· 专家述评 ·

《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》实施背景下输血医学科主动承接细胞与基因治疗的机遇、定位与发展路径

陈立力[1]　张进进[1]　张勇刚[2]　邢颜超[1]　余佳[2]

(1. 新疆军区总医院 输血医学科, 新疆 乌鲁木齐 830000;
2. 中国医学科学院 北京协和医学院 输血研究所, 四川 成都 610052)

摘要:国务院令第 818 号《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》(以下简称《条例》)的正式施行,标志着我国细胞与基因治疗(cell and gene therapy, CGT)等生物医学新技术领域进入法治化、规范化、全链条监管的新阶段,这将对输血医学学科发展产生深远影响。本文以《条例》确立的核心监管制度为框架,结合输血医学在全链条质量控制、细胞制备与处置、伦理合规审查及临床转化实践中的长期积累,系统梳理输血医学与 CGT 在技术流程、质控逻辑及管理体系上的高度契合性,阐明输血医学科主动承接 CGT 领域的学科优势,同时剖析当前科室面临的现实短板与业务转型瓶颈。依托现有体系基础,输血医学科可发展为院内 CGT 全过程质量控制平台与临床转化枢纽,但须应对合规责任加重、专业技术平台建设滞后、复合型人才储备不足、临床研究与转化标准趋严等诸多挑战。《条例》为输血医学科突破传统单一血液保障职能、构建"血液保障+细胞治疗"协同发展模式提供了法治依据与政策支撑。输血医学科应对标监管要求,健全全流程合规体系、升级技术平台、培养复合型人才,实现向生物治疗核心支撑科室的转型发展。

关键词:生物医学新技术;输血医学;细胞与基因治疗;质量控制

中图分类号:R457.1　　**文献标识码**:A　　**文章编号**:1004-549X(2026)7-0832-08

DOI:10.13303/j.cjbt.issn.1004-549x.2026.07.003

Opportunities, positioning, and development pathways for the Department of Transfusion Medicine to proactively undertake cell and gene therapy under the Regulations on the Clinical Research and Translation of New Biomedical Technologies

CHEN Lili[1], *ZHANG Jinjin*[1], *ZHANG Yonggang*[2], *XING Yanchao*[1], *YU Jia*[2].

1. *Department of Transfusion Medicine, Xinjiang Military Region General Hospital, Urumqi* 830000, *China*; 2. *Institute of Blood Transfusion, Chinese Academy of Medical Sciences, Peking Union Medical College, Chengdu* 610052, *China*.

Joint-first authors: *CHEN Lili, ZHANG Jinjin*.

Co-corresponding authors: *YU Jia*, *Email*: *j-yu@ibms.pumc.edu.cn*; *XING Yanchao*, *Email*: *xingyanchao@aliyun.com*

Abstract: The official implementation of the Regulations on Clinical Research and Translation of New Biomedical Technologies (State Council Decree No. 818, hereinafter referred to as the "Regulations") marks a new stage of legal governance, standardization, and whole-chain regulation for emerging biomedical fields such as cell and gene therapy (CGT) in China, exerting a profound impact on the development of transfusion medicine as a discipline. Within the framework of the core regulatory systems established by the Regulations, and drawing upon the extensive experience of transfusion medicine in comprehensive quality control, cell processing and handling, ethical compliance, and clinical translation, this study systematically elucidates the intrinsic alignment between transfusion medicine and CGT with respect to technical workflows, quality control rationale, and management systems. It further clarifies the discipline-specific advantages of the department of transfusion medicine to proactively undertake CGT engagement, while analyzing current shortcomings and transformational bottlenecks. By leveraging the existing institutional framework, the department of transfusion medicine is well positioned to evolve

基金项目:新疆维吾尔自治区自然科学基金面上项目(2025D01C246)

并列第一作者简介:陈立力(1981-),男,副主任技师,Email:hofo336699@163.com;张进进(1980-),女,副主任医师,Email:13319805828@qq.com;**共同通信作者**:邢颜超,Email:xingyanchao@aliyun.com;余佳,Email:j-yu@ibms.pumc.edu.cn

into a core platform for whole-process quality control and a pivotal hub for in-hospital clinical translation of CGT. However, this transformation must concurrently address multiple challenges, including heightened compliance responsibilities, lagging technical infrastructure, a shortage of interdisciplinary talent, and increasingly stringent standards for clinical research and translation. The Regulations provide a legal basis and policy support for the department of transfusion medicine to transcend its traditional, singular function of blood safety assurance and establish a synergistic development model integrating blood safety and cell therapy. Therefore, the department of transfusion medicine should proactively align with regulatory requirements, refine whole-process compliance systems, upgrade technical platforms, and cultivate interdisciplinary professionals to achieve high-quality transformative development as a core supporting discipline for biotherapy.

Key words: new biomedical technologies; transfusion medicine; cell and gene therapy; quality control

2026 年 5 月 1 日,国务院令第 818 号《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》(以下简称《条例》)正式施行,标志着我国以细胞与基因治疗(cell and gene therapies,CGT)为代表的前沿生物医学技术全面纳入法治化、规范化、全链条、严监管的全新发展阶段。该条例是我国落实“健康中国 2030”国家战略、抢占全球生物医学科技竞争制高点、保障人民群众生命健康安全的重大制度创新,是推进生物医学领域治理体系和治理能力现代化的重要举措。《条例》以促进医学科技创新、规范临床研究与转化应用、保障医疗质量安全为核心目标,构建了以“临床研究备案管理、国家级技术与伦理双重评估、全链条法律责任体系”为支柱的新型监管制度,形成“宽进严出、全程监管、风险可控、鼓励创新”的治理格局,为干细胞治疗、免疫细胞治疗、基因治疗等前沿生物技术的临床研究与转化应用提供了顶层制度遵循与法治保障[1]。

CGT 是当前生物医学领域最具革命性与发展潜力的前沿方向之一,其以活细胞为核心干预载体,通过体外基因修饰、扩增、活化后回输,或借助载体系统将治疗基因递送至靶细胞,实现基因缺陷纠正、生理功能调控及病变细胞靶向清除,在恶性肿瘤、遗传性疾病、神经系统疾病、心血管疾病、自身免疫性疾病等领域展现出不可替代的治疗价值[2-3]。CGT 产品的研发、制备、储运、输注与监测全程高度依赖细胞来源管理、无菌操作、冷链控制、质量检测、不良反应监测与长期随访等,其技术链条、质控逻辑与管理模式,与输血医学具有高度同源性与高度契合性。

输血医学作为 1 门以血液采集、制备、检测、储存、输注、质量控制与不良反应监测为核心的临床医学二级学科,经过数十年规范化建设,已形成覆盖“血管到血管”的全链条质量管理体系,具备生物安全管理、伦理合规、全程追溯等成熟基础。在《条例》实施的背景下,输血医学科不再局限于传统血液保障与临床支持角色,而是需承担细胞治疗质量支撑、临床转化枢纽与研究核心参与者的关键角色。与此同时,《条例》所确立的严格合规要求、双罚制法律责任、国家级双评估制度,也对输血医学科的平台能力、人才结构、治理体系与科研水平提出前所未有的挑战。本文立足《条例》制度精神与监管要求,系统阐述输血医学在 CGT 领域的学科优势、战略定位、现实挑战与发展路径,为推动我国输血医学科在生物治疗新格局下实现业务转型提供理论依据与实践参考。

1 输血医学承接 CGT 的天然学科优势与深厚历史传承

输血医学本质上是最早实现标准化、规模化、临床化的细胞治疗实践。从学科内涵到技术体系,从管理逻辑到法规传统,输血医学与 CGT 均展现出高度的同源性与契合性,这种优势并非片段化的技术叠加,而是根植于学科中系统性、全链条的深厚积淀。具体而言,血液成分(红细胞、血小板、白细胞、血浆等)均为活细胞或细胞成分类生物制品,其采集、制备、检测、储存、运输、输注、不良反应监测等全流程管理,与 CGT 产品的全生命周期管理在生物属性、技术流程、质控逻辑、法规体系上高度一致。这种从理论到实践、从制度到技术的全方位同源性,构成了输血医学承接 CGT 临床研究与转化应用的坚实基础。

1.1 生物属性同源,技术流程可传承

CGT 以活细胞为核心载体,对细胞活性、纯度、无菌性、遗传稳定性与体内生物学效应具有严格要求;而输血医学所处理的血液成分同样为活细胞制品,2 者在细胞分离、纯化、浓缩、洗涤、冻存、复苏等关键技术上高度重合。输血医学长期建立的无菌操作规范、血细胞分离技术、程序降温冻存技术、深低温储存体系、病原体筛查体系、临床输注路径,

均可直接平移、优化后应用于 CGT 产品制备与临床转化,无需从零构建技术体系,具备显著的成本优势与时间优势。

1.2　法规体系成熟,合规基础可延伸

我国输血医学已形成以《中华人民共和国献血法》、《医疗机构临床用血管理办法》和《临床用血技术规范》为核心,覆盖全流程的法规制度与技术标准体系。输血医学科普遍建立了质量管理体系、生物安全管理制度、供者筛查制度、知情同意与隐私保护制度、全程追溯制度、不良反应上报制度,与《条例》对生物医学新技术在伦理审查、受试者保护、质量可控、风险防控、可追溯管理等方面的要求高度契合。相较于其他临床科室,输血医学科以“法规驱动、标准先行、全程质控”为运行底色,在合规治理上具备先发优势。

1.3　质控逻辑一致,全链条管理能力可平移

CGT 的核心安全保障依赖全生命周期质量控制,包括供者/细胞来源筛查、进料检验、过程控制、放行检验、储存运输监控、临床输注监护、不良反应监测与长期随访。输血医学经过数十年临床实践,已建立从献血者招募→健康问询→体格检查→实验室筛查→血液成分制备→质量抽检→冷链运输→临床配发→输注监护→不良反应上报→追踪随访的闭环质控体系,其管理逻辑、节点设置、风险控制与 CGT 高度一致。这种成熟的“血管到血管”质控能力,是其他学科难以在短期内复制的核心竞争力。

1.4　历史传承厚实,守正创新根基稳固

放眼全球,主要发达国家和相关国际组织在 CGT 监管框架中均高度重视输血医学的参与,输血医学已向生物治疗领域全面升级,其经验可为我国提供有益借鉴:1)美国食品药品监督管理局(FDA)通过《公共卫生服务法》(Public Health Service Act)对细胞治疗产品构建分层监管。低风险产品(仅限最小操作、自体同源使用的生物制品,包括传统输血、自体简单分离血细胞等)由第 361 条监管,高风险产品(允许扩增、基因编辑、异体、非同源使用的生物制品,包括 CGT 产品及疫苗等)由第 351 条监管,监管强度远高于第 361 条。FDA 设有生物制品评价与研究中心(Center for Biologics Evaluation and Research,CBER),同时承担血液制品与细胞治疗产品的监管职能。输血医学服务机构(如血液中心、医院输血科)在细胞采集、处理、储存、分发等环节的技术标准被直接纳入 CGT 质量体系要求[4];2)美国 AABB(原美国血库协会)于 2021 年正式更名为“血液与生物治疗促进协会”(Association for the Advancement of Blood & Biotherapies, AABB),将业务范围全面拓展至 CGT 全链条质量标准制定、认证与培训,发布《细胞治疗服务标准》(Standards for Cellular Therapy Services)覆盖采集、制备、储存、分发及临床应用的标准化体系,成为全球 CGT 质量与安全管理的标杆[5];3)欧盟构建协同监管框架:针对人源起始原料,欧盟 2024 年颁布《供人体使用的人源物质质量与安全条例》〔(EU)2024/1938〕,规定了所有供人体使用的人源物质(substances of human origin,SoHO)及与此类物质相关的活动的高质量和安全的标准,将于 2027 年正式实施[6]。该条例把血液、细胞、组织等 SoHO 纳入统一监管框架,推动欧盟全域人源物质质控标准协同统一,将 SoHO 质量安全标准和可持续供应保障提升到前所未有的高度[7];针对 CGT 成品药物,欧盟建立了先进技术治疗产品(advanced therapy medicinal products,ATMP)监管框架,由欧洲药品管理局(European Medicines Agency,EMA)下设的先进技术疗法委员会(Committee for Advanced Therapies,CAT)负责科学评估与分类认定[8]。EMA 明确要求 ATMP 的全程追溯、供者筛查、质量控制与风险管理,上市后监管要求制定风险管理计划(risk management plan,RMP)并开展上市后安全性/有效性研究(post-authorization safety study/post-authorization efficacy study,PASS/PAES),与输血医学既有的质量管理体系、不良反应监测与长期随访经验高度契合,可直接对接监管需求;4)国际输血协会(International Society of Blood Transfusion,ISBT)依托下属细胞治疗工作组(Working Party on Cellular Therapies)以输血医学为根基持续推动 CGT 全球标准化体系建设:联合国际血库自动化通用委员会(International Council for Commonality in Blood Banking Automation,ICCBBA)于 2023 年发布 ST-028 身份链(chain of identity,CoI)标识符标准,完善 ISBT 128 编码、标签与全生命周期溯源框架,实现多供者原料、跨机构 CGT 制品从采集、基因编辑、制备到回输的终身可追溯;发布了造血干祖细胞单采质控、CAR-T 治疗输血支持、CGT 原料病原体灭活等系列临床操作共识,衔接国际人用药品注册技术协调会(International Council for Harmonisation, ICH)、细胞治疗认证基金会(Foundation for the Accreditation of Cellular Therapy, FACT)、AABB 等

组织的监管与认证要求,搭建全球 CGT 跨学科协作平台,并将 CGT 全球可及性纳入 2026—2030 核心战略,持续弥合各国 CGT 质控、追溯与临床配套服务的标准差异[9]。

我国的输血医学自 2016 年正式成为临床医学二级学科以来,已明确将细胞治疗、生物治疗、免疫治疗纳入学科范畴,逐步实现从传统血液保障向“血液保障+细胞治疗”并重的战略转型,在对接《条例》要求中积累了制度基础,在传承积淀中具备了跨越发展的学科条件。

2 《条例》为输血医学科开辟了主动承接 CGT 领域的全新战略定位

《条例》确立了临床研究备案制、国家级技术与伦理双评估、转化应用审批制、全链条法律责任制等核心制度,将生物医学新技术从相对自由的探索行为,转变为在科学、伦理、法律 3 重轨道内运行的系统工程。在此框架下,输血医学科的业务定位正在发生转变:由传统的医疗技术保障科室,逐渐升级为医院开展 CGT 临床研究与转化应用的全过程质量控制平台,连接细胞生物公司与临床的关键枢纽,以及临床研究与转化的深度参与者,在国家生物治疗创新体系中承担重要的角色。

2.1 输血医学科是支撑 CGT 的全过程质量控制平台

《条例》将全过程安全管理作为核心监管原则,要求对生物医学新技术实行从源头到终端的全链条、可追溯、强质控管理。输血医学科凭借成熟的闭环质控体系,可在以下 4 个关键环节为 CGT 提供不可替代的质量支撑。

2.1.1 细胞来源管理与标准化采集的质量支撑

细胞来源的合规性、伦理符合性与可追溯性,是 CGT 安全的第 1 道关口。《条例》第五条强调“开展生物医学新技术临床研究应当尊重受试者意愿,维护受试者尊严,保护受试者合法权益”,第十四条明确“通过学术审查、伦理审查的,方可开展临床研究。”因此,严格伦理审查、规范知情同意,是医疗机构开展 CGT 临床研究和转化的基础。部分军队医院输血医学科兼具血站职能,长期承担无偿献血组织、献血者健康筛查、知情同意告知、隐私保护、标准化血液成分采集等工作,具备完善的供者管理质量体系、标准化操作规程(standard operating procedure,SOP)与丰富实践经验。地方医院输血医学科虽然没有无偿献血采血资质,但部分医院已相继开展血液成分采集相关的治疗,如治疗性血细胞单采、治疗性血浆置换、富血小板血浆(platelet-rich plasma,PRP)治疗、造血干细胞采集等,这类治疗在供者管理及采集操作方面的质量要求与无偿献血基本一致。因此,输血医学科的供者管理质量体系可直接应用于 CGT 研究用细胞(尤其是异体来源细胞)的供体筛查、健康评估、伦理报备、标本采集与标识追溯,从源头保障细胞来源合法、伦理合规、质量可控、全程可追溯,为整个 CGT 研究项目奠定合规基础,保障受试者权益。

2.1.2 细胞制备与储存的技术平台支撑

CGT 产品制备需要局部百级洁净区、细胞分离设备、流式检测设备、程序降温仪、深低温液氮储存系统等硬件条件,以及熟练的无菌操作、细胞分离纯化、冻存复苏等技术能力。目前国内大型三甲医院输血医学科部分已配备上述核心设备,技术人员长期从事血液成分处理相关操作,具备严格的无菌操作习惯与细胞处理能力。依托现有条件,输血医学科可通过针对性改造、流程优化、体系升级,以较低成本、较短时间建成符合要求的院内 CGT 服务平台,为临床科室提供细胞分离、洗涤、浓缩、稀释、活化、冻存、复苏等“一站式”技术服务。相较于完全新建平台,该模式在资源配置、技术衔接、资质获取与运行效率上具备显著优势。

2.1.3 全链条质量控制与放行检验的保障支撑

《条例》明确将质量可控作为技术评估的核心内容。输血医学科实验室普遍具备完善的检测能力,包括血型基因分型、经血传播病原体检测、细胞计数、细胞活力分析、内毒素检测、无菌试验等。以此为基础,输血医学科可系统性建立覆盖 CGT 细胞制剂的进料检验(incoming quality control,IQC)、过程控制(in-process control,IPC)、放行检验(release testing,RT)、稳定性监测(stability monitoring,SM)全链条质控体系,按照规范出具质量检验报告,为临床研究数据的真实性、可靠性与转化应用申报提供关键证据支撑,满足《条例》对质量可控性的强制要求,切实把控 CGT 产品质量安全[10]。

2.1.4 不良反应监测与应急响应的安全支撑

CGT 临床应用中可能出现细胞因子释放综合征(cytokine release syndrome,CRS)、免疫效应细胞相关神经毒性综合征(immune effector cell-associated neurotoxicity syndrome,ICANS)、过敏反应、输血相关急性肺损伤、感染等严重不良事件,对早期识

别、快速处置与规范上报提出极高要求。《条例》第二十五条规定“生物医学新技术临床研究过程中发生严重不良反应的,临床研究机构应当暂停临床研究,由临床研究伦理委员会就是否可以继续实施临床研究进行评估。临床研究机构应当根据评估意见终止临床研究或者继续实施临床研究,于 5 个工作日内向国务院卫生健康部门报告,并告知临床研究发起机构”,第三十五条规定“临床应用过程中发生严重不良反应或者医疗事故的,医疗机构应当按照规定进行处理”,明确了研究机构必须履行全程监测、及时报告、规范处置不良反应的法定义务。输血医学科长期承担输血不良反应监测、报告、调查、处置与追踪工作,拥有成熟的应急预案、快速响应流程与多学科协作机制。该体系可无缝扩展至 CGT 相关不良事件监测,建立早期识别指标、标准化报告路径、分级处置方案与长期随访机制,形成从预防、监测、处置到复盘改进的完整安全管理闭环,保障受试者与患者安全,防范系统性安全风险。

2.2　输血医学科是连接细胞生产与临床转化的关键枢纽

在《条例》确立的“临床研究备案-临床转化审批”新路径下,细胞产品从生产企业到临床应用之间存在标准不统一、流程不衔接、追溯不完整、质控不到位等痛点。输血医学科凭借全链条质控能力与院内协调优势,可以成为连接上游生产企业与下游临床科室的核心枢纽,填补“最后 1 公里”管理空白,确保国家 CGT 监管要求在临床应用终端落地。

2.2.1　全院细胞产品统一接收与发放中心

输血医学科应成为院内 CGT 产品唯一接收、核对、储存、质控、发放部门,参照血液制品管理模式,对所有外来细胞产品实行统一入库、统一标识、统一冷链、统一复核、统一放行。此举可系统性解决传统模式下“多厂家对接多科室”带来的标准混乱、流程交错、资源分散、追溯断裂等问题,确保每 1 份细胞产品来源可查、去向可追、质量可控、责任可究,提升临床应用安全性与规范性,为 CGT 产品临床应用的规范化、标准化管理提供参考。

2.2.2　细胞产品院内标准化质控与“临床就绪”平台

细胞产品从厂家运输至医院后,在临床输注前必须完成最终质量复核、活性确认、无菌检查、剂型调整等“临床就绪”处理。输血医学科依托洁净环境、冷链系统与快速检测能力,可对产品进行外观核对、数量确认、细胞活性检测、无菌快速检测,并根据临床需求提供细胞洗涤、浓度调整、体积稀释/浓缩、配伍配制、短时激活培养等个体化处理,确保产品以最安全、最有效、最适配的状态用于患者,构成临床应用前最后一道质量保障。

2.2.3　不良反应集中监测与临床数据反馈中心

输血医学科可以作为全院 CGT 不良事件统一监测、评估、上报、反馈中心,无论产品来源、适用科室与疾病类型,所有不良事件均通过统一平台收集、评价、上报与追踪。这不仅满足《条例》对全程安全监管的要求,还可将临床应用中的质量数据、稳定性信息、输注反应、有效性观察等系统性反馈至生产企业与研发机构,形成“研发-生产-临床-反馈-改进”的正向循环,推动 CGT 产品质量持续优化,促进我国生物治疗产业发展。

2.3　输血医学科是临床研究与转化的深度参与者

《条例》实施临床研究备案制,大幅降低早期探索性研究的启动门槛,为输血医学科从“被动支持”转向“主动参与、核心执行、主导转化”提供制度保障[11],为输血医学科在服务国家 CGT 创新战略中发挥更大作用创造了有利条件。

2.3.1　探索性临床研究的发起者与核心执行者

依托细胞采集、制备、质控、储存、输注全链条能力,输血医学科可以灵活、主动发起或核心参与新型免疫细胞治疗、红细胞载体技术、干细胞局部应用、调节性细胞输注等前沿探索性临床研究。输血医学科可以在研究中承担细胞工艺、质量控制、安全性监测等核心任务,成为研究不可替代的技术支柱,实现从辅助支撑角色向研究主体角色的转变。

2.3.2　院内个性化细胞技术转化的体系构建者

《条例》为个性化程度高、难以按药品规模化生产的细胞医疗技术开辟了医疗技术转化路径。输血医学科可主导将研究阶段安全有效的细胞制备与质控流程标准化、规程化、制度化,建立配套的人员培训、设备维护、环境监控、风险控制、应急处置等完整管理体系,推动技术通过院内转化评估,从“研究项目”落地为可常规开展的“临床医疗服务”,实现前沿技术惠及患者。

2.3.3　贯穿研究全流程的体系化支撑者

在 CGT 临床研究中,输血医学科可深度参与方案设计、研究执行、总结转化全流程:在方案设计阶段,提供细胞来源、制备工艺、质控标准、输注路径、安全监测等专业意见;在执行阶段,保障细胞产

品质量稳定、全程可追溯,承担安全性数据收集与初步评估;在总结转化阶段,提供完整规范的质控记录、操作文档、安全性报告,为通过国家级技术与伦理双评估提供核心支撑材料,献血者随访机制也可延伸至对细胞治疗患者的长期安全性监测中。

3 《条例》实施背景下输血医学科面临的严峻挑战

尽管输血医学科具备参与 CGT 的天然优势,但在《条例》严格监管框架下,科室业务转型仍面临三大系统性挑战,必须正视并系统解决。

3.1 合规责任与法律风险显著提升

《条例》第六章设置了严格的法律责任体系,明确引入双罚制,对医疗机构与责任人同步实施处罚,对医疗机构的处罚最高可“吊销医疗机构执业许可证”,罚款最多可超过千万元,对责任人的处罚最高可“终身禁止其从事生物医学新技术临床研究,并吊销有关医务人员的执业证书”,这些处罚措施将生物医学新技术研究与转化的法律责任提升到了前所未有的高度。同时,处罚情况不仅仅涉及违规开展临床研究,而是在研究备案、伦理审查、知情同意、方案执行、标本管理、记录追溯、数据真实性、不良事件上报等任何环节出现违规都将导致处罚,甚至于“违反本条例规定,造成人身、财产损害的,依法承担民事责任;构成犯罪的,依法追究刑事责任”。输血医学科虽以合规见长,但面对 CGT 更高的技术复杂性与长期不确定性,须以更高标准、更严要求、更全体系强化合规治理,任何侥幸与简化都可能带来严重后果。

3.2 技术平台与人才能力存在结构性短板

尽管输血医学科具备基础细胞处理能力,但与 CGT 专业化要求仍存在明显差距:一是多数输血医学科洁净环境等级、设备精度、质控项目、信息化追溯系统不足以满足 GMP 级细胞制备要求;二是缺乏细胞工艺开发、基因修饰安全评估、病毒载体检测、细胞功能分析、质量标准建立等专项技术能力;三是人才结构存在短板,兼具细胞免疫学、分子生物学、GCP、临床研究设计、生物统计学、法规政策的复合型领军人才与骨干人才严重不足。现有技术队伍多以输血检验、血液制备为背景,对 CGT 前沿技术与研究规范掌握有限,成为制约科室业务升级的关键瓶颈。

3.3 研究与转化的复杂性与标准均显著提高

《条例》构建了“非临床研究-临床研究-转化应用”3 阶段递进证据链,要求在项目启动前通过学术与伦理双审查,转化应用前通过国家级技术与伦理双评估,形成全链条、可追溯、强证据的监管模式[12]。CGT 研究具有长期不确定性、个体差异大、数据异质性高、起效机制复杂、不良事件滞后等特点,对科研设计、质量管控、数据管理、证据整合、风险预判提出极高要求。输血医学科长期以临床服务业务为主,在以下 3 方面存在明显不足:一是临床研究设计能力薄弱,缺乏前瞻性研究方案设计、统计学规划与终点指标设定的系统训练;二是数据管理能力不足,对 CGT 研究中产生的高维度、多模态数据的标准化采集、管理与分析缺乏经验;三是转化推进能力有限,对国家级评估的材料准备、证据整合与申报流程不够熟悉。面对高标准、严要求、长周期的 CGT 研究转化体系,亟需全面提升综合治理能力。

4 以《条例》为指引,推动输血医学科高质量业务转型的实施路径

面对新时代、新机遇、新挑战,输血医学科必须主动进化、前瞻布局、对标一流、系统提升,以合规为底线、以平台为基础、以人才为核心、以创新为动力,加快向生物治疗支撑科室的战略转型。

4.1 坚持合规先行,构建全流程法治治理体系

全面对标《条例》核心条款,完善伦理审查快速通道、临床研究备案流程、供者/受试者保护制度、知情同意规范、全程追溯系统、文档记录体系、不良事件上报与风险应急机制;强化科室全员法规培训,建立合规治理理念;建立科室合规自查与内部审核制度,确保每 1 项操作、每 1 份记录、每 1 个流程均符合法规要求,从源头防范法律与行政风险。

4.2 加快平台升级,建设 GMP 级细胞制备与质控中心

以现有输血医学科平台为基础,优化洁净室环境、升级细胞分离与冻存设备、完善快速质控检测系统、搭建信息化全程追溯平台,建设符合《药品生产质量管理规范(GMP)》基本要求、《医学实验室质量和能力认可准则(ISO15189)》质量体系、生物安全二级及以上防护的院内细胞制备与质控中心;统一院内 CGT 产品接收、储存、质控、发放、输注流程,实现标准化、规范化、集约化运行,将输血医学

科打造成为医院生物医学新技术转化的核心支撑平台,为国内同类机构 CGT 临床转化质量保障体系的建设提供可复制、可推广的参考模式。

4.3 强化人才引育,打造复合型创新团队

实施输血医学与细胞治疗、临床研究、法规管理交叉融合的复合型人才培养计划:一方面引进细胞免疫学、分子生物学、生物治疗、GCP 管理等学科领域高层次人才;另一方面对现有骨干开展专项培训,覆盖 CGT 技术、质量控制、临床研究设计、伦理法规、数据统计等核心内容;建立跨学科协作机制,与血液科、肿瘤科、感染科、中心实验室、科研处、伦理委员会紧密合作,形成协同创新的复合型团队。

4.4 明确学科定位,建立院内协同运行机制

推动医院明确输血医学科在 CGT 体系中的核心支撑与集中枢纽地位,出台院内管理制度,规定所有 CGT 产品统一由输血医学科接收、质控、发放与监测;建立跨科室协调例会、技术会商、应急联动机制,解决流程衔接、标准统一、责任划分等关键问题,建立院内协同运行格局,确保国家 CGT 监管政策在医院层面落地。

4.5 主动创新引领,用好备案制政策红利

依托《条例》备案制便利,积极发起、参与院内探索性临床研究,聚焦临床需求明确、技术成熟度高、风险可控的细胞治疗方向,快速积累研究数据与转化经验。具体而言,应从以下 3 方面提升研究与转化能力:第一,加强临床研究设计能力建设,围绕前瞻性研究方案设计、统计学规划与终点指标设定方法等开展系统化培训,提升研究方案的科学性与规范性;第二,建设 CGT 专项数据治理平台,制定高维度、多模态数据的标准化采集、管理与分析流程,确保数据真实性、完整性与可追溯性;第三,建立转化申报支撑体系,配备专人对接国家级技术与伦理评估的材料准备、证据整合与申报流程,提升转化应用申请通过率。输血医学科需紧扣生物治疗发展导向,推动成熟、安全、个性化的细胞治疗技术规范化临床转化,构建学科与临床融合发展模式,发挥输血医学在全民健康保障体系中的专业支撑价值。

5　结语

《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》的颁布实施,是我国生物医学创新领域的重要制度变革,为输血医学科参与细胞与基因治疗、实现科室业务升级提供了契机,同时对合规能力、平台建设、人才队伍与治理体系提出了多方面挑战。输血医学凭借与 CGT 高度同源的生物属性、高度契合的技术流程、高度一致的质控逻辑、高度匹配的法规基础,具备成为生物治疗核心支撑学科的现实条件与学科潜力,能够完善 CGT 全流程风险管控体系,保障生物治疗临床应用安全。

输血医学科需跳出传统血液保障科室的定位局限,对接《条例》要求,以合规为底线、以质量为核心、以创新为动力、以转化为目标,构建支撑 CGT 的全过程质控平台、连接产业与临床的转化枢纽、引领临床研究的创新团队。唯有持续规范、严谨提升,输血医学才能在生物治疗新格局中确立学科地位,为推动我国细胞与基因治疗事业发展、保障患者安全作出贡献。

利益冲突说明/Conflict of Interests

所有作者均声明不存在利益冲突。

伦理批准及知情同意/Ethics Approval and Donor/Patient Consent

本文不涉及伦理审批和知情同意。

作者贡献/Authors' Contribution

陈立力、张进进:文献检索、论文撰写和修改;张勇刚:论文内容修订和校对;余佳:论文整体指导、统筹定稿;邢颜超:论文选题设计和审核。

[参考文献]

[1] 中华人民共和国国务院. 生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例:国务院令第 818 号[S]. 2025-09-28.
State Council of the People's Republic of China. Decree of the State Council No. 818:Regulations on the administration of clinical research and clinical translation and application of biomedical new technologies[S]. 2025-09-28.

[2] YI S, WU C Y, MCINTOSH A, et al. Cell and gene therapy: transforming treatment paradigms for patient-centric care[J]. Clin Transl Sci, 2025, 18(12): e70430.

[3] KIRKEY A, MAIN H, CARPENTR M. Pluripotent stem-cell-derived therapies in clinical trial: a 2025 update[J]. Cell Stem Cell, 2025, 32(1): 10-37.

[4] FDA/CBER. Vaccines, blood & biologics[EB/OL]. (2026-01-12)[2026-05-20]. https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics.

[5] AABB. About AABB:history[EB/OL]. (2021-10-15)

[2026-05-20]. https://www. aabb. org/about-aabb/history.

[6] THE EUROPEAN PARLIAMENT AND THE COUNCIL OF THE EUROPEAN UNION. Regulation(EU)2024/1938 of the European Parliament and of the Council of 13 June 2024 on standards of quality and safety for substances of human origin intended for human application and repealing Directives 2002/98/EC and 2004/23/EC[EB/OL]. (2024-06-13)[2026-05-20]. https://eurlex. europa. eu/legal-content/EN/TXT/? uri = CELEX%3A32024R1938&qid=1769776682534.

[7] 王鸿捷, 郭永建. 血液机构质量管理规范/良好实践国际协调的现状与启示[J]. 中国输血杂志, 2026,39(5):689-698.
WANG H J, GUO Y J. Current status and implications of international harmonized good practices for blood establishments[J]. Chin J Blood Transfusion, 2026, 39(5):689-698.

[8] European Medicines Agency. Advanced therapy medicinal products: overview[EB/OL]. (EMA, undated)[2026-05-20].
https://www. ema. europa. eu/en/human-regulatory-overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview.

[9] ISBT. ISBT strategic plan 2026-2030[EB/OL]. (2026-04-24)[2026-05-20]. https://www. isbtweb. org/documents/isbt-strategy-2026-2030.

[10] 国家药品监督管理局食品药品审核查验中心. 细胞治疗产品生产检查指南[S]. 2025-01-13.
Center for Food and Drug Inspection of NMPA. Guidelines formanufacturing inspection of cell therapy products[S]. 2025-01-13.

[11] 关健.《生物医学新技术临床研究与临床转化应用管理条例》执行挑战与难点[J]. 中华医学科研管理杂志,2026,39(1):1-4.
GUAN J. Challenges and difficulties in implementing the Regulation on the Clinical Research and Clinical Translation Practice of New Biomedical Technologies[J]. Chin J Med Sci Res Manag,2026,39(1):1-4.

[12] 汤红明.《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》的深度思考:机遇、挑战及实施路径[J]. 中华细胞与干细胞杂志(电子版),2026,16(1):56-62.
TANG H M. A deep thinking on the Regulations on the Clinical Research and Clinical Translation Application of New Biomedical Technologies: opportunities, challenges and implementation pathways[J]. Chin J Cell Stem Cell,2026,16(1):56-62.

(2026-06-12 收稿,07-10 修回,07-15 接收)

本文编辑:闻欣