见，对机构整改情况进行审评；重大问题的整改情况可提请国家干细胞临床研究专家委员会和伦理专家委员会进行审评。

第四十三条 国家和省级干细胞临床研究专家委员会和伦理专家委员会应当对已备案的干细胞临床研究项目进行定期评估、专项评估等，并对国家和省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门所开展的专项检查、随机抽查、有因检查等提供技术支撑。

第七章 监督管理

第四十四条 省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门应当对医疗机构开展的干细胞临床研究项目进行定期监督检查、随机抽查、有因检查等，对监督检查中发现的问题及时提出处理意见。

第四十五条 省级卫生计生行政部门会同食品药品监管部门应当于每年 3 月 31 日前向国家卫生计生委和国家食品药品监管总局报送年度干细胞临床研究监督管理工作报告。

第四十六条 国家或省级干细胞临床研究专家委员会对已备案的机构和项目进行现场核查和评估，并将评估结果公示。

第四十七条 国家卫生计生委和国家食品药品监管总局根据需要，对已备案的干细胞临床研究机构和项目进行抽查、专项检查或有因检查，必要时对机构的干细胞制剂进行抽样检定。

第四十八条 机构对检查中发现的问题须进行认真整改，并形成整改报告于检查后 3 个月内报送检查部门。

第四十九条 机构中干细胞临床研究有以下情形之一的，省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门将责令其暂停干细胞临床研究项目、限期整改，并依法给予相应处理。

- (一) 机构干细胞临床研究质量管理体系不符合要求；
- (二) 项目负责人和质量授权人不能有效履行其职责；
- (三) 未履行网络登记备案或纸质材料备案；
- (四) 不及时报告发生的严重不良反应或不良事件、差错或事故等；
- (五) 擅自更改临床研究方案；
- (六) 不及时报送研究进展及结果；
- (七) 对随访中发现的问题未及时组织评估、鉴定，并给予相应的医学处理；
- (八) 其他违反相关规定的行为。

第五十条 机构管理工作中发生下列行为之一的，国家卫生计生委和国家食品药品监管总局将责令其停止干细胞临床研究工作，给予通报批评，进行科研不端行为记录，情节严重者按照有关法律法规要求，依法处理。

- (一) 整改不合格；
- (二) 违反科研诚信和伦理原则；

- (三) 损害供者或受试者权益;
- (四) 向受试者收取研究相关费用;
- (五) 非法进行干细胞治疗的广告宣传等商业运作;
- (六) 其他严重违反相关规定的行为。

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。

第五十二条 未经干细胞临床研究备案擅自开展干细胞临床研究,以及违反规定直接进入临床应用的机构和人员,按《中华人民共和国药品管理法》和《医疗机构管理条例》等法律法规处理。

第八章 附则

第五十三条 本办法不适用于已有规定的、未经体外处理的造血干细胞移植,以及按药品申报的干细胞临床试验。依据本办法开展干细胞临床研究后,如申请药品注册临床试验,可将已获得的临床研究结果作为技术性申报资料提交并用于药品评价。

第五十四条 本办法由国家卫生计生委和国家食品药品监管总局负责解释。

第五十五条 本办法自发布之日起施行。同时,干细胞治疗相关技术不再按照第三类医疗技术管理。