**《干细胞临床研究管理办法（试行）》解读**

一、为什么要制定干细胞临床研究管理办法？

干细胞是一种有多向分化潜能的细胞，具有再生各种组织器官的潜在功能。干细胞研究是近年来医学前沿重点发展领域，给某些疑难疾病的治疗提供了希望，受到广泛关注。目前在心肌梗塞、脊髓损伤、肝硬化、糖尿病等多领域的干细胞研究方兴未艾，展现出了良好的发展前景。我国在“十二五”科技规划中对干细胞研究给予了重点支持,并取得可喜进展。但在干细胞研究和转化的快速发展同时出现了一些不规范的现象，且作为一种正在研究探索中的新治疗方法，干细胞治疗对于人体的安全性、有效性尚待进一步验证，因此，制定《干细胞临床研究管理办法（试行）》（以下简称《办法（试行）》）及相关技术指南，规范干细胞临床研究，充分保护受试者权益势在必行。

  《办法（试行）》在对国内外相关制度、规范进行深入调研分析的基础上，组织专家委员会起草，经过反复讨论，修改完善，已形成征求意见稿，现广泛征求意见。

二、《办法（试行）》的适用范围是什么？

《办法（试行）》适用于在医疗机构开展的干细胞临床研究。

《办法（试行）》不适用于已有成熟技术规范的造血干细胞移植，以及按药品申报的干细胞临床试验。《办法（试行）》提出：医疗机构按照《办法（试行）》要求完成干细胞临床研究后，不得直接进入临床应用；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。

《办法（试行）》提出自文件发布之日起，干细胞治疗相关技术不再按照第三类医疗技术管理。

三、干细胞临床研究应当遵循的原则是什么？

开展干细胞临床研究须遵循科学、规范、公开，医疗机构必须认真履行干细胞临床研究机构和项目备案、信息公开程序接受国家相关部门监管。

干细胞临床研究必须要符合伦理准则，符合《涉及人的生物医学研究伦理审查办法（试行）》和《人胚胎干细胞研究伦理指导原则》的要求，保证受试者的权益得到充分尊重和保护。

四、干细胞临床研究是否允许收费？

开展干细胞临床研究的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。

五、干细胞临床研究项目的总体要求是什么？

干细胞临床研究是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。《办法（试行）》提出，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。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。干细胞制剂应当符合《干细胞制剂质量控制及临床前研究指导原则(试行)》的要求。

六、干细胞临床研究的责任主体是谁？

《办法（试行）》明确规定干细胞临床研究机构是干细胞制剂和临床研究质量管理的责任主体。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。

七、医疗机构开展干细胞临床研究必须具备哪些条件？

办法（试行）》提出，开展干细胞临床研究的医疗机构应当具备七项条件：1.三级甲等医院；2.依法获得相关专业的药物临床试验机构资格;3. 具有较强的医疗、教学和科研综合能力；4. 具备完整的干细胞质量控制条件和全面的干细胞临床研究质量管理体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受权人制度；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；具有干细胞临床研究审计体系；5.干细胞临床研究项目负责人和制剂质量受权人须具有正高级专业技术职称，主要研究人员经过药物临床试验质量管理规范（GCP）培训；6.具有与所开展干细胞临床研究相适应的学术委员会和伦理委员会；7.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。

八、干细胞临床研究机构和研究项目如何进行备案和公开？

《办法（试行）》明确机构在开展干细胞临床研究项目前，应当按照要求，对干细胞临床研究项目进行学术、伦理审查，并将有关立项材料报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食品药品监管总局备案，同时，根据信息公开原则, 按照我国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，并负责保证登记内容的真实性。

九、干细胞临床研究过程如何管理？

《办法（试行）》要求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。在临床研究过程中，所有关于干细胞提供者和受试者的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。干细胞制剂的追踪资料也要从最后处理之日起保存至少30年。

研究过程中，机构应当及时将干细胞临床研究进度报告、研究结果报告以及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。

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。

十、干细胞临床研究中如何有效保护受试者的权益？

《办法（试行）》指出，开展干细胞临床研究的机构应当加强受试者保护。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、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。对风险较高的项目，研究机构应当采取有效措施进行重点监管，并通过购买第三方保险，为受试者提供相应保障。

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。

十一、干细胞临床研究专家委员会和伦理专家委员会的职责是什么？

《办法（试行）》提出国家和省级卫生计生行政和食品药品监管部门应当根据工作需要成立干细胞临床研究专家委员会和伦理专家委员会，并明确专家委员会的职责要求，指出专家委员会应当为干细胞临床研究管理提供技术支撑和伦理指导，对已备案的医疗机构和研究项目进行现场核查和评估，对机构学术、伦理委员会研究项目管理工作进行督导、检查，并将评估、检查结果公示，促进干细胞临床研究规范开展。

十二、干细胞临床研究的主要监管措施有哪些？

《办法（试行）》提出，国家和省级卫生计生行政部门和食品药品监管部门依据《办法（试行）》规定加强对干细胞临床研究的监管，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。如有《办法（试行）》中规定的违规情形，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；整改仍不合格或情节严重的，国家卫生计生委和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。二的会查，并法》要求，对干细胞临床研究项目进行学术、范》的要求。未经干细胞临床研究备案擅自开展研究的，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。