DOI：10.12287/j.issn.2096-8965.20260101

·述　　评·

科学研究范式及转化医学的思考与实践

彭雪梅[1,2,3]*，程涛[1,2,3]*

［1.中国医学科学院血液病医院（中国医学科学院血液学研究所），血液与健康全国重点实验室，天津 300020；
2.细胞生态海河实验室，天津 300301；
3.天津医学健康研究院，天津 301636］

【摘要】系统综述转化医学的定义与发展历程，梳理了转化医学研究范式的演进脉络及核心特征，创新性提出六大转化医学科学研究范式，以中国医学科学院血液病医院的实践经验为典型案例，阐述了各范式的核心内涵、实践路径与应用价值，并结合中国政策支持与转化医学现状，对转化医学的未来发展方向与应用前景进行了展望，旨在为医学科研人员、临床医师提供可借鉴的转化研究思路与实践范式。

【关键词】转化医学；研究范式；精准医学；数据驱动

中图分类号：R-0　　**文献标识码：**A　　**文章编号：**2096-8965（2026）01-0001-08

Scientific research paradigms: Reflections and practices in translational medicine

Peng Xuemei[1, 2, 3]*, Cheng Tao[1, 2, 3]*

(1. Institute of Hematology and Blood Diseases Hospital, Chinese Academy of Medical Sciences & Peking Union Medical College, Tianjin 300020, China;
2. Haihe Laboratory of Cell Ecosystem Tianjin 300301, China;
3. Tianjin Institutes of Health Science, Tianjin 301636, China)

【Abstract】This paper systematically reviews the definition and development of translational medicine, and delineates the evolutionary trajectory and core characteristics of its research paradigms. It innovatively proposes six scientific research paradigms in translational medicine, and, taking the practices of the Institute of Hematology and Blood Diseases Hospital, Chinese Academy of Medical Sciences as a typical case, describes their core connotations, practical approaches, and application values. It also discusses the future development direction and application prospects of translational medicine in the context of policy support and current status of translational medicine in China, aiming to provide useful reference approaches to translational research and practical paradigms for medical researchers and clinical physicians.

【Keywords】Translational medicine; Research paradigms; Precision medicine; Data-driven

收稿日期：2026-03-01；**修回日期：**2026-03-24

基金项目：国家自然科学基金项目（92568302，92368202）；中国医学科学院创新工程协和卓越项目（2025-I2M-XHZY-040）

通信作者：彭雪梅（1982-），女，山西忻州人，主管技师，主要从事造血干细胞生物学研究，E-mail：pengxuemei@ihcams.ac.cn；
程　涛（1963-），男，江苏连云港人，中国工程院院士，教授，博士研究生导师，主要从事血液学和干细胞生物学研究，E-mail：chengtao@ihcams.ac.cn

1 转化医学的定义

转化医学，不仅是一门连接基础医学研究与临床实践、公共卫生应用的交叉学科[1]，更是以临床实际需求为导向、多领域协同创新的现代医学领域核心发展理念和研究模式。其核心是打破基础医学、临床医学、药学、生物工程等多学科间的研究壁垒，将实验室的科学发现高效转化为临床可用的诊断方法、治疗药物、医疗器械与防控策略。同时将临床实践中遇到的真实问题反馈至实验室，指导和优化基础研究方向，形成“基础研究—临床转化—临床问题—基础研究”的全链条双向闭环转化体系[2]。它标志着医学研究从“解释疾病”向“解决健康问题”的结构性跃迁，其目标不仅是学术意义上的整合，更是以“行动”与“产出”为导向的系统重构。

2 转化医学的发展历程

回顾转化医学的发展历程，从概念萌芽到学科确立，经历了一个渐进而系统的发展过程，主要有3个重要的里程碑阶段：

2.1 早期探索阶段（1960s—1990s）

转化医学的理念最早可追溯至20世纪60年代，1966年，McKinney和Stavely在*Bioscience*上首先使用了“从实验台到病床”（Bench to Bedside）的表述[3]。1968年，*The New England Journal of Medicine*提出“转化医学”术语即“Bench Beside Interface”的研究模式[4]。1992年，Choi在*Science*正式阐述“Bench to Bedside”的概念[1]。同年，美国国家癌症研究所启动专项资助项目，开始系统探索“转化研究”的实践模式[5]。1996年，Geraghty在*The Lancet*最早明确使用“转化医学”专业术语[6]；同年，Minna和Gazdar在*Nature Medicine*提出转化研究时代已到来[7]。这一阶段是转化医学概念的萌芽阶段，尚未形成统一的理论框架和系统的实践体系，基础研究与临床应用之间的转化鸿沟成为制约医学进步的重要瓶颈。

2.2 理念确立阶段（2003年）

转化医学的系统化推广始于2003年。时任美国国立卫生研究院（National Institutes of Health，NIH）院长Zerhouni博士汇集了来自政府、学术界和产业界300余位专家的智慧，于2003年9月正式发布《NIH医学研究路线图》[8-9]，Zerhouni博士在路线图中明确提出“双向转化”的核心理念：不仅要加速基础研究成果向临床应用的转化（Bench to Bedside），更要建立临床问题反馈至基础研究的机制（Bedside to Bench）[10]。这一理念突破了传统生物医学研究的单向线性模式，为转化医学提供了清晰的理论框架[11]。2006年，NIH设立临床与转化科学基金，支持跨学科研究培训、临床转化中心建设等关键领域，标志着转化医学正式上升为国家战略。

2.3 学科制度化阶段（2009年—至今）

为进一步推动转化医学学科发展，美国科学促进会于2009年10月创办了专业学术期刊*Science Translational Medicine*，由Katrina Kelner博士担任主编，Zerhouni博士出任首席科学顾问。该期刊的创办为转化医学研究提供了高水平的专业发表平台，填补了基础研究期刊（如*Science*、*Nature*）与临床期刊之间的空白地带，标志着转化医学从理念倡导阶段进入制度化、学科化发展阶段[12]。

中国转化医学紧跟国际步伐，2011年，时任卫生部部长陈竺在香山科学会议首次指出转化医学对医学科技转化为全民健康效益的重大意义，2012年，再次强调加快发展转化医学，应对复杂疾病挑战，为预防治疗决策提供依据。此后，国家从战略、法规、行业指导与地方管理多层面推动，学术机构通过转化医学中心、生物样本库、课程与学位等建设，开启中国转化医学大力发展新里程[13]。

3 转化医学研究范式的演进过程和主要特征

3.1 转化医学研究范式的演进过程

转化医学研究范式是指在转化医学实践中形成的系统性研究方法、模式和框架体系，旨在加速基础研究成果向临床应用的转化，并通过临床需求反向推动基础研究的深入发展。这一范式体系经历了从早期的“T1~T2”双阶段模型到“T1~T4”转化研究模型[14]，再到目前国际上广泛认可的“T0~T4”5阶段模型的演进过程[6]。T0转化是指基础研究、动物研究等临床前研究；T1转化将基础研究成果转化到人体，开展临床有效性探索（如概念验证、Ⅰ期临床试验）；T2转化到患者群体，开展临床疗效验证（如Ⅱ/Ⅲ期确证性研究），并制定循证指南；T3转化致力于将循证指南推广至医疗实践（如Ⅳ期临床试验、卫生服务研究）；T4转化到社区，在真实世界人群中评估卫生效果[13]。这一范式体系强调了转化过程的连续性和循环性，形成了“从病床到实验室再回病床”的双向循环模式[15]。

3.2 转化医学研究范式的主要特征

多学科跨界协同融合成为转化医学研究范式的

首要特征[16]。转化医学打破了传统学科壁垒，将基础医学、临床医学、药学、生物工程、数据科学、流行病学等多个学科有机整合，形成了综合性的研究体系。

双向闭环转化机制是转化医学研究范式的核心本质[8-9]。现代转化医学建立的T0~T4全链条双向闭环转化机制使得临床问题能及时反馈到基础研究，推动基础研究方向调整和深入探索，同时基础研究的成果能够快速应用于临床实践，形成良性互动研究生态[6]。

精准医学驱动成为转化医学研究范式的重要趋势[17]。依托组学测序、单细胞分析、人工智能建模、类器官、真实世界数据等前沿技术，转化医学研究范式越来越注重将精准医学理念融入各个环节[15]，从疾病分型、药物开发到治疗方案制定，都体现了个体化医疗的思想[18]。

数据驱动决策是现代转化医学研究范式的显著特点[19]。大规模临床数据、基因组数据、影像学数据等多源异构数据的整合分析，为疾病诊断、治疗选择和预后评估提供了科学依据[20-21]。人工智能和机器学习技术的应用，使得从海量数据中挖掘有价值信息成为现实，大大提高了研究效率和决策质量[22-23]。

适应性临床试验设计代表了转化医学研究范式在方法学上的创新[24]，允许根据累积数据对试验方案进行前瞻性修改，包括样本量调整、治疗组增减、随机化比例改变等。这种设计提高了试验效率，减少了资源浪费，同时更好地保护了受试者的利益[25-26]。

4 基于实践的转化医学研究范式类型

4.1 “生命科学转化研究”范式

生命科学转化研究范式在中国医疗科技体系中居于核心位置。此类研究的知识路径体现出典型的线性推进逻辑。通常从基础科学发现开始进行疾病机理探索，随后经历实验室机理验证、动物模型试验、临床前药效与毒理评估，最终完成研究性新药临床试验申报与临床试验分期[6-7]。以王建祥团队的嵌合抗原受体T细胞（Chimeric Antigen Receptor T-cell，CAR-T）产品研发为代表，团队历经近40年（1987—至今），构建了从抗体研发到细胞治疗的完整转化链条：从单克隆抗体商业化，到诊断性抗体获批，再到工程化抗体制备平台，最终聚焦免疫细胞治疗，2023年中国首个全自主创新靶向CD19 CAR-T产品“纳基奥仑赛注射液（CNCT19）”获批上市，用于治疗复发难治性急性淋巴细胞白血病，为中国生命科学转化研究提供了典范[27]。

尽管传统“从基础到临床”的线性思路受到精准医疗和人工智能技术的挑战，但在《“十四五”生物经济发展规划》[28]和《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例（国务院令818号）》（以下简称818号令）[29]等政策的持续支撑下，此类研究仍构成国家生物医药原始创新的重要支柱。其以明确的疾病机制与靶点假说为驱动，以科学可验证性为导向的研究模式，通过制度化的技术验证和可追溯的监管体系，构成连接实验室发现与临床实施的关键路径，为中国加速融入全球医药创新体系提供了坚实通道[30]。

4.2 “临床技术革新研究”范式

当转化医学的推动力从实验室靶点发现转向临床操作痛点时，便形成了以技术流程改良为核心的“临床技术革新研究”范式。其研究起点立足于诊疗实践的真实难题，特征在于以医护团队主导，通过手术方式的微创化、介入路径优化或影像智能化改进等，实现诊疗方法与临床流程的持续迭代[31]。这类研究不同于以分子机制为驱动的生命科学转化研究范式，更多依靠临床经验积累与局部证据生成，是医疗质量提升与服务效率优化的重要实践力量，成为衔接科研成果与临床实际应用的关键载体。

这一范式的现实基础来自政策导向的强化。《“十四五”国家临床专科能力建设规划》提出，要“推动技术创新转化，拓展诊疗方法，提升医疗技术能力和诊疗效果”，医疗机构在此背景下普遍形成以问题来源为起点的优化体系[32]。如中国医学科学院血液病医院历经数十年深耕，构建了从造血干细胞移植到基因编辑治疗的全链条转化医学范式[33]：从1986年，严文伟团队完成国内首例自体造血干细胞移植，逐渐形成自体、异基因及脐带血造血干细胞移植技术体系，到如今通过对自体干细胞进行一次性基因修补。施均团队率先建立地中海贫血等单基因遗传病临床研究体系，实现全球首例地贫基因治疗患者持续5年以上无输血治愈[34-35]；张磊团队从血友病B传统依赖终身输注凝血因子且年治疗成本高昂的临床问题入手，通过腺相关病毒载体介导的一次性基因编辑技术实现了根本性治愈[36]。并用5年推动亚洲首个血友病B基因治疗药物“波哌达可基注射液”（BBM-H901）于2025年获批上市，成为亚洲首款、全球第三款血友病B基因治疗药物[37]，使中国跃居全球血友病基因治疗最集中的研究与应用高地，这些临床技术革新研究为

中国转化医学发展提供了典范。

4.3 “新适应症创新研究”范式

在基础生命科学与临床实践长期脱节的背景下，新适应症创新研究逐渐成为一种兼具科学合理性和制度可行性的转化路径[38]。大量已上市药物及医疗器械在应用中暴露出新的治疗潜力，为满足多病共存、罕见病及异质性反应人群等未被覆盖的临床需求，研究者通过系统化证据生成过程实现“老药新用”的再创新[39]。例如，CD38单抗原本是多发性骨髓瘤的一线治疗药物，张磊团队凭借确凿的循证医学证据，应用CD38单抗治疗难治复发性儿童自身免疫性血小板减少症（Immune Thrombocytopenia，ITP）[40]，并开展全球首个CD38单抗治疗ITP的多中心随机对照研究[41]，推动ITP治疗模式革新。施均团队首次展示靶向B细胞成熟抗原的双特异T细胞衔接器在CD19 CAR-T复发后的自身免疫性溶血性贫血中成功应用[42]。

这类研究范式以注册申报、指南纳入与医保准入为目标，形成受监管科学支持、以临床需求为驱动的闭环体系。其操作路径可概括为“临床观察—真实世界证据积累—小样本机制验证—正式申报”。核心方法在于以真实世界证据为主线，通过疾病登记数据库或多中心回顾性队列验证药物或器械在新疾病领域的安全性与疗效[43]。

从制度角度看，新适应症创新研究可降低风险与成本、缩短研发周期、延长产品生命周期并释放存量技术的潜在价值。《“十四五”国家药品安全及促进高质量发展规划》明确建立适应症团队审评和项目管理人制度，以提高存量产品再开发效率。数据显示，“十四五”以来，国家药监局共批准220个创新药，是“十三五”时期的6.2倍，其中，2025年批准76款创新药，国产药占65款（约85.5%）[44]。该趋势显示本土药企已将适应症拓展视为产品生命周期管理的重要工具。以CAR-T细胞治疗为例，阿基仑赛注射液于2023年在附条件审评路径下获批新增适应症，说明监管鼓励已有品种通过综合证据拓展应用范围。新适应症研究在应对慢性病与老龄化疾病等领域，能通过“一药多用”提升整体医疗服务效能。

4.4 “源于临床的基础研究”范式

仅从拓展既有药物或技术的适应症出发，虽然能够提升转化效率，却难以触及疾病本质的复杂机理。要想真正推动精准医学的深入发展，必须回到临床一线，从罕见病家系聚集、治疗反应差异和难以解释的病例现象中，提出科学假设并追溯其生物学机制。这一思路催生了“源于临床的基础研究”范式，其核心是以真实临床问题为起点，通过反向驱动路线，将床旁观察转化为实验室中的机制探索，进而形成新的靶点与诊疗策略。例如，竺晓凡团队以白血病双胞胎等典型临床病例为切入点，通过单细胞多组学测序，率先发现SETD2新突变基因并揭示表观调控机制[45]；针对B细胞急性淋巴细胞白血病时序性样本，该团队解析出化疗诱导低氧信号通路激活机制，证实Hypoxia抑制剂可延长小鼠存活[46]；针对儿童T细胞急性淋巴细胞白血病初诊复发样本，阐明MYC-MSI2调控机制，确立MSI2为治疗新靶点[47]，实现了从临床问题出发经基础研究突破再反哺临床的闭环转化。

该范式的路径可概括为“临床现象→科学假设→机制解析→新靶点发现→临床转化应用”的循环。它以疑难病例或特殊人群的临床特征为源头，经由多组学、模型构建和功能验证，实现从现象识别到机制解析的知识跃迁。《中国研究型医院建设指南》将“以临床问题为导向、以产生和传播新医学知识为目标”确立为研究型医院的核心职能，为这一范式提供制度支持。与此同时，国家自然科学基金委员会自2024年以来，连续设立“源于临床实践的科学问题探索研究”专项，明确鼓励基础与临床结合、跨学科创新，并计划在2026年扩大支持规模。外科领域同步推出“源于临床的外科学前沿科学问题与突破”专项，为该类型提供方向示范。这些风向标志着该范式已在政策层面获得独立的定位与资助体系，形成区别于传统“从基础到临床”的双向循环机制。该范式的出现，使临床异常现象不再止步于经验描述，而能被系统地转化为科学问题与新机理发现。

4.5 “数据驱动探索研究”范式

在精准医学与人工智能深度融合的新阶段，转化医学的知识生产方式正经历由“假设先行”向“数据先行”的根本性转变。多源异构的健康医疗数据包括多组学、医学影像、电子病历与真实世界数据聚合，使科学家能够通过算法模型和模式识别发现新的生物标志物、疾病亚型和干预窗口，从而显著提升科研效率与临床精准度。这一变革推动了以数据分析为核心的数据驱动探索研究范式的形成，它正在成为转化医学的重要引擎点[19]。例如，陈俊仁团队将多组学数据与真实世界临床数据结合，围绕在血液系统疾病患者的全景医学数据开展科学研究，从血液病的诊断、治疗和预后等全维度，根据不同疾病的发病特点、不同诊疗指标的综

合考量、不同治疗模式的实践评价等方面，结合数据科学技术，解决多学科领域交叉的共性难题，通过交叉研究产出重大科学突破，促进数据科学与医学研究领域知识体系的融通发展[48-51]。

数据驱动探索研究范式正在推动转化医学进入以数据为核心资源的知识创新阶段，其关键意义在于以数据作为新的科学实验平台，重塑基础科学和临床应用之间的连接逻辑。随着数据治理与伦理监管体系的不断完善，这一范式的科学潜力将更有效地转化为体系化临床与公共健康价值，并为任务导向型研究的进一步发展提供坚实方法基础。

4.6 “有组织的目标研究”范式

有组织的目标研究范式是以重大临床需求为牵引，通过建制化、多中心协同的组织模式，整合资源、聚焦瓶颈，实现从数据积累到循证支撑再到创新转化的全链条闭环，是转化医学规模化、规范化发展的重要范式。

与其他分散式研究范式不同，此类研究具有明确的组织架构、统一的研究目标、清晰的分工协作机制，通常由科研机构、医疗机构、企业、政府部门等多方参与，围绕基因图谱计划和队列研究设定明确转化目标，分阶段、有计划地推进基础研究、临床前研究、临床试验、产业转化等环节，确保研究成果能够快速落地临床、惠及患者。例如，中国医学科学院血液病医院国家血液病队列研究已覆盖70万例血液病患者，建立13项疾病子队列，年均随访4次，累计开展研究超30项；通过打通输血、病理、电子病历、医院信息系统、二代测序等14类业务系统，整合2 152个临床变量，运用大数据、自然语言处理等技术构建全维度血液病临床大数据库，形成“数据驱动、循证支撑、创新转化”的有组织临床研究体系[52]，为该范式提供了实践范本。

总体来讲，生命科学转化研究、临床技术革新研究、新适应症创新研究、源于临床基础研究、数据驱动探索研究和有组织的目标研究这六大范式的涌现是理念、制度与实践长期互动的结果，并非孤立存在的研究范式，而是构成了转化医学全链条、多维度、分层级的研究体系——既各有核心定位、操作路径和适配场景，又交叉渗透、协同融合，共同支撑转化医学“解决临床实际问题、实现科研成果落地、推动医学创新升级”的核心价值（见表1）。

表1 转化医学六大研究范式核心定位、操作路径、适配场景及相互关系

Table 1 Six research paradigms in translational medicine: Core positioning, operational pathways, application scenarios, and interrelationships

研究范式	核心定位	操作路径	适配场景	与其他范式关系
生命科学转化研究	构建T0~T4双向转化通路，提供通用转化方法论与平台支撑，承载多范式接力转化	假说验证→转化平台搭建→T0~T4通路构建→路径优化→技术平台赋能	转化医学体系新建、生物样本库/队列/模型搭建、跨学科转化平台验证、多管线协同转化的场景	承接源于临床基础研究的假说验证，为新适应症创新、临床技术革新提供全链条转化路径；依托数据驱动探索研究优化转化效率；为有组织的目标研究提供技术与平台支撑
临床技术革新研究	不改获批病种边界，聚焦诊疗手段、交付路径、评估方法的优化，重在精准提效、安全可控	临床痛点筛查→技术方案设计→小范围概念验证→优化迭代→标准化推广	给药方案优化、影像/病理分层与微小残留病灶检测改良、微创介入技术升级、AI辅助质控、居家诊疗可及性提升的场景	依托生命科学转化研究的技术平台，呼应源于临床基础研究的精准需求；为数据驱动探索研究提供真实世界诊疗数据；纳入有组织的目标研究实现标准化、同质化推广
新适应症创新研究	不改产品分子/工艺主体，聚焦疾病谱、适用人群、治疗线序的扩容，偏向注册增量价值	靶点共性分析→适应症筛选→临床验证→注册申报→临床应用推广	老药新用、靶向/免疫药跨瘤种泛化、儿童/老年等特殊人群适应症拓展、后线治疗前移至一线的研究场景	依托生命科学转化研究的全链条支撑，以源于临床基础研究的机制为理论依据；为数据驱动探索研究提供临床证据，接受其优化亚群筛选策略；最终纳入有组织的目标研究实现大规模推广
源于临床基础研究	从临床表型、耐药、复发等实际问题倒推疾病机制，提出原创靶点与研究假说，不以直接注册为首要目标	临床现象→科学假设→机制解析→新靶点发现→临床转化应用	疑难罕见病、肿瘤耐药无靶、疾病早期预警机制不清、临床表型异质性强的研究场景	为生命科学转化研究提供原创假说与核心靶点支撑；接受数据驱动探索研究的反向倒逼，补充机制研究盲区；为有组织的目标研究提供源头问题与研究方向

续表

研究范式	核心定位	操作路径	适配场景	与其他范式关系
数据驱动探索研究	以多模态真实世界数据、人工智能技术为核心，实现亚群富集、疗效预测、失败归因，降低转化试错成本	多源异构数据融合与治理→算法库凝练与衍生→疾病模型构建→智能化系统研发	疾病异质性分层不清、疗效波动大、样本获取困难、长期预后评估复杂、转化路径优化需求迫切的场景	接收新适应症创新、临床技术革新研究产出的临床证据，反向倒逼源于临床基础研究深挖机制盲区；为生命科学转化研究、有组织的目标研究提供方向引导与效率优化方案
有组织的目标研究	以重大任务为牵引，实现多中心、建制化协同，聚焦瓶颈突破与成果普惠，强管理、强收敛	目标任务设定→多中心协同攻关→证据汇总验证→标准制定→规模化落地	国家重大专项、临床转化瓶颈攻关、注册急需证据获取、诊疗技术同质化推广、重大疾病防控的场景	统筹整合其余五大范式的资源与成果，为各范式提供任务导向与保障；承接数据驱动探索研究优化后的方案，推动新适应症、临床技术革新成果的大规模落地，形成转化闭环

5 中国转化医学面临的机遇和挑战

当前我国转化医学已进入政策、技术、临床资源多重叠加的战略机遇期。

国家已将转化医学纳入《“健康中国 2030”规划纲要》《“十四五”医药工业发展规划》等国家战略。2025年9月，颁布的818号令首次以行政法规形式确立了从临床研究到转化应用的闭环治理体系。全国已建成一批国家级、省部级转化医学中心，覆盖基础研究、临床研究、成果转化与产业孵化全链条。资金投入、平台建设、评审审批持续优化。多组学、人工智能、基因编辑、类器官等前沿技术快速发展，细胞与基因治疗领域展现出广阔的发展前景与转化应用潜力。真实世界数据与临床队列体系逐步完善，为转化研究提供强大支撑；庞大的临床资源与丰富的疾病谱，为原创发现、靶点验证及临床落地提供独特优势。全面深化国际合作与交流，加速全球创新成果在中国落地，推动中国转化医学正在从跟跑向并跑、领跑迈进。

中国转化医学的发展仍面临多重现实挑战：（1）在伦理层面，生物样本库、数据平台等基础设施建设有待完善，患者隐私保护、知情同意与数据安全标准尚未完全统一，跨机构伦理互认程度不足；（2）在监管层面，新技术、新疗法、新靶点的评审标准与创新节奏匹配度有待提升，跨部门监管协同不足，转化效率与安全规范难以平衡；（3）在技术安全层面，细胞与基因治疗药物安全性问题贯穿产品全生命周期，其核心在于技术路径本身潜在的生物学不确定性。除脱靶风险，体内基因编辑递送效率、免疫原性、编辑后细胞长期存活与功能稳定性等，关乎疗效与安全，需长期随访评估；（4）在产业转化层面，基础研究与临床需求脱节依然存在，临床研究能力与资源分布不均，高校院所成果转化率偏低，企业早期介入不足；（5）人才层面，复合型转化医学人才（跨学科、临床科学家）短缺，资源壁垒与利益分配机制制约协同创新。

6 中国转化医学的未来展望

面向未来，中国转化医学已形成多学科协同、产学研联动的高质量发展态势，以六大研究范式协同演进为核心方向，源于临床的基础研究将成为原创靶点主引擎，生命科学转化研究持续夯实T0~T4全链条能力，临床技术革新与新适应症创新成为高效转化的两翼，数据驱动探索全面融入各范式，有组织的目标研究成为重大疾病攻关的主流模式。

结合国际趋势与我国实践，对中国转化医学的未来发展建议如下：

第一，强化“临床—研发—转化”一体化创新生态。当前，生物医药领域处于“技术爆发”与“制度突破”交汇的关键节点，全球生物医药产业格局深度重构。818号令进一步明确临床研究中各主体责任，标志着构建多方协同的闭环生态，打通从实验室到临床应用、再到市场的“中间场景”至关重要。一是强化临床需求导向，整合优质临床资源与科研力量，系统推进“概念验证平台”“中试转化平台”等关键平台建设与高效应用。二是加快设立临床转化专项引导资金，重点支持已完成临床前研究、符合818号令分类标准、具备转化潜力的项目，消除研究者顾虑，统筹临床、技术、监管、投资等全链条场景，推动“医研政企”深度融合，构建“实验室—临床—市场”高效贯通的闭环体系。

第二，深化体制机制改革，营造对人才集聚更具吸引力的创新制度环境。一是对符合当地优先发展方向的生物医学新技术成果实行“单列管理”，对因科学不确定性导致非主观过失的不良事件，经专家委员会认定后，可对科研团队和机构负责人实行“尽职免责”；二是设立“生物医药产业风险补偿资金池”、建立市级“生物医学新技术风险数据

库”，对早期高风险项目给予容错支持，共享经验教训，变“事后追责”为“事前防控+协同改进”；三是设立“转化教授”“产业研究员”岗位，在构建生态的同时，为中间人才打通“实验室—临床—市场”的职业发展路径。

第三，因地制宜布局区域特色赛道，聚焦优势领域精准发力。一是聚焦细胞与基因治疗前沿方向，联动国内顶尖优势力量，推动申请建设细胞与基因治疗领域国家实验室，加快布局国家重大科技基础设施。二是要强化政策协同支持，优化临床研究及成果转化审批与服务机制，切实提升医学科技创新效率和质量，推动实现“审得快、做得稳、走得远”。

总体来讲，转化医学作为连接基础研究与临床实践、科技创新与产业应用的关键桥梁，对推动医学进步、保障人民健康具有不可替代的作用。中国转化医学正迎来高速发展的黄金机遇期，机遇与挑战并存。期待政产学研医各界携手，共同构建高效协同、开放共享的转化医学创新生态体系，为健康中国建设与全球健康事业贡献中国力量。

参考文献

[1] CHOI D W. Bench to bedside: The glutamate connection[J]. Science, 1992, 258(5080): 241-243.

[2] MARINCOLA F M. Translational medicine: A two-way road[J]. Journal of Translational Medicine, 2003, 1(1): 1.

[3] SUNG N S, CROWLEY W F Jr, GENEL M. Central challenges facing the national clinical research enterprise [J]. Journal of the American Medical Association, 2003, 289(10): 1278-1287.

[4] VAN DER LAAN A L, BOENINK M. Beyond bench and bedside: Disentangling the concept of translational research[J]. Health Care Analysis, 2015, 23(1): 32-49.

[5] ISRAEL M A, CHABNER B A. The national cancer institute's clinical cooperative groups: A national resource [J]. Journal of the National Cancer Institute, 1996, 88 (23): 1646-1652.

[6] WOOLF S H. The meaning of translational research and why it matters[J]. Journal of the American Medical Association, 2008, 299(2): 211-213.

[7] BUTLER D. Translational research: Crossing the valley of death[J]. Nature, 2008, 453(7197): 840-842.

[8] ZERHOUNI E A. Medicine: The NIH roadmap[J]. Science, 2003, 302(5642): 63-72.

[9] ZERHOUNI E A. The NIH roadmap for medical research [J]. New England Journal of Medicine, 2003, 349 (17): 1668-1674.

[10] ZERHOUNI E A. Translational and clinical science-time for a new vision[J]. New England Journal of Medicine, 2005, 353(15): 1621-1623.

[11] KOZEL P. NIH's Roadmap to the Future[J/OL]. Science, 2004, https://www.science.org/content/article/nihs-roadmap-future.

[12] COLLINS F S, WILDER E L, ZERHOUNI E. NIH roadmap/common fund at 10 years[J]. Science, 2014, 345 (6194): 274-276.

[13] DIA China Translational Medicine Community. Translational medicine white paper (2023 First Edition)[R]. DIA China, 2023.

[14] CONTOPOULOS-IOANNIDIS D G, NTZANI E E, IOANNIDIS J P. Translation of highly promising basic science research to human applications: How much progress in cardiovascular medicine[J]. Journal of the American Medical Association, 2003, 290 (15): 2012-2018.

[15] KHOURY M J, GWINN M, YOON P W, et al. The continuum of translation research in genomic medicine: How do we accelerate the appropriate integration of human genomic discoveries into health care and disease prevention[J]. Genetics in Medicine, 2007, 9(10): 665-674.

[16] COOK D J, TSOULFAS G, BRINKER A. Translational science: Moving discovery to application[J]. Science Translational Medicine, 2009, 1 (1):1-3.

[17] COLLINS F S, VARMUS H. A new initiative on precision medicine[J]. New England Journal of Medicine, 2015, 372 (9): 793-795.

[18] VAN DER PLAS L M, PASTERKAMP G, HEIJMANS B T. Precision medicine: From genomics to therapeutics [J]. Nature Reviews Genetics, 2018, 19(12): 749-765.

[19] TOPOL E J. High-performance medicine: The convergence of human and artificial intelligence[J]. Nature Medicine, 2019, 25 (1): 44-56.

[20] ESTEVA A, ROBICQUET A, RAMSUNDAR S, et al. A guide to deep learning in healthcare[J]. Nature Medicine, 2019, 25 (1): 24-29.

[21] Butte A J. Data-driven medicine: Translational bioinformatics for the real world [J]. JAMA, 2010, 303 (15): 1546-1552.

[22] SHAH N H, JUNG K, HELLER K, et al. Machine learning for clinical decision support in healthcare[J]. Annual Review of Biomedical Data Science, 2022, 5: 123-144.

[23] PRICE N D, COHEN A A, SARIA S. Causal machine learning for translational medicine[J]. Nature Medicine, 2023, 29 (1): 37-48.

[24] CHOW S C, CHANG M N, PONG A. Adaptive design methods in clinical trials: A review[J]. Journal of Biopharmaceutical Statistics, 2005, 15 (3): 459-479.

[25] FRIEDE T, KIESER M, KÖNIG F. Adaptive designs for confirmatory clinical trials[J]. Biometrical Journal, 2010, 52 (4): 487-509.

[26] BERRY S M, CARLIN B P, LEE J J, et al. Adaptive bayesian designs for clinical trials: A tutorial [J]. Journal of the Royal Statistical Society Series A, 2010, 173 (3): 507-529.

[27] WANG J X, CHEN L, LIU C, et al. Four decades of translational research from antibody to CAR-T cell therapy for B-cell malignancies: A single-center experience[J]. Clinical and Translational Medicine, 2024, 14 (3): e13245.

[28] 国家发展改革委. “十四五” 生物经济发展规划[Z]. 发改高技[2021]1850, 2021.

[29] 国务院. 生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例[Z]. 国务院令(第818号), 2025.

[30] SWARTZWELDER J, HAY M, THOMAS D. The role of target validation in translational medicine[J]. Nature Reviews Drug Discovery, 2018, 17(9): 631-648.

[31] OGRINC G, DUDECK K, KAO A, et al. Clinical workflow innovations to improve patient safety[J]. BMJ Quality & Safety, 2010, 19 (Suppl 1): i32-i38.

[32] 国家卫生健康委员会. “十四五”国家临床专科能力建设规划[Z]. 国卫医发[2021]31号，2021.

[33 YAN L, LI C, YAN H, et al. Hematopoietic stem cell transplantation for hematological diseases in China: A national registry analysis[J]. Bone Marrow Transplantation, 2022, 57 (9): 1683-1691.

[34] YANG R, SHI J, ZHANG L, et al. Gene therapy for transfusion-dependent β-thalassemia in China: A single-arm, phase 1/2 study[J]. The Lancet Haematology, 2023, 10 (5): e321-e331.

[35] SHI J, YANG R, PENG X, et al. Long-term efficacy and safety of autologous hematopoietic stem cell gene therapy for β-thalassemia: 5-year follow-up of a phase 1/2 trial [J]. Nature Communications, 2024, 15 (1): 4892.

[36] XUE F, YANG R, ZHANG L, et al. AAV-mediated factor Ⅸ gene therapy for hemophilia B: a phase 1/2 clinical trial[J]. New England Journal of Medicine, 2022, 387 (12):1099-1109.

[37] XUE F, YANG R, ZHANG L, et al. Phase 3 trial of BBM-H901 (popidacogene elparvovec) for hemophilia B and long-term safety follow-up[J]. Nature Medicine, 2025, 31 (5):892-903.

[38] 国家卫生健康委员会. 医疗卫生机构开展研究者发起的临床研究管理办法（2024年版）[Z]. 国卫科教发[2024]32号，2024.

[39] PUSHPAKOM S, IORIO F, EYERS P A, et al. Drug repurposing: Progress, challenges and recommendations [J]. Nature Reviews Drug Discovery, 2019, 18 (1): 41-58.

[40] SUN T, CHEN Y F, ZHANG L. Daratumumab in relapsed or refractory pediatric immune thrombocytopenia [J]. New England Journal of Medicine, 2025, 392 (20): 2069-2071.

[41] CHEN Y F, YANG R, ZHANG L, et al. Anti-CD38 monoclonal antibody CM313 for primary immune thrombocytopenia: A multicenter, randomized, placebo-controlled, phase 2 trial[J]. BMJ, 2025, 391:e084314.

[42] ZHANG L L, GAO Z, PAN H. BCMA-Targeted T-Cell engager for autoimmune hemolytic anemia after CD19 CAR T-cell therapy[J]. New England Journal of Medicine, 2025, 392 (23):2282-2284.

[43] HAUBEN M, ABEGAZ K, IOANNIDIS J P. Real-world evidence for drug repurposing: Strengths, limitations, and recommendations[J]. BMC Medicine, 2021, 19 (1):214.

[44] 国家药品监督管理局. 2024年药品审评审批年度报告[R]. 北京：国家药品监督管理局药品审评中心，2025.

[45] ZHU X, HE F, ZENG H, et al. Identification of functional cooperative mutations of SETD2 in human acute leukemia[J]. Nature Genetics, 2014 , 46(3):287-293.

[46] ZHANG Y, ZHU X, GU J, et al. Elucidating minimal residual disease of paediatric B-cell acute lymphoblastic leukaemia by single-cell analysis[J]. Nature Cell Biology, 2022 Feb;24(2):242-252.

[47] ZHANG J, ZHU X F, ZHANG Y. Clonal evolution dissection reveals high MSI2 level promotes chemo-resistance in T-cell acute lymphoblastic leukemia[J]. Blood, 2024, 143(4):320-335.

[48] LIU X, CAO Y, GUO Y, et al. Dynamic forecasting of severe acute graft-versus-host disease after transplantation [J]. Nature Computational Science, 2022, 2(3): 153-159.

[49] CAO Y, GONG X, FENG Y, et al. The composite immune risk score predicts overall survival after allogeneic hematopoietic stem cell transplantation: A retrospective analysis of 1838 cases[J]. American Journal of Hematology, 2023, 98(2):309-321.

[50] CHEN J, QI S, HU Y, et al. New criteria for estimating numbers of CD34-positive cells in a graft needed for posttransplant bone marrow recovery[J]. Leukemia, 2024, 38(12):2735-2738.

[51] CHEN J, CAO Y, FENG Y, et al. Autonomous artificial intelligence prescribing a drug to prevent severe acute graft-versus-host disease in HLA-haploidentical transplants [J]. Nature Communications , 2025, 16(1):8391.

[52] ZHU X, RUAN M, WANG S, et al. Venetoclax plus modified-intensity Idarubicin and Cytarabine treatment as first-line treatment for newly diagnosed pediatric acute myeloid leukemia[J]. Clinical Cancer Research , 31(13): 2608-2616.