《免疫细胞治疗产品临床试验技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

1. **背景和目的**

2017年，原国家食品药品监督管理总局发布了“细胞治疗产品研究与评价技术指导原则(试行)”，对细胞治疗产品按照药品管理相关法规进行研发时的技术要求进行了总体阐述。该指导原则发布以来，我国细胞治疗产品的研发和注册申报数量明显增加，特别是免疫细胞治疗产品。

免疫细胞治疗产品的细胞来源、类型、体外操作等方面异质性较大，治疗原理和体内作用等相较传统药物更加复杂。因此，在上述指导原则的框架下，有必要进一步细化免疫细胞治疗产品开展临床试验的技术建议，以便为药品研发注册申请人及开展药物临床试验的研究者提供更具针对性的建议和指南。

2019年4月，国家药监局启动了中国药品监管科学行动计划，药审中心负责实施的“细胞和基因治疗产品技术评价与监管体系研究”纳入首批研究项目，其中，《免疫细胞治疗产品临床试验技术指导原则》是构建免疫细胞治疗产品技术评价体系的重要内容，有助于引导免疫细胞治疗产品临床试验的规范开展。

1. **起草过程**

本指导原则由生物制品临床部牵头起草，“细胞和基因治疗产品技术评价与监管体系研究”项目合作单位参与修订。本项工作自2020年1月启动，2020年4月形成初稿，经药审中心内部征求意见，技术委员会审核，形成征求意见稿。

**三、主要内容与说明**

本指导原则介绍了免疫细胞治疗产品在开展临床试验时的一般考虑及个体化治疗产品的特殊考虑，对免疫细胞治疗产品开展探索性临床试验和确证性临床试验的研究目标、研究方法和评价方式等进行了阐述，并提出免疫细胞治疗产品长期随访的相关要求。

本指导原则的内容适用于按照药品管理相关法规进行研发和注册申报的细胞免疫治疗产品，旨在为该类产品开展临床试验的总体规划、设计、实施和试验数据分析等方面提供必要的技术指导，以减少受试者参加临床试验的风险，并规范对细胞免疫治疗产品的安全性和有效性的评价方法。

部分免疫细胞治疗产品兼具细胞治疗和基因治疗产品的特性。本指导原则的目的不是对其监管属性或分类的认定，而是基于现有认识，对细胞免疫治疗产品开展临床试验时若干技术问题的建议和推荐，内容不具有强制性，随着研究和认识的深入，原则内容将继续修订和完善。鼓励申办者与药品审评中心就试验方案的具体设计和细节进行沟通。