

## 聚焦生物医学新技术

# 企业应以责任驱动生物医学新技术的合规转化与发展

● 汤红明

在生物医学新技术从实验室走向临床应用的过程中，企业始终是不可或缺的重要力量。然而，过往其角色常被限定于“资金提供方”或“技术合作方”，处于从属地位。真正的临床研究发起与组织权，往往掌握在医疗机构手中。

《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》)的出台，改变了这一长期存在的制度格局。这一转变不仅是权利的赋予，更是全方位、全链条责任的压实。《条例》首次以国家行政法规的形式，明确企业可以依法作为“临床研究发起机构”，在制度层面推动企业完成从“参与者”向“主导者”的角色升维。

新规要求企业构建技术评估、方案设计、质量控制和风险管理四大核心能力，履行从研究发起至转化申报的全链条主体责任。本文结合条例要点，系统解析企业如何在新规框架下完成这一战略转型，并以责任驱动生物医学新技术的合规转化与高质量发展。

### 从“参与者”到“火车头”： 企业的身份重塑

《条例》第十条明确规定：“发起生物医学新技术临床研究的机构（以下简称临床研究发起机构）应当是在我国境内依法成立的法人。”这一规定简单明了，为企业参与临床研究提供了清晰而稳定的法律身份。

在以往实践中，企业在临床研究中的法律地位时常模糊，多依赖于通过合作协议，间接参与医疗机构的临床研究。《条例》将“临床研究发起机构”明确为法定概念，使符合条件的企业可以凭借其“法人”的身份，名正言顺地担任这一角色。这意味着，企业成为了启动一项生物医学新技术临床研究的合法“引擎”，是研究项目的“出生证”颁发对象之一。

与法定身份相匹配的，是一系列核心权责的集中。企业不仅可以主动发



汤红明

起临床研究，作为组织者，还需要统筹研究的整体进程。这改变了过去由医疗机构完全主导项目立项的模式。

《条例》第十二条规定，临床研究发起机构与临床研究机构“共同制定临床研究方案”。这意味着企业必须深度介入甚至主导方案的科学设计，确保研究方案既能满足科学严谨性的要求，也能契合产品转化的终极目标，而非被动接受既成方案。

《条例》第三十条明确指出，临床转化应用的申请由“临床研究发起机构”向国务院卫生健康部门提出。这使得企业成为了推动技术走向市场、惠及患者的最终责任方，真正掌握了转化应用的“钥匙”。

作为发起者，企业对研究的全过程负有不可推卸的管理责任。从筛选合适的临床研究机构，到监督研究进度、确保方案依从，再到管理研究数据和质量，企业必须建立贯穿始终的项目管理体系，真正完成从“配套者”到“引领者”的身份重塑。

从制度逻辑看，《条例》本质上是将企业从产业链的“配套环节”提升至引领转化的“火车头”位置，要求其必须具备统领研发、临床与转化全链条的战略视野和能力。

### 从“权责赋予”到“能力构建”： 企业的责任落地

权责赋予意味着责任落地。《条例》在明确企业核心权责的同时，也对其主体责任提出了具体而明确的要求，

推动企业系统性构建四大关键能力。

首先，企业进行技术立项时，需基于科学与风险的精准决策。《条例》第九条明确要求，企业作为发起机构，拟开展临床研究的生物医学新技术时，必须有充分的非临床研究数据证明其安全性和有效性。

这意味着在立项阶段，企业不能再仅仅关注技术的市场前景，而必须建立科学的评估体系，对技术的成熟度、知识产权状况、非临床研究数据的充分性与可靠性开展尽职调查，从源头上杜绝“先天不足”的项目进入临床，承担起风险识别的首要责任。

其次，企业进行方案设计时，需兼顾科学与注册的战略规划。企业需与医疗机构共同制定临床研究方案，它既是科学的研究路线图，也是未来注册审批的证据基石。这要求企业在方案设计中必须发挥更强的主导作用，确保研究目标清晰、设计科学（如采用合理的对照、盲法）、研究终点明确且可衡量，并严格符合《条例》及配套细则对生物医学新技术研究方案的规范性要求。方案质量的高低，直接影响研究的成败与转化的效率，本质上考验的是企业在医学事务、临床研究和注册策略层面的综合能力。

企业的质量控制责任，贯穿“从源头到病床”的全过程。《条例》对质量可控的要求是全程性的，尤其对从事细胞、基因治疗等前沿领域的企业提出了更高标准。这意味着企业必须建立远超传统药品生产的、覆盖全链条的质量控制体系，不仅要确保细胞或产品来源合规、供者筛查严格、伦理要求落实到位，还必须建立并严格执行标准化、可追溯的制备工艺，保障产品批次间一致性、稳定性、无菌性。

再次，应依据《中华人民共和国药典》及相关技术指南，对细胞的活性、纯度、效力和安全性等核心指标开展系统化检测，形成完整、可追溯的检验记录，并通过规范的冷链运输和交接流程，确保细胞产品在进入临床前后，

其质量在传递过程中不受影响。无论采用内部质量控制还是引入第三方复核，企业始终是细胞产品质量的最终责任人，必须确保交付到临床的每一份细胞产品“清白可控”。

最后，企业的风险管理与转化申报将承担最终法律与安全责任。《条例》第二十七条规定，临床研究造成研究参与者健康损害的，治疗费用由临床研究发起机构承担。这从法律上明确了企业是临床研究风险的第一财务承担者。企业必须建立完善的不良事件监测、报告与应急处置预案，并积极通过购买商业保险等方式，建立风险共担机制。

此外，《条例》第三十条、第五十一条指出，作为申报主体，企业必须对提交的全部资料，包括临床研究报告、技术适用范围、应用条件、操作规范等的真实性、准确性和完整性负全部法律责任。任何虚假资料都将导致严厉处罚，甚至断送产品甚至是企业的未来。

### 从“合规遵循”到“战略引领”： 企业的机遇升维

《条例》赋予企业的“主导者”角色，是中国生物医学创新生态系统迈向成熟的重要标志。它要求企业必须完成从“机会主义者”到“战略投资者”、从“技术提供方”到“全面责任方”的深刻蜕变。

面对新规，企业不应视其为束缚，而应视作构建核心竞争力的战略机遇。唯有主动将法规要求内化为从研发、生产到临床、申报的全流程管理体系，扎实构建科学、质量及风险管控三大支柱，才能真正肩负起“主导者”的责任。

在“宽进、严出、强监管”的新时代，企业应将合规遵循转化为战略引领的机遇，以责任驱动产业行稳致远，让更多创新成果成功穿越从实验室到病床的“死亡之谷”，最终惠及广大患者。

（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）