

《间充质干细胞产品药学研究与评价技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

一、起草背景和目的

近年来，世界范围内的干细胞应用研究为解决许多难治性疾病问题提供了新的治疗机遇。其中，基于间充质干细胞的治疗优势和潜力，国内已有百余款同类产品获批开展临床试验，世界主要监管国家和地区也均已批准间充质干细胞产品注册上市。

2023 年 4 月，国家药品监督管理局药品审评中心发布了《人源干细胞产品药学研究与评价技术指导原则（试行）》，为人源干细胞产品这一大类的药学开发与评价奠定了基础。间充质干细胞产品作为目前申报量最大的一类人源干细胞产品，具备来源多样、异质性较强、鉴定标准复杂、表征和分析手段有限等质控挑战，需要细分领域的指导原则进行规范研发和技术评价。

国内外监管机构尚无间充质干细胞产品药学研究与评价的相关要求、细则或指导原则。起草小组在前期调研的基础上，参考国内外法规和技术要求，结合间充质干细胞产品的研发和审评实际，本着科学性、可操作性、前瞻性和先进

性相结合的原则，起草了《间充质干细胞产品药学研究与评价技术指导原则（征求意见稿）》，以提高申请人质量研究和质量控制的规范性，促进此类产品的创新快速发展。

二、起草过程

2023年7月-2024年12月，开展了支持指导原则撰写的前期调研工作，总结了沟通交流和审评过程中存在的技术问题以及企业对此类产品质量研究和控制中存在的共性问题。

2025年7月，在前期调研的基础上，结合此类产品的特点、研发现状、审评实际和可能发展趋势，撰写了初稿；

2025年11月7日，邀请了从事间充质干细胞产品学科研究的院校专家，中检院、核查中心和药典委法规专家，国内外间充质干细胞产品申报的代表企业，对指南征求意见稿的准确性和适用性进行了充分交流和探讨；

2026年1月，起草小组根据专家会讨论意见进行修改和讨论，形成拟对外征求意见的现行版本。

三、主要内容与说明

本指导原则所称“间充质干细胞(mesenchymal stem cell, MSC)”沿用既往名称，由于其自我更新和多向分化的干性特征尚未完全确证，国际上亦存在间充质基质细胞(mesenchymal stromal cell, MSC)这一功能性术语。基于当前科研认知，本指南中MSC泛指一类可能源自多种人体组织、体外成纤维细胞样贴壁生长、具有特定细胞表面特征分

子和生物学功能的细胞群体。

本指导原则包括前言、适用范围、一般原则、药学研究与评价技术要求、变更研究与评价考虑以及参考文献和名词解释共七个章节，前言主要阐述了指导原则起草的背景和目的，适用范围主要阐述了指导原则适用的产品范围和适用阶段，一般原则主要阐述了 MSC 产品按药品进行质量研究和质量控制的合规性要求、整体质量控制理念和策略、前瞻性技术应用和沟通交流。药学研究与评价技术要求是本指导原则的主体内容，包括生产用物料、生产工艺、质量研究和质量标准、稳定性研究四个部分的技术要求。为回应业界迫切需求，指南单列变更研究与评价考虑章节，对 MSC 产品全生命周期中主要变更类型和技术评价考虑进行了全面、分级、分类列举，突出此类产品变更研究与评价的切实考虑，希望有效推动 MSC 产品全生命周期管理。