基因编辑·大家谈

为基因编辑临床转化修好“监管护栏”

肖鹏



肖鹏

基因编辑技术跑得越快，监管护栏就越要修得牢。

2026 年 5 月 1 日，《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》）正式施行，基因编辑等前沿技术从实验室走向病床，从此有了专门的制度路径。

但制度供给不等于制度落地，试验通道的门槛落差、伦理审查的角色困境、知情同意的现实软肋、不良事件的披露缺口，都有待在落地中补齐。

要修好基因编辑监管护栏，须把高风险研究准入、伦理审查独立、研究参与者保护、严重不良事件披露、风险分级协同五个环节逐一加固。监管越精准，基因编辑走向病床的脚步就越让公众安心。

基因编辑监管的护栏已经立起

2018 年“基因编辑婴儿事件”之后，我国相关立法明显提速。

《民法典》第 1009 条为人体基因、人体胚胎相关医学科研活动划定了伦理与法律底线；《生物安全法》《科学技术进步法》分别从风险防控、科研规范角度作出规制；《刑法修正案（十一）》更增设非法植入基因编辑、克隆胚胎罪，为逾越底线的行为划出刑事责任红线。《人类遗传资源管理条例》对遗传资源的采集、保藏、利用与对外合作加以规范。《涉及人的生命科学和医学研究伦理审查办法》《医疗卫生机构开展研究者发起的临床研究管理办法》《人类基因组编辑研究伦理指引》等规章与指导性文件，则为伦理审查和临床研究管理提供了操作依据。

《条例》更针对生物医学新技术从临床研究到转化应用的全过程确立了管理制度，明确了各方主体责任。从临床研究备案、实施情况定期报告、终止情形即时报告，到转化应用的审批、风险分级、限定期限，《条例》及其配套规范构建起“研究—转化—应用—再评估”的全链条治理闭环，高风险技术获批后五年内仅限在参研且符合条件的机构内应用，逐例报送应用情况。

可以说，基因编辑监管的护栏已经立起。

基因编辑临床转化面临四个短板

2026 年夏天，两起儿童研究参与者死亡事件相继为公众所知。

监管制度并非空白，风险事件为何仍会发生？从公开报道看，问题集中在临床转化链条上的四个短板。

一是两条试验通道的门槛落差。两起事件发生时，同样的基因编辑人体研究，若走新药注册临床试验通道，须经国家药品监督管理部门审评、实行 60 日默示许可；若以研究者发起的临床研究（IIT）形式开展，立项、科学性审查与伦理审查等关口均在机构内部完成。通道之间审评强度差距明显，一些高风险研究自然流向门槛较低的一侧。《条例》已为这类研究补上备案管理与动态评估的制度接口，但备案审查的强度与注册审评仍有差距：备案是事中介入，注册审评是事前把关，研究启动那一刻的闸门松紧仍然不同，执行能否到位，直接关系护栏是否结实。

二是伦理审查的角色困境。机构伦理委员会在行政上隶属本单位，审查的又恰是本单位的重点项目，“既当运动员又当裁判员”的结构性张力客观存在。2023 年出台的伦理审查办法已补上备案、年度报告、监督检查、区域伦理委员会等外部约束，但全国统一、强制的委员资格准入与委员会质量认证尚未落地，审查质量在很大程度上仍依赖委员个人的专业水准与职业操守。

三是极端场景下的知情同意。基因编辑疗效与风险的不确定性远超一般试验，知情同意的分量更重。罕见病、绝症患儿家庭处于信息与心理的双重弱势，治愈的希望可能压过理性的权衡。面对儿童研究参与者，签字的是法定代理人，承受风险的却是孩子本人，同意的真实性与充分性打折。规范本就要求，监护人书面同意之外，还须在孩子能理解的范围内告知并征得其本人同意。个别案例中，家属甚至自筹巨资支持研究，倾其所有的投入与救治期盼交织，自愿同意的成色不足。

四是不良事件披露的缺口。两起死亡事件，从发生到为公众所知，一起隔了十六个月，另一起也隔了约一年，且都因媒体介入才浮出水面。其间研究登记信息未见如实更新，相关学术发表亦未见披露。前者暴露的是执行失守，后者凸显的则是披露规则的空白。披露迟到，使同行避险与公众监督都失去了及时性。向监管部门报告虽有义务，对外披露却无统一标准和时限。教训锁在系统内部，就难以转化为全行业共同的经验，同类风险也可能在别处重演。

修好监管护栏须加固五个环节

《条例》施行提供了制度升级的支点。以《条例》落地为契机，可以把高风险研究准入、伦理审查独立、研究参与者保护、严重不良事件披露、风险分级协同五个环节逐一“拧紧”，前四个补短板、第五个增强全局。

一是压实高风险研究的准入评估。对首次人体试验、涉及儿童研究参与者、高剂量病毒载体给药等情形，应设定最严格的临床前评估标准，毒理学与脱靶检测数据不充分者不得开展人体试验；对尚无成熟标准的全新技术路线，还可组织跨机构同行评议，借助外部专家力量弥补单一机构审查的视野局限；把《条例》确立的学术审查、伦理审查与备案管理做实做细，防止个别研究借“研究者发起”之名规避实质审查。

二是筑牢伦理审查的独立防线。由卫生健康主管部门主导建立伦理委员会的资格认证与能力评估体系，明确委员准入条件、培训要求与定期评估规则，评估结果适度公示；对高风险基因编辑研究，在机构审查之上探索独立复核机制，让伦理审查既独立于研究者，也尽可能独立于机构行政意志；审查标准全国统一，审查过程留痕可查。

三是把研究参与者保护落到细处。知情同意不能止于签字，要用研究参与者及家属听得懂的语言，把首次人体试验的不确定性、潜在死亡风险与替代方案讲清楚；涉及儿童的研究应有更严格的再确认程序，必要时引入与研究团队无利益关联的第三方参与见证；知情同意的关键内容与再确认的过程记录都应纳入研究档案备查，使保护可追溯、可问责。保护不止于事前的知情同意，也包括事后的救济兜底。《条例》已明确，开展临床研究不得向受试者收取费用、造成受试者健康损害的应当及时治疗，并鼓励通过购买商业保险为受试者提供保障；在此基础上还可探索临床研究责任保险与专项救济安排，让受损家庭不必再独自承担、四处求助。

四是让不良事件无处隐身。在既有报告义务之上，建立统一标准、明确时限的严重不良事件对外披露制度：何种情形应当公开、何时公开、公开到什么程度，都应有可操作的规则，研究登记信息随进展同步更新，瞒报、迟报应承担明确责任；在保护隐私前提下适度公开关键信息，使每一次教训都成为全行业的共同经验。放眼各主要法域，登记与结果公开已是大势所趋，按公开深度大体可分三类：一类公开到登记与汇总结果，美国、英国、日本均属此类，其中美国的结果模块明确包含严重不良事件分组统计；一类以全档案公开为默认，对全部试验要求附通俗语言摘要，对儿童试验另设更短时限，欧盟属于此类；还有一类政策指引先行、立法在后，加拿大属于此类。至于个案级、即时性的严重不良事件公开，即使在登记制度先行多年的国家，截至目前也尚无形成制度的常态安排——这既是全球共同的制度空白，也为我国留出了先行探索的空间。

（下转第 9 版）