

附件 2

《基因治疗产品药学研究与评价技术指导原则（征求意见稿）》

起草说明

为了规范基因治疗产品的开发和药学研究，更好的引导行业发展，满足当前罕见病、难治性疾病对新治疗方法的临床需求，中心根据当前产业的研发现状和技术发展，通过前期的行业调研、文献收集、专家咨询等工作，起草了本指导原则。现将有关情况说明如下：

一、起草背景

随着生物技术的快速发展，基因治疗产品已成为生物制药行业的新的研发热点。但由于基因治疗产品种类多样，技术日新月异，早期颁布的基因治疗相关指导原则已无法适应行业发展。本指导原则根据《中华人民共和国药品管理法》、《中华人民共和国疫苗管理法》和《药品注册管理办法》（2020 年局 27 号令）的规定和要求，考虑当前的行业研发现状和科学认知，结合国内外相关法规和技术要求，采用逐步完善、补充细化、综合考虑的原则起草。

二、适用范围

本指导原则所适用于导入人体后，在体内通过对体细胞的遗传物质进行修饰、改变基因表达方式或调节细胞生物特性以达到疾病治疗目的基因治疗药品。不包括溶瘤病毒类产品和 CAR-T 细胞等离体基因修饰细胞治疗类产品，但此类产品的部分相关研究，如病毒载体的制备等，适当条件下可以综合借鉴参考本指导原则。由于基因治疗产

品种类多样，工艺多变，本指导原则仅基于当前认知，对常见基因治疗产品的药学研究提出一般性技术要求。对于本指导原则无法涵盖的研究内容，应综合参考相关的技术指导原则。

三、主要内容

本指导原则主体内容包含九个章节，分别为“前言”、“定义和范围”、“一般原则和风险考虑”、“生产用材料”、“制备工艺与过程控制”、“质量研究与质量控制”、“稳定性研究”、“容器和密闭系统”、“环境和生物安全性”。

第一部分主要明确了本指导原则制定的背景和前提条件，第二和第三部分明确了本指导原则的适用范围和一般原则考虑，第四至第八部分分别从生产的用原材、生产工艺、质量控制、稳定性研究和包装系统等方面提出药学研究要求。第八部分针对基因治疗产品的特殊性提出环境安全性的一般考虑。