

办理结果：解决采纳

公开属性：主动公开·全文

上海市药品监督管理局文件

沪药监提案〔2025〕34号

上海市药品监督管理局对市政协 十四届三次会议第0339号委员提案的答复

姜琦委员：

您提出的关于试点设立基因治疗与核酸药物临床试验办法的提案收悉。经研究，现将办理情况答复如下：

一、以改革为引领，推动基因治疗与核酸药物上市

基因治疗与核酸药物是当前药品研发的热点领域，受到社会各界广泛关注，国家药监部门高度重视、大力支持，积极推进审评审批制度改革。一是加快临床试验审批，目前我国新药临床试验申请已实施60日默示许可制，已有多个基因治疗产品、核酸药物取得默示许可并开展临床试验，明显提高了相关产品的研发

速度。二是建立附条件批准机制，新版《药品注册管理办法》设立了附条件批准上市注册通道，国家药监局已发布《药品附条件批准上市申请审评审批工作程序（试行）》，对于符合条件的品种，企业可按要求提交相关申请。三是完善技术标准，为指导企业规范开展基因治疗类产品的研发，国家药监局药审中心根据基因治疗等特点，组织制定了相关药学、非临床研究以及临床试验技术指导原则。同时，我国转化实施了国际人用药品注册技术协调会（ICH）全部指导原则，相关技术要求与国际通行标准全面接轨。四是优化审评审批流程，新版《药品注册管理办法》将原来的审评、核查和检验由“串联”改成“并联”，提高药品注册效率和注册时限的预期性；设立了突破性治疗、附条件批准、优先审评审批等加快上市注册通道，对符合要求的产品，国家药监局优先配置审评、核查检验等资源，加强技术指导和沟通交流，缩短审评时限，推动相关产品加快上市。五是加强国际合作与监管对接，积极加入国际药品检查合作计划（PIC/S），进一步完善我国药品 GMP 标准，改进我国 GMP 检查体系，推动药品检查员队伍建设，加强国际检查交流合作，促进我国药品监管事业高质量发展。

二、以创新促发展，加快基因治疗与核酸药物研发

上海市药品监督管理局努力当好改革开放排头兵、创新发展先行者，持续探索改革、服务创新。一是加强跨前指导服务。及

时了解本市基因治疗与核酸药物最新研发进展及企业需求，通过“一清单、两优化、三联动”服务机制（建立本市在研重点药物服务清单，优化服务方式、优化工作程序，加强国家、市、区三级联动），根据“提前介入、专人专班、一企一策、全程指导”的原则，快速响应问题需求，加强跨部门协调，积极推动相关产品研发上市。二是加强本市临床研究体系和能力建设。牵头制定《提升本市临床试验质量 助力创新药械研发上市的实施方案》，在“强监管、优服务、提能级、重协同”四个方面提出了 17 项任务举措，营造良好研究生态，以期达到国内领先、国际接轨的临床试验能力水平，从而提升以产品注册上市为目标的临床试验支撑能力和试验质量，加速基因治疗与核酸药物研发进程。三是加强与国家主管部门对接。积极配合国家药监局药品审评检查长三角分中心开展基因治疗类产品相关研发企业调研，收集分析相关产品药学变更等意见建议，为企业提供正确的指引，帮助企业在研发路上“早知道”“早准备”。近年来，本市已有多个基因治疗与核酸药物获批开展临床试验，大大加快了产品研发上市速度。

下一步，我局将继续以改革为引领，以创新促发展，积极为研发机构和企业提供政策和技术指导服务，通过主动对接、提前介入、专业指导、全程服务、加强对药物临床试验机构的监管，推动基因治疗与核酸药物加快上市，助推本市生物医药产业高质量发展。

非常感谢您对生物医药产业的关心，也感谢对药品监管工作的关心和支持。

上海市药品监督管理局

2025 年 5 月 14 日

联系人姓名：顾蔚

联系电话：54909082

联系地址：宜山路 728 号

邮政编码：200233