

聚焦生物医学新技术

开栏语

前不久,《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》(以下简称《条例》)正式发布。这不仅是我国生物医学创新领域的一座立法里程碑,更是一次行业治理的深刻变革。

为此,本报编辑部开设“聚焦生物医学新技术”专栏,邀请国内相关领域专家对《条例》中有关的内容进行解读,以帮助医药卫生领域相关人员准确理解与贯彻执行《条例》。

生物医学新技术迎来“宽进、严出、强监管”时代

● 汤红明

在全球生物医学科技竞争日益激烈的背景下,新出台的《条例》是我国实现高水平科技自立自强的重要制度保障,为干细胞、免疫细胞、基因治疗等前沿技术提供了国家层面的行政法规指引,推动其监管格局从昔日的探索试点,全面进入有法可依、规范发展的新纪元。

从“严进、宽出”到“宽进、严出、强监管”

《条例》最为核心的治理创新在于确立了“宽进、严出、强监管”这一基本原则。要深刻理解其所带来的根本性转变,需将其置于行业发展与监管实践的历史脉络中审视。

在过往的管理模式下,行业普遍面临“审批启动门槛高、过程监管相对弱、转化路径不清晰”的困境,客观上形成了“准入严、出口宽”的治理格局。这一格局不仅累积了潜在的技术与安全风险,还从根本上制约了创新成果向临床价值的转化。

“宽进”是《条例》治理逻辑变革的起点。其核心在于疏通创新源头,着力破解临床研究“启动难”的瓶颈,全面激发创新活力。这主要表现在:

1. 以备案制为核心,降低研究启动门槛。根据《条例》,符合条件的临床研究机构在通过其学术委员会与伦理委员会的“双审查”后,向国家主管部门备案即可开展研究。这标志着准入模式从事前审批转向事后监管,极大地简化了流程。

2. 以持续评估为保障,确保风险动态可控。“备案即通过”绝非“一了之”,也不等于放任不管。《条例》第十七条明确规定了对已备案研究的持续评估机制,确保在研究开展后,国家层面仍能对潜在的技术与伦理风险进行动态监测与必要干预,从而在激发活力的同时,牢牢守住风险可控的底线。



汤红明

3. 以压实责任为前提,确保准入质量不降低。“宽进”绝非降低标准,而是监管责任的战略转移。其核心是将准入管理的重心,从繁冗的前置审批,压实至研究机构自身的学术与伦理审查能力以及发起机构的主体责任上。这要求机构必须具备三级甲等医院资质等相应条件(见第十一条)、研究方案必须基于扎实的非临床研究证据(第九条)、项目负责人需具备高级职称并拥有相应的研究能力与经验(第十三条)。

“严出”是《条例》治理体系中的关键环节。其核心在于严格把控临床转化应用的出口,并建立全周期的动态监管,确保临床应用技术的持续安全、有效与合规。这主要表现在:

1. 设立国家级审批与“双评估”机制。《条例》第二十九条明确规定,生物医学新技术从研究走向临床应用,必须经过国务院卫生健康部门的批准。此项审批以专业机构执行的“技术评估”和“伦理评估”为核心依据(见第三十一条),构成一个独立、客观且专业的准入筛选流程。

2. 构建临床应用全周期动态监管体系。“严出”的责任并不限于准入批准。根据《条例》第三十七条,根据科学研究的发展对技术安全性、有效性产生的新认知,或临床应用中出现严重不良反应及不可控风险时,国务院卫生健康部门将依法启动安全性与有效性的再评估。此机制构成了对临床应用技术的持续监督,在再评估期间将暂停应

用,若最终确认无法保证安全有效,则将禁止其临床应用,从而实现从准入到退出的全周期闭环管理。

3. 奠定行业可持续发展的信任基石。一项新技术从获批到广泛应用,始终处于严密的监管体系之下。准入时的“双评估”与准入后的“再评估”机制相互衔接,共同构成了守护患者生命健康的双重保障,为行业的行稳致远奠定了坚实的信任基础。

“强监管”是确保“宽进”不放任、“严出”不落空的坚实保障。《条例》通过构建覆盖全程的监管链条、赋予实质性执法权限并设定梯度法律责任,形成了一套严密高效的治理体系。这主要表现在:

1. 监管范围全程覆盖。监管触角全面延伸,覆盖从研究备案、方案实施、过程报告,到转化应用审批,乃至应用后监测与再评估的每一个环节,真正实现了事前、事中与事后监管的无缝衔接。

2. 执法权限实质有力。《条例》明确赋予县级以上卫生健康部门强有力的监督检查权与执法手段(第三十八、三十九条),具体包括现场检查、查阅复制资料、查封扣押涉嫌违法的设备与场所等,使监管权力真正“长出牙齿”,能够对违法行为形成有效震慑与即时干预。

3. 法律责任梯度清晰。《条例》第六章设定了严厉且梯度分明的法律责任,从高额经济罚款、机构停业整顿,到追究个人禁业直至刑事责任,全面提升了违法成本,旨在彻底扭转过去可能存在的“违法成本低、合规成本高”的错配现象。

4. 导向合规文化建设。这种贯穿全程、动真格的监管体系,最终目的在于引导所有参与方,包括临床研究机构、发起机构及研究者,将合规意识内化于心、外化于行,在行业内形成一种对生命负责、对科学敬畏的普遍自觉,从

而建立起自觉守规、主动履责的健康生态。

系统性框架 构建现代化治理图景

《条例》所构建的“宽进、严出、强监管”治理体系,依托于一套系统完整、环环相扣的监管框架。这一框架清晰地规划出从实验室研究通向临床应用的完整合规路径,为行业发展提供了坚实的制度保障。

首先,《条例》系统地回答了技术转化过程中的三个核心问题:需经历哪些阶段、各阶段由谁负责、需满足何种条件,为医疗机构、企业及研究人员提供了稳定的政策预期和明确的行为指引。

其次,该框架的精妙之处在于其内在的协同性与系统性。通过设立递进式的转化阶梯,确保技术成熟度逐步提升;通过明确各阶段核心审查评估机制,实现对科学性与伦理合规性的全过程把关;通过界定各方权责并强化监管措施,构建全方位的风险防控体系。

最后,实现从分散管理到系统治理的跨越。《条例》通过制度化的安排,将此前相对分离的监管环节有机整合,形成了贯穿研发至应用全链条的治理合力,为行业走向规范有序、可持续发展奠定了坚实基础。

因此,各类创新主体应深入理解《条例》立法精神与核心要求,加快构建与之相适应的内部管理、质量控制和伦理合规体系,主动适应新的监管环境。唯有如此,才能在生物医学创新的新时代中赢得先机,共同推动我国生物医学事业沿着规范、安全、高效的轨道稳步前行,为健康中国建设注入持久动力,让前沿生物医学技术真正成为护佑人民生命健康、驱动高质量发展的强大引擎。

(作者系同济大学附属东方医院干细胞基地办公室主任/国家干细胞转化资源库副主任)