

附件 1

细胞与基因治疗药品“先锐计划”（征求意见稿）

一、背景

细胞与基因治疗药品采用当前生物医药领域的前沿技术，为许多严重威胁人类健康的难治性疾病提供了革命性的治疗手段。然而，这类药品具有高度的创新性、复杂性和个体化特征，靶点多、机制新、技术发展快、变更需求多。在其研发的全生命周期内，药学研究、非临床研究和临床试验等方面面临诸多技术难点，全球缺乏成熟的研发和监管经验，给企业研发和审评审批带来巨大挑战。

依据《国务院办公厅关于全面深化药品医疗器械监管改革促进医药产业高质量发展的意见》（国办发〔2024〕53号）和全国药品监督管理工作会议上关于优化细胞与基因治疗药品审评审批措施的相关要求，药审中心在国家局的部署和指导下，按照“提前介入、一企一策、全程指导、研审联动”的原则，启动细胞与基因治疗药品“先锐计划”。

二、工作目标

优化细胞与基因治疗药品审评审批模式，加大对研发指导的力度，提高研发质量和效率，推动细胞与基因治疗药品尽早上市，实现全链条审评审批支持。

三、品种范围

（一）细胞与基因治疗药品的范围和归类

参见《细胞治疗药品范围和归类的技术指导原则（2026年版）》和《基因治疗药品范围和归类的技术指导原则（2026年版）》。

（二）“先锐计划”的适用范围

1.具有新靶点、新机制的创新药，用于防治严重危及生命的疾病、重大慢性疾病（心脑血管疾病、呼吸系统疾病、神经退行性疾病、代谢性疾病、免疫系统疾病）、遗传性疾病，且尚无有效防治手段或者与现有治疗手段相比具有临床价值。

新靶点药品是通过不同于已上市药品的靶点，发挥疾病防治作用。

新机制药品是通过不同于已上市药品的作用机制，发挥疾病防治作用。如发挥更精准的靶向作用、通过新的信号通路发挥作用、创新性的作用于多个关键靶点、创新性的通过表观遗传调控基因表达等。

临床价值是指，对于临床试验申请前或早期临床试验期间，已有数据提示具有潜在临床获益；或已完成的关键注册临床试验数据显示，具有明显临床优势。

2.已上市药品生产工艺优化的重大变更。

四、组织和实施

（一）申请

45 申请人可通过申请人之窗，以沟通交流途径，递交加入
46 “先锐计划”的 I 类会议申请，沟通学科选择药学、药理毒
47 理、临床、统计和临床药理。在“会议目的”项下填写“先
48 锐计划申请”，沟通交流中不应合并其他咨询问题。

49 除《药物研发与技术审评沟通交流管理办法》中对沟通
50 交流提交资料的一般要求以外，还应提交《“先锐计划”申请
51 表》(附件 1)、《细胞与基因治疗药品研发计划书》(附件 2)。

52 (二) 纳入

53 药审中心审评团队对“先锐计划”申请进行综合评价，
54 必要时召开沟通交流会和/或专家咨询会。经评价认为所申报
55 的药品属于“先锐计划”品种范围，且所提交的《细胞与基
56 因治疗药品研发计划书》具备合理性、科学性、可实施性，
57 则将其纳入本计划。

58 对经评价拟纳入的，药审中心将对外公示，公示期为 5
59 个工作日。公示内容包括药品名称、申请人、适应症、类别
60 (新靶点、新机制、已上市药品生产工艺优化的重大变更)。
61 公示无异议的品种纳入“先锐计划”。

62 本计划每年最多纳入 15 个药品。

63 对于同一药品多次以“已上市药品生产工艺优化的重大
64 变更”申请本计划的，按 1 个药品计。

65 (三) 实施

66 纳入本计划的药品的管理路径按照现行法规和工作程

序实施，此外，包含以下支持举措：

1.沟通交流

纳入本计划的药品，药审中心将持续跟进其研发进展，主动对接需求，做好研发全过程的技术服务。在临床试验申请前、确证性临床试验前、上市许可申请前等关键阶段，可按照 I 类会议申请沟通交流。

2.受理靠前服务

纳入本计划的药品，可就受理问题向药审中心或分中心¹提出受理靠前服务申请。

3.上市后变更审评时限

以“已上市药品生产工艺优化的重大变更”纳入本计划的补充申请，在申报资料说明函中应说明纳入本计划的具体情况（包括沟通交流编号、纳入本计划的公示日期及结果等），审评时限按照《国家局关于优化细胞与基因治疗药品审评审批有关事项的公告》执行。

¹ 此处分中心是指药品审评检查长三角分中心、大湾区分中心，药品和医疗器械审评检查京津冀分中心、华中分中心、西南分中心。