附件1

北京市高质量建设细胞与基因治疗产业集群实施方案（2024-2026年）

（征求意见稿）

为充分发挥北京细胞与基因治疗领域原始创新和临床资源优势，加快培育细胞与基因治疗领域新质生产力，建设国际领先的细胞与基因治疗产业集群，特制定本实施方案。

一、总体目标

以打造细胞与基因治疗产业创新策源地和增长极为主线，持续构建完善基础研究、创新研发、临床转化、产品创制、落地应用等全链条贯通的产业创新生态，持续增强全市医药健康产业高质量发展新动能。

到2026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；**产业集聚效应显现，**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，引进跨国公司1-2家；**产业生态更加完善，**建设产业亟需的转化承载平台和共性技术服务平台，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。初步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）抢占前沿基础研究高地**

瞄准世界科技前沿，支持开展新型基因编辑和脱靶评估、新型RNA编辑和修饰调控、致病细胞新靶点发现、通用型异体细胞治疗新策略开发、通用型工程化细胞改造等探索性基础研究，以及干细胞干性维持与定向分化调控、干细胞规模化扩增和高效分化，以及类胚胎、类器官、类系统制造的路径与新方法等应用基础研究，提供高水平源头创新供给。

**（二）加速关键核心技术突破**

围绕基因编辑工具、载体研发、生产工艺等关键环节，支持开展具有自主知识产权的关键技术攻关，重点突破从单碱基编辑到大片段DNA操纵等多尺度遗传操作的精准基因编辑、非肝靶向的精准载体递送及新型仿生载体递送、高效安全的新细胞系建立等关键技术。支持大规模高活性载体生产工艺、免疫细胞治疗药物全封闭、自动化的规模化制备工艺、细胞与基因治疗品种全生命周期质量控制体系等技术攻关，提升细胞与基因治疗产品竞争力。

**（三）提升临床研究转化能力**

以国家医学中心、国家临床医学研究中心为核心，依托研究型病房组建临床研究联合体，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质控体系，提升临床研究质量和效率，加速细胞与基因治疗创新品种临床研发进程。支持国际研究型医院提升技术创新能力，吸引全球高水平细胞与基因治疗临床试验项目落地。建立细胞与基因治疗临床研究备案绿色通道，支持符合条件的医疗机构开展极早期临床研究，在安全性、有效性评价等研究方案设计上给予指导。对每年为本市细胞与基因治疗企业提供药物临床试验和临床研究服务项目的医疗机构给予一定金额的后补贴。

**（四）强化产业亟需平台支撑力量**

支持转化承载平台持续提升专业技术服务能力，为细胞与基因治疗初创企业提供低成本、高效率、专业化的技术开发、概念验证、小试中试等服务。支持建设载体递送、新型细胞培养、检验检测、工业级核酸合成等共性技术服务平台，为细胞与基因治疗创新企业提供标准化、规模化、质量稳定的技术研发、生产工艺开发、产品质量评价、制剂开发和生产等服务。

1. **加速创新品种研发上市进程**

支持本市企业或创新团队开展具有全新靶点、新技术、新适应症的细胞与基因治疗品种研发，推动一批具有国际影响力、市场潜力大的创新品种快速形成产业增量。加强细胞与基因治疗品种质量标准和评价体系探索。充分发挥国家和市级创新服务站作用，推动细胞与基因治疗品种审评服务前置。对本市已经进入关键临床的突破性治疗品种，采取“动态跟踪，全程服务，研审用联动”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、产业化落地给予全链条服务，加速实现品种的市场应用。

**（六）推动创新药物市场应用**

积极服务细胞与基因治疗创新药申报国家医保药品目录。推动国产创新药、临床亟需新药加快入院应用，对已批准设立的新增细胞与基因治疗医疗服务价格项目，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、医药企业合作，开发细胞与基因治疗相关的商业健康保险产品，探索细胞与基因治疗创新技术按治疗效果收费等商业保险新模式；支持优化理赔方式，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，积极推动符合条件的上市创新药品纳入北京普惠健康保特药清单。

**（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工业级关键原材料、试剂耗材、生产用核心装备等，引育一批具有自主知识产权和核心竞争力的供应链、产业链相关企业，开展工程化攻关，增强自主可控能力。鼓励高校院所、企业联合开发无血清细胞培养基、色谱填料、激活磁珠、细胞冻存液、细胞培养仪、自动化封闭式细胞处理系统，以及全封闭、自动化、一体化、全流程的国产化工艺设备，降低细胞与基因治疗产品生产成本。

**（八）梯度培育优质企业群体**

支持原创技术成果转化落地，培育一批初创企业和前沿技术企业。扶持一批发展潜力大的高成长性企业，支持其在原始创新和关键核心技术攻关等方面承担重大任务、扩增研发管线，促进企业发展壮大。鼓励创新企业在细分领域深耕厚植，加快成长为专精特新“小巨人”企业、隐形冠军等。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。

**（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体干细胞、基因诊断与治疗技术开发和技术应用，以用于产品注册上市和生产。优化临床急需的细胞与基因治疗产品进口审批工作流程，提升北京临床急需的细胞与基因治疗产品供应保障能力。持续落实北京生物医药研发用物品进口“白名单”制度，及时更新细胞与基因治疗品种研发过程所需相关物品纳入通关“白名单”。深入推进北京市人类遗传资源管理先行先试试点，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。

**（十）强化产业发展要素保障**

发挥北京医药健康产业投资基金、财政资金、社会资本等引导支撑作用，加大对细胞与基因治疗产业的支持力度。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。做好医药健康领域人才服务，实施科学家创业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，引育技术开发、工艺生产、质量检测等产业亟需人才。针对细胞与基因治疗领域的产业项目，相关区政府强化空间供给，做好落地服务保障工作。

三、保障措施

**（一）强化统筹协调。**发挥北京市医药健康统筹联席会作用，强化统筹协调和监督落实，协调全市资源，加强服务的连贯性，促进产业发展。

**（二）强化主动服务。**强化主动服务意识，细化工作任务，提高精准服务效能，全力保障推动细胞与基因治疗的研发、生产、应用全流程。

**（三）营造良好氛围。**高标准举办细胞与基因治疗峰会、展会、学术会议等活动，促进信息交流、成果转化、品牌建设，加速释放细胞与基因治疗产业发展强劲活力。