

干细胞治疗药品，为什么今年才上市第一款？

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/31151.html>

本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

干细胞治疗药品，为什么今年才上市第一款？。科技日报记者 张佳星

干细胞成为药品前，需开展临床前及临床、生产工艺等方面研究，首款干细胞治疗药品的上市，意味着我国在这方面已趋完善，法规体系也逐步建立。1月4日，国家干细胞重大研发专项专家组副组长、解放军总医院老年医学研究所原所长王小宁告诉科技日报记者，此前干细胞治疗技术（非血液领域）是按药品审批还是按医疗技术备案，一直是业内热议的话题。此次上市意味着已经走通按药品获批之路。

1月2日，国家药监局通过优先审评审批程序附条件批准我国首款干细胞治疗药品艾米迈托赛注射液上市，用于治疗14岁以上消化道受累为主的激素治疗失败的急性移植物抗宿主病。

更好把握干细胞的不确定性

因具有多能性，干细胞一直被认为具有修复和替代机体受损细胞和组织的能力。

和药品不同，干细胞是‘活’的。王小宁表示，由于其活的特性，导致适用于药物的一系列指标体系需要重建。

药品获批需要毒理评价、有效性评价等一套完整的评价数据，而如何对干细胞开展毒理评价、安全性评价、药效学评价等，是干细胞治疗发展起来之后需要攻克的科学问题。王小宁介绍，例如化学药物，大分子药物的临床剂量，用法都是基于其在人体内的半衰期。细胞药物，包括干细胞药物进入人体后不仅不衰减，还可能增殖，在每个个体内的生长衰退曲线难以一概而论，是细胞药物应用的最大挑战。

王小宁形象地将干细胞治疗与患者机体环境比喻为种子与土壤的关系。

干细胞本身就具有异质性，其在不同个体中的有效性较难把握。王小宁说，种子很好，但如果转入的机体环境不适合其发挥效果，也可能难以产生疗效。

针对一系列新问题，国家相关部门开展了一系列检定、监管科学的研究，并将其转化为研发指引以及有针对性的指导原则，帮助企业提高研发质效。例如，药品审评中心2024年1月12日发布的《间充质干细胞防治移植物抗宿主病临床试验技术指导原则》等，成为推进我国药品监管科学化、法治化、现代化制度的重要组成。

干细胞治疗发展蓬勃仍有问题待解

人们对‘通用型干细胞’往往产生误解，认为它什么病都能治。事实上，通用型指的是干细胞供体不受限，能够提供给不同的受体患者使用。王小宁提醒，公众应该了解干细胞的异质性。值得一提的是，细胞治疗的有效性预判仍旧是制约细胞治疗行业发展的的问题之一。

干细胞治疗是细胞治疗的一大类，其他已经上市的细胞治疗产品，如CAR-T细胞治疗等也都面临疗效‘因人而异’的问题。王小宁说，正因为如此，国际药企多会采用无效不收费或费用减半的方式来进行服务。

出现这一问题，归根结底是基础研究对细胞治疗的作用机理阐释还不够透彻。在王小宁看来，化学药品对哪些适应症有效，可以根据分子基团判断，对干细胞药品，也应该可以根据干细胞细化的细胞学特征进行预判。

王小宁建议，当前单细胞组学技术已经发展起来，应开展干细胞生物学表征的深入研究，找到干细胞标记物与治疗有效性之间的对应关系。

例如回答带有哪些特定标志物的干细胞亚群对于自身免疫疾病治疗有效，哪些亚群对于糖尿病有效等问题。王小宁说。

此外，我国也在持续探索干细胞双轨制管理模式，即在将干细胞产品纳入药品管理的同时，也将干细胞临床研究视为医疗技术进行管理。例如，海南出台《海南自由贸易港博鳌乐城国际医疗旅游先行区生物医药新技术促进规定》将于今年2月起执行，鼓励先行区内开展细胞治疗、基因治疗、组织工程等生物医药新技术临床研究、转化应用等活动，也顺应了治病为中心向健康为中心需求的转变。

海南的制度探索对促进干细胞治疗有积极的推动作用，也是法规科学适应医学新范式的一个尝试，但执行落地还会有很多挑战。王小宁表示，随着技术进步，科学范式的转变，法规科学的变革，我国干细胞等具有治疗和健康促进双重效应的新型健康产业技术发展的环境越来越好，必将成为保障人民健康，拉动内需，促进理性消费的重要新质生产力。

作者：张佳星 来源：科技日报

更多 科学进展 请访问 <https://www.iikx.com/news/progress/>

本文版权归原作者所有，请勿用于商业用途，[爱科学iikx.com](https://www.iikx.com)转发