

# 《细胞和基因治疗产品临床相关沟通交流技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

## 一、背景和目的

细胞和基因治疗产品的临床研究进展迅速，申请人与药品审评中心（以下简称药审中心）的沟通交流数量也与日俱增。为提供细胞和基因治疗产品临床相关沟通交流申请时的资料准备和关键质量因素的考虑，提高沟通交流效率，助力细胞和基因治疗产品的临床研究顺利推进，药审中心组织起草了本指导原则。

## 二、起草过程

### （一）起草前期调研论证情况

本指导原则由生物制品临床部牵头，纳入了《药审中心2023年指导原则制修订计划》。于2023年2月至4月对国内外细胞和基因治疗产品临床试验设计、与监管机构的沟通交流等相关指南进行了调研。

### （二）指导原则制定或修订情况

在前期调研论证过程中，起草小组召开研讨会，对调研内容和指导原则基本框架进行讨论，形成了基本框架和主要考虑要点，并于2022年4月底形成初稿。5月至6月起草小组多次召开研讨会，对指导原则逐字逐句进行讨论和修订，形成对中心内部征求意见稿。

2023年6月29日至7月6日，在中心相关审评部门征

求意见，未收到反馈意见。

2023年7月10日，召开部门技术委员会，形成公开征求意见稿。

### **三、起草思路**

首先概述起草背景、目的和适用范围，围绕各种类型或阶段沟通交流的目的、临床试验方案中的重点关注内容、不同细胞和基因治疗产品的特殊考虑等介绍沟通交流的资料要求等方面进行阐述，并列出了针对细胞和基因治疗产品沟通交流的注意事项，最后提供一个示例进行展示。

该指导原则与国内外相关技术要求较为一致。

本指导原则适用于细胞和基因治疗产品。本指导原则实施后能立即见效，有助于指导细胞和基因治疗产品基于临床试验的沟通交流申请，提高沟通交流的质量与效率。

### **四、主要内容**

本指导原则的主要内容分为四个部分，分别是概述、沟通交流的关注内容、注意事项、示例等。

### **五、需要说明的问题**

本指导原则适用于细胞和基因治疗产品基于临床试验方案的沟通交流。本指导原则的制定是建立在相关品种审评和沟通交流的经验基础上，品种审评尺度与该指导原则基本一致。