

上海市科学技术委员会 上海市经济和信息化委员会 上海市卫生健康委员会

沪科规〔2023〕10号

关于印发《上海市促进基因治疗科技创新与 产业发展行动方案（2023-2025年）》的通知

各有关单位：

经市政府同意，现将《上海市促进基因治疗科技创新与产业发展行动方案（2023-2025年）》印发给你们，请认真推进落实。特此通知。

上海市科学技术委员会

上海市经济和信息化委员会

上海市卫生健康委员会
2023年8月31日

（此件主动公开）

上海市科委办公室

2023年8月31日印发

上海市促进基因治疗科技创新与产业发展 行动方案（2023-2025年）

细胞与基因治疗是全球科技与产业竞争的重要“新赛道”。为贯彻落实《上海市建设具有全球影响力的科技创新中心“十四五”规划》，深入实施《上海市促进细胞治疗科技创新与产业发展行动方案（2022-2024年）》，推动基因治疗与细胞治疗协同发展，加快打造生物医药科技创新“核爆点”和产业发展“集聚区”，特制定本行动方案。

一、指导思想

以习近平新时代中国特色社会主义思想为指导，深入贯彻落实党的二十大精神，立足新发展阶段，完整、准确、全面贯彻新发展理念，构建新发展格局，推动高质量发展，始终坚持“四个面向”，针对基因治疗学科交叉范围广、技术开发壁垒高、临床应用挑战多、产业发展潜力大等特点，坚持研发与转化并重、创新与服务并进，全力突破关键核心技术、提高临床研究和转化能力、推动生产工艺进步、优化产业发展生态，全面提升上海基因治疗科技创新策源能力和产业发展能级。

二、基本原则

——**坚持创新策源，加强战略布局。**面向世界科技前沿，强化基础研究前瞻布局，推动基础理论和方法创新，提升原始创新能力；面向全产业链，强化关键核心技术攻关布局，力争突破一批底层技术，为催生一批重磅创新产品提供支撑。

——**坚持全链发展，加强四链融合。**建立全链条资源配置机制，推动创新链、产业链、资金链、人才链深度融合；强化产学研医协同，疏通基础研究、应用研究和产业化双向链接的快车道，推动创新成果转化与产业化，构建基因治疗科技创新和产业发展新格局。

——**坚持产业导向，加强政策保障。**创新体制机制，促进创新策源和产业发展；完善政策保障体系，推进有效市场和有为政府有机结合，加快人才、技术、资金等创新要素集聚，营造优良的产业发展生态。

三、主要目标

到 2025 年，上海基因治疗科技创新策源能力进一步增强，临床研究和转化应用能力进一步提升，创新体系进一步完善，产业生态进一步优化，成为基因治疗科技创新重要策源地，为产业高质量发展提供新动力。

——**创新策源能力持续提升。**建设提升 20 家以上基因治疗相关创新基地和平台（重点实验室、技术创新中心等），基本形成自主可控的基因治疗技术创新体系；涌现一批创新成果，在基因编辑、药物递送等领域形成一批具有自主知识产权的关键核心技术。

——**临床转化能力持续增强。**建设 5 个以上基因治疗及相关领域临床医学研究中心和示范性研究型病房；探索建设基因治疗特色研究型医院；新增临床试验批件 5 个以上。

——**产业活力持续跃升。**建设提升基因治疗相关领域研发、制备、检测、中试和生产等公共服务平台；引进培育 15 家以上

基因治疗产业领军和骨干企业；1-2个创新产品申请上市。

四、重大任务

（一）提升创新策源能力

1. 开展基础研究前瞻布局

加强疾病遗传和发病机制、基因编辑、药物递送等领域的基础研究，挖掘基因治疗新靶点，探索基因表达与调控新路径，研究靶向递送新策略，开发肿瘤、神经系统疾病、心血管疾病等复杂多基因疾病的基因治疗新方法，夯实基因治疗药物创新的科学基础。

2. 开展关键核心技术攻关

加强核酸序列设计与合成、基因编辑等基因操控新工具、药物递送新载体等领域攻关，推动人工智能、合成生物学等前沿技术与基因治疗相关技术交叉融合，突破核心关键技术，构建自主可控的基因治疗技术创新体系，支持产业高质量发展。

3. 开展关键设备材料自主研制

加强切向流过滤系统、脂质体高压均质机、一次性生物反应器等核心设备，病毒、核酸酶、小向导核糖核酸等关键原材料与物料，及无血清培养基、滤膜等关键耗材的攻关，促进基因治疗研发及生产供应链自主可控。

（二）提升临床研究转化能力

4. 加强临床研究能力建设

对标国际一流标准，建设若干基因治疗及相关领域临床医学研究中心，加速临床研究和转化；探索建设基因治疗特色研究型医院和示范性研究型病房，促进基因治疗药物临床试验和产品开发；

建立肿瘤、神经系统疾病、心血管疾病等重大疾病的专病队列，建设队列开放共享平台，推进基因治疗产品开发和技術攻关；推动医疗机构制定相关规章制度，促进规范开展临床研究。

5. 推动医疗机构开展临床研究

鼓励本市医疗机构在基因治疗领域，承担本市企业新药临床试验、按照相关规定自主开展研究者发起的临床研究（IIT）等项目，在完成相关研究工作后，根据项目入组人数，按照每人5万元标准择优给予医疗机构资助，每个项目资助总额不超过50万元，每个医疗机构每年累计资助不超过500万元。

6. 优化伦理审查和人类遗传资源审批服务

发挥市级医院伦理委员会联盟作用，研究制订伦理快速审查等工作规则 and 标准，建立市级医院伦理审查结果互认机制；充分发挥上海市医学伦理专家委员会、上海市临床研究伦理委员会作用，组织开展基因治疗领域相关伦理的研究、咨询、服务和培训，提升医疗机构伦理审查能力。发挥上海浦东人类遗传资源管理服务站作用，加强《人类遗传资源管理条例实施细则》宣贯，推进基因治疗相关企业加强人类遗传资源专员队伍建设，提高服务质量。

（三）提升公共服务能力

7. 加强科技创新基地体系建设

建设上海市前沿生物技術研究院，加强前沿生物基础研究和技術攻关，探索实践人工智能赋能、临床准备队列（Trial Ready Cohort, TRC）等新研究范式；建设提升基因治疗领域重点实验室、技术创新中心、企业技术中心等创新基地，提高基因治疗等领域创新策源能力和成果转化应用水平。

8. 加强专业孵化器和创新平台建设

建设提升一批高质量专业孵化器，孵育新技术，孵化新企业；搭建智能化工工艺研发平台、自动化检测平台、模块化中试放大平台等功能平台，建立符合生产质量管理规范（GMP）的基因治疗及相关领域工程化功能平台服务体系，加速概念验证、产品检测和中试放大，缩短研发、临床与生产周期，进一步优化创新创业生态。

9. 加强产业发展服务能力建设

鼓励 CRO/CDMO 等市场主体围绕基因治疗药物企业需求，建设优化载体文库筛选、制剂灌装、产品评价等第三方服务平台，为相关单位提供病毒库建立和储存、制剂开发和生产、基因治疗产品质量评价等服务，提升产业服务能力。

（四）提升产业发展能级

10. 强化“1+1”产业空间布局

以浦东张江细胞和基因产业园等为核心，建设比肩国际的基因产业地标，打造基因治疗科技创新与产业发展聚集区；以闵行浦江基因未来谷等园区为依托，打造集研发、检测、制造为一体的基因治疗产业链示范区；结合基因治疗产业需求，强化产业基地公共设施配套与综合服务体系建设。

11. 优化企业发展生态

引导原材料和试剂、递送载体、设施设备以及研发服务等上下游产业链企业集聚发展，营造全面便捷的产业链供应体系；建立产学研投联盟；加快制订关键原料、生产制备、质量检测、存储运输等领域的标准并积极推广使用，提升产业链标准化水平；

推动建设上海市创新生物制品质量检验检测中心，提升相关产品检测能力。

12. 推进企业国际化发展

在风险可控的前提下，支持符合条件的多元化投资主体按照相关法律法规开展人体细胞、基因技术研发和推进产业化进程，推动产业链、资金链协同发展和深度融合；支持开展国际化交流与合作，深度融入国际先进技术与监管体系，提升基因治疗企业国际化发展水平。

五、保障措施

（一）设立“上海市基因治疗科技创新重大专项”

面向基因治疗等前沿生物技术领域，组织实施创新专项，推动基础研究、临床转化和产品开发，创新科学理论和方法，形成一批具有自主知识产权的关键核心技术和创新产品。

（二）加快产品审评与应用

充分发挥国家药品监督管理局药品审评检查长三角分中心作用，为本市重点基因治疗在研产品注册申报提供事前事中指导和服务；探索建立基因治疗监管科学研究基地，为提升产品监管水平提供支撑；鼓励开展真实世界研究，探索将真实世界数据应用于罕见病基因治疗药物临床评价。

（三）强化知识产权保护和应用

对于通过 PCT 途径向国外申请且经过有关专利审查机构实审，获得授权的基因治疗领域国际发明专利，按照注册费、审查费等官方费用的 50% 予以资助，每件不超过 2 万元，每项 PCT 国际申请资助不超过 5 个国家或地区；支持重点企业申报上海市知

知识产权保护中心快速预审服务备案主体，提高专利申请质量与评审速度，提升企业知识产权保护和风险应对能力。

（四）强化财税政策支持

对已在国内开展临床试验，由本市注册企业获得上市许可并在本市生产的基因治疗产品，给予最高 3000 万元的资金支持，每个单位每年累计支持额度不超过 1 亿元；推动本市基因治疗产品进入“适用增值税政策的抗癌药品和罕见病药品清单”，切实保障患者用药需求。

（五）完善保险支持举措

积极推荐符合条件的上市基因治疗创新产品进入国家医保药品目录，探索多元复合的支付方式；支持罕见病等领域基因治疗药物纳入“沪惠保”等惠民型商业医疗保险范围；发挥多层次商业医疗保险作用，推动本市企业、商业保险公司及医疗机构等探索分期付款、按疗效付费等创新支付模式；支持医疗机构、企业等投保人体临床试验相关责任保险，对符合条件的主体保费给予 50% 的财政补贴，单个保单的补贴不超过 50 万元。

（六）加大金融支撑力度

统筹用好政府引导基金、生物医药产业股权投资基金等，引导社会资本共同加大对初创期、成长期基因治疗企业的支持力度；对成功引入股权融资 5000 万元人民币（以实际到位金额计算）以上的基因治疗企业，按照实际获得股权融资额给予不超过 2% 的资助，每个企业每年不超过 1000 万元；鼓励在沪银行推出更多金融服务产品，支持“新药贷”等应用于基因治疗领域；深化“浦江之光”行动，支持基因治疗相关企业在科创板等境内外

资本市场上市；强化券商等金融机构对优质基因治疗企业的上市服务；推动在境外上市的优秀基因治疗公司等科技企业回归上交所科创板上市。

（七）加强创新人才引进

持续发挥“海聚英才”品牌影响力，大力引进高端人才；实施基因治疗行业高端技术人才评定项目，推荐基因治疗领域重点单位纳入人才引进重点机构名单；加大启明星、学术/技术带头人、产业菁英等专项对基因治疗相关人才的支持力度；在基因治疗领域试点设置工程硕博士培养项目，探索驻企培养工程硕博士新模式；鼓励基因治疗领域企事业单位设立博士后科研工作站或入驻博士后创新实践基地，支持博士后人员申报上海市“超级博士后”项目，培育符合产业发展需求的科研人才；依托基因治疗领域相关产业平台，加强人才培养，完善企业专业技术人才队伍建设。

（八）推动研发用物品及特殊物品通关便利化

推动基因治疗领域研发用物品进口试点工作，支持相关企业和研发用物品纳入“白名单”；推进基因治疗领域特殊物品进出境联合监管机制试点工作，支持重点企业申报联合监管机制试点单位，优化基因治疗研发与生产用相关重点原材料、物料等的审批流程，加快办理通关手续。