**干细胞临床研究备案常见问题**

**1、什么是干细胞临床研究备案？**

为了规范由医疗机构发起的干细胞临床研究，2015年7月国家卫生计生委和国家食药监总局（以下简称“国家两委局”）共同颁布了《干细胞临床研究管理办法（试行）》（国卫科教发〔2015〕48号）（以下简称“管理办法”）和《干细胞制剂质量控制及临床前研究指导原则》（国卫办科教发〔2015〕46号）（以下简称“指导原则”）。按照管理办法的要求，医疗机构开展干细胞临床研究项目前，应当将备案材料由省级卫生计生行政部门会同食品药品监管部门审核后向国家卫生计生委与国家食品药品监管总局备案。

**2、干细胞临床研究与干细胞产品注册临床试验有什么不一样？**

干细胞临床研究是由研究者发起，开展干细胞临床研究的医疗机构是干细胞制剂和临床研究质量管理的责任主体。干细胞产品注册临床试验是由申办者发起，目的是为了产品注册上市，申办者是干细胞制剂和临床试验的责任主体。

**3、干细胞临床研究怎么备案？**

医疗机构如果拟开展干细胞临床研究，须按照管理办法的要求，首先完成机构备案。完成干细胞临床研究机构备案后，在开展干细胞临床研究项目前，还需按照管理办法的要求，完成项目备案后方可实施。

**4、干细胞临床研究的机构备案怎么做？**

按照国家卫生健康委和国家药监局《关于做好2019年干细胞临床研究监督管理工作的通知》（国卫办科教函[2019]169号）的要求，自2019年起，干细胞临床研究机构和项目备案结合进行，不再单独开展干细胞临床研究机构备案。拟开展干细胞临床研究而尚未完成机构备案的医疗机构，应当将完整的机构备案材料和项目备案材料经省级两委局审核后，报国家两委局备案。只有干细胞临床研究机构和项目备案材料同时符合备案要求才可以备案。

**5、干细胞临床研究的机构备案需要准备什么材料？**

干细胞临床研究的机构备案需要按照管理办法附件一的要求提供如下材料：

（1）医疗机构执业许可证书复印件；

（2）药物临床试验机构资格认定证书复印件；

（3）机构干细胞临床研究组织管理体系（框架图）和各部门职责；

（4）机构干细胞临床研究管理主要责任人、质量受权人资质，以及相关人员接受培训情况；

（5）机构学术委员会和伦理委员会组成及其工作制度和标准操作规范；

（6）干细胞制备标准操作规程和设施设备、人员条件；

（7）干细胞临床研究质量管理及风险控制程序和相关文件（含质量管理手册、临床研究工作程序、标准操作规范和试验记录等）；

（8）干细胞临床研究审计体系，内审、外审制度，内审人员资质；

（9）干细胞质量评价标准和检测设备设施情况；

（10）防范干细胞临床研究风险的管理机制和处理不良反应、不良事件的措施；

（11）其他相关材料。

**6、什么样的机构可以开展干细胞临床研究备案？**

按照管理办法第七条的规定，开展干细胞临床研究的医疗机构应当具备以下七项条件：

（1）三级甲等医院；

（2）依法获得相关专业的药物临床试验机构资格;

（3）具有较强的医疗、教学和科研综合能力；

（4）具备完整的干细胞质量控制条件和全面的干细胞临床研究质量管理体系和独立的干细胞临床研究质量保证部门；建立干细胞制剂质量受权人制度；具有完整的干细胞制剂制备和临床研究全过程质量管理及风险控制程序和相关文件；具有干细胞临床研究审计体系；

（5）干细胞临床研究项目负责人和制剂质量受权人须具有正高级专业技术职称，主要研究人员经过药物临床试验质量管理规范（GCP）培训；

（6）具有与所开展干细胞临床研究相适应的学术委员会和伦理委员会；

（7）具有防范干细胞临床研究风险的管理机制和处理不良反应、不良事件的措施。

**7、完成干细胞临床研究机构备案后，医疗机构就可以自行开展干细胞临床研究吗？**

医疗机构在完成干细胞临床研究机构备案后，如果拟开展干细胞临床研究项目，应在项目开展前将完整的干细胞临床研究项目备案材料由省级两委局审核通过后向国家两委局备案。干细胞临床研究项目完成备案后方可实施，医疗机构不可自行开展任何未完成备案的干细胞临床研究。

**8、干细胞临床研究的项目备案怎么做？**

干细胞临床研究项目负责人应按照管理办法的要求准备项目备案材料，通过机构学术委员会和伦理委员会审查，完成机构内干细胞临床研究立项审查程序并立项后，将完整的项目备案材料经省级两委局审核通过后报国家两委局备案。

**9、干细胞临床研究项目备案需要准备什么材料？**

按照管理办法第三章第二十四条要求，干细胞临床研究项目备案时需要提供如下材料：

（1）按照管理办法附件二的要求提供项目立项备案材料；其中干细胞临床研究伦理审查申请表按照管理办法附件三的要求提供；

（2）机构学术委员会审查意见；

（3）按照管理办法附件四的要求提供机构伦理委员会审查批件；

（4）所需要的其他材料。

**10、什么样的干细胞临床研究项目可以备案？**

干细胞临床研究必须具备充分的科学依据，且预防或治疗疾病的效果优于现有的手段；或用于尚无有效干预措施的疾病，用于威胁生命和严重影响生存质量的疾病，以及重大医疗卫生需求。用于研究的干细胞制剂质量可靠，并已经完成临床前研究；研究设计科学、可行，风险可控，主要研究人员资质符合要求，研究经费充足；符合伦理规范并通过伦理审查。

**11、已经完成干细胞临床机构备案，项目备案申报时还需要提供机构备案材料吗？**

医疗机构已经完成干细胞临床研究机构备案，需要在医学研究登记备案信息系统进行信息公开。按照国家卫生健康委和国家药监局《关于做好2019年干细胞临床研究监督管理工作的通知》（国卫办科教函[2019]169号）的要求，在2020年底以前仍无备案项目的机构，在申报项目备案时需要重新提供机构备案材料。

**12、项目负责人准备好备案材料就可以直接提交了吗？**

项目负责人准备好备案材料后，首先应按机构内干细胞临床研究立项程序，通过机构学术委员会和伦理委员会审查，完成机构立项后，将完整的项目备案材料经省级两委局审核通过后报国家两委局备案。

**13、备案材料准备好了在哪里提交？**

按照国家两委局《关于做好2020年干细胞临床研究监督管理工作的通知》（国卫办科教函[2020]107号）的要求，自2020年起，凡申报干细胞临床研究机构和项目备案的医疗机构，均应当在医学研究登记备案信息系统（网址：114.255.48.20，以下简称“信息系统”）中填报并提交备案材料。

**14、在网上提交备案材料时需要同时提交纸质和电子备案材料吗？**

在网上提交备案材料时，除省级行政管理部门要求外，暂不需要同时提交纸质和电子备案材料。经国家干细胞临床研究专家委员会审核，备案材料符合备案要求后，再将符合要求的申报材料的纸质版和光盘各一式一份快递至国家干细胞专家委员会秘书处，地址：北京市东城区广渠家园2号楼十层1013室，中国医药生物技术协会，电话：（010）62115986。

**15、网上提交备案材料时，需要签名、盖章的文件材料如何提供？**

凡要求签名、盖章的文件或表格，以及省级两委局审核的公函，均应将原件扫描后上传PDF格式的文件。经审核符合备案要求后，原件请随纸质版提交。

**16、备案材料准备好了何时提交？**

备案材料准备完毕即可随时在信息系统中提交。国家两委局每个季度组织一次干细胞临床研究专家委员会和伦理委员会对机构和项目备案材料进行审核。每个季度收取备案材料的截止时间为每个季度第二个月的最后一天24时，医疗机构需在此之前将备案材料由省级两委局审核通过后线上提交至国家两委局，超过时限的备案材料将归入下一季度审核。

**17、申报备案后如何知道备案已经成功？**

符合备案要求的项目将在信息系统中对外公布，医疗机构和项目负责人也可通过登录信息系统进行查询。请务必认真、完整填写项目信息部分内容，确保信息准确，以便对外公开。

**18、如何获知备案材料审核意见？**

备案材料经国家两委局组织专家审核后，审核意见将通过信息系统进行反馈，医疗机构和项目负责人可通过登录信息系统进行查看。也可关注“中国医药生物技术协会”微信公众号，了解干细胞临床研究备案公开信息。

**19、备案不成功还能再报吗？**

备案不成功可根据专家审核意见进行修改和补充后再次提交申报材料，再次提交时请确保已按照专家审核意见全部进行了修改和补充，上传材料补正说明文件，对上一次提出的修改和补充意见逐一进行回应，并说明修改和补充材料所在位置。

下列情况，请不要再次提交：

（1）超出管理办法适用范围；

（2）不具备开展干细胞临床研究的资质；

（3）严重违背伦理准则；

（4）国家禁止开展的。

**20、对备案材料的要求有疑问怎么办？**

对备案材料的要求有疑问，请浏览中国医药生物技术协会官方网站www.cmba.org.cn干细胞备案栏目，自行下载“干细胞临床研究项目备案材料的补充说明”，参考相关要求。在提交备案材料前也可下载“干细胞临床研究项目备案材料审核要点（试行）”，自行对拟提交的备案材料进行评价，以保证需要提交的材料全面、准确。