

附件 1

**先进治疗药品的范围、归类和释义
(征求意见稿)**

**国家药品监督管理局药品审评中心
2025 年 6 月**

目录

一、前言	3
二、先进治疗药品的名称、释义和范围.....	4
三、先进治疗药品的归类与释义.....	5
(一) 归类	5
(二) 释义	6
四、先进治疗药品的划分原则.....	11
(一) 物质基础及活性成分.....	12
(二) 生产工艺及技术特点.....	15
(三) 功能用途及作用机理.....	17
(四) 其他说明	20
五、关于再生医学的相关说明.....	22
六、名词解释	24
七、参考文献	26

1
2
3
4
5
6
7
8
9
10
11
12
13
14
15
16
17
18
19
20
21
22

一、前言

近年来，随着生物科技等前沿技术的蓬勃发展，全球范围内以细胞治疗药品和基因治疗药品为代表的一类药品的研发、申报和批准数量持续增加。这类药品的创新性强、类型复杂多样，需经科学审慎的监管，旨在确保药品的安全性、有效性和质量可控性。这类药品包含多种产品类型、技术发展快且迭代迅速，涉及学科交叉融合，且不同类别药品风险级别及控制要求各有不同，目前对于其体内应用的安全性及有效性认知仍在持续积累中。因此，明确这类药品的范围及归类，有利于分级分类进行科学监管，加速产品研发及相关技术指南制定，有助于明确可适用的科学监管指南规范，以促进该领域在我国的高质量发展。

本文件主要参考现阶段我国细胞和基因治疗药品等的研发申报现状、国内外监管情况和技术指导原则制修订进展制定，明确了我国这类药品的范围、归类及概念释义。

需要说明的是，本文件基于当前科学认知及技术发展水平起草，鉴于先进治疗药品复杂多样且创新性强，相关内容将随着该领域的发展进一步更新和完善。同时，考虑到国际其他药品监管机构提出了再生医学（Regenerative medicine）的概念，其中涵盖的药品类型

23 与先进治疗药品有交叉，随着再生医学领域科学和技术
24 的发展，后续将适时讨论。

25 **二、先进治疗药品的名称、释义和范围**

26 结合我国创新药产业发展和监管现状，参考美国食
27 品药品监督管理局（Food and Drug Administration，
28 FDA）、欧洲药品管理局（European Medicines Agency，
29 EMA）、日本药品器械管理局（Pharmaceuticals and
30 Medical Devices Agency，PMDA）以及世界卫生组织
31 （World Health Organization，WHO）等国际药品监管
32 机构的命名规范，兼顾其技术的创新性、种类的多样性和
33 发展迅速的特点，将这类常采用核酸、细胞等作为生
34 产用原材料的产品命名为“先进治疗药品”，英文名称
35 为“Advanced therapy medicinal products（ATMPs）”。

36 本文件所称“先进治疗药品”，是指符合药品相关
37 管理规定，按照药品的路径进行研制、生产、经营、使
38 用和监管，且经体外操作生产并在人体内发挥预期功能
39 的细胞治疗药品、基因治疗药品，以及采用其他基于微
40 生物、细胞、基因或组织工程等创新技术/方法生产的药
41 品。

42 凡涉及利用人类遗传资源、病原微生物等进行研制
43 和生产的先进治疗药品，应当遵守我国关于人类遗传资
44 源的管理规定，并符合相关伦理以及生物安全相关法律

45 法规要求。

46 根据我国药品监管框架以及先进治疗药品的属性、
47 归类评估原则，先进治疗药品的范畴，不包括经采血来
48 源的输血用血液成分，直接由供体捐献的移植用人体细
49 胞、组织或器官，用于生殖技术的人工胚胎、受精卵、
50 配子等生殖细胞等。此外，不包括预防用疫苗。

51 本文件讨论的先进治疗药品的范围、归类及释义均
52 是基于当前行业发展阶段有限的科学认知以及与国际
53 监管接轨需要，随着科技、产业不断发展，以及监管经
54 验积累，相关内容将不断更新及完善。

55 **三、先进治疗药品的归类与释义**

56 **(一) 归类**

57 基于先进治疗药品的范围与属性，根据药品的活性
58 成分、工艺特点、功能用途及作用机制分析，结合我国
59 目前各类产品研发成熟度，同时参考国际监管规范，将
60 该类药品划分为以下三大类：

61 **1.细胞治疗药品(Cell therapy medicinal products,**
62 **CTMPs)**

63 **2.基因治疗药品(Gene therapy medicinal products,**
64 **GTMPs)**

65 **3.其他**

66 (二) 释义

67 根据不同药品的特点,进一步归类为若干种细分亚
68 类,具体归类及释义如下。

69 1、细胞治疗药品 (CTMPs)

70 本文件中,细胞治疗药品 (CTMPs)是指经体外操
71 作,通过调节细胞的生物活性、免疫特性或代谢状态,
72 和/或通过体内细胞替换、再生和功能重建进而实现预
73 期功能的细胞药品。例如免疫细胞治疗药品、干细胞治
74 疗药品等。

75 基于活性成分及工艺特点(体外操作是否包括基因
76 修饰),主要包括以下两个亚类:

77 (1) 非基因修饰细胞药品 (Non-genetically 78 modified CTMPs)

79 (2) 体外基因修饰细胞药品 (*Ex vivo* genetically 80 modified CTMPs)

81 具体释义如下:

82 **非基因修饰细胞药品:**一般是指未经基因修饰的细
83 胞治疗药品,包括未经基因修饰的干细胞及干细胞衍生
84 细胞、免疫细胞以及其他类型的体细胞药品等。

85 **体外基因修饰细胞药品:**一般是指在人体外,采用
86 基因修饰系统/技术(如病毒载体等),将遗传物质等导
87 入目的细胞,通过添加、敲除/敲低、替代、补偿、阻断、

88 修正特定基因，最终通过细胞活性成分发挥生物学作用
89 的细胞治疗药品。例如经过体外基因修饰的免疫细胞等。

90 **2、基因治疗药品（GTMPs）**

91 本文件中，基因治疗药品（GTMPs）是指借助遗传
92 物质（如 DNA、RNA）特异性改变人体的基因序列或
93 基因表达等，和/或通过病毒、活菌等微生物，导入基因
94 序列或调控基因表达，进而发挥相关的生物学活性，从
95 而实现预期功能的非细胞类药品。例如核酸、基因改造
96 微生物（如病毒）药品等。

97 基于活性成分、工艺或技术特点及功能机理，主要
98 包括以下亚类：

99 **（1）核酸类药品（Nucleic acid-based GTMPs）**

100 **（2）病毒载体类药品（Viral vector-based GTMPs）**

101 **（3）溶瘤微生物类药品（Oncolytic microorganism-
102 based GTMPs）**

103 **（4）基因编辑类药品（Gene editing-based GTMPs）**

104 具体释义如下：

105 **核酸类药品**：一般是指具有特定功能的核酸活性成
106 分通过物理或化学介导的方式进入人体细胞后，在细胞
107 内经转录、剪切、翻译，或直接发挥作用的基因治疗药
108 品，常见的活性成分为 DNA 或 RNA。如重组质粒 DNA
109 药品、脂质纳米粒（Lipid nanoparticle, LNP）包封的

110 mRNA 药品等。

111 **病毒载体类药品**：一般是指通过病毒载体（如腺病
112 毒、腺相关病毒、 γ -逆转录病毒、慢病毒或单纯疱疹病
113 毒等）将发挥生物学活性的核酸物质递送/转移至人体
114 内，通过纠正或补偿基因缺陷/异常等方式，从而实现预
115 期功能的基因治疗药品，如重组腺相关病毒
116 （Recombinant adeno-associated virus, rAAV）药品。

117 **溶瘤微生物类药品**：溶瘤微生物类药品一般包括溶
118 瘤病毒、溶瘤菌等药品。其中溶瘤病毒包括野生的、减
119 毒的或经过基因修饰的具有复制能力（或条件复制能力）
120 的病毒，其可选择性地感染肿瘤细胞和/或选择性地在
121 肿瘤细胞中复制以裂解肿瘤细胞，也可同时表达外源基
122 因以提高相应功能，还可通过刺激机体产生免疫反应达
123 到治疗目的。

124 **基因编辑类药品**：采用基因编辑工具，如类转录激
125 活因子核酸酶（Transcription activator-like effector
126 nucleases, TALEN）、成簇规律间隔短回文重复序列
127 （Clustered regularly interspaced short palindromic
128 repeats, CRISPR）及 CRISPR 相关蛋白（CRISPR-
129 associated proteins, CRISPR-Cas）系统等，识别基因组
130 特定位点，实现对体内基因序列定点修饰（包括靶向敲
131 除或插入等）的基因治疗药品。

132

3、其他

133

134

135

136

137

138

139

140

141

142

143

144

145

146

147

148

149

150

151

152

153

生物科技发展日新月异，多学科技术领域不断交叉融合，一些采用其他基于微生物、细胞、基因或组织工程等创新技术/方法（如组织和器官再生技术、新型递送载体技术等）生产的产品不断涌现。考虑到该类产品的活性成分和技术路线复杂多样，研发进展快速，虽然具有较大的发展潜力，但目前尚未完成临床试验在国内批准上市，暂不独立细分产品类别。仅基于当前认知、研发进展和沟通交流情况，进行初步归类。根据活性成分、工艺特点、功能用途或作用机制，列举如下几种类别，但不限于以下类别。随着科技发展与研发推进，以及认知积累，后续将逐步完善其他类产品的亚类归属。

（1）具有药品属性的组织工程药品（Tissue engineered medicinal products）

（2）新生抗原类治疗药品（Neoantigen-based medicinal products）

（3）新型递送系统药品（Novel delivery system-based medicinal products）

（4）细胞衍生物药品（Cell derivatives-based medicinal products）

（5）新型微生物类药品（Emerging microorganism-based medicinal products）

154 具体释义如下：

155 **具有药品属性的组织工程药品：**一般是指通过重建
156 功能受损的组织或器官，使其具备正常组织或器官的结
157 构和功能，并通过替换受损组织或激发体内修复促进人
158 体组织或器官再生的一类药品（包括经属性界定为药品
159 或以药品为主的药械组合产品）。例如采用干细胞诱导
160 分化、生物材料 3D 打印等技术获得的，或与器械材料
161 组合而成的人工组织或器官类药品。

162 **新生抗原类治疗药品：**一般是指基于肿瘤细胞基因
163 突变产生的新生抗原的预测、筛选设计开发的个性化靶
164 点治疗药品，通常通过激发免疫反应实现抗肿瘤活性，
165 包括新生抗原肽类、新生抗原 mRNA 类、新生抗原肽/
166 核酸负载免疫细胞等多种类别药品。鉴于此类产品具有
167 个性化特点且序列预测、筛选等研发流程复杂，技术要
168 求有别于基因治疗药品和细胞治疗药品，一并划分至此
169 类别。

170 **新型递送系统药品：**一般是指除归属于 GTMP 的
171 用于递送遗传物质的药品外，其他基于微生物、细胞或
172 基因工程等创新技术构建载体，用于递送活性成分的递
173 送系统药品，其功能实现与递送载体的创新设计与制备
174 密切相关。如采用细胞载体、细胞器、囊泡类载体（如
175 细胞外囊泡载体）等的药品，其可包载蛋白质、活性肽

176 或小分子等非遗传物质。

177 **细胞衍生物药品**：一般是指以细胞经培养产生或分
178 泌的物质作为活性成分的药品，其活性成分包括细胞器、
179 细胞外囊泡、血小板等。

180 **新型微生物类药品**：一般是指活性成分含有或由新
181 发现/鉴定的微生物种类，和/或通过基因工程等技术设
182 计改造的新型微生物组成的药品，该类新型微生物具有
183 独特功能，如可特异性裂解病原体的新型转基因噬菌体
184 产品等。

185 **四、先进治疗药品的划分原则**

186 **ATMP** 通常采用核酸、微生物（细菌、真菌、病毒
187 等）、细胞或组织等作为起始原材料，经体外操作制备，
188 涉及到的原材料种类包括核酸、病毒载体、亚细胞结构
189 /细胞或组织等。由于这类药品类型复杂多样，生产工艺
190 创新技术迥异，临床预期用途广泛，风险等级及监管技
191 术要求各有不同，对于其类别归属，需综合考量多方面
192 要素。对于如何判定特定产品是否可以纳入 **ATMP** 范
193 围，以及归属于哪一类别，一般需基于特定产品的特点
194 和完整研究资料综合考虑，目前建议从以下三个方面切
195 入进行分析和评估：物质基础及活性成分、生产工艺及
196 技术特点、功能用途及作用机理。

197 对于特定产品归类，可能需要基于其中多个要素进

198 行整体考虑。对于某些边界产品，可根据不满足其中一
199 条，进行归类排除；如有交叉情形，可优先归于某一类。

200 下文具体阐述 ATMP 类别评估及归属的主要划分
201 原则及判定逻辑。

202 (一) 物质基础及活性成分

203 评估特定产品是否归属于 ATMP 范围及其具体归
204 类，可基于产品的物质基础及活性成分（包括起始原材
205 料或终产品活性组分）进行判断。ATMP 的活性成分包
206 含或由核酸（DNA、RNA）、微生物（细菌、真菌、病
207 毒等）、亚细胞器/结构（囊泡类结构等）、细胞（单一
208 细胞类型、多种细胞群等）、组织或器官等组成。现阶
209 段 ATMP 的活性成分以核酸、病毒载体或细胞最为常
210 见。此外，产品的组成成分还可能包含一种或多种器械
211 材料（支架材料、基质等），用于辅助支持主要活性成
212 分发挥生物学功能。

213 1. 活性成分含有核酸的药品

214 ATMP 的活性成分如含有目的基因核酸或主要由
215 目的基因核酸组成，核酸序列可直接整合/装载进载体，
216 或载于经基因修饰的细胞、组织或器官当中，亦可通过
217 其他物理或化学方式递送至体内，一般可归属于 GTMP
218 或 CTMP 中体外基因修饰细胞治疗药品。

219 活性成分仅由核酸物质独立组成或基因序列存于

220 载体的，一般可以归属于 **GTMP**。其中载体类型可包括
221 质粒、微生物（细菌、真菌、病毒等）、亚细胞结构（如
222 囊泡）或 **LNP** 等结构物质。

223 如活性成分以核酸分子形式重组整合至质粒载体
224 结构、或包载于 **LNP** 结构中的，一般可以归属于 **GTMP**
225 中核酸类药品。如由病毒载体携带目的核酸，在体内感
226 染细胞，释放核酸物质发挥作用的，则一般可以归属于
227 **GTMP** 中病毒载体类药品，如 **rAAV** 药品。

228 产品的活性成分为可介导人体基因序列修复、扩增
229 或删除的基因编辑工具（**Cas**、**sgRNA**、**TALEN** 等）的，
230 可归属于 **GTMP** 中基因编辑类药品。需关注对于涉及
231 可遗传的基因修饰操作的制品，应符合伦理相关要求。

232 如活性成分为经基因修饰/改造的病毒、活菌等，且
233 发挥溶瘤功能的，则可归属于 **GTMP** 中溶瘤微生物类
234 药品。需要说明的是，对于未经基因修饰的溶瘤病毒药
235 品，鉴于其药学、非临床和临床研究以及风险级别与基
236 因治疗药品中病毒载体类药品相似，且其功能与基因修
237 饰的溶瘤病毒大致相同，基于国际分类原则及促进国际
238 监管趋同考虑，也纳入 **GTMP** 的范畴，归属至溶瘤微生
239 物类药品亚类。如为携带目的基因的新型微生物类产品
240 （如乳酸菌、李斯特菌和链球菌、噬菌体等），不发挥
241 溶瘤作用的，归属至其他类中的新型微生物类药品。

242 2.活性成分由细胞或其衍生物组成的药品

243 活性成分如包括仅经过体外分离培养或激活等操
244 作的真核细胞组分，不涉及基因层面修饰，则一般可归
245 类于 CTMP 中非基因修饰细胞药品亚类，如未经基因
246 修饰的间充质细胞（Mesenchymal stromal cell, MSC）、
247 肿瘤浸润淋巴细胞（Tumor infiltrating lymphocyte, TIL）、
248 自然杀伤（Natural killer, NK）细胞药品等。上述活性
249 成分细胞可能包括多种类型或来源，比如干细胞或终末
250 分化细胞等。如活性细胞组分来源于重编程产生的诱导
251 干细胞分化获得的功能细胞，归属于细胞治疗药品，例
252 如人多能干细胞（Human pluripotent stem cell, hPSC）
253 等细胞系来源的且最终活性组分未经体外修饰的胰岛
254 细胞治疗药品等。

255 所述活性成分可能包括有核或无核细胞（如红细
256 胞），其中用于递送非遗传物质活性成分的非核细胞可
257 归属于其他类中的新型递送系统药品。上述细胞或其衍
258 生物组分还可能以不同形式发挥作用，如单独使用或与
259 生物大分子、化学小分子、器械材料等联合使用，可能
260 归属于细胞治疗药品或其他类药品。活性成分由细胞衍
261 生物组成的，例如细胞外囊泡等，一般可归属于其他类
262 中的细胞衍生物药品或新型递送系统药品。

263 对于将核酸物质载于细胞中完成细胞基因修饰的

264 情况，考虑到在输注体内之前即在体外完成了基因序列
265 的导入，且最终起作用的活性物质形式为细胞，因此，
266 将其归属于 CTMP 中的体外基因修饰细胞药品亚类，
267 而未归属于 GTMP，如嵌合抗原受体 T 细胞（Chimeric
268 antigen receptor T cell, CAR-T）、诱导多能干细胞
269 （Induced pluripotent stem cell, iPSC）来源的且最终活
270 性组分经体外基因修饰的 CAR-NK 等免疫细胞产品及
271 经基因修饰的造血干细胞产品等。

272 3.活性成分由组织、器官等组成的药品

273 活性成分由组织或器官组成，具有药品属性的，可
274 归属于其他类中的组织工程药品，例如自体培养软骨组
275 织。该活性组织或器官组分可经基因修饰或未经非基因
276 修饰。产品组成中还可能包含发挥辅助功能的一种或多
277 种器械材料（如基质、支架、生物材料、辅助装置等），
278 且其与组织等一起组合形成发挥生物学活性的单元，经
279 国家药监局相关部门属性界定为药品或以药品为主的
280 药械组合产品的，可纳入 ATMP 范围，归属于其他类中
281 具有药品属性的组织工程药品。例如与辅助器械材料组
282 合而成的组织工程人工血管等。

283 （二）生产工艺及技术特点

284 在活性成分鉴别分析的基础上，进一步分析生产工
285 艺或技术特点，包括技术手段、改造工具等，以评估特

286 定产品是否符合 ATMP 的范畴，并判断其具体归类。

287 1.基于生产工艺体外操作程度的考量

288 基于工艺特点对特定产品是否属于 ATMP 范畴进
289 行初步界定。生产工艺涉及对起始原材料中所包含的核
290 酸、细胞或组织等进行复杂体外操作处理的，以注册上
291 市为目的的药品，一般属于 ATMP。

292 参考 WHO、FDA、EMA 等药品监管相关法律法规
293 和指南，结合我国生物制品监管实践，列举常见的复杂
294 体外操作方式，包括：酶解消化、分选/纯化、培养扩增、
295 诱导分化、激活、基因修饰、基因编辑等。前述操作可
296 能带来产品物质基础/活性成分（核酸、细胞或组织等）
297 在生物学特性（序列、表型、标志物表达等）、结构特
298 点（形态、粘附、极性、细胞组成分布或组织结构等），
299 和/或生物学功能方面的变化（相比供体直接分离的细
300 胞、组织特性而言），以实现活性物质预期的功能用途。
301 如仅涉及物理方式切割、研磨、灭菌消毒、超声、过滤、
302 离心或浓缩、灌装、包封、冷冻、冻干等处理，且不影
303 响活性成分生物学特性、结构或基本功能的情形，则不
304 满足复杂体外操作的特点。例如移植给药的基因修饰造
305 血干细胞，由于其在体外进行了复杂的生产操作，可纳
306 入 ATMP 的范畴。而对于直接由供体捐献的移植用造
307 血干细胞、组织（如原代胰岛）或器官等，通常未经体

308 外复杂操作处理且用于相同基本功能,不属于 ATMP 的
309 范畴。

310 2.基于独特技术路线或特点的考量

311 终产品含有基因编辑工具的,例如采用 CRISPR-
312 Cas 等编辑工具实现体内基因编辑,从而发挥功能的,
313 可归属于 GTMP 中的基因编辑类药品。对于细胞活性
314 成分在体外经基因编辑工具操作的药品,属于体外基因
315 修饰细胞治疗药品。基因编辑类药品可能与核酸类或病
316 毒载体类药品存在交叉。如可同时归属于基因编辑类及
317 GTMP 其他亚类的,优先归属于基因编辑类药品。

318 对于新生抗原肽类产品,此类产品生产工艺复杂,
319 通常涉及个性化靶点的预测和筛选,及多个活性肽段组
320 分的合成或表达,且其作用机理是通过特异性增强体内
321 细胞的免疫特性从而发挥治疗作用。如抗原肽通过化学
322 合成生产,考虑到其工艺特点及功能用途,仍属于
323 ATMP 范畴,可归属至其他类中新生抗原类治疗药品。

324 (三) 功能用途及作用机理

325 基于前述活性成分、工艺特点,同时考量产品的预
326 期功能用途及作用机理,进一步评估是否属于 ATMP 范
327 畴及其具体归类。

328 1. 基于预期功能用途的考量

329 预防用疫苗不纳入 ATMP 范畴。例如用于健康人

330 的、抗感染性疾病的病毒载体类预防用疫苗、LNP-
331 mRNA 类预防用疫苗等，不属于 ATMP。针对肿瘤和/
332 或其他疾病进展等的治疗性疫苗，属于 ATMP。例如用
333 于预防肿瘤复发的 LNP-mRNA 类、免疫细胞类药品等。

334 2. 基于作用机理的归类考虑

335 进一步基于产品作用机理分析，判断特定产品归属
336 于 ATMP 的具体类别或亚类。ATMP 的作用机理可能
337 包括多种方式，例如通过改变基因序列或调节基因表达，
338 或通过调节细胞、组织的生物活性、免疫特性或代谢状
339 态，或通过再生、修复、替代细胞或组织发挥作用。此
340 外，还可能借助器械材料等辅助支持组分共同发挥体内
341 生物学功能。

342 ATMP 如借助活性成分特异性改变（修复、替换、
343 增加或删减）人体基因序列或调节基因表达等，从而介
344 导其生物学活性，其作用效力与核酸序列或基因表达产
345 物直接相关的，则可归属于 GTMP。其中活性成分核酸
346 可能以独立组分形式或借助不同类型载体递送进入体
347 内，进而在人体内通过其特异性调节，包括基因沉默、
348 基因敲低、基因上调、外显子跳跃等方式发挥功效。根
349 据以上功能及作用机制，结合活性物质、技术路线的特
350 点进一步考虑亚类划分。例如通过替代、调节或修复致
351 病基因，用于单基因遗传病治疗的核酸类药品、病毒载

352 体类药品或基因编辑类药品。而同时表达外源基因协同
353 发挥溶瘤功能的病毒类或活菌类药品，归属于溶瘤微生物
354 类药品。

355 ATMP 如通过活性成分亚细胞结构、细胞或组织等
356 发挥调节免疫、代谢、修复或再生等功能，不涉及体内
357 基因层面遗传学改变的，则可根据产品活性成分，结合
358 潜在作用机理，进一步细化类别归属，具体考虑如下：

359 通过调节细胞的生物活性、免疫特性或代谢状态，
360 和/或通过体内细胞替换、再生、功能重建进而实现预期
361 功能的 ATMP，一般可归属于细胞治疗产品。细胞治疗
362 药品发挥功能的机制包括：通过产品活性成分细胞对人
363 体受损细胞进行补充或替换从而发挥细胞功能、组织修
364 复及再生作用，或通过活性成分细胞归巢、细胞与细胞
365 间相互作用、旁分泌等方式重塑病理微环境、调节代谢
366 等方式治疗疾病，常见于干细胞治疗药品；或通过基因
367 修饰增强细胞的免疫特性进而杀伤病变/肿瘤细胞发挥
368 其生物学作用，例如 CAR-T 等免疫细胞产品。产品活
369 性成分细胞还可能通过器械材料组合形成发挥生物学
370 活性的单元，且相对于器械部分，细胞主要通过生物活
371 性、免疫特性或代谢调节等方式发挥对人体的主要功能，
372 纳入 CTMP。其中细胞部分如未通过前述作用机理（如
373 通过机械应力等）发挥作用的，一般不属于 ATMP。

374 ATMP 还可能通过调节组织或器官的生物活性、免
375 疫特性或代谢状态，或以再生、修复、替代/代偿组织等
376 方式发挥功能。如活性成分为类器官，经体外操作，有
377 望实现组织修复再生、功能替代或置换人体组织的，可
378 归属于其他类中具有药品属性的组织工程药品。

379 产品如通过组织或器官等与器械材料组合形成发
380 挥生物学活性的单元，实现预期功能的，其归类考虑同
381 前述“活性成分由组织、器官等组成的药品”部分关于
382 属性界定的表述。

383 （四）其他说明

384 对于某些特定产品，根据上述活性成分、工艺特点、
385 作用机制评估，可能同时符合多种不同的类别特点，或
386 者属于两种亚类的边界产品。上述情形需根据产品的特
387 点、风险级别及监管现状综合分析其类别属性。

388 如同时可归属于细胞治疗药品和其他类的组织工
389 程药品，建议优先归属于细胞治疗药品。例如，对于一
390 些多细胞类型组成的产品，如胰腺细胞，其活性成分包
391 括胰岛 α 细胞、胰岛 β 细胞等多种不同类型细胞，经体
392 外复杂操作，以细胞团形式输注或植入体内，且由不同
393 细胞的生理功能协同发挥调节代谢的方式治疗疾病，可
394 将其归属于细胞治疗药品，区别于其他类中通过组织本
395 身发挥功能的组织工程药品。

396 对于以下类别产品，基于其活性成分、工艺特点、
397 功能机理以及研发进展等综合考虑将其纳入 **ATMP** 其
398 他类。

399 活性成分包含蛋白质、活性肽等，但通过新型载体
400 （如囊泡类结构等）进行递送的药品，其功能实现高度
401 依赖于载体设计及制备、药物装载等前沿创新技术与工
402 艺性能，以及活性物质体内释放等复杂作用机理，将其
403 纳入 **ATMP** 范畴，归于其他类中新型递送系统药品。而
404 基于递送载体进行遗传物质/基因递送的药物，一般可
405 以归属于 **GTMP**。

406 对于活性成分涉及新生抗原（包括抗原肽、新生抗
407 原核酸、新生抗原负载细胞等）的药品，考虑到其研发
408 和生产基于复杂的个性化新生抗原预测及筛选、序列鉴
409 定、构建或合成技术，且主要通过特异性激活体内细胞
410 免疫系统发挥功能，系高度个性化精准靶向免疫疗法，
411 将其纳入 **ATMP** 范畴，统一归属于其他类中新生抗原
412 类治疗药品。基于其活性成分、工艺特点及作用机理分
413 析，该产品也可能同时符合细胞治疗药品的释义或特
414 点，与细胞治疗药品存在一定交叉。例如新生抗原肽/核
415 酸负载细胞，考虑到其个性化特点、序列预测筛选流程
416 及工艺的复杂性及技术要求，建议将其优先归属于其他
417 类新生抗原类治疗药品。

418 活性成分为纳米级至微米级的细胞外囊泡结构，经
419 制备、浓缩、纯化或工程化改造等体外复杂操作生产，
420 通过分子递送、信号传递，调节细胞功能、免疫微环境
421 或促进组织修复与再生等发挥功能的，将其纳入 ATMP
422 其他类。如其本身作为活性成分，可归属于其他类中细
423 胞衍生物药品，例如天然细胞外囊泡类药品及基因工程
424 化细胞外囊泡类药品。如作为蛋白质等活性成分的递送
425 载体（除递送目的核酸外），可归属于新型递送系统药
426 品。

427 需要说明的是，基于产业发展现阶段的有限认知及
428 监管经验，本文所列举内容并非详尽无疑，而是将随着
429 技术发展与创新进一步更新和完善，后续适时可进一步
430 针对其他类产品进行独立划分。在类别评估及亚类归属
431 的实际操作中，可能存在多种复杂或边界的情形。对于
432 复杂的 ATMP，鼓励申请人针对其类别归属与监管机构
433 沟通交流。

434 **五、关于再生医学的相关说明**

435 本文件中，ATMP 的范围及归类主要基于前述活性
436 成分、工艺及技术特点、功能用途及作用机制等划分原
437 则和科学逻辑，同时参考国际监管分类规范拟定。国际
438 药品监管机构在 ATMP 相关监管法律法规中还提出了
439 “再生医学”的概念。再生医学为组织器官修复及重大

440 疾病诊疗提供了创新理论和技术，并有望为老龄化相关
441 疾病防治带来新的解决方案。

442 从重建、修复或再生等功能用途的角度考虑，
443 ATMP 与再生医学的概念存在交叉。如 ATMP 中的干
444 细胞治疗药品以及具有药品属性的组织工程药品等也
445 属于再生医学的范畴。基于再生医学领域不同维度的分
446 类考虑，干细胞类药品也可根据其来源、分化潜能等分
447 为多能干细胞及其衍生细胞/组织药品、单能干细胞及
448 其衍生细胞类药品等。后续将结合该领域的发展适时更
449 新相关文件。

450

451

六、名词解释

452

453

454

455

细胞 (Cell)：本文件中，指构成生命体的最小单元，由有丝分裂直接产生，由细胞膜包裹细胞质组成的真核细胞。活性细胞应含有功能性细胞膜，且可利用原材料物质产生能量或合成新分子。

456

457

458

459

亚细胞结构 (Subcellular structures)：本文件中，指细胞内部的细分结构，通常需要在电子显微镜下才能观察到，具有特定的功能及空间分布，常见的亚细胞结构包括细胞膜、线粒体、高尔基体等。

460

461

462

组织 (Tissue)：本文件中，指由具有相似形态、结构和功能的细胞以及细胞间质联合在一起组成的细胞群。

463

464

465

器官 (Organ)：本文件中，指由几种不同的组织按照一定的次序联合起来形成具有特定形态和功能的结构。

466

467

468

干细胞 (Stem cells)：本文件中，指一类能够自我更新、具有分化成一种或多种功能细胞类型潜能的细胞。可根据干细胞来源和分化潜能等分类。

469

470

471

472

基因编辑 (Gene editing)：又称基因组编辑 (Genome editing)，本文件中，指采用基因编辑工具对生物体基因组中特定目标基因进行插入、删除、修改或替换的一项遗传工程技术。所采用基因编辑工具包括经基因工程

473 改造的核酸酶、CRISPR-Cas 系统等。

474 溶瘤作用（Oncolytic abilities）：本文件中，指天
475 然或基因修饰的病毒或活菌等，选择性地感染肿瘤细胞
476 和/或选择性地在肿瘤细胞中复制以裂解肿瘤细胞达到
477 治疗目的。

478 新生抗原（Neoantigens）：本文件中，指由肿瘤细
479 胞基因突变而产生的，具有一定特异性、免疫原性的肿
480 瘤新抗原，可通过基因组测序、筛选等技术获得。新生
481 抗原类药品可通过激活特异性免疫反应实现抗肿瘤作
482 用。

483 细胞外囊泡（Extracellular vesicles）：本文件中，
484 指由细胞释放的各种具有脂质膜结构的囊泡结构的统
485 称，其不具有自我复制能力。

486

七、参考文献

487 [1] World Health Organization. Considerations in
488 developing a regulatory framework for human cells and
489 tissues and for advanced therapy medicinal products. TRS
490 1048, Annex 3 [EB/OL].2023.

491 [2] European Medicines Agency. Reflection Paper on
492 classification of advanced therapy medicinal products
493 (EMA/ CAT/600280/2010 rev.1) [EB/OL].2015.

494 [3] European Medicines Agency. Procedural advice
495 on the provision of scientific recommendation on
496 classification of advanced therapy medicinal products in
497 accordance with article 17 of regulation (EC) no
498 1394/2007[EB/OL].2021.

499 [4] Food and Drug Administration. Part 1271 of Title
500 21 Code of Federal Regulations (21 CFR) [EB/OL]. 2021.

501 [5] United States 114th Congress. Public Law 114-
502 255 21 Century Cures Act. Section.3033 [EB/OL].2016.

503 [6] Pharmaceuticals and Medical Devices Agency.
504 Regulatory frameworks of regenerative medicines and
505 products review in JAPAN [Z/OL]. 2018.

506 [7] 香港药剂业及毒药管理局.先进疗法制品归类
507 指引[EB/OL].2021.

508 [8] 国家药品监督管理局.生物制品注册分类及申
509 报资料要求[EB/OL].2020.

510 [9] 国家药典委员会.《中华人民共和国药典》(2020
511 年版) [M].2020.

512 [10] 国家食品药品监督管理总局.细胞治疗产品研
513 究与评价技术指导原则(试行) [EB/OL].2017.

514 [11] 国家药品监督管理局药品审评中心.免疫细胞
515 治疗产品药学研究与评价技术指导原则(试行)
516 [EB/OL].2022.

517 [12] 国家药品监督管理局药品审评中心.人源性干
518 细胞及其衍生细胞治疗产品临床试验技术指导原则(试
519 行) [EB/OL].2023.

520 [13] 国家药品监督管理局药品审评中心.体外基因
521 修饰系统药学研究与评价技术指导原则(试行)
522 [EB/OL].2022.

523 [14] 国家药品监督管理局药品审评中心.体内基因
524 治疗产品药学研究与评价技术指导原则(试行)
525 [EB/OL].2022.

526 [15] 国家药品监督管理局药品审评中心.溶瘤病毒
527 产品药学研究与评价技术指导原则(试行)
528 [EB/OL].2023.

529