

聚焦生物医学新技术

学术委员会是生物医学新技术开展的“核心守门人”

● 何斌

当前,全球生物医学新技术加速演进,细胞治疗、基因编辑等前沿技术正以年均 23% 的速度推动临床转化,为重大疾病治疗带来新的可能。然而,技术滥用和风险失控也成为监管体系关注的焦点。

从 2012 年针对干细胞乱象的被叫停,到 2015 年形成“双备案+IND 类双规”的管理框架,再到如今强调全链条治理的《生物医学新技术临床研究及临床转化应用管理条例》(以下简称《条例》)的出台,我国监管体系日渐完善,其中学术委员会的建设质量,已经成为决定新技术研究质量的关键因素。

《条例》明确规定,开展生物医学新技术临床研究前,应当依法开展实验室研究、动物实验等非临床研究。经非临床研究证明该技术安全、有效后,申报学术审查和伦理审查。与药物临床试验管理机制不同,《条例》要求机构内部设立学术委员会,并将其作为前置审查环节。此项审查是后续向主管部门提交备案的必要环节。

学术审查仍面临三大结构性矛盾

在生物医学新技术临床研究中,干细胞技术作为率先开展规范化管理的领域,自 2015 年《干细胞临床研究管理办法(试行)》颁布起即建立学术评审机制,为当前《条例》实施奠定了重要实践基础。

依据干细胞临床研究学术委员会建设的调研问卷,学术审查仍面临三大结构性矛盾:审查标准与技术迭代不同步、专业能力与跨学科需求不匹配、行政干预与独立审查权博弈。

这些问题在生物医学新技术这一前沿领域尤为突出。具体表现在三个方面:一是独立性不足。行政干预尚未完全隔离,利益冲突声明制度不健全,部分项目因科室利益或外部压力影响审查判断的客观性。二是专业性失准。委员构成偏向临床专家,基础研究、方法学、制剂工艺开发等跨学科力量薄弱,审查意见缺乏系统的科学依据支撑,多呈现“经验依赖型判断”。三是流程规范缺失。部分机构仍存在“先备



何斌

“学术委员会作为临床研究的“核心守门人”,以独立性筑牢学术审查根基、以专业化构建多学科协同体系,铸就生物医学新技术转化的全链条“安全闸门”。

案、后审查”的流程倒置现象,缺少标准化操作程序(SOP)和动态回顾机制,审查质量难以稳定提升。

基于上述问题,结合对 31 家三甲医院的调研经验,笔者认为,可从“三性建设”筑牢根基、“三理优化”提升效能、“三重机制”强化管控这三个方面系统推进学术委员会能力建设。

“三性建设”:筑牢组织基础,保障审查独立性与权威性

首先是独立性建设。学术委员会直属医疗机构管理,应与科研管理部门、GCP 办公室等行政机构适度分离,由有时间、有威望的专家担任主任委员,确保审查不受行政力量牵动。委员遴选注重专业能力与责任意识,实行任期制、轮换机制及投票记录与异议机制,并采用科学性/可行性/创新性三维度量化评分,确保决策过程客观公正,维护学术判断的独立空间。同时,建立回避制度,禁止与申报企业有股权关联者参与审查。

其次是学术性建设。学术委员需具备相关治疗领域实践经验,覆盖临床医学、免疫学、工艺开发、生物统计、流行病学、统计学等多学科,针对生物医学新技术,建立专家顾问库,采用“主审委员+临时顾问”模式,针对不同

的生物医学新技术建立专家库准入标准与动态评估机制,确保技术审查的专业深度与前沿性。同时,建立“临床专家+基础研究学者+质量控制专员”的复合型专家库,重点引进稀缺领域专家,联合高校、科研院所建立动态专家库,定期开展专项培训。

最后是规范性建设。制定涵盖初始审查、形式审查、实质审查、跟踪审查、严重不良事件核查等全流程 SOP,明确各类审查的法定时限、表决规则及异议处理机制。有条件的机构应建设电子审查平台,实现项目全过程的可追溯管理,并通过临床试验管理系统(CTMS)实时上传研究数据,设置审查流程节点智能提醒,支持在线批注与修订痕迹追踪。

“三理优化”:科学配置人员,提升审查专业性与全面性

首先是委员数量要合理。委员总数建议控制在 13~25 人(奇数)左右,设主任 1 名、副主任 1~2 名,确保 2/3 法定参会人数易于实现。建议采用“临床+基础+管理”三元结构,以保障跨学科视角融合。

其次是委员专业结构要合理。委员会需根据技术风险等级动态调整专家配置,高风险技术(如诱导多能干细胞技术)增设细胞生物学、生物安全专家(药物警戒),低风险技术侧重临床方案可行性评估,同时强制纳入制剂生产管理、生物统计专家以弥补传统临床专家短板,并设置跨学科顾问提供专业咨询,针对特殊技术项目临时邀请专家参与专项审查,以弥补机构内部专业短板。

最后是委员组成要合理。参考《干细胞临床研究管理办法(试行)》中相应规定,委员构成上,学术委员会应包含一定比例的机构外专家,优先遴选国家级、省级专家库成员及行业协会推荐专家;机制建设上,建立委员任期制与动态轮换机制以保持审查活力;任职回避方面,主任委员可由非行政职务的权威专家担任,避免学术委员与伦理委员交叉任职,从组织架构上保障审查

决策的独立性与公正性。

“三重机制”:强化全流程管控,实现审查质量与效率统一

首先是重视立项流程规范性。严格遵循“学术审查-伦理审查-行政备案”法定顺序,禁止流程倒置,形式审查阶段重点核查方案完整性与制剂质量标准。配备专职秘书,加强秘书的学习与培训,确保秘书处的专业性 with 规范性。在形式审查时建立预审查机制,对明显不符合要求的项目实行“一票否决”;对已实施的临床研究项目采用“年度审查+重大变更审查”双轨制,要求项目组每年度提交进展报告,发生方案重大变更(如适应症调整)需重新通过学术审查。

其次是重视审查要点专业化。学术委员会在重点审查科学性评估(聚焦临床设计合理性与临床前研究充分性)的基础上,可将生物制剂的工艺安全性作为审查重点,制剂检测采用“自行检测+第三方复核”双重复核,并针对高风险技术增加安全性专项评估。在委员会内部建立风险分级评估机制,根据技术创新度(如首次人体试验)、研究参与者风险等级(如多器官毒性风险)建立对应的审查标准,高风险项目建议开展前置咨询。

最后是重视项目回顾机制化。建议建立已审批项目定期回顾机制,学术委员会通过“年度报告+专项评估”模式开展回顾:每年对临床研究实施数据进行分析,重点评估方案执行偏差率、关键质量指标达标情况及受试者安全数据,识别研究过程中的技术瓶颈与资源短板;整合多学科专家资源深入剖析共性问题,制定标准化解决方案。

学术委员会作为临床研究的“核心守门人”,以独立性筑牢学术审查根基、以专业化构建多学科协同体系,铸就生物医学新技术转化的全链条“安全闸门”,将为《条例》平稳落地提供制度保障,为健康中国战略注入强劲创新动能,守护千万患者的生命健康希望。

(作者单位:上海干细胞临床转化研究院)