

附件 2

## 团体标准

# 《人脐带间充质干细胞来源外泌体临床研究管理规范》

Clinical research management specifications for exosomes derived from human  
umbilical cord mesenchymal stem cells

## 编 制 说 明

标准起草组

中关村玖泰药物临床试验技术创新联盟

2026—04—09

# 《人脐带间充质干细胞来源外泌体临床研究管理规范》

## 编制说明

### 一、前言

本文件旨在为人脐带间充质干细胞来源外泌体（human umbilical cord mesenchymal stem cell-derived exosomes, hUC-MSC-Exos）的临床研究提供一般性技术建议与管理要求。鉴于 hUC-MSC-Exos 作为一类具备特定生物学活性的细胞外囊泡，其异质性特征显著且功能发挥依赖于制备工艺的稳定性，具体临床研究方案的设计、质量控制策略的制定及风险受益的评估，除应遵循本文件所确立的共性原则外，尚须结合具体研究用制剂的制备工艺特性、非临床药效学与毒理学研究数据、目标适应症的疾病流行病学背景及临床诊疗实际，并参照相关专业领域的指导原则予以个体化考量与确定。

本文件仅代表标准起草组基于当前国内外科学研究认知水平、相关技术审评实践经验及临床应用探索进展所形成的阶段性观点与技术共识。随着对 hUC-MSC-Exos 生物学效应机制研究的持续深入、规模化制备与表征技术的迭代演进，以及临床研究证据链的不断充实与完善，本文件所载内容将适时进行修订、完善与更新。

应用本文件时，建议同步参考《药物临床试验质量管理规范》（GCP）、人用药品技术要求国际协调理事会（ICH）发布的相关指导原则、细胞与基因治疗产品研究与评价相关技术指导原则，以及国际细胞外囊泡学会（ISEV）发布的《细胞外囊泡研究最低信息指南》（MISEV）等国内外现行规范性文件与科学共识。

### 二、工作简况

#### （一）任务来源

为系统规范人脐带间充质干细胞来源外泌体临床研究全过程的技术要求与质量管理行为，有效应对该类新型生物制品在供者筛选、制备工艺控制、质量属性表征、非临床评价及临床风险管控等方面的特殊挑战，保障临床研究数据的科学性与可靠性，切实维护研究参与者权益与安全，推动我国细胞外囊泡类创新生物制品临床研究与转化应用的有序发展，亟需制定具有针对性、可操作性的临床研究管理标准。

基于上述行业发展需求与技术共识，联盟作为在药物及生物医学新技术临床试验领域具有广泛代表性和专业技术影响力的行业组织，联合佳音医院集团股份有限公司，共同提出《人脐带间充质干细胞来源外泌体临床研究管理规范》团体标准的研制立项计划。本文件由联盟归口管理并负责组

建标准研制工作组，全面组织并主导本文件的立项论证、起草撰写、技术研讨、公开征求意见、专家审查及报批发布等全过程工作。佳音医院集团股份有限公司作为联合提出单位，基于其在干细胞临床研究与应用转化领域的实践积累，为本文件的研制提供重要技术支撑与应用场景验证。

## （二）制定背景

人脐带间充质干细胞来源外泌体因兼具组织修复、免疫调节等多重生物学效能，已成为再生医学领域的研究热点，临床探索性研究数量持续攀升。然而，作为一类工艺敏感性高、异质性显著的生物制品，其临床研究的规范化管理仍存在明显短板，集中体现于：

1. 来源与质量管控体系尚未健全。供者筛查标准与伦理审查规范缺位，制备工艺差异性致产品属性界定不清，批次间一致性控制能力不足，“临床级”产品供给匮乏，严重制约研究结论的可比性与可靠性。

2. 临床研究全过程管理规范性有待加强。非临床证据支持不足，方案设计科学性与风险管控策略欠完备，专业人才储备与全周期管理机制薄弱，研究实施的合规性及伦理保障面临挑战。

3. 行业协同与闭环管理机制尚付阙如。各方主体责任边界模糊，关键环节衔接不畅，缺乏高质量、多中心研究数据支撑，影响领域整体公信力与转化应用效能。

鉴于此，立足现行法规框架，结合国内外科学共识与技术指南，制定针对性的临床研究管理标准，对于规范研究行为、保障受试者权益、提升数据质量、促进领域健康有序发展具有迫切性与必要性。

## 三、标准的编制原则

本文件的编制遵循以下原则：

1. 依从性原则。本文件的制定严格遵循《中华人民共和国药品管理法》《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》《药物临床试验质量管理规范》（GCP）等现行法律法规及部门规章的要求，在强制性标准框架下进行细化与补充，确保标准的合法性与合规性。

2. 科学性原则。本文件的编制基于 hUC-MS-C-Exos 的生物学特性及其临床研究的特殊技术需求，广泛参考国内外相关技术指导原则及科学共识，包括国际细胞外囊泡学会（ISEV）发布的 MISEV 指南、细胞治疗产品研究评价相关技术指导原则及人用药品技术要求国际协调理事会（ICH）相关指导原则，确保标准内容的科学性、先进性与适用性。

3. 可操作性原则。本文件在技术指标与管理要求的设定上，充分考虑当前行业技术水平和研究机构的实际条件，力求内容具体明确、要求合理可行，为临床研究发起机构、临床研究机构、研究团队及相关方提供切实可行的技术和管理依据。

4. 开放协调原则。本文件的编制遵循开放、公平、透明和协商一致的程序要求，充分吸纳相关领域专家、利益相关方及社会公众的意见和建议，保障标准的代表性与广泛共识。

#### 四、标准的主要内容

本文件覆盖 hUC-MS-C-Exos 临床研究的全链条关键环节，包括资质条件及职责、基础设施、组织管理、制备质量控制、非临床研究、临床研究方案、伦理合规与研究参与者保护、临床研究管理等，构建覆盖从实验室研究到临床研究的系统化管理框架。

#### 五、重大分歧意见的处理与依据

本文件起草过程中，未产生重大分歧意见。

#### 六、实施本文件的建议

本文件发布后，建议各相关主体结合自身职能定位与研究实践，参照执行：

(1) 开展 hUC-MS-C-Exos 临床研究（研究者发起）的发起机构、临床研究机构及研究团队，宜将本文件相关要求嵌入研究方案设计、项目实施、质量管控及数据管理的全过程，确保研究行为的规范性与合规性。

(2) 承担 hUC-MS-C-Exos 制备、检验与放行的机构或实验室，宜以本文件为依据，建立或完善制备工艺控制、质量表征及批放行检验的技术标准与操作规程，保障研究用产品的质量一致性。

(3) 负责科学性审查与伦理审查的相关委员会，宜将本文件作为审查评价的重要技术参考，重点关注研究方案的合理性、风险管控措施的有效性及受试者权益保障的充分性。

(4) 相关监督管理部门在对 hUC-MS-C-Exos 临床研究活动开展监督检查时，可将本文件作为技术评估与合规判断的参考依据之一。

应用本文件时，应充分关注适用范围条款的限定。对于以产品注册为目标的临床试验、已获上市批准后的临床应用、经过基因修饰或复杂体外处理的 hUC-MS-C-Exos、其他组织来源间充质干细胞外泌体，以及体外诊断用途等不适用情形，建议参照相应领域的专项法规与技术指导原则执行。

建议各方在实施本文件过程中，加强跨机构、跨环节的沟通协作与信息共享，推动形成闭环管理体系。同时，鼓励在实践应用中积累经验与数据，为后续标准的修订完善提供实证支撑，共同促进行业规范化水平的持续提升。

#### 七、其他应予说明的事项

无。