

生物产业动态

2015 年 第八期

(总第八十四期)

东莞市生物技术产业发展有限公司

目 录

国际动态.....	1
响应“精准医疗” FDA 要建立基因大数据共享平台！	1
十大最赚钱的生物技术药物	2
赛诺菲与 EVOTEC 达成上亿合作，利用干细胞开发糖尿病新疗法.....	4
3D 打印技术在生物医药领域应用情况分析	5
国内动态.....	8
勃林格殷格翰中国生物制药基地建设取得重要进展 创新模式推动上海科创中心 建设.....	8
国务院关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见.....	10
浅谈生物质能及其发电技术	15
用猪的眼角膜看世界，你愿不愿意？	18
专题报告——细胞治疗.....	20
全球干细胞治疗市场发展概况.....	20
细胞治疗产业链所有“关键点”	23
细胞治疗：生物医药产业下一个风口	42

国际动态

响应“精准医疗” FDA 要建立基因大数据共享平台！

随着奥巴马政府精准医学计划的提出，个性化诊断、基因测序等概念又一次变得炙手可热。然而，随着技术的日趋成熟，众多检测方法对 FDA 提出了尽快适应形势的要求。为了与精准医学计划相呼应，FDA 计划建立一个名为“精准 FDA”（precisionFDA）平台。最近，著名的生物信息学公司 DNAnexus 公司与 FDA 签订了第一份合作协议，可被看做是向前迈出了重要一步。尽管这次协议涉及的金额可以说是少的可怜，仅为 85 万美元，但是合约双方都认为这是十分重要的一步。

DNAnexus 将要打造的这个名为“精准 FDA”的平台是一个为研究人员、新一代测序技术开发者等提供存放和共享基因信息的云工具。FDA 官员 Kass-Hout 将这一工具比作软件行业的常用平台 GitHub，在这里软件工程师们可以编写并上传自己的软件，供他人学习使用，同时在这一网站上找到自己需要的程序。与之类似的，“精准 FDA”平台将帮助基因测序开发者上传自己的研究成果，并与其他研究人员共享自己获得的基因组信息。其他研究团体可以通过“精准 FDA”平台分享使用、重复和验证他人的研究成果，并最终对某种特定的研究进行可重复性验证。

这一平台的诞生意味着 FDA 以一个较为统一的标准评估以 DNA 测序为基础的检测方法成为了可能。

Kass-Hout 同时强调，FDA 并无意将“精准 FDA”平台作为现有管理体系的一部分，而是要通过吸引众多基因检测方法开发者的方式将制定游戏规则的权利交给所有开发者。FDA 设想，通过该平台共享基因数据后，来自世界各地的研究人员将可以更好地判断哪种测试方法是最有效的，而 FDA 也可以根据这一结果对未来诊断方法开发进行更高效的管理。

现有的众多分子诊断方法，都是基于实验室条件下开发的，经常是各不相同。这也为临床应用造成了一系列问题。例如如何来利用这些测序结果来判断一个癌症患者适不适合进行化疗？携带有某个乳腺癌突变基因的患者是否要接受预防

性手术？公司如何开展临床研究，并最终说服 FDA 以证明其结果的有效性？这些都亟需业界能够提供一个统一有效的管理标准。

事实上，早在数年前 FDA 就已经预见到以 DNA 测序为基础的分子诊断的蓬勃发展需要 FDA 相适应的改变管理方法，并向美国国会申请进行相应调整。然而美国国会的一些议员担心这种扩大 FDA 职能的做法可能会造成行政机构的权力过大并导致这些创新型诊断方法通过审批所花费的金钱和时间成本大大增加。而如今，“精准 FDA”平台的建立有望解决这一问题。

DNAnexus 公司的 Omar Serang 则希望未来这一平台能够达到两种效果。第一，越来越多的基因诊断开发者参与进来，使得平台中出现越来越多更好的标准基因组信息。众多开发者可以通过比对患者基因数据和这些标准基因组信息来确定某种基因的突变型。第二，通过基因数据的共享，来自世界各地的研究人员将可以反复检验某种方法所提供的结果是否可靠，并最终形成一个大家公认的“金标准”。

不过，Omar Serang 同时也承认，在开发“精准 FDA”平台中也面临着极大挑战。其一是如何说服众多的开发者认同这一计划，因为没有开发者参与的“精准 FDA”平台无异于一个废物；其二是如何尽快完成平台架构，并于明年推出首个测试版本。

如今，分子诊断已经成为生物医药产业不可逆转的趋势。个性化诊断将使个性化医疗真正成为现实。而 FDA 的未雨绸缪无疑是为这一领域的健康发展上了一个保险。

十大最赚钱的生物技术药物

7 月 Nature Biotechnology 杂志盘点了过去一年里生物技术产业发展的方方面面，虽然在这一年里生物技术产业界发生了震荡，但是包括股票市场表现，药物获批，新公司出现等多项数据均表明，生物技术产业依然在蓬勃发展中。

Nature Biotechnology 统计了“十大最赚钱的生物技术药物”，排在第一的 Humira 是全球第一个获批的抗肿瘤坏死因子 TNF- α 药物，也就是说这就是世界上最赚钱的药物，而且这种药物的销售还处于上升期，目前 Humira 获 FDA 批

准的适应症达 8 个之多。其中就包括 2014 年 9 月份获批的第八个适应症儿科克罗恩病以及批准适用更大使用年龄范围的儿科多关节型幼年特发性关节炎等。

其次是 Gilead Sciences 公司的 Sovaldi，这种丙肝治疗药物上市仅两年时间，销售额就超过了百亿美元。

2011 年是丙肝治疗的重要分水岭，此前，HCV-1 型患者的标准治疗方法是派罗欣联合利巴韦林，用药 48 周。但这种治疗方法的副作用明显，而有效率却很低，只有 30-40%。

2013 年 Sovaldi 获准用于 2 种慢性丙型肝炎适应症：联合聚乙二醇干扰素和利巴韦林用于成人 HCV 基因 1 型和 4 感染初治患者以及联合利巴韦林用于成人 HCV 基因 2 型和 3 型感染患者，后者是首次获批的不含干扰素的慢性丙肝治疗方案。

排在第三的是抗关节炎药物 Enbrel，Enbrel 是一种采用遗传工程技术制备的蛋白质，其作用机理是通过与肿瘤坏死因子 (TNF) 结合而使之失活，可用于治疗中度和严重类风湿关节炎和强直性脊柱炎等炎症，此次获准的新剂型还可用于治疗 4~17 岁的儿童及青少年患者。FDA 是根据近期完成的一系列涉及到 420 例患者的临床治疗结果而作出该项批准的。这些研究结果证实，经过 8~16 周的治疗，每周注射一次的疗效和每周注射两次的没有任何显著差异，而且患者对新剂型的耐受性也和常规剂型的一致。

十大最赚钱的生物技术药物

药物名称	公司名称	分子类型	批准说明	2014全球销售额(\$ millions)	
				US	Worldwide
Humira	AbbVie	mAb	RA, juvenile RA, Crohn's disease, PA, psoriasis, ankylosing spondylitis, UC, Behçet syndrome	6,524.00	12,543.00
Sovaldi	Gilead Sciences	Small molecule	Hepatitis C (antiviral)	8,506.80	10,282.70
Enbrel	Amgen	Protein	RA, psoriasis, ankylosing spondylitis, PA, juvenile RA	4,404.00	8,940.10
Lantus (insulin glargine injection)	Sanofi	Peptide	Diabetes mellitus, type I; diabetes mellitus, type II	5,599.80	8,411.30

Remicade (infliximab)	Johnson & Johnson	mAb	RA, Crohn's disease, psoriasis, UC, ankylosing spondylitis, Behçet syndrome, PA	4,155.00	7,186.50
Avastin (bevacizumab)	Roche	mAb	Colorectal cancer, breast cancer, non- small cell lung cancer, renal cell cancer, ovarian cancer, brain cancer (malignant glioma; AA and GBM), cervical cancer	2,932.50	7,013.60
Herceptin (trastuzumab)	Roche	mAb	Breast cancer, gastric cancer	2,149.30	6,862.10
Revlimid	Celgene	Small molecule	Multiple myeloma, myelodysplastic syndrome, mantle cell lymphoma (NHL)	2,915.20	4,979.70
Gleevec (imatinib mesylate)	Novartis	Small molecule	Chronic myelogenous leukemia, gastrointestinal stromal tumor, acute lymphocytic leukemia, hypereosinophilic syndrome, mastocytosis, dermatofibrosarcoma protuberans,	2,170.00	4,746

赛诺菲与 Evotec 达成上亿合作，利用干细胞开发糖尿病新疗法

法国制药巨头赛诺菲（Sanofi）近日与 Evotec 公司进一步深化战略合作，将利用人类干细胞生产功能性人 β 细胞，进而开发 β 细胞替代疗法。此外，双方还将利用人 β 细胞开展高通量药物筛选，鉴定可激活 β 细胞的小分子药物或生物制剂，开发 β 细胞调节性新型糖尿病药物，这类药物有望减少或消除注射胰岛素的需求。目前，全球糖尿病患者多达 3.87 亿，而 β 细胞在糖尿病的发病机制中发挥关键作用。

根据协议，Evotec 将收到一笔 300 万欧元（约合 330 万美元）的预付款，同时有资格获得总额高达 3 亿欧元（约合 3.28 亿美元）的开发、监管、商业化里程碑款。此次合作，建立双方在去年达成的研发联盟之上，将扩大现有合作范围，并巩固已达成的密切关系。在去年的联盟中，赛诺菲将在未来 5 年向 Evotec 提供至少 2.5 亿欧元（约合 2.75 亿美元），而 Evotec 将为赛诺菲提供长期的新药研发服务，将赛诺菲处于发现阶段的一系列候选药物推进至临床前开发，双方还将联合推进肿瘤相关产品组合的投资项目。

以干细胞为基础的药物发现及开发，一直是治疗创新领域的尖端科技。利用人类干细胞产生功能性人 β 细胞，将消除糖尿病研究领域人 β 细胞在数量和可用性方面的局限，同时将成为干细胞生物学应用到糖尿病临床治疗工作的重大尝试。

无独有偶，英国制药巨头阿斯利康（AZN）早在去年就已联手哈佛干细胞研究所（HSCI），将一种干细胞制造人类 β 细胞的突破性技术，用于其化合物文库的筛选，寻找可恢复 β 细胞活力的潜在新药。

胰岛 β 细胞与糖尿病的关系：

胰岛 β 细胞是胰岛细胞的一种，属内分泌细胞，约占胰岛细胞总数的70%，能分泌胰岛素，起调节血糖水平的作用。胰岛 β 细胞功能受损，会导致胰岛素分泌绝对或相对不足，从而引发糖尿病。

在1-型糖尿病（T1D）患者体内，胰岛 β 细胞被自体免疫系统所摧毁，患者必须终生注射胰岛素来维持正常的血糖水平。而在2型糖尿病（T2D）患者体内，胰岛 β 细胞功能受损，无法完全模拟正常 β 细胞的血糖控制。

另外，2型糖尿病是一种逐渐性疾病，而当前治疗方案都无法阻止 β 细胞功能的减退，导致患者最终需要注射胰岛素。因此，恢复 β 细胞质量、减少或消除注射胰岛素的需求、防止或逆转 β 细胞功能下降等方面，存在着巨大的医学挑战。

3D 打印技术在生物医药领域应用情况分析

根据 Researchmoz 研究公司 107 页的报告显示，中国 3D 打印产业 2015 年初已达到 37 亿人民币，预计 2016 年将达到 100 亿。2013 年底。全球 3D 产业总值 40 亿美元，2014 年上涨 40% 达 78 亿美元，2010 年至 2013 年共上涨 32%。中国一共拥有 8.7% 的 3D 打印机，专利数位居世界第三。

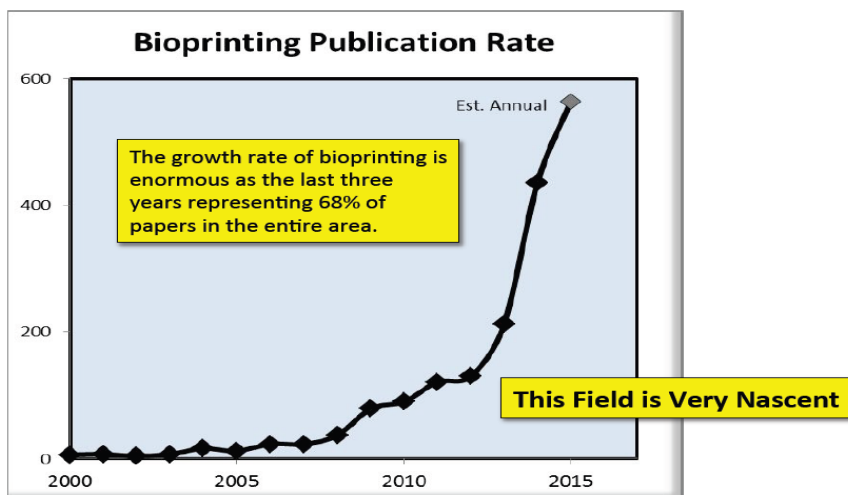
虽然 3D 打印技术很新，但发展迅速，在生物医药领域应用广泛。此次报告总共分析了截至 2015 年 6 月发表的 1536 篇文献。在关于 3D 打印的论文中，大部分内容为学术研究类，商业类相对较少。论文作者集中在美国、欧洲和亚洲，其余地区相对较少。

Biofabrication 成立于 2009 年，尽管杂志很年轻，但在生物医学工程、生物材料排名前 10，3D 打印类文章大部分出自这本杂志。

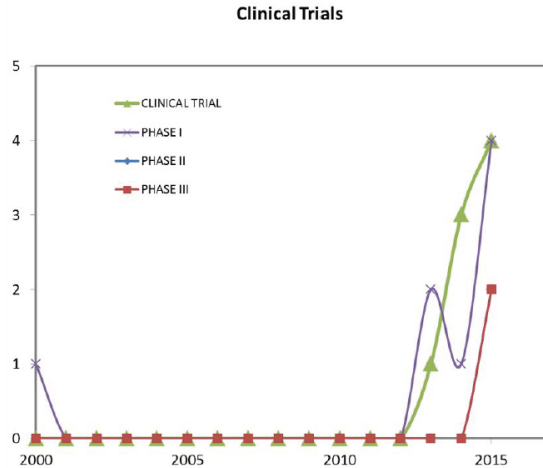
These are the most active journals.

Journal Name	No. of Papers
1 BIOFABRICATION	268
2 LAB CHIP	58
3 ADV. MATER. WEINHEIM	40
4 BIOMATERIALS	38
5 ACTA BIOMATER	28
6 LANGMUIR	25
7 ANAL. CHEM.	20
8 TISSUE ENG PART C METHODS	19
9 ZHONGGUO XIU FU CHONG JIAN WAI KE ZA ZHI	19
10 SCI REP	17
11 TISSUE ENG PART A	16
12 ADV HEALTHC MATER	16
13 J VIS EXP	16
14 BIOTECHNOL. BIOENG.	16
15 ACS NANO	15
16 ACS APPL MATER INTERFACES	15
17 J MATER SCI MATER MED	15
18 J. BIOMED. MATER. RES. PART B APPL. BIOMATER.	14
19 PLOS ONE	14
20 J BIOMED MATER RES A	13
21 MATER SCI ENG C MATER BIOL APPL	12
22 SMALL	12
23 METHODS MOL. BIOL.	11
24 J TISSUE ENG REGEN MED	10
25 CONF PROC IEEE ENG MED BIOL SOC	9

自 2000 年以来，关于生物打印技术论文开始发表，但在 2005 年以前，论文数量一直保持较低水平。2010 年后，大量研究论文涌现，在近三年达到井喷，占总论文数 68%。



在 3D 打印使用的材料中，水凝胶、胶原蛋白、纸，三个领域发展最为迅速。纳米纤维、聚乙烯、聚乙二醇、几丁质等高分子材料稳步上涨，聚酯、交联剂发展迟缓。



这次报告仅仅从广度上分析了 3D 医药领域的一些现象，并不深入。生物打印虽然还很年轻，但发展十分迅速。细胞、组织、材料的研究将进一步推动这一领域的发展。研发公司在骨架材料的投入还将继续。3D 打印将为一些疾病治疗带来希望，今后将服务于更多的疾病。

国内动态

勃林格殷格翰中国生物制药基地建设取得重要进展 创新模式推动上海科创中心建设

● 生产制造大楼今日交接，标志着勃林格殷格翰中国生物制药基地建设的重要里程碑

● 预计于 2017 年一季度正式投入生产

● 基地有望在政府支持下启动生物医药合同生产试点项目，并被列入 2015 年上海市政府工作报告以及《上海推进科创中心建设 22 条意见》

中国上海，2015 年 8 月 21 日- 德国制药巨头勃林格殷格翰与上海张江生物医药基地开发有限公司今天宣布，双方合作建设的勃林格殷格翰中国生物制药生产制造大楼顺利交接。该大楼的交接标志着勃林格殷格翰中国生物制药基地建设进程迈出了重要一步，对上海生物医药产业化发展具有重要作用，并将加快上海建设具有全球影响力的科创中心的步伐。

上海张江生物医药基地开发有限公司总经理王兰忠先生表示：“今天，我们很高兴能将生产制造大楼顺利地交接给勃林格殷格翰公司，相信勃林格殷格翰很快就能引入与国际接轨的专业设备、工艺、技术和标准，这将有利于推动我们张江一大批研发型企业创新成果的快速产业化，为上海和中国的生物制药产业的进一步发展创造条件。”

勃林格殷格翰大中华区总裁兼首席执行官潘大为先生表示：“生物制药是我们的核心业务之一，我们希望通过生物制药基地帮助更多的中国生物制药企业生产和上市创新的生物制药产品，使中国患者获得高质量的创新生物制药。”

“生物制药生产制造大楼的顺利交接是我们在中国生物制药业务的重大进展。”勃林格殷格翰生物药业(中国)有限公司总经理罗家立博士表示，“我们希望进一步加快生物制药基地的建设，并在有关政府部门的支持下启动生物医药合同生产试点，将原本生物制药产业链中的‘生产瓶颈’变成‘服务平台’。药物研发型企业只需专注在创新药物本身的开发，而药物生产企业会专注商业化生产工艺和质量控制，从而帮助研发企业的在研新药实现产业化，并使其价值最大化。”

生物制药是上海和国家“十二五”规划的重点发展产业。生物医药合同生产作为一种新业态新模式，已经被列入 2015 年上海市政府工作报告以及最新公布的《上海推进科创中心建设 22 条意见》中，将助力上海生物医药的创新战略。

2013 年，勃林格殷格翰携手上海张江生物医药基地开发有限公司打造跨国药企在中国的第一个且目前唯一的具有国际标准的生物制药基地。生产制造大楼作为基地的重要组成部分，是由上海张江生物医药基地开发有限公司根据勃林格殷格翰生物制药的国际化标准要求量身定制的。通过该基地，勃林格殷格翰希望成为中国首个国际性的生物制药合同生产方案的提供者，为客户提供从生产工艺开发、临床研究样品到商业供应的全方位服务。

2015 年 6 月，勃林格殷格翰与浦东新区政府签署《关于促进生物制药制造产业的谅解备忘录》，公司计划在未来五年持续投入超过一亿欧元的资金，用于中国生物制药基地的建设和运营。目前基地用于毒理学研究样品生产及早期临床供应的中试车间已投入运营，商业供应预计于 2017 年一季度正式投入生产。

关于勃林格殷格翰

勃林格殷格翰集团是全球领先的 20 个医药公司之一，总部位于德国的殷格翰，全球拥有 146 家分支机构，员工总数超过 47,700 名。自 1885 年成立以来，该家族企业一直致力于研究、开发、生产和销售在人用药品和动物保健领域具有较高治疗价值的新药。2014 年勃林格殷格翰公司的净销售额为 133 亿欧元，公司将其最大业务—处方药业务销售额的 19.9%投入于研发。

勃林格殷格翰生物制药业务包括三大支柱：合同生产，生物类似药和生物创新药。作为世界上最大的生物制药合同生产商之一，公司已经将 23 种生物制药产品推向市场，已有的生物制药工厂分布于比布拉赫（德国）、维也纳（奥地利）和弗里蒙特（美国），位于中国上海的生物制药基地正在建设中；公司已经建立了生物类似药业务部门，专注于公司所有的生物类似药的研发和商业化，同时，生物制药业务部门还将为公司自身提供针对生物创新药的生产流程和分析方法。

关于上海张江生物医药基地

张江生物医药基地是张江高科技园区发展生命科学的区域，启动于 1994 年，由国家科技部、卫计委、食药监总局、中科院等与上海市政府在 1996 年签约共建，已集聚了 500 多家生物医药领域相关机构与企业，涵盖跨国制药企业研发总部、科研院所、大型医药企业、中小研发企业、CRO 公司、公共服务平台等。其开发主体为上海张江生物医药基地开发有限公司。

近年来，张江生物医药基地以研发创新为核心驱动力，形成了从新药探索、药物筛选、药理评估、临床研究、中试放大、注册认证、量产到药品上市的完整产业链，已成为国内研发机构最集中、创新实力最强、新药创制成果最多的标志性区域。

国家药物审评的数据显示，张江药物品种临床申请获批率是全国平均水平 3 倍以上。已形成药物品种超过 230 个，新药证书超过 50 个，其中一类新药超过 30 个；目前在研创新药物品种超过 190 个，除了其中一大批一类新药成果即将进入产业化阶段，还有超过 10 个品种正在开展国际多中心临床试验。

国家重大新药创制专项的数据显示，张江亦是承担国家重大新药创制科技重大专项课题最多的基地，目前已承担超过 150 个课题。

国务院关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见

各省、自治区、直辖市人民政府，国务院各部委、各直属机构：

近年来，我国医药产业快速发展，药品医疗器械质量和标准不断提高，较好地满足了公众用药需要。与此同时，药品医疗器械审评审批中存在的问题也日益突出，注册申请资料质量不高，审评过程中需要多次补充完善，严重影响审评审批效率；仿制药重复建设、重复申请，市场恶性竞争，部分仿制药质量与国际先进水平存在较大差距；临床急需新药的上市审批时间过长，药品研发机构和科研人员不能申请药品注册，影响药品创新的积极性。为此，现就改革药品医疗器械审评审批制度提出以下意见：

一、主要目标

（一）提高审评审批质量。建立更加科学、高效的药品医疗器械审评审批体系，使批准上市药品医疗器械的有效性、安全性、质量可控性达到或接近国际先进水平。

（二）解决注册申请积压。严格控制市场供大于求药品的审批。**争取 2016 年底前消化完积压存量，尽快实现注册申请和审评数量年度进出平衡，2018 年实现按规定时限审批。**

（三）提高仿制药质量。加快仿制药质量一致性评价，**力争 2018 年底前完成国家基本药物口服制剂与参比制剂质量一致性评价。**

（四）鼓励研究和创制新药。鼓励以临床价值为导向的药物创新，优化创新药的审评审批程序，对临床急需的创新药加快审评。**开展药品上市许可持有人制度试点。**

（五）提高审评审批透明度。全面公开药品医疗器械注册的受理、技术审评、产品检验和现场检查条件与相关技术要求，公开受理和审批的相关信息，引导申请人有序研发和申请。

二、主要任务

（六）提高药品审批标准。将药品分为新药和仿制药。将新药由现行的“未曾在中国境内上市销售的药品”调整为“**未在中国境内外上市销售的药品**”。根据物质基础的原创性和新颖性，**将新药分为创新药和改良型新药**。将仿制药由现行的“仿已有国家标准的药品”调整为“**仿与原研药品质量和疗效一致的药品**”。根据上述原则，调整药品注册分类。仿制药审评审批要以原研药品作为参比制剂，

确保新批准的仿制药质量和疗效与原研药品一致。对改革前受理的药品注册申请,继续按照原规定进行审评审批,在质量一致性评价工作中逐步解决与原研药品质量和疗效一致性问题;如企业自愿申请按与原研药品质量和疗效一致的新标准审批,可以**设立绿色通道**,按新的药品注册申请收费标准收费,加快审评审批。上述改革在依照法定程序取得授权后,在化学药品中进行试点。

(七)推进仿制药质量一致性评价。对已经批准上市的仿制药,按与原研药品质量和疗效一致的原则,分期分批进行质量一致性评价。药品生产企业应将其产品按照规定的方法与参比制剂进行质量一致性评价,并向食品药品监管总局报送评价结果。参比制剂由食品药品监管总局征询专家意见后确定,可以选择原研药品,也可以选择国际公认的同种药品。无参比制剂的,由药品生产企业进行临床有效性试验。在规定期限内未通过质量一致性评价的仿制药,不予再注册;通过质量一致性评价的,允许其在说明书和标签上予以标注,并在临床应用、招标采购、医保报销等方面给予支持。在质量一致性评价工作中,需改变已批准工艺的,应按《药品注册管理办法》的相关规定提出补充申请,食品药品监管总局设立绿色通道,加快审评审批。质量一致性评价工作首先在2007年修订的《药品注册管理办法》施行前批准上市的仿制药中进行。在国家药典中标注药品标准起草企业的名称,激励企业通过技术进步提高上市药品的标准和质量。**提高中成药质量水平,积极推进中药注射剂安全性再评价工作。**

(八)加快创新药审评审批。对创新药实行特殊审评审批制度。加快审评审批**防治艾滋病、恶性肿瘤、重大传染病、罕见病等疾病的创新药**,列入国家科技重大专项和国家重点研发计划的药品,转移到境内生产的创新药和儿童用药,以及使用先进制剂技术、创新治疗手段、具有明显治疗优势的创新药。加快临床急需新药的审评审批,**申请注册新药的企业需承诺其产品在我国上市销售的价格不高于原产国或我国周边可比市场价格。**

(九)开展药品上市许可持有人制度试点。允许药品研发机构和科研人员申请注册新药,在转让给企业生产时,只进行生产企业现场工艺核查和产品检验,不再重复进行药品技术审评。试点工作在依照法定程序取得授权后开展。

(十)落实申请人主体责任。按照国际通用规则制定注册申请规范,申请人要严格按照规定条件和相关技术要求申请。**将现由省级食品药品监管部门受理、**

食品药品监管总局审评审批的药品注册申请，调整为食品药品监管总局网上集中受理。对于不符合规定条件与相关技术要求的注册申请，由食品药品监管总局一次性告知申请人需要补充的内容。进入技术审评程序后，除**新药及首仿药品注册**申请外，原则上不再要求申请人补充资料，只作出批准或不予批准的决定。

（十一）及时发布药品供求和注册申请信息。根据国家产业结构调整方向，结合市场供求情况，及时调整国家药品产业政策，严格控制市场供大于求、低水平重复、生产工艺落后的仿制药的生产和审批，鼓励市场短缺药品的研发和生产，提高药品的可及性。食品药品监管总局会同发展改革委、科技部、工业和信息化部、卫生计生委制定并定期公布限制类和鼓励类药品审批目录。食品药品监管总局及时向社会公开药品注册申请信息，引导申请人有序研发和控制低水平申请。

（十二）改进药品临床试验审批。**允许境外未上市新药经批准后在境内同步开展临床试验**。鼓励国内临床试验机构参与国际多中心临床试验，符合要求的试验数据可在注册申请中使用。对创新药临床试验申请，重点审查临床价值和受试者保护等内容。强化申请人、临床试验机构及伦理委员会保护受试者的责任。

（十三）严肃查处注册申请弄虚作假行为。加强临床试验全过程监管，确保临床试验数据真实可靠。申请人、研究机构在注册申请中，如存在报送虚假研制方法、质量标准、药理及毒理试验数据、临床试验结果等情况，对其药品医疗器械注册申请不予批准，已批准的予以撤销；对直接责任人依法从严处罚，对出具虚假试验结果的研究机构取消相关试验资格，处罚结果向社会公布。

（十四）简化药品审批程序，完善药品再注册制度。实行药品与药用包装材料、药用辅料关联审批，将药用包装材料、药用辅料单独审批改为在审批药品注册申请时一并审评审批。简化来源于古代经典名方的复方制剂的审批。简化药品生产企业之间的药品技术转让程序。将仿制药生物等效性试验由审批改为备案。对批准文号（进口药品注册证/医药产品注册证）有效期内未上市，不能履行持续考察药品质量、疗效和不良反应责任的，不予再注册，批准文号到期后予以注销。

（十五）改革医疗器械审批方式。鼓励医疗器械研发创新，将拥有产品核心技术发明专利、具有重大临床价值的创新医疗器械注册申请，列入特殊审评审批范围，予以优先办理。及时修订医疗器械标准，提高医疗器械国际标准的采标率，

提升国产医疗器械产品质量。通过调整产品分类，将部分成熟的、安全可控的医疗器械注册审批职责由食品药品监管总局下放至省级食品药品监管部门。

(十六) 健全审评质量控制体系。参照国际通用规则制定良好审评质量管理规范。组建专业化技术审评项目团队，明确主审人和审评员权责，完善集体审评机制，强化责任和时限管理。**建立复审专家委员会**，对有争议的审评结论进行复审，确保审评结果科学公正。加强技术审评过程中共性疑难问题研究，及时将研究成果转化为指导审评工作的技术标准，提高审评标准化水平，减少审评自由裁量权。

(十七) 全面公开药品医疗器械审评审批信息。向社会公布药品医疗器械审批清单及法律依据、审批要求和办理时限。向申请人公开药品医疗器械审批进度和结果。在批准产品上市许可时，同步公布审评、检查、检验等技术性审评报告，接受社会监督。

三、保障措施

(十八) 加快法律法规修订。及时总结药品上市许可持有人制度试点、药品注册分类改革试点进展情况，推动加快修订《中华人民共和国药品管理法》。结合行政审批制度改革，抓紧按程序修订《中华人民共和国药品管理法实施条例》和《药品注册管理办法》等。

(十九) 调整收费政策。整合归并药品医疗器械注册、审批、登记收费项目。按照收支大体平衡原则，提高药品医疗器械注册收费标准，每五年调整一次。对小微企业申请创新药品医疗器械注册收费给予适当优惠。收费收入纳入财政预算，实行收支两条线管理。审评审批工作所需经费通过财政预算安排。

(二十) 加强审评队伍建设。改革事业单位用人制度，面向社会招聘技术审评人才，实行合同管理，其工资和社会保障按照国家有关规定执行。根据审评需要，外聘相关专家参与有关的技术审评，明确其职责和保密责任及利益冲突回避等制度。建立首席专业岗位制度，科学设置体现技术审评、检查等特点的岗位体系，明确职责任务、工作标准和任职条件等，依照人员综合能力和水平实行按岗聘用。推进职业化的药品医疗器械检查员队伍建设。健全绩效考核制度，根据岗位职责和工作业绩，适当拉开收入差距，确保技术审评、检查人员引得进、留得住。将食品药品监管总局列为政府购买服务的试点单位，通过政府购买服务委托

符合条件的审评机构、高校和科研机构参与医疗器械和仿制药技术审评、临床试验审评、药物安全性评价等技术性审评工作。

(二十一)加强组织领导。食品药品监管总局要会同中央编办、发展改革委、科技部、工业和信息化部、财政部、人力资源社会保障部、卫生计生委、中医药局、总后勤部卫生部等部门,建立药品医疗器械审评审批制度改革部际联席会议制度,加强对改革工作的协调指导,及时研究解决改革中遇到的矛盾和问题,各地区也要加强对改革的组织领导,重大情况及时报告国务院。

浅谈生物质能及其发电技术

生物质能是地球上最普遍的一种清洁的可再生能源,被认为是第四大能源资源,但现在生物质利用总量还不到其生产总量的1%,生物质能的开发利用前景十分广阔。本文从生物质的定义谈起,先论述了生物质能的利用方式,并对其最主要的利用方式——生物质能发电进行了介绍,最后论述了我国的生物质资源和生物质发电的现状,并对生物质能的发展进行了展望。

1 生物质概述

生物质,从广义上讲,是指通过光合作用而形成的各种有机体,包括了所有的动植物和微生物。生物质所蕴含的能量称为生物质能,是一种可再生能源,它直接或间接地来源于绿色植物的光合作用。

生物质能是地球上最古老的能源,一直以来是人类赖以生存的重要能源之一。在目前世界能源消耗中,生物质能占总能耗的14%,仅次于石油、煤和天然气,是世界第四大能源。在生物质能的利用过程中产生的二氧化碳可被等量的植物通过光合作用所吸收,从而实现二氧化碳的零排放和生物质能的循环利用,同时生物质能也是一种含硫量低的可再生能源,可以转化得到气态、液态和固态燃料,从而补充和替代化石燃料,减少对矿物能源的依赖。

目前,世界各国,尤其是发达国家,都在致力于开发高效、无污染的生物质能利用技术,以达到保护矿产资源,保障国家能源安全,实现二氧化碳减排,保持国家经济可持续发展的目的。

2 生物质能的利用转化方式

目前，我们对生物质能的利用主要有生物质直接燃烧、气化、液化、固化和沼气技术等方式。

生物质直接燃烧是通过燃烧将化学能转化为热能，从而获取热量。直接燃烧可分为锅炉燃烧、炉灶燃烧、炉窑燃烧和炕连灶燃烧。

生物质气化是在一定的热力学条件下，将组成生物质的碳氢化合物转化为含一氧化碳和氢气等可燃气体的过程。气化过程不同于燃烧过程，一方面，燃烧过程中需供给充足的氧气，使原料充分燃烧，从而获取热量，而气化过程希望尽可能多地将能量保留在反应后得到的可燃气体中，所以只供给较少的氧气以满足热化学反应的需要；另一方面，燃烧后产生的是水蒸气和二氧化碳等不可再燃烧的烟气，而气化后的产物是含氢、一氧化碳和低分子烃类的可燃气体。

生物质液化是生物质热裂解技术的一部分。生物质热裂解是生物质在完全无氧供给的条件下热降解为可燃气体、液体生物油和固体生物质炭三种成分的过程。其中，反应产生的生物油可进一步分离，制成燃料油和化工原料。

在生物质能转化利用的各种途径中，利用生物质能转化后的热能来发电具有高效、环保等优势，在丹麦、瑞典、芬兰、荷兰以及巴西和印度等国家已得到广泛应用。近年来，随着能源和环保压力的增大，我国生物质能发电得到快速发展。

3 生物质能发电技术

生物质发电的主要形式有：生物质直接燃烧发电、生物质混合燃烧发电、生物质气化发电、沼气发电和垃圾发电。

生物质直接燃烧发电与燃煤火力发电在原理上没有本质区别，主要区别体现在原料上，火力发电的原料是煤，而直接燃烧发电的原料主要是农林废弃物和秸秆。直接燃烧发电是把生物质原料送入适合生物质燃烧的特定蒸汽锅炉中，产生蒸汽，驱动蒸汽机转动从而带动发电机发电。直接燃烧发电对原料预处理技术、蒸汽锅炉的多种原料适用性、蒸汽锅炉的高效燃烧、蒸汽轮机的效率等方面都有较高要求。

生物质混合燃烧发电，顾名思义，即为生物质与煤混合作为燃料发电。混合燃烧的方式主要有两种：一种是将生物质原料直接送入燃煤锅炉，与煤共同燃烧；另一种是先将生物质原料在气化炉中气化生成可燃气体，再通入燃煤锅炉与煤共同燃烧，最后发电。可见，在混合燃烧方式中，对生物质原料的预处理过程显得

尤为重要。一般情况下，通过改造现有的燃煤电厂就可以实现混合燃烧发电，只需在厂内增加储存和加工生物质燃料的设备和系统，同时对原有燃煤锅炉燃烧系统进行适当改造就可以了。

生物质气化发电是利用生物质气化技术产生的气体燃料，经净化后直接进入燃气机中燃烧发电或者直接进入燃料电池发电的过程，可以分为内燃机发电、燃气轮机发电、燃气—蒸汽联合循环发电和燃料电池发电。生物质气化发电是生物质能最有效、最洁净的利用方式之一，它不仅能解决生物质难于燃用、分布分散等缺点，还能充分发挥燃气发电设备紧凑和污染小的优点。

沼气发电是一种新型的发电方式，也是沼气能量利用的一种有效形式。在沼气发电中，驱动发电机组发电的是沼气而非蒸汽。

垃圾发电包括垃圾焚烧发电和垃圾气化发电，简而言之，垃圾发电就是将垃圾直接作为燃料或者将垃圾制成可燃气体作为燃料来进行发电的方式。垃圾发电不仅能够回收利用垃圾中的能量，达到节约资源的目的，同时还解决了垃圾的处理问题。

我国的生物质能资源及其发电的状况

我国作为传统的农业大国，生物质资源非常丰富。我国农作物秸秆年产量约为 6.5 亿吨，2010 年达到 7.26 亿吨；薪柴和林业废弃物资源中，可开发量每年达到 6 亿吨以上。近年来，高产的能源作物如甘薯、甜高粱、巨藻、绿玉树、木薯、芭蕉芋等，作为现代生物质能源已受到广泛关注，越来越多的科研机构、科技企业也不断参与到研究和发发展生物质能资源的队伍中来，为生物质能源产业提供了可靠的资源保障。

我国的生物质发电以直接燃烧和气化发电为主要方式，原料主要采用农业、林业和工业废弃物等。我国生物质发电起步较晚，但也有近 30 年的历史，2006 年我国生物质发电总装机容量约为 2000 MW，其中蔗渣发电约为 1700 MW；从 2006 年 12 月，我国第一个生物质直燃发电项目——国能单县生物发电厂正式投产开始，截止 2008 年 8 月，我国累计核准农林生物质发电项目 130 多个，总装机容量约 3000 MW，已有 25 个生物质直燃发电项目并网发电；2009 年我国 6 MW 及以上火电设备中生物质发电共占到 0.37%，预计到 2020 年将建成总装机容量为

20000 MW 的生物质发电项目，这样每年就可以节约 7500 万吨煤，而且减少大量的污染排放，此外，秸秆销售还可以给农民增加 200~300 亿元的收入。

4 结语

从总体上看，我国生物质发电产业尚处于起步阶段，商业化程度较低，效益也不高，市场竞争力较弱。但是，近年来，国家对生物质能的开发利用逐渐重视，已连续在 4 个“五年计划”中将生物质能利用技术的研究与应用列为重点科技攻关项目，并先后制定了《可再生能源法》《可再生能源中长期发展规划》《可再生能源发展“十一五”规划》《可再生能源产业发展指导目录》和《生物产业发展“十一五”规划》，提出了生物质能发展的目标和任务，明确了相关扶持政策。有了这些政策和技术支持，相信生物质能的未来必定会生机勃勃。

用猪的眼角膜看世界，你愿不愿意？

采访专家：姚涛沈阳何氏眼科医院眼表角膜病专家组专家、中华医学会眼科分会会员、眼组织库主任

据报道，由中国科学家花了十年时间研发的生物工程角膜已完成临床试验上市。该眼角膜是用猪的眼角膜经过处理，再用于人的。医学界预测，生物工程角膜将极大地缓解中国人体捐献角膜奇缺的临床困境，为中国 400 万乃至全球 6000 万的角膜盲患者带来复明的希望。猪的眼角膜经处理后移植给人，可行吗？

1. 眼角膜是怎么移植的？

专家解答：眼角膜是眼睛前端“黑眼球”表面的一层透明的膜性组织，就好像手表的“表蒙子”。角膜因为外伤或某些疾病坏了或不透明了，就需要角膜移植手术来“重见光明”，就相当于给手表换一片新的“表蒙子”。人体角膜结构上是分层的，前表面的薄层上皮细胞、中央部主要厚度的基质和后表面的单层内皮细胞。角膜移植手术大体可分为板层角膜移植和穿透（或全层）角膜移植，如果病变表浅用板层角膜移植术，病变深用全层角膜移植（角膜好比一本书，上皮细胞是封皮、基质是书页、内皮细胞是封底，板层移植是只换了前面的封皮、部分或全部书页，全层角膜移植是把整本书换掉了），术式的选择根据病变的不同而不同。

2. 人工角膜技术是否成熟，是否会有排斥反应？

专家解答：角膜移植手术有 100 多年的历史了，国内外临床上普遍施行的同种异体(人对人)移植的手术效果已经被广泛认可。但对某些国家(尤其是中国)，人的角膜供体来源紧张(捐献的太少)，不能满足临床需要。大力宣传促进国人捐献、积极进口角膜和人工角膜是目前解决该问题的三个主要途径。

人工角膜即人工合成制作的角膜，可以分为两种：医用高分子材料的(硬的有机玻璃片儿)和生物工程的(软的透明的“肉”)。前者一般用于常规角膜移植容易失败的少数疾病(如双眼严重化学伤等)，国外已经有多种相对成熟的产品；后者即近日媒体提到的“人工生物角膜”，也称生物或组织工程人工角膜，是利用生物工程技术生产的模拟人体角膜组织的材料，用于角膜移植手术，以期解决目前角膜移植供体相对缺乏的困境。这种人工角膜的研发也已经有数十年的历史了。

确切些说，新闻报道中提到的“脱细胞异种角膜基质”是生物工程人工角膜的一种，这种技术相对成熟，早期用于皮肤科相关领域制备“人造皮肤”。因为角膜的解剖结构和组织成分与人类相近，其携带的病毒不太容易传染给人类，也因为经济和伦理的原因，一般选择猪的角膜，通过一定技术去除“细胞”成分，只保留猪角膜的胶原纤维(“支架”结构)，以降低和避免移植后的排斥反应，再经过剖切成型后用于临床。

3. 人工角膜产品能否完全替代人体捐献角膜？

专家解答：确切地讲，这种人工角膜产品只是模拟了人眼角膜的“一部分”(角膜基质的支架结构)，缺乏活性的上皮、基质和内皮细胞，移植后需要受体患者自身角膜上皮爬覆、基质细胞长入融合和自身健康的内皮细胞作用后才能获得有效的视力，因此这种产品目前的适应症主要是部分能够采用板层角膜移植手术治疗的角膜感染患者。这类产品国内应该不只一家公司生产，多个医疗中心的临床试验证实了其对于既定适应症患者的有效性。但据我所知仍有相当一部分患者移植后出现植片融解、混浊。另外，由于适应症的相对局限，因此可以说这种产品目前尚不能完全替代人体捐献角膜。

4. 人工角膜产品是解决角膜移植难的出路吗？

专家解答：目前欧美发达国家的人源性角膜供体充足、过剩，很多国外的眼库致力于把本国获捐的角膜材料以商品的形式输出，中国是很大的市场。但目前

我国政府进口角膜的相关规定和流程尚待完善，庞大的角膜病患者和稀缺的角膜材料促使我国很多研究者和公司研发这类生物工程角膜并积极推动上市。虽然受适应症的限制，但我个人仍然十分看好这种产品，因为我国目前角膜病患者的病因还是以感染为主的，国内角膜供体材料稀缺，以控制感染、保留眼球为主要目的的治疗性板层角膜移植术仍有相当的“市场”，这种产品在不远的未来是这部分患者和手术医生很好的选择。充足的供给和很好的质量控制（避免了源性供体可能的传染病传播）是其优势，影响产品推广的可能是产品价格和医生的选择倾向。从患者角度，如果有人源材料和商业化产品同时存在，应该获得完全的知情，和医生商讨后来决定应用哪种材料用于移植手术。

目前国内外的很多研究者仍致力于积极研发生物工程角膜，理想化的是要重新构建包括上皮、基质、内皮等结构的“活性组织”，甚至时下流行的 3D 打印技术也应用其中，但这种真正意义的人工生物角膜，从研发成功、用于临床到形成产品尚需相当长的时间，我们一同期待这一天的到来吧！（生物谷 Bioon.com）

专家简介：姚涛，副主任医师，沈阳何氏眼科医院眼表角膜病专家组专家，中华医学会眼科分会会员，眼组织库主任，国际社区眼保健培训中心高级培训师。主要擅长各种眼表疾病和角膜疾病的药物治疗和手术治疗，尤其擅长各种角膜移植手术。

专题报告——细胞治疗

全球干细胞治疗市场发展概况

1968 年，Gatti 应用骨髓移植 (BMT) 成功治疗了一例重症联合免疫缺陷患者，从而开启了干细胞在医学上的应用之门。国外现在已有三款干细胞药物和多款干细胞治疗产品获批上市，外资药企正不惜重资买断干细胞治疗技术。放眼国内，数十个干细胞产业化基地已经布局成型。但国内药企在干细胞产业上的探索仍仅限于上游阶段，随着三大监管政策的正式落地，国内药企在干细胞治疗药物上的申报将有依据可循，促进下游产业加快探索步伐，中源协和治疗肝纤维化的一类干细胞药物的临床申报有望加速推进。

外企不惜代价买技术

韩国在干细胞药物研制上的积极性为世界瞩目。韩国 FDA 于 2011 年 7 月批准了 FCB-Pharmicell 公司的 Hearticellgram-AMI, 该干细胞药物是一种自体 MSC 产品, 通过注射到冠状动脉治疗急性心肌梗死。2012 年 1 月, 韩国 FDA 批准了 IPAnterogen 公司用于治疗肛瘘的 Cuepistem, 一种自体 MSC 产品, 目前支持该产品获批的完整的临床数据还未公布。另外一个干细胞药物为 Medi-post 公司的 Caristem, 一种异体基因成体干细胞产品, 于 2012 年 1 月在韩国获得批准, 用于治疗软骨损伤和骨关节炎。

重庆华森制药公司易青介绍, 除上述三款干细胞药物外, 国外还有其他的非药物类干细胞产品。如 OsirisTherapeutics 公司于 2012 年 5 月在加拿大获批的 Prochymal, 是一种异体基因 MSCs 产品, 用于难治性小儿移植物抗宿主病 (GVHD) 的治疗, 尽管 Prochymal 在 III 期临床中的研究数据大多数都是无效的, 但是考虑到部分患者中的有效数据, 加拿大批准了该产品的上市。

在 2012 年获批的 10 个生物技术产品中, 最引人注目的是两个干细胞治疗产品, 它们分别为 Duke 大学医学院的脐带血造血干细胞静脉注射混悬液 (DuCord)、Clinimmune 实验室公司源自脐带血的 HPC。它们是继 2011 年 11 月 10 日 HEMACORD 获批之后的两个新晋脐带血造血祖细胞制品。纽约血液中心的脐血造血祖细胞 HEMACORD, 作为美国 FDA 批准的第一个干细胞产品, 现用于异基因造血干细胞移植, 治疗遗传性或获得性造血系统疾病的患者。易青认为, 这两个新药的获批表明美国 FDA 将进一步完善外周血来源造血干细胞疗法相关规定, 相信后续美国 FDA 还会为干细胞治疗产品开绿灯。

除了上述已经获批的干细胞药物和产品外, 目前处于临床中后期的干细胞药物和产品还有 GamidaCell 公司的 StemEx, 这是一种异体基因干细胞产品, 由于干细胞采集来源自脐血, 所以也被视为即取即用的治疗, StemEx 将代替 BMT 用于白血病和淋巴瘤的治疗。除 StemEX 为“即取即用”干细胞疗法产品外, Mesoblaste 公司的 MPC 也属于该疗法的产品。

生物谷董事长张发宝博士多年来对海外干细胞临床药物研究的进展保持密切跟踪。他认为, 20 世纪以来, 美国 FDA 对干细胞技术一直持保守态度, 但近来已向干细胞敞开大门, 在 2002 年时只批准了两个干细胞方面的临床药物, 到

现在则是大量干细胞药物开花结果。最近这两年，欧美大药企不惜一切代价，包括葛兰素史克、诺华等，都在投入巨资，买断干细胞治疗的技术。

国内产业化步伐加快

放眼国内，目前我国已经建立起多家产业化基地，包括国家干细胞产业化华东基地、国家干细胞产业化天津基地、青岛干细胞产业化基地、无锡国际干细胞联合研究中心、泰州国家生物产业基地干细胞产业化项目基地等。

2010年年底，国家干细胞与再生医学产业技术创新战略联盟成立，由国内27家干细胞与再生医学领域的一流科研院所、知名三甲医院、多家211工程重点高校、行业龙头企业等作为发起单位和理事成员单位，目的是促进干细胞与再生医学技术创新、成果转化和产业发展。大部分产业化基地的相关业务涵盖干细胞存储、抗体和诊断试剂研发生产、干细胞基础应用研究以及干细胞临床移植和治疗等业务，促进干细胞相关技术及基因工程药物科研成果向实际生产力转化，逐步推动形成新的干细胞研究和产业新格局。

当前国内从事干细胞产业相关的企业有数十家，如中源协和、天津昂赛细胞基因工程有限公司、深圳市北科生物科技有限公司、吉林大学通源生物工程有限公司等。从我国干细胞公司上市情况分析，上市公司中并未有公司直接涉及干细胞研究开发领域，中源协和和金卫医疗都有子公司从事干细胞资源存储服务业务。

中源协和实际控制人李德福2014年开始亲任董事长，布局“干细胞存储、干细胞药物、基因检测、体外诊断、干细胞美容、专科医院”六大业务版图，收购上海执诚生物，还将成立产业并购基金，开展长期并购。

除干细胞存储业务外，更有看点的是干细胞临床药物的进展。中源协和总裁吴明远介绍，公司在间充质干细胞研究方面，有很好的家底，已申请99个专利。在抗肿瘤自体、异体干细胞研究方面，去年拿到三个国家级的专利。还有两个一类新药已上报国家药监部门，分别是抗肝纤维化注射液、抗栓新药注射用重组酵母干细胞药品。“如果产业政策落地，干细胞药物的审批进程也会加快。”吴明远这样判断。

金卫医疗2011年持有中国脐带血股份为40.9%，经营北京和广东省两地的脐带血库；中源协和则拥有天津市脐带血造血干细胞库。我国很多干细胞企业还建立了工程研究中心，如中国医学科学院血液学研究所是国家干细胞工程技术研

究中心的依托单位，天津昂赛细胞基因工程有限公司是国家发展和改革委员会细胞产品国家工程研究中心的依托单位。

细胞治疗产业链所有“关键点”

细胞治疗是指将正常或生物工程改造过的人体细胞移植或输入患者体内，新输入的细胞可以替代受损细胞、或者具有更强的免疫杀伤功能，从而达到治疗疾病的目的。细胞治疗在治疗癌症、血液病、心血管病、糖尿病、老年痴呆症等方面显示出越来越高的应用价值。

一般来讲，细胞治疗包括肿瘤细胞免疫治疗，以及干细胞治疗两大类。

肿瘤细胞免疫治疗

生物科技让自身细胞战癌，主要包括四大类。肿瘤细胞免疫治疗是一种新兴的肿瘤治疗模式，它从病人体内采集免疫细胞，然后进行体外培养和扩增，再回输到病人体内，来激发以及增强机体的自身免疫功能以治疗肿瘤。肿瘤细胞免疫治疗是继手术、放疗和化疗之后的

第四种肿瘤治疗方法。肿瘤细胞免疫治疗主要包括四大类：过继细胞免疫治疗、肿瘤疫苗、非特异性免疫刺激、以及免疫检验点单克隆抗体。过继细胞免疫治疗是国际研发热点，主要包括 TIL、TCR、CAR、LAK、CIK、DC、NK 等几大类。

肿瘤细胞免疫治疗药物多处研发培育期，国内多家公司布局。肿瘤细胞免疫治疗 2013 年被 Science 杂志评为年度 10 大科技突破之首，未来市场空间巨大，现今上市产品较少，但有众多产品在研。国外药企如凯德、默克、罗氏等纷纷布局，致力于细胞免疫治疗新药研发。国内涉及肿瘤细胞免疫治疗的上市公司尚处培育期，主要公司有：香雪制药、开能环保、姚记扑克、冠昊生物、和佳股份、海欣股份和康恩贝等。

干细胞治疗

未来全球 4000 亿美金蓝海，国内步入规范高速发展期在即。干细胞（Stem Cell），在生物学界又被称为“万能细胞”，具有自我更

新能力以及多向分化潜能，具有再生各种组织器官和人体的潜力；干细胞潜在治疗领域广泛，预测，干细胞治疗市场规模未来有望达 4000 亿

美金。国际上现有约 9 款干细胞药品上市，在我国，干细胞药物研发尚处早期，我国骨髓干细胞移植临床研究及应用较早，曾处于国际领先水

平，之前监管较为宽松，但于 2012 叫停，对干细胞治疗行业进行规范整顿；2013 年推出《临床干细胞实验研究管理办法》等征求意见稿，未来行业开放在即，将进入高速规范发展新时期。

我国干细胞产业链

上游成熟，中下游布局逐渐拓展。我国干细胞产业链可分为上游（干细胞存储）、中游（干细胞增殖及干细胞新药研发）、下游（干细胞治疗）。上游最为成熟，中下游大多数项目处于实验阶段，未来将逐渐向中下游拓展。国内涉及干细胞治疗的公司主要有：中源协和、冠昊生物、金卫医疗、北科生物。

细胞治疗主题投资：行业方兴，长期关注；敏锐把握，客观审视。无论是利用自身细胞抗癌的“肿瘤细胞免疫治疗”，还是万能细胞“干细胞治疗”，都拥有数千亿美元的市场空间，都代表着未来医学发展的重要方向。但整个细胞治疗行业在国内乃至国际上，都尚属研发培育早期，需要一定的时间成长，我们预计国内相关概念上市公司短期内难以实现大规模产业化，业绩较为平淡。申万医药对于细胞治疗类主题投资观点：行业方兴，长期关注；投资策略：敏锐把握，客观审视。

1. 肿瘤细胞免疫治疗：生物科技让自身细胞战癌

1.1 肿瘤细胞免疫治疗是自身免疫抗癌的新型疗法

肿瘤细胞免疫治疗是一种新兴的肿瘤治疗模式，是依靠自身免疫抗癌的新型治疗方法。它从病人体内采集免疫细胞，然后进行体外培养和扩增，再回输到病人体内，来激发以及增强机体的自身免疫功能，从而达到治疗肿瘤的目的。

肿瘤细胞免疫治疗是继手术、放疗和化疗之后的第四种肿瘤治疗方法。与传统肿瘤治疗方法相比，细胞免疫治疗具有安全性、针对性、持久性、全身性、彻底性以及适应症广六大特性。

1.2 肿瘤细胞免疫治疗有四大主要类型

肿瘤细胞免疫治疗主要包括四大类：过继细胞免疫治疗、肿瘤疫苗、非特异性免疫刺激、免疫检验点单克隆抗体。

1.2.1 过继细胞免疫治疗

过继细胞免疫治疗 (Adoptive Cell Transfer Therapy, ACT) 是指通过对自体免疫细胞进行体外激活和扩增, 然后将其重新输回肿瘤患者体内, 并辅以合适的生长因子, 促使其发挥杀伤杀死肿瘤细胞的功能。目前, 过继性免疫治疗已经成为肿瘤免疫治疗的主要方式之一。过继细胞免疫治疗 ACT 主要包括 TIL、TCR、CAR、LAK、CIK、DC、NK 等几大类。

【A】 TIL (Tumor Infiltrating Lymphocyte, 肿瘤浸润淋巴细胞)

TIL 疗法是从肿瘤附近组织中分离出 TIL 细胞, 加入生长因子 IL-2 进行体外大量扩增, 再回输到患者体内, 从而扩大免疫应答治疗原发或继发肿瘤的方法。

TIL 是肿瘤间质中的异质性淋巴细胞, 包括 T 细胞以及 NK 细胞等, 大多数情况下以 CD3+CD8+T 细胞为主。TIL 的作用机制是通过释放细胞毒素直接杀伤肿瘤细胞, 此外, 还能调节机体免疫功能, 提高机体对肿瘤细胞的杀伤能力。TIL 疗法在提高多种癌症患者的生存率上发挥着重要作用, 例如子宫内膜癌、结肠癌、恶性黑色素瘤等, 降低患者全身复发的概率。

【B】 TCR (T Cell Receptor, T 细胞受体)

TCR 疗法是将患者体内的普通 T 细胞分离出来, 利用基因工程技术引入新的基因, 使转基因 T 细胞表达能够识别癌细胞的 TCR, 回输到患者体内从而杀死肿瘤细胞的治疗方法。

TCR 是 T 细胞表面的特异性受体, 与 CD3 结合形成 TCR-CD3 复合物, 通过识别并结合 MHC 呈递的抗原从而激活 T 细胞, 促进 T 细胞的分裂与分化。TCR 的作用机制是向普通 T 细胞中引入新的基因, 使得新的 T 细胞能够表达 TCR 从而有效识别肿瘤细胞, 引导 T 细胞杀死肿瘤细胞。TCR 疗法在黑色素瘤治疗上取得了突破性进展, 同时也在肝癌、乳腺癌、卵巢癌等治疗中取得了一定的成效。

【C】 CAR (Chimeric Antigen Receptor, 嵌合抗原受体)

CAR 疗法的原理与 TCR 疗法相似, 通过基因转导使患者的 T 细胞能够表达嵌合抗原受体 CAR, 将改造后的 T 细胞回输至患者体内, 生成大量特异性识别肿瘤的 CAR-T 细胞从而杀死肿瘤细胞。

CAR 是 T 细胞表面的嵌合抗原受体, 能够以非 MHC 限制性的方式识别肿瘤细胞。CAR 的作用机制是利用基因工程技术修饰 T 细胞, 使其能够特异性识别并杀

死癌细胞。抗 CD19 CAR 在血液系统恶性肿瘤的研究上取得了令人瞩目的成绩，同时也应用于治疗乳腺癌、前列腺癌、肺癌、卵巢癌、结肠癌等。

【D】 LAK (LymphokineActivated Killer, 淋巴因子激活的杀伤细胞)

LAK 疗法是将外周血淋巴细胞在体外培养，经淋巴因子 IL-2 激活后扩增，回输至患者体内从而广谱地杀伤肿瘤细胞的治疗方法。

LAK 是淋巴因子激活的杀伤细胞，在 NK 细胞体外培养时、在细胞因子诱导下形成，能够杀伤对 NK 细胞不敏感的肿瘤细胞。LAK 中存在多种具有杀菌作用的活性物质，已经发现的有穿孔素、颗粒酶、颗粒溶素、LL-37 等。LAK 的作用机制是通过 LAK 细胞膜表面的 IL-2 受体识别 IL-2，从而激活 LAK 细胞，不需其它辅助物质参与即可广谱抗瘤。LAK 疗法与 IL-2 协同治疗肾细胞癌、黑色素瘤、肺癌、结肠癌等肿瘤患者，目前已获得一定的疗效。

【E】 CIK (CytokineInduced Killer, 细胞因子诱导的杀伤细胞)

CIK 疗法是将人的外周血单个核细胞在体外与多种细胞因子共同培养一段时间，获得大量 T 淋巴细胞后回输患者体内，从而精确地杀伤肿瘤细胞而不损伤任何正常组织。

CIK 是人体外周血中的 T 淋巴细胞，膜表面标志为 CD3+和 CD56+，既有强大的抗瘤活性又有非 MHC 限制杀瘤特点，识别能力很强，能点射肿瘤细胞。CIK 的作用机制是通过释放穿孔素及颗粒酶而直接杀伤肿瘤细胞，或是通过分泌多种细胞因子而间接杀伤肿瘤细胞，除此之外还能通过激活凋亡基因诱导肿瘤细胞凋亡。CIK 疗法应用于清除残余癌细胞，预防复发和转移，降低放化疗的毒副作用，用于放、化疗无效的患者治疗，用于失去手术指征或已复发转移的晚期患者，缓解症状、延长生存期。

【F】 DC (DendriticCell, 树突状细胞)

DC 疗法是将患者自身的单个核细胞提取出来，在体外增殖、培养、诱导生成 DC 细胞，让 DC 细胞负载相应的肿瘤抗原后回输患者体内，诱导机体产生特异性或非特异性的免疫应答，激活人体内的天然抗肿瘤系统，从而达到杀灭肿瘤细胞的作用。

DC 以其形状命名，是一个异质性的群体，主要从骨髓组织、血液中分离得到，抗原呈递性比普通细胞强 1000 倍，能有效激活初始 T 细胞。DC 的作用机制

是重建免疫监视细胞功能，随血液在全身各处主动搜索、识别肿瘤细胞，诱导产生大量效应 T 细胞并促使其迁移至肿瘤部位，辅助 T 细胞分泌多种细胞因子，加速 T 细胞杀死肿瘤细胞过程。DC 细胞对血液、消化、呼吸、泌尿及生殖系统等多个系统肿瘤细胞均有杀伤作用。

【G】 NK (Natural Killer, 自然杀伤细胞)

NK 疗法是将患者体内的 NK 提取出来，利用细胞培养技术在体外大量繁殖后再回输患者体内，从而发挥调节免疫反应及直接杀伤肿瘤细胞的作用。

NK 是人体防御体系的第一道屏障，表面标志为 CD3-CD56⁺，杀伤活性无 MHC 限制，不依赖抗体，因此称为自然杀伤活性。NK 的作用机制为释放穿孔素、细胞因子等杀伤肿瘤细胞，活化的 NK 可发挥调节免疫作用。NK 疗法目前应用于非特异性抗肿瘤和抗病毒感染，清除体内坏死细胞及脂肪等垃圾，抗衰老等。

1.2.2 肿瘤疫苗

肿瘤疫苗是通过激活自身免疫系统来治疗肿瘤的免疫疗法。肿瘤疫苗主要包括肿瘤细胞疫苗、肿瘤抗原疫苗、肿瘤 DNA 疫苗、DC 疫苗、细菌疫苗等。根据用途的不同可分为预防性疫苗和治疗性疫苗，前者可控制肿瘤的发生，后者用于化疗后的辅助治疗。

肿瘤疫苗是将肿瘤抗原以多种形式如肿瘤细胞、肿瘤相关蛋白或多肽、表达肿瘤抗原的基因等导入患者体内，通过肿瘤抗原刺激体内 T 细胞，激发特异性细胞免疫，从而清除肿瘤的治疗方法。肿瘤疫苗具有疗效高、特异性强、不良反应小等优点，可独立治疗肿瘤，又可与手术、放疗、化疗相结合，在肿瘤综合治疗中占有重要地位。

1.2.3 非特异性免疫刺激

非特异性免疫刺激是通过刺激 T 细胞或抗原呈递细胞来加强抗原呈递过程，活化机体免疫力从而杀死肿瘤细胞的治疗方法。非特异性免疫刺激剂是指能激活多数 T 或 B 淋巴细胞克隆的非特异性刺激物质，包括内毒素、脂质 A、海藻糖、胸腺肽以及一些中药成分。这种疗法从 70 年代兴起，但因其毒性、治疗时间久以及治疗肿瘤范围限制导致应用受限。

非特异性免疫又称先天性免疫，与特异性免疫相对应，都是机体识别和排斥异己物质的机能。非特异性免疫是机体在长期的种系发育与进化过程中逐渐建立起来的天然防御功能，具有先天性、可遗传、反应迅速、作用无特异性等特点。

非特异性免疫刺激通过刺激剂诱导非特异性免疫反应，激活巨噬细胞，增强溶酶体活性，提高 T 细胞、NK 细胞等的细胞活性从而起到抗肿瘤作用。通过刺激抗原呈递细胞来增强抗原呈递的药物包括：Toll 样受体配体咪喹莫特用于治疗基底细胞癌，卡介苗用于膀胱癌局部灌注。通过抑制免疫调节 T 细胞来增强抗原呈递的药物包括：达利珠单抗 Daclizumab，地尼白介素-2，用于治疗皮肤性 T 细胞白血病及卵巢癌。

肿瘤免疫微环境对肿瘤生物治疗的影响较大，大量的免疫刺激剂处于讨论和研究中，但确证的临床疗效还有待进一步深入研究。

1.2.4 免疫检验点单克隆抗体

免疫检验点抗体是通过激活正向刺激因子或抑制负向刺激因子来激活病人自身免疫系统中的 T 细胞从而消灭肿瘤细胞的治疗方法。

单抗是由一个 B 淋巴细胞增生、繁殖而成的单克隆细胞所产生的抗体，与一般的抗血清不同，是针对一种抗原的抗体，特异性强，可大量生产，易标准化，分子组成均匀、单一。通过淋巴细胞杂交瘤技术或基因工程技术制备的单抗药物可以作为诊断剂或检测剂，专一性识别相关抗原，对肿瘤相关靶点特异性结合，主要通过抗体依赖性细胞毒性（ADCC）效应、补体依赖性细胞毒作用（CDC）等效应机制选择性杀伤肿瘤细胞。单克隆抗体因具有鲜明的靶向性和显著的疗效，在肿瘤治疗中发展迅速，对淋巴瘤、乳腺癌、结直肠癌、肺癌、肾癌、黑色素瘤等均有疗效。

T 细胞的激活依靠“双信号”细致地调控。一个激活信号是 MHC-TCR 的结合，另一个是共刺激分子（OX40, 4-1BB）和共抑制分子（CTLA-4, PD-L1, PD-1）的信号传递，好比“油门”和“刹车”。运用 OX40、4-1BB 的激活剂单抗犹如“踩油门”，运用 CTLA-4、PD-1/PD-L1 的拮抗剂单抗如同“松刹车”。

目前，负向刺激因子的抑制剂是研究的重点。以抗 CTLA-4 单抗为例，CTLA-4 表达于大部分活化的 T 细胞表面，CTLA-4 与 CD80 结合传导抑制信号，抑制 T 细胞的免疫反应，封闭 CTLA-4 后，活化 T 细胞可以持久发挥抗肿瘤免疫效应。

免疫检验点单抗面临的挑战是，它仅能解除已经位于肿瘤边缘的 T 细胞的束缚或加强呈递，但不能促使 T 细胞攻击肿瘤，一些病人并不会进行免疫反应。

1.3 科技突破带来巨大市场潜力

近年来，随着干细胞生物学、免疫学、分子技术、组织工程技术等科研成果的快速发展，细胞免疫治疗作为一种安全而有效的治疗手段，在肿瘤综合治疗中的作用越来越突出，已逐步发展为继手术、化疗和放疗之后的第四大治疗方法。2013 年免疫抗癌疗法被 Science 杂志评为年度 10 大科技突破之首。

1.3.1 细胞免疫治疗未来市场空间巨大

2011 年，癌症超过心脏病，成为全球第一大死亡原因。WHO 在 2013 年 12 月公布，全球每年新增癌症患者数已经超过 1400 万名，这与 2008 年的统计结果 1270 万人相比，人数大幅增加。同期，癌症患者的死亡人数也有所增加，从过去的 760 万人增加到 820 万人。报告称，到 2030 年，新增癌症病例将增加 50%，达到每年 2160 万人。

花旗银行预测，未来十年癌症免疫治疗药物用于 60% 的晚期癌症患者，有可能会成为潜在的最大药物类别，2023 年销售额将超过 350 亿美元。

我国肿瘤细胞免疫治疗的市场需求是巨大的。据全国肿瘤登记中心发布的数据显示，目前每年新发肿瘤病例超过 300 万例，占全球总数的两成，平均每天确诊 8550 人，全国每分钟有 6 人被诊断为癌症。如果其中 10% 的病人采用免疫细胞治疗，则会有 30 万人的市场容量。

习主席在 2014 年国际工程科技大会的演讲中指出，生物学相关技术将创造新的经济增长点，拓展生产和发展空间，提高人类生活水平和质量。肿瘤细胞免疫治疗在恶性肿瘤、慢性疾病上展现出传统诊疗技术所没有的优势，高效安全、持久彻底，随着技术的进步，监管的成熟，我国细胞治疗产业的高速发展可期。

1.3.2 上市产品较少，在研产品众多

【A】过继性细胞治疗方法产品

2010 年，Sipuleucel-T 细胞获得 FDA 批准用于治疗激素抵抗型前列腺癌，成为第一个经官方批准用于治疗实体瘤的过继性细胞治疗方法。Sipuleucel-T 治疗的基本程序是分离患者的外周血单个核细胞，体外暴露于融合蛋白 PA2024

后，再将其经静脉回输给患者。多项临床实验结果显示，Sipuleucel-T 可降低转移性前列腺癌患者的死亡危险，明显延长中位生存率。

【B】肿瘤疫苗产品

2010 年，美国 Dendreon 公司生产的 Provenge 疫苗经美国 FDA 批准用于治疗晚期前列腺癌，这是第一个自体主动免疫法药物以及第一个真正的治疗性癌症疫苗，为其他同类产品的研发铺平道路，标志着肿瘤疫苗从基础研究正式走向临床研究。截至 2012 年，处于 I-II 期临床研究的肿瘤疫苗已近 140 个，其中以黑色素瘤、肺癌、乳腺癌、前列腺癌的疫苗最多，进入 III 期临床研究的肿瘤疫苗已有 20 多个。

【C】非特异性免疫刺激剂产品

研究发现，卡介苗、OK432 及西咪替丁、左旋咪唑等一些非特异性免疫刺激剂可以诱发非特异免疫反应和炎症反应，活化机体免疫力，抑制肿瘤细胞生长。其中，卡介苗和左旋咪唑已被批准用于肿瘤治疗。

【D】单克隆抗体药物产品

2011 年，百时美施贵宝开发的抗 CTLA-4 单抗 Ipilimumab（伊匹莫单抗）在美国批准上市，这是首个也是唯一被批准上市的免疫检验点抑制剂，用于恶性黑色素瘤的治疗。针对 PD-1 和 PD-L1 的单抗有多家公司正在开发。与此同时，CTLA-4 和 PD-1 单抗的联合治疗试验也在进行。其他针对 OX40、4-1BB 的多个单抗在早期开发中。

1.3.3 政府政策不断完善

在肿瘤细胞免疫治疗领域，我国政府政策处于支持并持续完善的状态，1993 年，国家首次颁布《人体细胞治疗及基因治疗临床研究质控要点》，明确提出制备体细胞治疗及基因治疗的质量控制要点；2009 年颁布《自体免疫细胞（T 细胞、NK 细胞）治疗技术管理规范》；2012 年，在《干细胞研究国际重大科学研究计划“十二五”专项规划》中，明确提出重点支持未来干细胞临床研究和转化的核心技术。

1.4 涉及的主要上市公司

近年来肿瘤免疫疗法的概念方兴未艾,而这种方法也逐渐成为治疗肿瘤的重要手段。全球各生物制药巨头都在这一领域投入巨大的人力物力,希望在这一领域拔得头筹。

1.4.1 国际领军药企积极布局

凯德公司(KitePharma):位于美国加利福尼亚州洛杉矶市,是一家主要从事开发基于免疫和靶向治疗各种癌症技术、产品的生物技术公司。凯德药业的团队主要由专攻肿瘤免疫学的研究人员和临床医生等组成,在开发先进的肿瘤治疗方法方面和有关临床试验的批准、设计和实践方面具有丰富的经验。

Kite 专注于研究自体免疫细胞疗法(eACT),即利用病人自身的免疫系统来消灭癌细胞的肿瘤细胞免疫疗法。公司与NCI合作,目前正在进行TCR疗法第二阶段临床试验和CAR疗法的多个I-II期临床试验,并计划在2015年进行重磅产品KTE-C19的I-II期临床试验。如果试验结果理想,Kite将向FDA申请生物制剂许可证,加速批准KTE-C19成为治疗DLBCL的第三种疗法。

制药巨头们也早已瞄准肿瘤细胞免疫治疗行业。默克今年6月与MorphoSy宣布合作开发针对未公开免疫检查点的治疗性抗体,默克与百时美施贵宝各自以PD1为靶点的抗体药物MK-3475和Nivolumab均进入III期临床试验阶段,罗氏单抗新药Gazyva于13年11月获FDA批准用于治疗慢性白血病(CLL),其抗PDL-1药物RG7446也于今年1月进入了关键临床试验。

1.4.2 国内上市公司处于研发培育期

我们认为细胞治疗潜在市场广阔,随着技术进步、监管成熟,该领域有望取得良性快速发展。国内上市公司标的:冠昊生物、香雪制药、姚记扑克、和佳股份、开能环保、海欣股份、康恩贝。重点关注冠昊生物。

冠昊生物:从事再生医学材料及再生型医用植入器械研发、生产及销售的高科技企业,开发以动物组织为原料的新型生物材料,在此基础上开发新型医用植入器械产品。公司于14年3月成立再生医学开发公司,以细胞技术研发为主,与鑫品生医签订有关免疫细胞储存技术的授权合同,鑫品生医专注于免疫细胞治疗(ACT)平台技术研发,可丰富公司细胞治疗技术及产品种类。

冠昊生物历时9个月现已搭建了一个细胞生产体系平台,ACI项目已进入临床应用阶段。ACI技术是美国FDA审批过的软骨移植技术,可根据患者受损区

域的大小，做成“个体化创可贴”，再移植到受损部位。ACI 项目达产后预计毛利率可达到 70-80%。

香雪制药：以中成药制药和研发为主业，专注于以抗病毒口服液、板蓝根颗粒，是一家集西药制药、生物医学工程和药材规范种植于一体的公司。香雪生命科学研究中心是应公司发展，产业转型以及赶超世界一流制药企业的顶层设计的要求，与国家千人计划特聘专家，中国科学院广州生物医药与健康研究院研究员，国家呼吸病重点实验室教授李懿博士共同创立的现代生物医药研发基地。

香雪制药的“高亲和性 T 细胞受体 (TCR) 介导的抗肿瘤过继免疫创新科研团队”入选第四批广东省引进创新创业团队，获得政府资助额度为 2000 万元人民币。该抗肿瘤过继免疫治疗技术主要针对以肺癌、肝癌和黑色素瘤为主的恶性实体瘤细胞，具备进行临床转化的技术条件，可实现疾病的个体化治疗，有望提高肿瘤的治愈率。

姚记扑克：从事各类扑克牌的设计、生产和销售，是中国主要的扑克牌生产销售企业之一。公司于 2014 年 6 月 4 日公告涉足癌症细胞免疫治疗领域，投资 1.3 亿元持有上海细胞治疗工程技术研究中心有限公司 22% 的股权。

细胞公司是一个集研发实验室、细胞生产工厂、临床应用部门为一体的细胞治疗工程技术公司，在提供高效、特异、安全的细胞治疗产品的同时，根据临床需求开发更为先进的细胞治疗产品、技术及生产工艺。主要股东吴孟超医学科技基金会、白泽生物科技有限公司均有较强的研发实力。细胞公司未来将以癌症的细胞免疫治疗、癌症的基因检测、细胞保存及医疗大数据四大业务为主，打造国内顶尖、国际一流的细胞治疗及研究中心。

和佳股份：已经形成肿瘤微创治疗设备、医用分子筛制氧设备及工程、常规诊疗设备和医疗设备代理经销四大业务板块，为 300 多家医院建设肿瘤综合治疗中心。公司在业内首创推出具有自主知识产权的“和佳肿瘤微创综合治疗解决方案”，代表了国内更为成熟、先进的肿瘤治疗水平。

公司 CIK 生物细胞治疗项目是利用人体免疫系统机制，用自身的抗癌细胞去杀灭癌细胞，使癌细胞不能再侵犯正常组织，实现机体的永久和平，修复人体免疫系统以实现绿色抗癌。CIK 项目通过和肿瘤设备一起或通过合作运营方式销售。

2014年6月，公司与许昌市第二人民医院签订合作协议，合作项目包括建设DC-CIK生物细胞治疗中心。

开能环保：专门从事居家水环保技术研发和产品制造的高新技术企业，开能品牌是上海市著名商标。2014年7月1日，董事会同意公司以自有资金10,000万元认缴出资设立上海原能细胞科技有限公司进行免疫细胞存储项目建设，主要从事免疫细胞采集、制备、储存、研究、应用等。

本项目计划投资12-15亿元，预计2019年可收回投资，预测营业后每年平均综合毛利率约为50%，到2020年该项目的营业收入将达8亿。公司率先高标准、大规模专业从事免疫细胞制备、存储、应用，已聚集了一批在免疫细胞研究上有很深造诣的技术专家团队和资源，具备领先的技术和优势。此外，开能环保已拥有数万高端家庭客户资源，为本项目的成功运行提供保障。

海欣股份：以生产经营长毛绒产品为主，向医药产业和金融领域拓展。子公司海欣生物技术有限公司与上海第二军医大学展开合作，共同研发抗原致敏的人树突状细胞（APDC）项目，用于肿瘤治疗。

APDC是我国首个也是唯一获得CFDA批准进入临床研究的树突状细胞项目。该项研究是国家“863”项目成果的产业化项目，并于2003年完成I期临床研究证实APDC具有良好的安全性，2005年获得国家发明专利。APDC项目目前已获得药物临床试验批件，同意进行III期临床试验，初步选定20家医院为临床研究单位，并启动III期临床试验基地建设方案。

康恩贝：主要从事药品的生产、销售和研发销售业务，系国家中药五十强企业。2011年6月9日，公司与美国凯德药业公司（Kite Pharma, Inc.）签订《AFP项目战略合作框架协议书》，筹资成立合资公司，合作开发AFP项目。

AFP（alphafetoprotein, α 胎蛋白）是用于肝癌的治疗性DNA疫苗药物，DNA疫苗通过刺激抗体产生肿瘤抗原反应，从而达到清除肿瘤的目的。我国国内AFP研究尚属空白，在该项目现有基础上，公司通过与凯德公司合作，在国内同步开展研究开发和新药注册上具备相对优势。

2. 干细胞治疗：“万能细胞”带给人类的福音

2.1 干细胞：具有多分化潜能的“万能细胞”

干细胞 (Stem Cell)，在生物学界又被称为“万能细胞”，它是一种具有自我更新能力以及多向分化潜能的细胞，干细胞的英文“Stem”即为“起源”的意思。干细胞在一定条件下，具有再生各种组织器官和人体的潜在功能；各种克隆技术，如克隆羊、克隆牛，利用的就是基于干细胞的克隆技术。

按照分化潜能，干细胞可分为三大类：全能干细胞、多能干细胞、单能干细胞。

全能干细胞：具有形成完整个体的分化潜能，如胚胎干细胞。

多能干细胞：具有分化出多种细胞组织的潜能，如造血干细胞、神经细胞。

单能干细胞：只能向一种或两种密切相关的细胞类型分化，如上皮组织基底层的干细胞，肌肉中的成肌细胞。

按照发育阶段，干细胞又可以分为：胚胎干细胞与成体干细胞。

胚胎干细胞：胚胎干细胞来源于胚胎或者胎儿细胞，它是一种高度未分化细胞，具有发育的全能性，能分化出成熟个体的各种类型的细胞、组织和器官。从分化潜能来讲，胚胎干细胞具有最高的分化潜能，是真正的“万能细胞”。

成体干细胞：成体干细胞来源于成年动物的许多组织和器官，包括神经干细胞、造血干细胞、肌肉干细胞、皮肤干细胞、乳腺干细胞、肿瘤干细胞、骨髓间充质干细胞等等；简单讲，成体干细胞就是在成熟的“已分化组织”中的“未分化细胞”。成体干细胞具有自我更新能力，并且能够分化成为某种特定功能的细胞，从而使组织和器官保持生长和衰退的动态平衡。

2.2 干细胞治疗：应用范围广，市场空间潜力大

2.2.1 干细胞治疗：利用再生和多向分化特性治病

由于干细胞具有“万能细胞”的多向分化特性，干细胞治疗已被应用与临床医学研究与治疗领域。干细胞治疗是通过干细胞移植来替代、修复患者损伤的细胞，从而达到恢复细胞组织功能，治疗疾病的目的。一般来讲，干细胞治疗可分为干细胞移植、干细胞再生技术以及自体干细胞免疫疗法。

干细胞移植：干细胞移植广泛应用于血液病（如白血病）的治疗。进行造血干细胞移植治疗时，将各种来源的正常造血干细胞在患者接受超剂量化（放）疗后，通过静脉输注植入受体内，以替代原有的病理性造血干细胞，从而使患者正

常的造血及免疫功能得以重建。平时所说的“骨髓移植”实际上就是造血干细胞移植。

干细胞再生技术:这种技术是利用干细胞的复制、再生能力治疗疾病的技术。因为临床上采用的干细胞多来源于骨髓中的造血干细胞,所以也称为自体骨髓干细胞再生术或自体骨髓干细胞移植技术。

自体干细胞免疫疗法:通过调控细胞因子,修复受损的组织细胞,然后通过细胞间的相互作用及产生细胞因子抑制受损细胞的增殖及其免疫反应,从而发挥免疫重建的功能,比如用于哮喘病的治疗。这种治疗方法在观念上完全不同于传统的治疗方法,主要强调通过修复人体免疫细胞来治疗哮喘病等呼吸道疾病。

2.2.2 潜在治疗领域广

干细胞治疗在血液系统疾病(如白血病)、神经系统疾病(如帕金森症)、心血管疾病(如心肌梗死)、肝脏疾病(如肝硬化症)、内分泌疾病(如糖尿病)、自身免疫系统疾病(如系统性红斑狼疮)、呼吸系统疾病(如哮喘病)等多领域均有显著效应,干细胞由于具有自身独特的修复和重建功能,故干细胞治疗具有不同于传统治疗的独特效应及应用潜力。

2.2.3 市场空间潜力巨大

根据GBIResearch, 2001年,全球干细胞市场约3.3亿美元,2004年约10亿美元,2007年约20亿美元,平均每年以34%复合增长率增长,未来20年内,干细胞全球市场规模有望达到4000亿美元。从干细胞市场分布来看,北美地区占比44%,西欧地区占比38%,亚太地区占比17%。干细胞产业在中国市场潜力巨大,据估计2012年我国干细胞医疗规模约62亿元,同比增长53%。中国有2.4亿的心血管病患、4160万的糖尿病患,9400万的阿尔茨海默病患以及1460万的血液肿瘤病患正等待着更积极有效的治疗。

2.2.4 上市产品较少,在研产品空间大

干细胞治疗应用前景广阔,但现今大多数干细胞药物仍处在研发阶段。国际上现有约9款干细胞药品上市,其中韩国的三种药物Hearticellgram-AMI、Cuepistem、Cartistem以及加拿大的Prochymal为干细胞药物,其余均为干细胞生物制剂。

干细胞治疗领先的国际公司如 Neostem、Osiris、TiGenix、Baxter 等均有在研产品处于临床研究阶段。其中较多的目标应用于治疗血液疾病及心血管疾病。

在我国，干细胞药物研发尚处早期。CFDA 曾批准 7 项干细胞药物临床实验，如第二军医大的注射用重组人干细胞因子、中国医学科学院基础医院研究所的骨髓原始间充质干细胞等；而其他大多数干细胞项目是由医院等医疗机构自身开始的临床实验项目。

2.3 政府监管政策不断完善发展

2.3.1 国际发展历程：科技不断进步、政策逐渐完善

目前“全能性”最好的干细胞大多数来自胚胎干细胞，涉及到比较敏感的政策监管及伦理问题。纵观干细胞研究发展的历史，虽然科技进步、政府监管、伦理争议总是互相交织影响，但世界干细胞研究及治疗总体处于不断更新、不断前进状态。

从 1960 年刚刚确立发现胚胎癌细胞是一种干细胞，到 1978 年英国第一个试管婴儿诞生，到 2013 年美国科学家成功克隆出人类胚胎并提取胚胎干细胞，政府政策的监管亦不断完善、开放。2001 年，英国议会通过法案允许克隆人类早期胚胎用于科学研究；2009 年，美国总统奥巴马宣布解禁先前的布什政府禁令，支持联邦经费用于干细胞研究，政策不断完善和宽松。

2.3.2 国内政策：从宽松到叫停，再到重启在即

在我国开展骨髓干细胞移植临床研究及应用较早，积累了较多的临床病例，干细胞移植研究及临床应用处于国际领先水平。上世纪 90 年代，国内政策开始大力支持干细胞临床研究及应用，至 2012 年，监管一直处于较宽松状态，2012 年卫生部与药监局叫停干细胞临床实验，对干细胞治疗行业进行规范整顿；2013 年推出《临床干细胞实验研究管理办法》等征求意见稿，明确规定了干细胞临床实验的申请条件、研究程序以及有效性评价等，为干细胞临床研究及应用提供了规范的政策依据与保障；2014 年，《干细胞临床试验研究管理办法（试行）》等政策专家会已召开，试行方案有望经过进一步修改敲定后发布，届时政策的有效规范、松绑及促进将引领我国干细胞治疗进入规范高速发展期。

2.4 我国干细胞产业链：上游成熟，向中下游拓展

从产业链来看，我国干细胞产业链分为上游（干细胞存储）、中游（干细胞增殖及干细胞新药研发）、以及下游（干细胞治疗），三大主要环节组成，而产业链上的各家企业在其业务上也各有侧重。

就我国干细胞产业发展的目前状况来说，干细胞业务主要集中在产业链的上游即干细胞存储（脐带血库）业务；而干细胞中下游业务（干细胞增殖及干细胞新药研发、干细胞治疗）目前绝大多数项目处于实验阶段，短期内难以得到大规模的市场化应用。脐带血存储是干细胞产业的初级阶段，未来产业化发展的大方向和大市场在于由脐带血库业务向中下游的延伸，拓展到干细胞药物以及干细胞移植业务。

2.4.1 上游：细胞存储业务

产业链上游是干细胞采集和存储业务（主要是脐带血库），是目前最成熟最主要的干细胞领域的产业化项目。其主要业务模式为脐带血干细胞、脐带间充质干细胞、脂肪干细胞、羊膜等干细胞物质的采集及贮存。

脐血造血干细胞库存储业务之所以得到规模化开展，主要是近年来研究发现新生儿脐带血中含有丰富的造血干细胞，将脐血干细胞移植，一方面可以抵制白血病等恶性血液病治疗过程中放疗、化疗产生的副作用，另一方面也可缩短患者造血功能恢复的时间。目前脐血主要用于对儿童造血干细胞移植治疗。除了脐血造血干细胞库外，近年来间充质干细胞库也逐渐发展起来，如深圳市间充质干细胞库、山东省人类脐带间充质干细胞库等。相对于脐血干细胞主要用于治疗血液和免疫系统疾病，脐带间充质干细胞具有更强的医疗应用潜能，它可以分化为神经细胞、成骨细胞、软骨细胞、肌肉细胞以及脂肪细胞等，在细胞治疗、组织器官修复和基因治疗等方面都显示出应用潜力。随着脐带间充质干细胞研究的不断深入，消费者治疗需求也在不断增加，成为未来干细胞存储业务的市场发展点。

脐带血库分为公共库和自体库。公共库接受公共脐带血捐赠，免费保存，支持自用；自体库收费保存，仅为自用。在我国，公共库每省只签发一个牌照，目前共有北京、上海、天津、山东、辽宁、浙江、四川、广东、甘肃、重庆 10 个牌照。对于自体库，监管相对宽松。一般来讲，新生儿脐带血干细胞存储收费方式为两种，一种是首次缴纳 10000-20000 元的处理费，其后的 20 年每年缴纳 500-1000 元的保管费；另一种是一次性缴纳 25000-35000 元的所有费用。

产业链上游的主要代表公司包括：中源协和的天津市脐带血造血干细胞库，金卫医疗的中国脐带血库、上海市干细胞技术公司的上海脐带血造血干细胞库、深圳市间充质干细胞库、以及山东省人类脐带间充质干细胞库等。

2.4.2 中游：干细胞增殖及干细胞新药研发

产业链中游是干细胞增殖（为研发组织和个人提供干细胞），以及干细胞制剂的新药研发，目前国内干细胞增殖及新药主要处于实验阶段，尚无任何药物形式的干细胞治疗产品上市。

产业链中游的主要代表公司包括：北科生物、冠昊生物、中源协和、吉林中科生物、天津昂赛、吉林大学通源生物公司等。

在国内，中源协和的“脐带间充质干细胞抗肝纤维化注射液”已报国家药监局审批；冠昊生物于 2012 年与中科院、中山大学等联合成立“广东干细胞与再生医学产业技术创新联盟”，拟进行干细胞产业化布局，向产业链中下游延伸。在国际上，现有约 9 款干细胞药品上市，其中韩国的三种药物 Hearticellgram-AMI、Cuepistem、Cartistem 以及加拿大的 Prochymal 为干细胞药物，其余均为干细胞生物制剂。

2.4.3 下游：干细胞治疗

产业链下游是干细胞治疗，开展干细胞移植及治疗业务。执业机构主要包括一些开展干细胞治疗的医院，如解放军 302 医院、武警总医院干细胞移植治疗中心、天坛华普医院、海军总医院、211 医院等。根据卫生部《非血缘造血干细胞移植技术管理规范》和《非血缘造血干细胞采集技术管理规范》，在中华骨髓库管理中心备案的造血干细胞移植、采集医院总计超过 110 家，其中 6 家仅有采集资质，23 家仅有移植资质。

我国开展骨髓干细胞移植临床研究及应用较早，积累了较多的临床病例，干细胞移植研究及临床应用处于国际领先水平。上世纪 90 年代，国内政策开始大力支持干细胞临床研究及应用，至 2012 年，监管一直处于较宽松状态，在此期间，我国进行了较多的干细胞治疗手术，当时脐带间充质干细胞治疗每年治疗例数约为 5000 例左右，骨髓干细胞治疗每年治疗例数约为 2000 例左右。2012 年卫生部与药监局叫停干细胞临床实验，对干细胞治疗行业进行规范整顿；2013 年推出《临床干细胞实验研究管理办法》等征求意见稿，明确规定了干细胞临床

实验的申请条件、研究程序以及有效性评价等，为干细胞临床研究及应用提供了规范的政策依据与保障；2014年，《干细胞临床试验研究管理办法（试行）》等政策专家会已召开，试行方案有望经过进一步修改敲定后发布，届时政策的有效规范、松绑及促进将引领我国干细胞治疗进入规范高速发展期。

2.5 国内主要公司：立足上游，布局中下游

2.5.1 中源协和

中源协和是国内干细胞领域的领军企业，是中国最早投资生物资源储存项目的企业，同时也是国家干细胞与再生医学产业技术创新战略联盟副理事长单位。公司成功运营了协和干细胞基因工程有限公司、协和华东干细胞基因工程有限公司、和泽生物科技有限公司等三家国内干细胞知名企业。公司业务主要覆盖四大板块，包括：干细胞存储、干细胞药物制剂、医学检测试剂、以及美容保健业务。

在干细胞存储领域，公司拥有全国最广的干细胞存储网络布局。公司具有天津和浙江公共脐血库牌照，并在全国建立28家子公司，布局自体库，辐射21个省市，覆盖中国2/3的版图和3/4的人口，总存储量达到30万份，每年新增存储数近3万份，2013年细胞检测盒存储收入2.8亿元，同比增长6%。2014年，公司将建设和运营南京市干细胞库，将极大满足以南京为中心的华东地区的干细胞保存的需要，同时符合公司遍布全国干细胞库的发展战略，有利于形成新利润增长点，提高整体竞争力。公司干细胞存储主要包括胎盘早幼期造血干细胞、胎盘亚全能干细胞以及脐带血造血干细胞等。

在干细胞药物制剂领域，公司致力于合作以及自主研发，先后承接了两项国家十二·五863项目和973项目，承担着国家自然科学基金项目“脐带间充质干细胞软骨分化在修复关节软骨缺损中的应用研究”，拥有自主知识产权的70余项国家发明专利，曾获国家自主知识产权发明专利三项，申请并获得受理其它干细胞技术专利八项。协和干细胞基因工程有限公司公司获得授权专利48项，正在申请的专利11项。公司独创的治疗肝硬化药物“脐带间充质干细胞抗肝纤维化注射液”已与2012年中国食品药品监督管理局注册（受理号：CXSL1200056津），所承担的国家干细胞项目为全国之首；公司联合研发的抗栓生物1类新药注射用重组新蛭素（酵母）已于2013年8月获得国家食品药品监督管理总局受理（受理号：CXSL1300060军），并于2013年9月通过了现场核查。

在医学检测试剂业务领域，公司凭借自身现有渠道布局以及 30 万新生儿干细胞存储库存，进一步拓展基因检测等医学检测试剂业务，目标拓展新生儿相关的产前检测、唐氏筛查、新生儿耳聋、孕妇糖尿病/高血压，以及成人基因检测等业务；以干细胞为基础，积极向下游增值服务延伸。同时，公司积极拓展美容护肤及美容保健品业务，布局孕妇婴幼儿产品、女士护肤品、男士护肤品系列。

2.5.2 冠昊生物

冠昊生物是从事再生医学材料及再生型医用植入器械研发、生产及销售的高科技企业。公司近年来，从生物医学材料逐渐发展到细胞治疗技术，形成了两大业务平台：生物医学材料技术平台、细胞治疗技术平台。

在细胞治疗领域，公司 2013 年引进 Orthocell 公司的“基质诱导自体软骨细胞移植疗法”（ACI 技术）作为医疗技术服务，导入广东地区 2 家医院，膝关节软骨膜受损早期是 ACI 的目标人群，应当远大于膝关节置换手术量（每年 6-7 万例），随着技术导入医院数量的增加，未来市场空间应该在 10 亿以上。ACI 技术是美国 FDA 审批过的软骨移植技术，公司引进的是第三代改良技术，可根据患者受损区域的大小，做成“个体化创可贴”，再移植到受损部位。ACI 项目达产后预计可达到 70-80% 毛利率。

2014 年 7 月 1 日，公司公告拟与台湾鑫品生医签订有关免疫细胞储存技术《技术授权合同书》，以 1200 万元的价格获得鑫品生医免疫细胞存储技术在中国大陆地区使用的独家授权；7 月 9 日，公司公告拟与北京大学科技开发部拟共建“北大冠昊干细胞与再生医学研究院”，实现公司在细胞治疗领域的又一次大跨越，标志着公司正式挺进干细胞领域，公司细胞治疗业务进入加速发展期。

2.5.3 金卫医疗

金卫医疗是港股上市公司（代码 0801.hk），公司中是综合性医疗事业集团，主要业务分为医疗服务及医疗设备两大板块。

医疗服务板块：公司持有中国脐带血库（CCBC，纽交所上市）40.9% 的股权，中国脐带血库是中国首家和最大的脐带血库营运商，拥有北京、广东及浙江省的独家经营牌照，以及山东独家营运商的部分权益。CCBC 近年来累计客户 37 万多人，2013 年脐带血业务收入 7.2 亿港币，同比增长 11%。目前广东和浙江新库在

建设中，预计 2015 年上半年逐步投入使用，广东及浙江市场规模比北京市场大 5-10 倍，市场潜力巨大。

CCBC 也是东南亚最大的脐带血库营运商 CordlifeGroupLimited（康盛人生集团，星交所交易代码：P8A）及 CordlifeLimited（澳交所交易代码：CBB）的主要股东。Cordlife 是东南亚地区最大的干细胞库运营商，主要在香港、马来西亚、印度尼西亚运营干细胞库。

在医院领域，公司以“道培医院”为品牌，管理着两家中国最大的血液专科医院，是著名的血液病和造血干细胞移植专家陆道培设立的私立非营利性医院，以及知名的服务中外籍高端人士的上海东方国际医院。

医疗设备板块：公司主要从事血液相关医疗设备的发展、制造及销售，集团专注于发展血液的回收、净化、处理以及保存技术并为中国领先医疗设备品牌。主要产品包括首个获得国家食品药品监督管理局（SFDA）批准的自体血液回收系统（ABRS）、血浆置换治疗系统及快速加温输液泵。

2.5.4 北科生物

北科生物是中国专业从事干细胞基础研究、临床应用研究及干细胞技术支持服务的生物高科技企业。公司成立于 2005 年 7 月，总部位于深圳，员工 700 多名，拥有在干细胞领域成果卓越的多位专家及国内外学者领衔的专业技术研发团队。公司拥有从体外实验、动物模型、临床前研究、转化性研究的一体化产学研体系。在干细胞技术、免疫细胞技术、基因工程等领域持续研发创新。

公司拥有亚洲最大的综合性干细胞库群：一期干细胞库群包括江苏干细胞库、深圳干细胞库和安徽干细胞库，总建筑面积达 30000M²，总设计库容量 200 多万份，总投资近 5 亿元。二期建设包括辽宁干细胞库、河南干细胞库、贵州干细胞库以及印度干细胞库和泰国干细胞库，建成后的总设计库容量将接近 1000 万份。

公司拥有严格的质量控制体系：公司是中国干细胞领域第一家同时拥有 ISO9001、ISO14001 和 OHSAS18001 质量管理体系认证的企业，中国第一家获得国际细胞治疗协会（ISCT）认可的会员单位；中国干细胞领域第一家获得中国合格评定国家认可委员会（CNAS）ISO17025 认可资质的实验室；中国大陆第一家获得美国血库协会（AABB）认证的脐血干细胞库、脐带间充质干细胞库以及现场复审认证的干细胞库。

公司拥有多个子公司：江苏北科、安徽北科、辽宁北科、河南北科、上海祥晖生物科技有限公司、北科国际（香港）、北科国际（印度）等。

公司研发实力雄厚：已申请 40 余项干细胞领域相关专利，20 项获得授权；在国内外包括 Cell Stem Cell 等国际知名刊物发表论文数近百篇；承担各级政府项目 40 余项，其中 3 项国家级项目（1 项 863 项目），并于 2009 年通过国家高新技术企业认定和获得国际细胞治疗协会（ISCT）会员资格。

中国大陆第一家获得美国血库协会（AABB）公司庞大的全球临床转化研究技术支持网络：已在全国各地向 70 多家医疗机构及东南亚、中东、欧洲等多个国家提供细胞治疗临床转化研究技术支持，积累了目前世界上规模最大、数据最全面的体细胞临床研究安全性及有效性数据库。

细胞治疗：生物医药产业下一个风口

目前细胞治疗技术研发仍处于初级阶段，产业发展仍然需要政府的推动与市场的认可。所有的科研项目必须基于实际应用，研究人员更需静下心来专心从事研发工作。

“如果 20 世纪是药物治疗时代，那么 21 世纪就是细胞治疗时代。”从连日来资本市场对细胞治疗领域的布局不难看出，美国生物学家乔治·戴利曾经所述或已成真。

7 月 21 日，银河投资控股子公司银河医药与美国生物技术公司 BrainXel 签订合作意向书，双方将共同开发人类干细胞治疗技术和应用产品，用于治疗脊髓损伤和其他神经系统病变；7 月 27 日，细胞治疗公司 NantKwest 在美国纳斯达克上市，细胞治疗市场的投资热情再度被引爆。

“预计 2020 年干细胞差不多有 4000 亿美元的市场，而免疫细胞有 350 亿美元，国内如果能占到 20% 份额的话，可想而知这个行业的市场增长潜力。”中源协和副董事长王辉对细胞治疗的前景充满期待。深圳市合一康生物科技股份有限公司 CEO 罗晓玲同样表示，随着生物医药市场的回暖，细胞治疗肯定是下一个风口，而且一定值得大家去投资。

“不过，对于细胞治疗，国内现有政策并未完全放开，细胞技术的研发仍需政府推动和市场认可。”罗晓玲说。

资本暗潮汹涌

细胞治疗包括免疫细胞治疗以及干细胞治疗两大类。近年来，细胞治疗受到资本热捧，单以基因细胞修饰治疗为例，进入的资本就由 2013 年的 4.91 亿美元增长到 2014 年的 30 亿美元。

对于投资者来说，面对生物医药领域，投资风格也出现比较大的切换。“以前我们的投资偏中后期、成熟期，随着海归创业人才越来越多，整个环境政策环境越来越成熟，甚至有很多有弯道超车的机会，我们投资的阶段就越来越朝向早期和前期。”在第五届中国医疗健康产业投资与并购大会上，同创伟业的副总裁汪洋的观点是，风险基金可以投到没有盈利甚至没有收入的创新型研发企业，时间选得早，团队又靠谱，往往能带来不菲的收入和回报。

汪洋表示，投资机构重点会偏向更加创新的、有实力的企业，目前，同创伟业在生物医药领域就已经投资了 30 家企业，已经上市的公司有 4 家。在他看来，细胞治疗将是生物医药领域下一轮增长点。

“不管是一级市场还是二级市场，由于整个生物医药环境的回暖，投资公司也在加大该领域的布局。”盘古创富董事长兼 CEO 许萍同时表示，“以前觉得细胞治疗离自己还很遥远，但现在越来越多的人开始关注这一块，无论是免疫细胞还是抗衰老。目前，细胞治疗整个产业链需要打通，需要有更多的资本、人才往这个领域涌进。”

可以说，国内持续多年对细胞治疗行业的关注，终于在资本市场迎来了爆发点。据统计，2014 年全年共有 10 余起与免疫细胞行业有关的并购和重大投资，A 股市场因此形成了“免疫治疗”概念板块。

与此同时，不断有上市公司跨界布局细胞治疗这一领域，这些公司的主业甚至与细胞行业大相径庭，比如以生产经营毛绒品为主的海欣股份以及开能环保、姚记扑克等。细胞治疗市场的火热程度可见一斑。

行业存在误区

作为国内首家独立以免疫细胞技术研发和临床应用技术服务为主营业务挂牌新三板的公司 CEO，罗晓玲对细胞治疗有着自己的感受，她认为，“目前我们对干细胞和免疫细胞技术的认识仍存在误区，对于技术研发的投资需要更多的时间和耐心”。

第一个误区直指干细胞的安全性，罗晓玲表示，干细胞技术发展至今，业界都认为其“做得很乱”，但值得注意的是，干细胞治疗至今并未出现大的医疗纠纷，也正因为对其安全性的认可，国家才多次对其简政放权。

3月30日，国家卫生计生委与国家食品药品监督管理总局联合发布《关于征求干细胞临床研究管理办法（试行）》，明确了干细胞技术可开展临床研究。

5月14日，国务院发布《关于取消非行政许可审批事项的决定》，取消了包括原来由国家卫生计生委负责的造血干细胞移植、基因芯片诊断、免疫细胞治疗等“第三类医疗技术临床应用准入”非行政许可审批。

在罗晓玲看来，“安全应该是取消行政审批的一个理由，只有安全才有可能继续往前走，才有可能进一步升级”。另外一个误区在于，技术路线和产品路线属于不同的概念，“技术路径和产品路径一定是不同的，如果投资技术路径，需要更多的时间和耐心，而产品路径则是在安全的、符合伦理的原则下直接让患者受益”。

在罗晓玲看来，“细胞治疗在我国有着非常好的发展机遇，我们应该更加稳妥且自信地向前迈进”。

期待政策松绑和技术升级

业界普遍认为我国细胞治疗“起了个大早，赶了个晚集”，究其原因，前期投入大、临床应用技术壁垒高以及政策尚未放开等原因导致整个行业发展缓慢。

一位行业权威人士表示，对于细胞治疗，现有政策并未完全放开，业内对政策放开的理解有所偏差。放开相关政策需要满足一系列条件，如在达到细胞质量的要求后还要经科学委员会、伦理委员会通过等。

生物谷创始人兼 CEO 张发宝表示，国家对一些新的技术、新的产品都抱有非常谨慎的态度，尤其干细胞这样一个国际上都很新鲜的事物，法规永远滞后于技术。

“政策层面的松绑其实带来的是一个产业的激活，所以，细胞治疗产业可能会随着政策松绑和进一步的支持，从而进入快速审批、快速上市的阶段。”张发宝觉得，国家政策的利好可能会带来整个行业发展的快速变化。

除此之外，细胞治疗的发展还有赖于技术的提升，张发宝表示，细胞治疗的产业化瓶颈主要表现在，技术上较难找到靶点，而且病患都很个体化，没有同一

性，研发周期相对较长，资金也比较缺乏，“国家应给予一定的资金支持，不过最终资金还是要来源于市场”。

罗晓玲则认为，目前细胞治疗技术研发仍处于初级阶段，产业发展仍然需要政府的推动与市场的认可。在此情况下，一方面所有的科研项目必须基于实际应用，方可少走弯路；另一方面研究人员更需静下心来专心从事研发工作，不能迷失方向。