

临床应用正式开启 干细胞创新药风口已至



■廖木兴/图

1 美中两款干细胞药物近期分别获批上市

今年1月,我国首个干细胞药品艾米迈托赛注射液获批上市,这是国内首款获批的干细胞疗法。在这之前才两周,美国食品药品管理局(FDA)正式批准了首款间充质干细胞药品Ryoncil用于治疗儿科患者的类固醇难治性急性移植物抗宿主病(SR-aGVHD)。

细胞治疗大体可分为干细胞治疗和免疫细胞治疗两大类。干细胞治疗主要有胚胎干细胞、成体干细胞、诱导多能干细胞治疗和其他特殊类型干细胞治疗;免疫细胞治疗则包括CAR-T细胞疗法、NK细胞疗法、CIK细胞疗法等。

被医学界称之为“万用细胞”的干细胞,是一类具有自我复制能力的多潜能细胞,在一定条件下,它可以分化成各种组织器官的祖细胞。干细胞治疗就是指把健康的干细胞移植到患者体内,从而修复病变细胞或再建正常的组织。临幊上较常使用

的干细胞种类主要有间充质干细胞、造血干细胞、神经干细胞、皮肤干细胞、胰岛干细胞、脂肪干细胞等。中美两国分别获批的两款干细胞药品均为间充质干细胞,涉及的适应症都是移植物抗宿主病。

间充质干细胞药物在全球获批的干细胞药物中占据主导地位,是当前干细胞药物转化的核心类型,主要来源包括骨髓、脐带、脂肪等。截至2025年1月,全球已上市的间充质干细胞药物达16款,覆盖急性移植物抗宿主病、心肌梗死、骨关节炎等多种适应症。截至2024年10月,中国已获批的干细胞药物临床试验申请(IND)中,间充质干细胞药物占比达73.6%。为此,国家药审中心还在2024年1月发布《间充质干细胞防治移植物抗宿主病临床试验技术指导原则(试行)》,为间充质干细胞治疗急性移植物抗宿主病的临床研究指明了方向。

2 已上市干细胞药物 主要治疗免疫、退行性、缺血性疾病

专家指出,干细胞疗法在治疗多种疑难杂症方面展现出巨大潜力,如帕金森病、渐冻症、心血管疾病、神经退行性疾病等。

干细胞研究在近20年取得了显著进展。目前全球已上市或进入临床后期的干细胞药物,主要集中在免疫相关疾病(以移植物抗宿主病为典型)、退行性疾病(骨关节炎、脊髓损伤)、缺血性疾病(心肌梗死、严重肢体缺血)几类。最具代表性的包括全球首个获批的干细胞药物是2011年由韩国Pharmicell公司研发获批上市的Cellgram,这是一款自体骨髓间充质干细胞,用于治疗心肌梗死,是干细胞治疗从实验室走向临床的标志性产品;2012年,加拿大研发上市的骨髓间充质干细胞药品Prochymal,是全球首款“即用型”干细胞药物(无需配型),适应症是儿童急性移植物抗宿主病(GvHD),曾在美国通过扩展访问计划使用,后更名为Ryoncil;日本首款获批的骨髓间充质干细胞药品Temcell在2015年上市,适应症是类固醇难治性急性GvHD;2024年美国FDA批准的首款间充质干细胞药物Ryon-

cil,适应症是儿童类固醇难治性急性GvHD(SR-aGVHD),为当前全球最贵干细胞药物之一;2025年中国研发的艾米迈托赛注射液上市,这是一款脐带间充质干细胞,用于治疗14岁以上消化道受累为主且激素治疗失败的急性移植物抗宿主病,是中国首款获批的干细胞药物,通过优先审评通道加速上市,从临床到获批仅18个月。

中国科学院院士、解放军总医院第五医学中心感染部医学部主任王福生曾明确表示,我国间充质干细胞治疗技术已处于全球领先水平,更复杂的疾病2型糖尿病、帕金森病、慢性肾病或成下一突破口。上海交大团队干细胞分化胰岛细胞,小鼠血糖下降60%;海军军医大学实现2型糖尿病患者33个月无胰岛素依赖;北京协和医院全球首例诱导多能干细胞(iPSC)移植,帕金森病患者运动功能恢复率提升70%;在慢性肾病领域,干细胞修复肾小球有效率超75%,肌酐值平均下降40%。随着生产标准化和机制研究深入,干细胞疗法有望从“小众治疗”发展为更多难治性疾病的常规选项。

3 监管和支持政策 让我国干细胞药物进入规范发展阶段

我国近年来陆续出台了多项监管和产业支持政策,明确支持干细胞药物发展。

在监管层面,中国在细胞治疗方面的基础研究和临床试验开展较早,但是早期作为医疗技术服务监管较为宽松。2012年,国家卫健委的前身国家卫生部暂停所有干细胞治疗活动,促使政策逐步完善。2015年,国家发布《干细胞临床研究管理办法(试行)》,正式进入规范化发展阶段。2017年10月,国家食药监总局修订的《药品注册管理办法》规定细胞治疗类产品按新药受理申报,同年12月药品审评中心发布指导原则明确细胞制品按药品评审程序注册监管。2020年,CDE出台了多个干细胞药物相关的技术指南,明确了干细胞药物的申报途径和标准。

在政策支持层面,我国陆续出台支持政策为干细胞治疗产业发展保驾护航。

近年来,国家将细胞治疗产业纳入生物医药领域重点支持和发展的方向。干细胞医疗被相继写进《“十四五”国家规划》和《“健康中国2030”规划纲要》。其中《“十四五”国家规划》指出,重点发展干细胞治疗、特异性免疫球蛋白、基因治疗产品、免疫细胞治疗等。此外,北京、天津、湖南等各省市也出台了多项利好政策,行业发展环境持续改善。

从2020年开始,中国逐步确立了干细胞作为创新药的规范化的管理体系,临床试验申请(IND)的数量呈现快速增长趋势。国内干细胞已进入规范发展阶段,新药研发加速前进。截至2024年12月31日,全国已有56家企业(不含子公司)的142款干细胞药物IND获得受理,其中多个项目已进入临床Ⅱ期和Ⅲ期试验阶段。

4 全球市场将迎爆发式增长 未来有望惠及更多患者

美国和中国先后迎来首款间充质干细胞药物的获批,让2025年成为全球干细胞药物商业化关键节点。从全球干细胞产品的定价来看,价格从几万美元到几十万美元不等,而中美两款产品定价差距较大。从已公布的定价来看,我国获批的干细胞药物艾米迈托赛注射液单次治疗费用1.98万元,完整疗程(8次)约15.84万元,这一价格仅为美国产品Ryoncil(单次19.4万美元,约139万元人民币)的1/70,显著低于韩国(Cartistem单剂1.9万-2.1万美元)、日本(Temcell标准疗程12.3万-18.5万美元)等全球已上市干细胞药物。

据弗若斯特沙利文数据,全球干细胞来源细胞疗法产品市场规模在2023年为1亿美元,预计2027年将快速增长至27亿美元(2023-2027年复合年增长率116.8%),并在2030年进一步扩大至114亿美元(2027-2030年复合年增长率61.5%)。

弗若斯特沙利文预测,中国干细胞来源细胞疗法产品市场将呈现爆发式增长:2027年市场规模约14亿元,2030年将增至180亿元(2027-2030年复合年增长率137.2%),增速显著高于全球水平。另一份前瞻产业研究院的数据将干细胞医疗产业链包括存储、药物开发和治疗三个方向进行统计,预计2029年将超过2000亿元,未来几年将持续增长,并在全球市场中占比进一步上升。

庞大的市场、深不见底的潜力、政策的支持,让干细胞技术成为当前生物医

药企业最青睐的赛道之一。据不完全统计,全球布局干细胞药品研发的企业数量较多。美国、日本等国企业凭借早期技术积累,在干细胞药物研发中占据重要地位,部分企业已实现产品上市或进入临床后期,如Mesoblast、Allele Biotechnology、SanBio、BlueRock Therapeutics等,涉及美国、欧盟、日本等地区。国内干细胞药品研发企业同样活跃,超过40家企业设有研究管线,如中源协和、汉氏联合、天士力、华夏源、泉生生物、泽辉辰星、泉生生物、中观生物等,涵盖间充质干细胞(MSC)和诱导多能干细胞(iPSC)等主流研究方向。

2025年截至3月22日,我国已有7款干细胞药品被CFDA正式受理。行业观察人士认为,行业将进入快速扩张阶段,中国有望成为全球干细胞药品市场的重要增长极。

业内人士指出,尽管价格已显著低于国际水平,但15.84万元的疗程费用仍超出部分家庭承受能力。由于干细胞药物多针对罕见病(如急性移植物抗宿主病),患者基数小,短期内纳入医保难度较大。未来可能通过技术迭代与规模化、扩展适应症等举措降低生产成本,通过商保与分期支付,降低患者即时经济压力。



扫码获取更多
健康医药资讯