

《基因治疗产品非临床研究与评价技术指导原则(征求意见稿)》起草说明

为规范和指导基因治疗产品非临床研究，引导行业健康发展，提高企业研发效率，并与 ICH 相关指导原则工作同步，药品审评中心组织起草了本指导原则。现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

随着基础研究和技术开发的快速发展，基因治疗取得了突破性进展，为难治性疾病（尤其是罕见遗传性疾病）提供了全新的治疗理念和思路。基因治疗产品迅速发展壮大，有必要制定合适的指导原则规范和引导这一新兴药物产业的健康发展。ICH 也开始协调基因治疗领域的国际注册技术要求。基于行业发展和监管的需要，制定本指导原则，以明确基因治疗产品非临床研究内容，统一评价标准，提高研发效率；同时积累基因治疗产品研发和监管经验，更好更有效地参与 ICH 基因治疗指导原则制定工作，建立协调一致的国际行业标准。

二、起草过程

本指导原则由药品审评中心药理毒理学部负责组织起草，与 ICH 基因治疗指导原则相关工作同步开展。本项工作经前期调研、ICH S12 国内专家工作组起草、专家咨询讨论

形成初稿；经药理毒理学部内部征求意见、药理毒理学部技术委员会讨论审核，形成征求意见稿。

三、主要内容与说明

本指导原则基于基因治疗产业的具体实践经验，参考国外监管机构基因治疗相关指导原则，遵循ICH关于基因治疗领域的协调原则进行起草。本指导原则为基因治疗产品非临床研究设计提供建议，并作为非临床评价的参考以支持开展相应的临床试验。本指导原则提出了基因治疗产品研发分阶段推进、风险-获益分析、具体问题具体分析等一般原则。

基因治疗产品通过转导的遗传物质的转录或翻译而发挥作用，一般包括：核酸（例如质粒、RNA）、表达特定基因的基因修饰微生物（例如病毒、细菌、真菌）、离体基因修饰的人类细胞，以及编辑宿主基因组（通过或未通过特定的转录/翻译）的产品和未通过基因修饰表达特定基因的微生物如溶瘤病毒产品。本指导原则适用除基因修饰细胞以外的基因治疗产品，不适用于化学合成的寡核苷酸及其类似物。

本指导原则主体内容包括“概述”、“非临床研究”、“开展临床试验的非临床考虑”三个部分。第一部分部分主要涉及本指导原则的背景、目的、一般原则、范围；第二部分主要涉及基因治疗非临床研究的内容；第三部分主要涉及基因治疗非临床研究向临床研究推进的建议。

由于基因治疗技术发展日新月异，本指导原则仅基于当

前认知，对基因治疗产品的非临床研究提出一般性技术要求和
建议。对于本指导原则未涵盖的研究内容，应综合参考相
关的技术指导原则。