

北京市科学技术委员会、中关村科技园区管理委员会
北京市经济和信息化局
北京市卫生健康委员会
北京市医疗保障局
北京市药品监督管理局

关于印发《北京市加快细胞与基因治疗产业 创新发展三年行动方案》的通知

京科发〔2024〕27 号

各有关单位：

为深入实施《北京市加快医药健康协同创新行动计划（2024—2026 年）》，加快培育细胞与基因治疗创新策源地和产业发展高地，北京市科学技术委员会、中关村科技园区管理委员会，北京市经济和信息化局，北京市卫生健康委员会，北京市医疗保障局，北京市药品监督管理局联合制定了《北京市加快细胞与基因治疗产业创新发展三年行动方案》，现印发给你们，请结合实际认真贯彻落实。

特此通知。

北京市科学技术委员会、中关村科技园区管理委员会

北京市经济和信息化局

北京市卫生健康委员会

北京市医疗保障局

北京市药品监督管理局

2024年12月26日

北京市加快细胞与基因治疗产业创新发展 三年行动方案

为深入实施《北京市加快医药健康协同创新行动计划(2024—2026年)》，充分发挥北京细胞与基因治疗领域的原始创新和临床资源优势，加快培育新质生产力，打造领先的创新与产业高地，特制定本行动方案。

一、总体要求

(一)发展思路

瞄准生命科学与生物技术前沿，抢抓细胞与基因治疗科技创新和产业发展爆发式增长的关键窗口期，以临床需求与应用为导向，围绕基础研究、技术创新、临床试验、审评审批、检验检测、安全评价、生产应用全链条，坚持研发与转化并重，全面统筹推进原始创新突破、关键核心技术攻关、临床研究能力提升、公共服务平台建设、产业链上下游配套、创新品种上市应用、创新政策先行先试与产业生态持续优化完善，全面提升北京细胞与基因治疗科技创新和产业发展能级，加快培育形成具有全球影响力的细胞与基因治疗创新策源地和产业发展高地。

(二)基本原则

坚持创新策源，强化技术攻关。瞄准科技前沿，聚焦干细胞治

疗、免疫细胞治疗、基因治疗等重点领域和关键环节,加强基础研究和应用基础研究,加快发现一批新靶点、突破一批关键核心技术,全面提升细胞与基因治疗领域的原始创新策源能力。

坚持平台赋能,强化服务支撑。以加快细胞与基因治疗创新链和产业链深度融合为导向,推动概念验证、小试中试、检验检测、应用推广等服务平台提质扩面,持续构建综合性、专业化的平台服务体系,助力细胞与基因治疗药物研发应用提速。

坚持全链发展,强化政策保障。围绕基础研究、技术攻关、临床转化、产品创制、落地应用等全链条,强化研发、审批、生产、应用、监管等环节的统筹协调与资源配置,构建全链条贯通的产业创新发展生态。

(三)发展目标

以打造细胞与基因治疗产业创新策源地和增长极为主线,持续构建完善创新链和产业链融合的产业创新生态,不断增强北京医药健康产业高质量发展新动能。

到 2027 年,创新效能持续释放,加速产出一批原创性引领性成果,突破一批关键核心技术,新增临床试验批件 15 个以上,提交上市申请创新品种 5 个以上;产业生态更加完善,建设产业亟需的共性技术服务平台,为不少于 20 个品种提供技术研发、概念验证、检验检测等服务;产业集聚效应初步显现,培育细胞与基因治疗领域的前沿技术企业 20 家以上,上市企业 3 家以上,加速形成具有国际影响力的细胞与基因治疗产业集群。

二、重点任务

(一)加快原始创新突破

围绕新型基因编辑系统挖掘、基因表达调控、表观遗传新机制、药物递送新载体以及免疫应答机制等方向,充分发挥在京国家战略科技力量的带头作用,支持各类创新主体产学研深度融合,积极承接细胞与基因治疗领域国家重大科技任务,集中优势力量开展前沿研究。强化基础研究前瞻性、战略性、系统性布局,统筹好战略导向的体系化基础研究、前沿导向的探索性基础研究、市场导向的应用性基础研究。在基因操控技术方面,支持探索新型 DNA 编辑技术、新型 RNA 编辑和修饰调控新技术以及新型蛋白调控技术等路径。在免疫细胞方面,支持开展功能性免疫细胞的调控机理、挖掘靶向致病细胞和分子的特异性新靶点等研究,开发应用于恶性肿瘤、罕见病、自身免疫性疾病、神经系统疾病等通用型异体细胞或体内构建功能细胞疗法。在干细胞方面,组织开展干细胞干性维持与定向分化调控、多能性预测和遗传稳定性风险评估、干细胞规模化扩增和高效分化以及类胚胎、类器官、类系统制造原理、路径与新方法等应用基础研究。(责任单位:市科委中关村管委会)

(二)加强关键核心技术攻关

推动人工智能和生命科学前沿技术的交叉融合,支持围绕免疫细胞药物、干细胞药物、基因编辑和基因治疗药物的底层技术,以及药物递送、细胞培养、药物制剂等环节开展关键技术攻关。在

基因编辑技术方面,重点突破单碱基编辑技术、小片段基因编辑技术、大片段高效特异定点整合技术等精准基因编辑技术。在药物递送方面,加强非肝靶向的药物递送技术、新型病毒和纳米载体药物递送技术的攻关,支持进一步提升药物载体递送效率、安全性、靶向性、稳定性等。在细胞培养方面,支持高效安全细胞命运重编程技术、新细胞系构建、特定细胞亚群分化等技术攻关,开发细胞纯度和分化细胞的功能效能检测、基因组稳定性和安全性评价等。(责任单位:市科委中关村管委会)

(三)提升临床研究水平和效率

建设与国际接轨的细胞与基因治疗临床研究和转化平台,完善临床研究质量控制体系和风险管理体系,提升免疫细胞药物、干细胞药物、基因治疗和基因编辑药物等临床研究质量和效率。支持研究型医院提升创新能力,吸引全球高水平细胞与基因治疗临床试验项目落地。支持符合条件的医疗机构开展早期探索性临床研究。支持医疗机构为细胞与基因治疗企业提供药物临床试验和临床研究服务。(责任单位:市卫生健康委、市科委中关村管委会)

(四)持续建设产业创新亟需平台

加快布局小核酸、细胞外囊泡、类病毒颗粒等新兴技术领域的服务平台,强化细分赛道服务能力。加速基因药、mRNA 药等 CDMO 平台的建设进程,尽快形成服务能力。支持龙头企业与新型载体递送系统和新型高端制剂等前沿技术平台、国际临床试验服务平台、高端试剂耗材供应平台等加强合作,推动服务向产业链

上下游延伸,提升跨领域、全链条、国际化服务能力。(责任单位:市科委中关村管委会、市经济和信息化局)

(五)加速创新品种研发上市进程

支持企业和创新团队在免疫细胞药物、干细胞药物、基因治疗和基因编辑药物等方向,针对恶性肿瘤、心脑血管疾病、自身免疫性疾病、神经系统疾病及罕见病等,开展新靶点、新技术、新适应症的品种研发。加强细胞与基因治疗产品监管科学研究,探索细胞与基因治疗药物的质量标准和评价体系,充分发挥创新服务站作用,优化细胞与基因治疗产品研发申报服务。对已经进入临床关键阶段的突破性治疗品种,采取“动态跟踪,全程服务”的方式,在注册申报、许可办理等方面“一品一策”、提前介入、全程指导,在临床试验、产业化落地等方面给予全链条服务,加速实现品种上市。(责任单位:市科委中关村管委会、市药监局、市卫生健康委、市经济和信息化局)

(六)推动创新药物市场应用

积极服务已获批的细胞与基因治疗创新药申报国家医保药品目录,推动创新药加快入院应用。对已批准设立的医疗服务价格项目,鼓励医疗机构随时备案并开展应用。鼓励商业保险公司与医疗机构、医药企业等合作,开发细胞与基因治疗相关的商业健康保险产品,探索按治疗效果收费等商业保险新模式,优化理赔方式,推进覆盖相关创新产品商业健康保险的直接结算。依托北京普惠健康保特药清单动态调整机制,推动符合条件的上市创新药

及时纳入北京普惠健康保特药清单。（责任单位：市医保局、市药监局、市卫生健康委）

（七）加快补齐产业链供应链短板

围绕细胞与基因治疗产业上下游 GMP 级核酸酶、检测用细胞和菌毒种、核糖核酸等关键原材料，滤膜、填料、分选激活磁珠、细胞冻存液、细胞药物制剂包材等试剂耗材，一体化细胞培养仪、大规模细胞药物分装设备、多参数在线质量控制系统等生产、质控用核心装备等，支持高校院所、企业联合开展工程化攻关，增强供应链的自主可控能力。引育一批具有自主知识产权和核心竞争力的供应链、产业链领军企业，补齐供应链短板。（责任单位：市经济和信息化局、市科委中关村管委会、相关区政府）

（八）打造细胞与基因治疗产业集群

加速昌平实验室、新型研发机构和高校院所的前沿突破性创新成果在京转化，培育一批前沿技术企业。引进和培育一批免疫细胞治疗、基因治疗、干细胞治疗、小核酸、mRNA 药物等细分赛道的高成长性企业，并推进加速成长为专精特新“小巨人”企业、隐形冠军企业、独角兽企业等。聚集一批具有较强国际竞争力的细胞与基因治疗领军企业落地发展，支持企业设立海外研发中心，开展全球投资与并购。强化空间供给和区域统筹，聚焦我市医药健康产业主导区，做强细胞与基因治疗特色产业园区，打造领先的产业集群。（责任单位：相关区政府、市经济和信息化局、市科委中关村管委会）

(九)积极推动政策先行先试

充分发挥“两区”建设与中关村先行先试政策叠加优势,积极开展外商投资准入试点工作,支持符合条件的外商投资企业从事人源干细胞、免疫细胞、基因诊断与治疗技术开发与应用。探索建立临床急需的细胞与基因治疗药物临时进口审批绿色通道,提升北京临床急需药品供应保障能力。持续落实北京生物医药研发用物品进口“白名单”制度,及时将符合要求的细胞与基因治疗品种研发过程所需相关物品纳入“白名单”。深入推进北京市人类遗传资源管理先行先试,加强靠前指导和全程跟踪服务,进一步提高人遗项目申报效率。(责任单位:市科委中关村管委会、市卫生健康委、市药监局)

三、保障措施

(一)加强市区统筹协调

发挥市医药健康统筹联席会工作机制,强化对细胞与基因治疗产业创新发展的统筹协调,聚焦关键环节做好布局与全流程服务协调工作。

(二)优化投融资支持

发挥北京市医药健康产业投资基金的引导作用,带动社会投资推动一批细胞与基因治疗原创技术和品种在京转化落地。加强企业上市服务,鼓励企业在北京证券交易所等资本市场申报上市。

(三)强化队伍建设

深入实施服务科学家创业 CEO 人才特训班、医药高级研讨

班、医疗卫生领域创新力培养计划等,引育基因编辑、药物递送等技术工艺开发、细胞功能效能检测等产业亟需人才。

(四)营造产业发展环境

依托中关村论坛、服贸会等重大活动平台,高标准举办细胞与基因治疗平行论坛、展览展示、学术会议、创业大赛、路演推介等活动,促进信息交流、成果转化、品牌建设,提升北京细胞与基因治疗产业创新发展影响力。

本方案自印发之日起施行,有效期至2027年12月31日。本方案实施期间如遇国家和北京市相关政策调整,按照国家和北京市最新政策规定执行。