

聚焦生物医学新技术

“3+2+2”监管框架构成生物医学新技术的监管路径

● 汤红明



汤红明

《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》)提出了“宽进、严出、强监管”的治理逻辑,为我国生物医学新技术的航行指明了方向。

然而,仅有方向还不够,创新之舟更需要一张精确的航海图。这便构成了《条例》的核心贡献——它通过“3+2+2”框架,绘制出了一条从实验室驶向临床的清晰监管路径,确保航行全程有章可循、安全可控。

3个递进阶段构成证据链

《条例》将生物医学新技术的研发与转化,系统地划分为三个阶段,逐步推动技术走向临床应用。每个阶段都有其清晰的目标和严格的审核机制,确保技术的安全性、有效性和合规性。

第一阶段:非临床研究阶段,安全有效的“奠基石”。非临床研究是生物医学新技术进入临床应用的起点。其核心目标是通过实验室研究和动物实验,验证技术的安全性和有效性,为后续临床研究提供基础性证据。在此阶段,临床研究的发起机构——指在我国境内依法成立的法人,涵盖企业、医疗机构等多种组织形式——必须对非临床研究的真实性与充分性承担主体责任。

第二阶段:临床研究阶段,在人体中验证的“试金石”。这一阶段的核心目标是确保新技术在研究参与者中进行系统评估。开展临床研究的机构必须是三级甲等医院,并具备与研究相适应的资质、设施及完善的管理体系。这为其后学术审查与伦理审查的有效实施提供了组织保障,从而进一步验证技术的安全性、有效性,并明确其适用范围、标准操作流程与关键技术要点。

第三阶段:临床转化应用阶段,普惠患者的“准入门”。此时,技术的准入条件显得尤为重要。该技术必须经过国务院卫生健康部门的严格评估,并由具备国务院卫生健康部门规定的条件的医疗机构实施,确保技术在临床应用中的医疗质量与患者安全。

为确保权责清晰与技术推广的公

平性,《条例》创新性地采用了申请与实施相分离的机制。临床研究发起机构是提出临床转化应用申请的法定主体,负责汇总并提交全部研究证据与申请材料;而任何具备国务院卫生健康部门规定的条件的医疗机构都可成为实施主体,在技术获批后开展临床应用,并对其临床应用过程中的医疗质量与患者安全承担直接责任。

此时,技术的准入条件显得尤为重要,涉及技术与机构资质的双重审核(具体评估流程见后文“终极关卡”部分)。该技术必须经过国务院卫生健康部门的严格评估,并由具备规定条件的医疗机构实施,确保技术在临床应用中的医疗质量与患者安全。

从非临床研究到临床研究再到临床转化应用,这三个阶段共同构成了一个递进式、全链条的“证据生成与审核”系统。每一阶段都有严格的审核和评估机制,逐步为技术的安全性和有效性提供保障。随着技术逐级跨越各个阶段,其证据水平和技术成熟度也不断提升。只有通过层层筛选和审核,最终进入临床应用的技术才能确保其安全性、有效性和可靠性。

2个前置审查是研究启动的“双重阀门”

在生物医学新技术的临床研究过程中,《条例》设立了2个必须同时开启的“安全阀门”——学术审查和伦理审查。

首先,学术审查是确保临床研究科学严谨性的首要环节。其主要任务是对研究的科学价值、设计合理性和实施可行性进行全面评估,确保研究基础扎实、方案设计科学,并具备可行

的实施条件。

学术审查由临床研究机构内的学术委员会负责,保证了审查的独立性和专业性。学术委员会不仅要评估研究的理论依据和前期证据,还需确保研究设计能够有效解答关键问题,并在现有资源与技术条件下具备可行性。简而言之,学术审查的作用是判断“这项研究是否值得做”以及“是否能够做成”,为研究启动把好第一关。

其次,伦理审查是确保临床研究符合伦理规范、保护研究参与者权益的重要机制。

伦理审查由临床研究机构内的伦理委员会负责,其独立性和专业性是保证审查效果的基础。伦理委员会的核心职责是评估研究的风险与受益比是否合理、研究参与者的选择是否公平公正、知情同意过程是否充分规范,以及是否采取了充分的隐私保护和个人信息安全措施。伦理审查本质上是对“是否应该进行这项研究”的价值判断,确保研究符合道德规范,设立了研究的底线。

学术审查与伦理审查这两项机制并行不悖、缺一不可,构成了临床研究启动的“双重保险”。这一机制将监管关口前移至临床研究机构内部,从源头上强化了合规意识和责任落实,确保研究既具备科学性,又符合伦理标准,为研究顺利开展奠定了坚实基础。

2个终结评估是转化应用的“终极关卡”

在生物医学新技术完成临床研究后,进入转化应用阶段时,《条例》设立了两个关键的“终极关卡”——技术评估和伦理评估。

技术评估是对拟转化技术进行的国家级权威验证,旨在从专业角度审查其安全性、有效性和技术成熟度。该评估由国务院卫生健康部门指定的专业机构执行,确保评估过程的高水平专业性与权威性。评估机构将根据这些数据判断该技术是否具备在目标人群及预设临床场景下安全、有效应用的可能性。

与此同时,伦理评估是从伦理规

范和社会价值的层面对拟转化技术进行审查,确保技术符合伦理标准,并为其获得临床应用许可提供保障。伦理评估不仅复核临床研究阶段的伦理执行情况,还需要深入评估技术在未来广泛应用时可能带来的社会影响和伦理挑战。此评估确保技术符合国家伦理标准,并参照《赫尔辛基宣言》等国际伦理规范,在保护个体权益与追求社会价值之间实现平衡。

在技术评估和伦理评估完成后,国务院卫生健康部门将自收到完整评估意见之日起15个工作日内,综合两项评估结果,作出是否批准该技术进入临床转化应用的最终决定。此项批准为技术的临床转化应用提供了明确的法律依据。

此外,《条例》还设立了配套的监管机制和优先审批机制。监管机制体现了动态监管和灵活应对的原则性与灵活性的统一。首先是动态再评估机制,旨在应对科学认知的不断更新以及临床应用中的潜在风险。如果在技术应用过程中出现严重的不良反应、不可控风险,或者新的科学证据对其安全性和有效性提出重大质疑,国务院卫生健康部门可依法启动再评估。在再评估期间,临床应用将暂停,若最终确认该技术无法保证安全有效性,将被禁止继续应用。

优先审批机制则针对治疗重大疾病或应对突发公共卫生事件的技术,开设了优先审查和审批通道。这一机制充分体现了监管部门对生命至上和公共利益的高度关注,为满足迫切临床需求的技术提供更加及时的解决方案。

《条例》构建的“3+2+2”全链条监管框架,为生物医学新技术的研发与转化提供了一张清晰的“航海图”。为了让生物医学创新在“大海”中平稳航行,相关企业和机构需要将研发策略、质量管理体系和合规体系深度嵌入这一监管框架中,确保在守护人民健康、推动医学进步的征途上,稳步前行,乘风破浪。

(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)