

FROST & SULLIVAN

沙利文

2026 全球干细胞行业发展 蓝皮书

Global Blue Paper on Stem Cell Drugs Industry

二零二六年 七月

www.frostchina.com

版权所有

©2026 弗若斯特沙利文



扫码了解详情

摘要

干细胞疗法是利用干细胞自我更新、多向分化的独特生物学特性，经体外制备、移植干预实现受损细胞、组织或器官修复再生的前沿细胞治疗手段。随着全球退行性疾病、自身免疫病、脏器损伤等病症临床需求持续增长，各国干细胞监管制度持续完善，iPSC重编程、基因编辑、标准化细胞生产、类器官建模等新技术不断落地突破，干细胞行业正迎来从基础科研探索向标准化临床转化、产业化落地跨越的关键发展期。

沙利文谨此发布《2026年全球干细胞行业发展蓝皮书》，旨在对全球干细胞行业进行深入分析，从干细胞基础定义与分类、干细胞多疾病临床应用场景、全球主要国家干细胞监管政策体系、干细胞疗法核心技术现状、临床转化现存挑战及未来行业发展趋势等多维度进行全面阐述，梳理行业与技术发展脉络，挖掘产业发展潜力，剖析市场发展背后的技术、临床、政策驱动因素。

■ 干细胞行业研发进程持续推进，技术体系不断完善

干细胞疗法已历经数十年科研与临床探索。干细胞凭借自我更新、多向分化核心特性，是全球再生医学核心研发方向。伴随细胞机制研究深入，行业形成成体干细胞、多能干细胞两大主流研发路线，其中多能干细胞包含胚胎干细胞、诱导多能干细胞两大细分方向；叠加基因编辑、类器官、外泌体技术，可有效拓展适应症、降低移植风险。

■ 干细胞疗法可满足难治疾病核心临床需求

移植抗宿主病、心力衰竭、帕金森、膝骨关节炎、脑卒中、肝硬化与肝衰竭、特发性肺纤维化、血小板减少症、慢性阻塞性肺疾病、慢性牙周炎等疾病全球患者规模持续扩大，传统药物、手术仅能缓解症状，无法修复受损活组织。干细胞疗法依靠分化替代、旁分泌、免疫调节、细胞直接转移等作用机制，从细胞层面修复病变组织、重建器官功能，既能减轻炎症、改善患者生存质量，还可逆转组织退行性病变，为无根治方案的疑难慢病提供再生修复新路径。

■ 干细胞制剂生产链条完整搭建

干细胞制剂生产始于严格的供者筛查与组织采集，依次完成细胞分离纯化、原代培养及主/工作两级细胞库构建，在GMP合规封闭式自动化平台实现规模化扩增，最终经全套质量检定合格后方可放行。干细胞属于活体生物材料，具备供体个体差异显著、工艺直接决定治疗效果、自体制剂生产成本高昂、异体制剂存在免疫原性风险、全链条供应链管控复杂等区别于传统生物制剂的独有特性。当前行业核心技术瓶颈包含起始物料与供体差异管控、分离纯化环节纯度与细胞功能难以兼顾、体外扩增过程干性衰减、制剂低温冻存稳定性、体外效力检测无法复刻体内真实疗效、规模化量产批间一致性难以保障。针对以上行业痛点，产业正围绕无异种无饲养层扩增体系、全封闭自动化生物反应器、无DMSO温和冻存方案、无创在线实时质控、关键原辅材料国产替代、受试者终身随访追踪六大方向开展系统性技术攻关。

■ 目录

第一章 干细胞疗法行业总览

- 干细胞介绍 ----- 8
- 干细胞的应用领域 ----- 9
- 干细胞疗法 ----- 10
- 多能干细胞疗法 ----- 11
- 成体干细胞疗法 ----- 12
- 间充质细胞疗法 ----- 13

第二章 干细胞疗法的监管政策分析

- 美国干细胞疗法监管现状 ----- 15
- 欧盟干细胞疗法监管现状 ----- 17
- 日本干细胞疗法监管现状 ----- 18
- 中国干细胞疗法监管现状 ----- 20
- 中国干细胞疗法相关政策 ----- 22

第三章 诱导多能干细胞技术分析

- 诱导多能干细胞疗法介绍 ----- 24
- iPSCs疗法技术发展分析 ----- 26
- iPSCs疗法上市及在研情况概览 ----- 27

第四章 胚胎干细胞技术分析

- 胚胎干细胞疗法介绍 ----- 29
- ESCs培养技术迭代及中美临床管线梳理 ----- 31

第五章 间充质细胞技术分析

- 间充质细胞疗法介绍 ----- 33

■ 目录

- 间充质细胞来源 ----- 34
- 间充质细胞疗法技术发展分析 ----- 36
- MSCs疗法上市及在研情况概览 ----- 37

第六章 干细胞临床应用分析

- 全球获批干细胞产品分析 ----- 39
- 中国博鳌乐城干细胞转化应用情况 ----- 40
- 全球及中国干细胞药物市场 ----- 41
- 全球干细胞疗法在研管线分析 ----- 42
- 中国干细胞疗法在研管线分析 ----- 44
- 干细胞临床应用分析——移植物抗宿主病 ----- 45
- 干细胞临床应用分析——心力衰竭 ----- 47
- 干细胞临床应用分析——帕金森病 ----- 49
- 干细胞临床应用分析——膝骨关节炎 ----- 51
- 干细胞临床应用分析——脑卒中 ----- 53
- 干细胞临床应用分析——肝硬化与肝衰竭 ----- 55
- 干细胞临床应用分析——特发性肺纤维化 ----- 57
- 干细胞临床应用分析——肿瘤治疗后血小板减少症 ----- 59
- 干细胞临床应用分析——慢性阻塞性肺疾病 ----- 60
- 干细胞临床应用分析——慢性牙周炎 ----- 61

第七章 干细胞产品研发/生产技术分析

- 干细胞制剂生产流程 ----- 63
- 干细胞规模化制备 ----- 64
- 干细胞储存 ----- 65
- 干细胞自动化生产 ----- 66

■ 目录

• 质量控制	67
• 核心技术挑战	68
• 未满足的需求与未来技术方向	72
• 前沿技术分析	73
 第八章 干细胞行业驱动因素及发展趋势	
• 干细胞行业发展驱动因素分析	76
• 干细胞行业发展趋势分析	77
 第九章 干细胞疗法公司资本市场表现分析	
• 国内干细胞疗法研发企业融资情况	79
• 全球干细胞领域授权交易及兼并购情况	81
 第十章 干细胞行业相关企业介绍	
• 干细胞行业相关公司 – 安徽中盛溯源生物科技股份有限公司	84
• 干细胞行业相关公司 – 北京华龛生物科技有限公司	86
• 干细胞行业相关公司 – 北京三有利和泽生物科技有限公司	88
• 干细胞行业相关公司 – 北京泽辉辰星生物科技有限公司	90
• 干细胞行业相关公司 – 博雅生命科技有限公司	92
• 干细胞行业相关公司 – 广东乾晖生物科技有限公司	94
• 干细胞行业相关公司 – 广州赛隼生物科技有限公司	96
• 干细胞行业相关公司 – 湖南源品细胞生物科技有限公司	98
• 干细胞行业相关公司 – 华域生物科技（天津）有限公司	100
• 干细胞行业相关公司 – 南京艾尔普再生医学科技股份有限公司	102
• 干细胞行业相关公司 – 睿健毅联医药科技（成都）有限公司	104

■ 目录

- 干细胞行业相关公司 – 深圳赛桥生物创新技术有限公司 ----- 106
- 干细胞行业相关公司 – 士泽生物医药（苏州）有限公司 ----- 108
- 干细胞行业相关公司 – 思比曼生物医药科技（上海）有限公司 ----- 110
- 干细胞行业相关公司 – 苏州吉美瑞生医学科技股份有限公司 ----- 112
- 干细胞行业相关公司 – 苏州血霖生物科技有限公司 ----- 114
- 干细胞行业相关公司 – 宜明（北京）生物医药股份有限公司 ----- 116
- 干细胞行业相关公司 – 浙江霍德生物工程有限公司 ----- 118
- 干细胞行业相关公司 – 中源协和细胞基因工程股份有限公司 ----- 120

- 法律声明 ----- 122
- 联系我们 ----- 123

-
-
-
-
-
-

第一章 干细胞疗法 行业总览



01

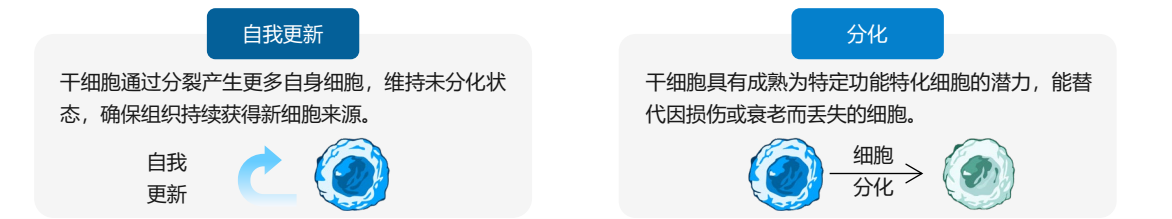
干细胞介绍

干细胞是具有自我更新和多向分化潜能的细胞类型，按分化潜能与组织来源可分为全能、多能、单能以及胚胎、成体、诱导多能干细胞等类别。在疾病治疗、模型构建及药物筛选等领域展现出重要应用价值。深入开展干细胞研究，已成为推动再生医学发展的关键基础。

■ 干细胞介绍

干细胞是一类未分化的细胞，具有在体内分化为多种细胞类型的潜力，并能在维持未分化状态的同时进行多次分裂。它们既存在于胚胎中，也存在于成体中。干细胞具备两个关键特性：自我更新与分化。通过持续提供新细胞，以替代因正常生理过程、损伤或疾病而丢失的细胞，干细胞在维持组织稳态中发挥核心作用，具体体现为修复受损组织、为高更新率组织提供细胞储备，以及替代凋亡细胞，从而维持机体平衡。

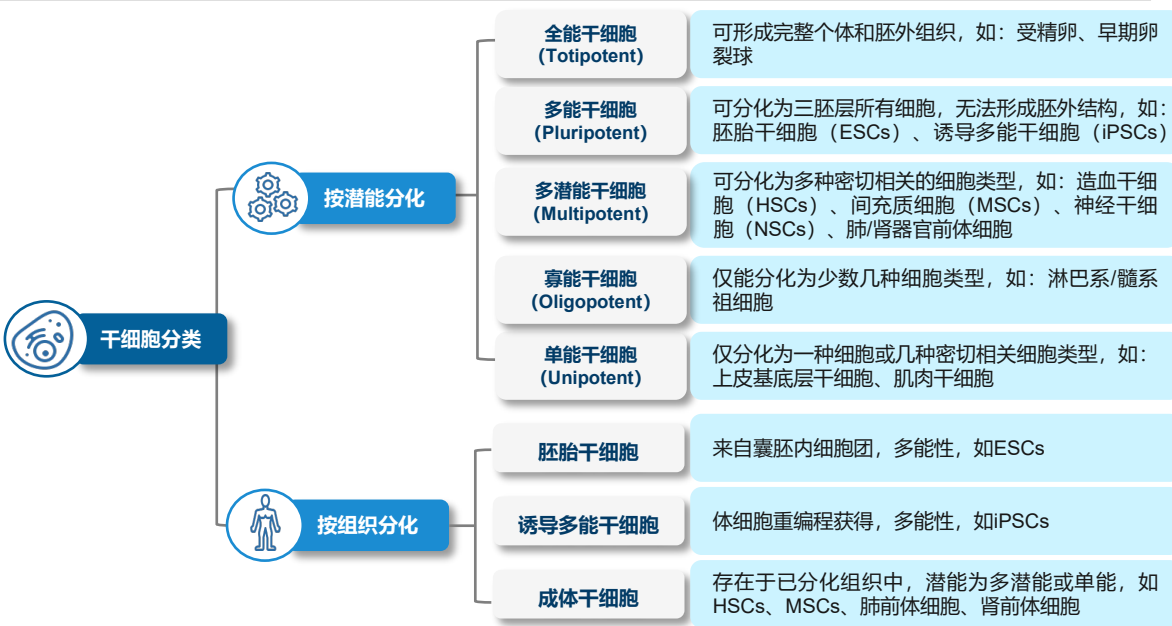
图：干细胞的特点



■ 干细胞类型

干细胞可根据分化潜能或组织来源进行分类。按分化潜能，干细胞可分为五类：全能干细胞，能够分化为完整个体及胚外组织，代表为受精卵；多能干细胞，能分化为三个胚层的各种细胞，但无法形成胚外结构，如胚胎干细胞与诱导多能干细胞；多潜能干细胞，可分化为特定谱系内的多种密切相关的细胞类型，如造血干细胞、间充质细胞、神经干细胞、肺/肾前体细胞等；寡能干细胞，仅能分化为少数几种细胞类型，如淋巴系/髓系祖细胞；以及单能干细胞，仅能向一种或密切相关的少数几种细胞分化，但保留自我更新能力，如上皮基底层干细胞、肌肉干细胞等。按组织来源，干细胞则可分为：胚胎干细胞，来源于囊胚内细胞团，具有多能性；成体干细胞，存在于已分化组织中，负责组织修复与再生，例如造血干细胞和间充质细胞；以及诱导多能干细胞，通过体细胞重编程获得，具备与胚胎干细胞类似的多能性。

图：干细胞的类型



来源：文献检索，公开资料，沙利文分析

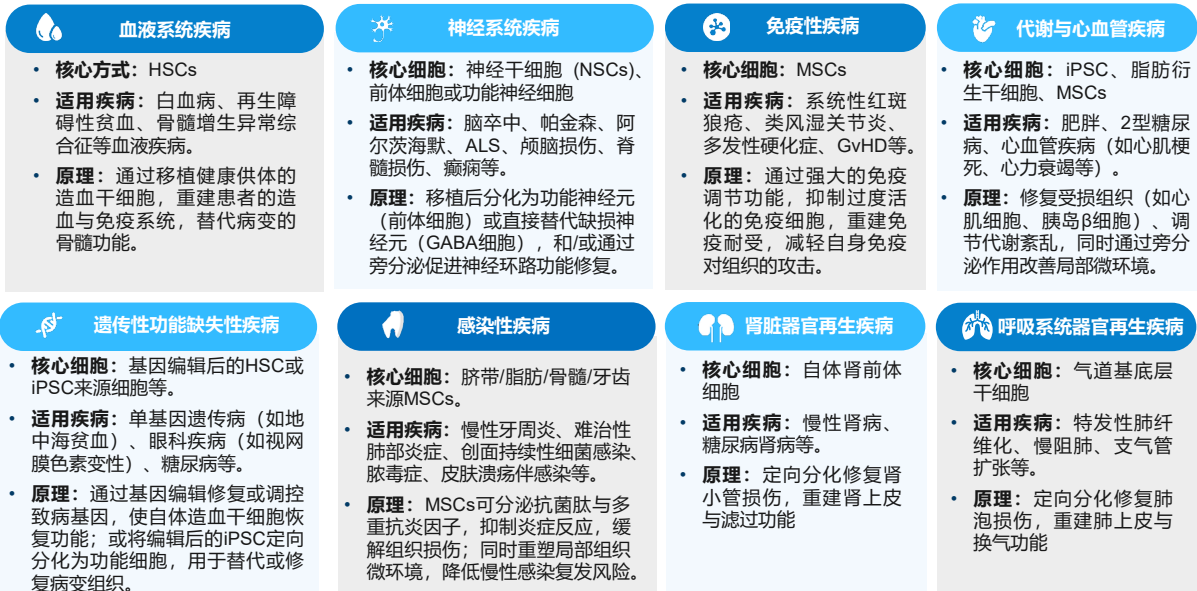
干细胞的应用领域

干细胞在疾病治疗、疾病建模与药物筛选中具有重要应用价值。干细胞可分化功能性细胞以修复受损组织；在疾病建模方面，可定向分化为特定细胞并构建三维类器官，精准模拟人体器官结构与病理过程；在药物筛选方面，干细胞结合稳转细胞株与共培养技术，能高效评估药物的药效、毒性及组织修复潜力。

■ 干细胞在疾病治疗中的应用

干细胞因其独特的功能与特性，在临床医学领域具有广泛的应用前景。凭借其强大的分化能力，干细胞能够转化为不同类型的特化细胞，直接替代体内受损或功能异常的组织细胞。目前，干细胞应用已从传统的血液系统疾病，拓展至神经系统疾病、代谢性疾病、自身免疫病、遗传性功能缺失性疾病、感染性疾病及呼吸与肾脏器官再生疾病等多个领域。

图：干细胞在疾病治疗中的应用

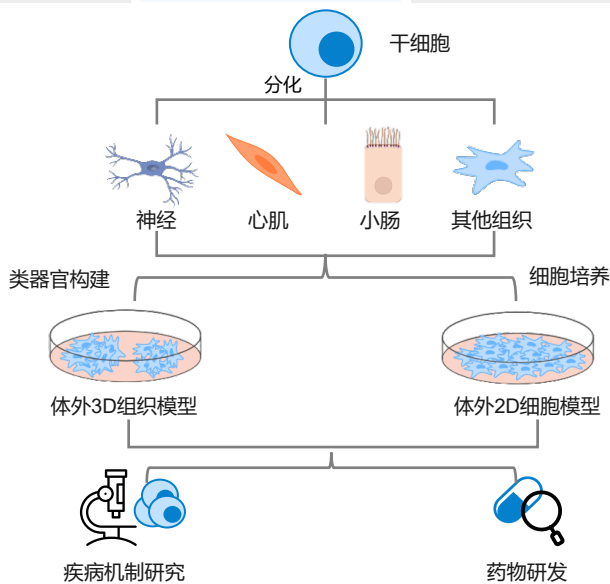


■ 干细胞在疾病建模中的应用

干细胞经特异性诱导分化为目标细胞，进而形成三维类器官模型。这一模型能再现人体器官的结构与功能特征，在受控环境中模拟疾病的病理生理过程，从而为疾病机制研究提供有力的新平台。

■ 干细胞在药物筛选中的应用

干细胞通过构建可响应药物刺激的稳转细胞株，实现对化合物的高通量定性及定量筛选；在此基础上，结合干细胞定向诱导分化与共培养验证，可进一步评估候选药物对神经、心血管及肺部等疾病的组织修复潜能与药效机制，从而为潜在药物发现和药效物质基础研究提供高效、可靠的技术平台。



来源：文献检索，沙利文分析

干细胞疗法

干细胞疗法利用干细胞自我更新与分化潜能，实现受损细胞、组织或器官的修复、替代与再生。其治疗作用主要通过分化与替代、免疫调节、旁分泌效应及直接细胞转移四大机制实现。

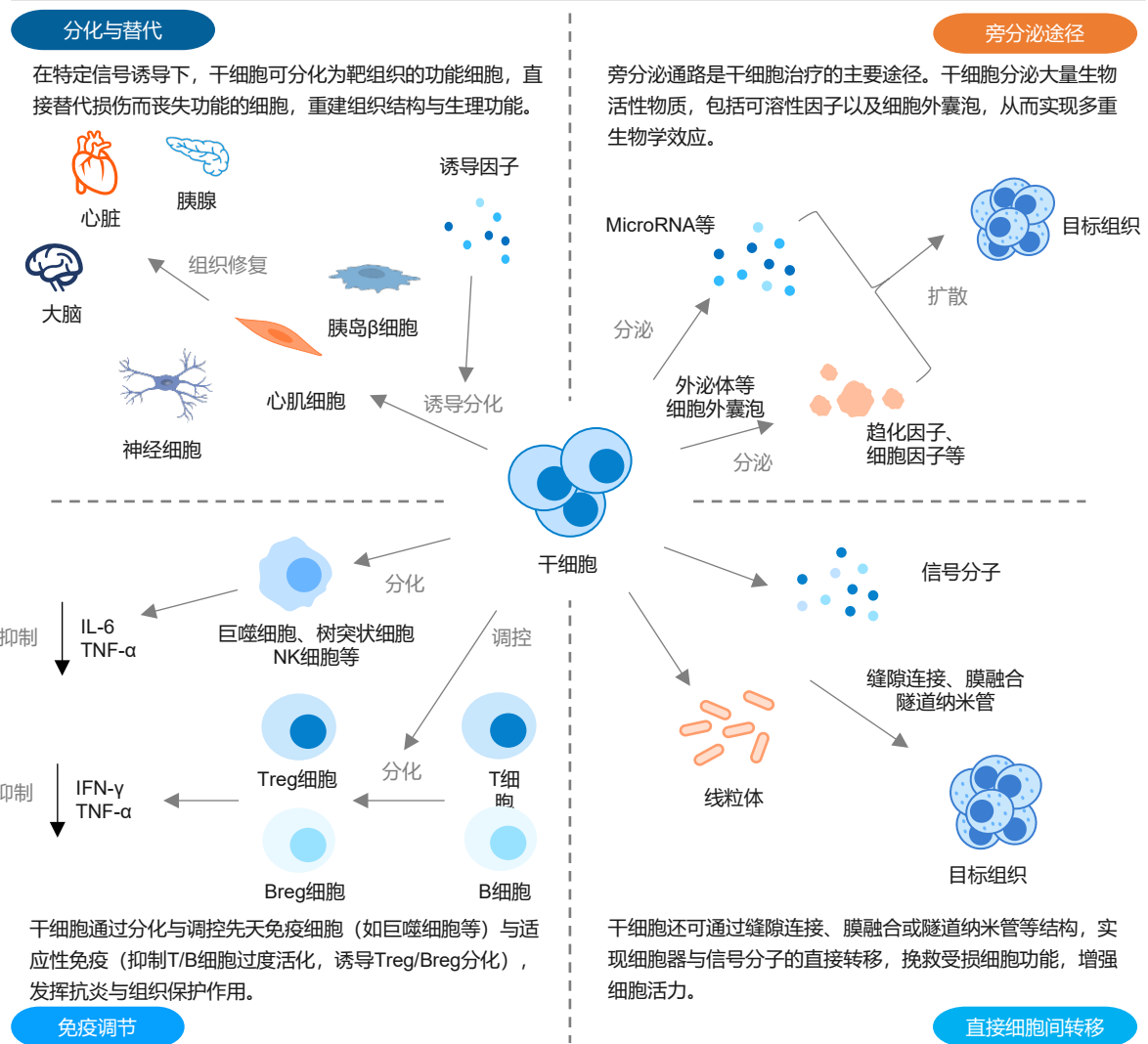
■ 干细胞疗法概念

干细胞疗法是指利用干细胞自我更新与分化的独特潜能，通过体外培养、扩增、定向分化及体内移植等流程，将外源细胞注入患者体内，以再生受损的细胞和组织，或用健康、功能完整的新细胞加以替代，从而实现修复、替代或再生受损的细胞、组织或器官的治疗目标。应用于细胞疗法的干细胞，按来源可分为自体干细胞与异体干细胞：前者来源于患者自身（也称自体治疗），后者则来自健康的供体。

■ 干细胞疗法作用机制

干细胞疗法通过分化与替代、免疫调节、旁分泌效应及直接细胞转移四大机制实现治疗作用。

图：干细胞疗法的作用机制



来源：文献检索，沙利文分析

多能干细胞疗法

多能干细胞因兼具无限的自我更新能力与分化为几乎所有成熟体细胞类型的潜能而备受关注。以胚胎干细胞和诱导多能干细胞为代表的多能干细胞，已成为细胞治疗领域的研究热点。

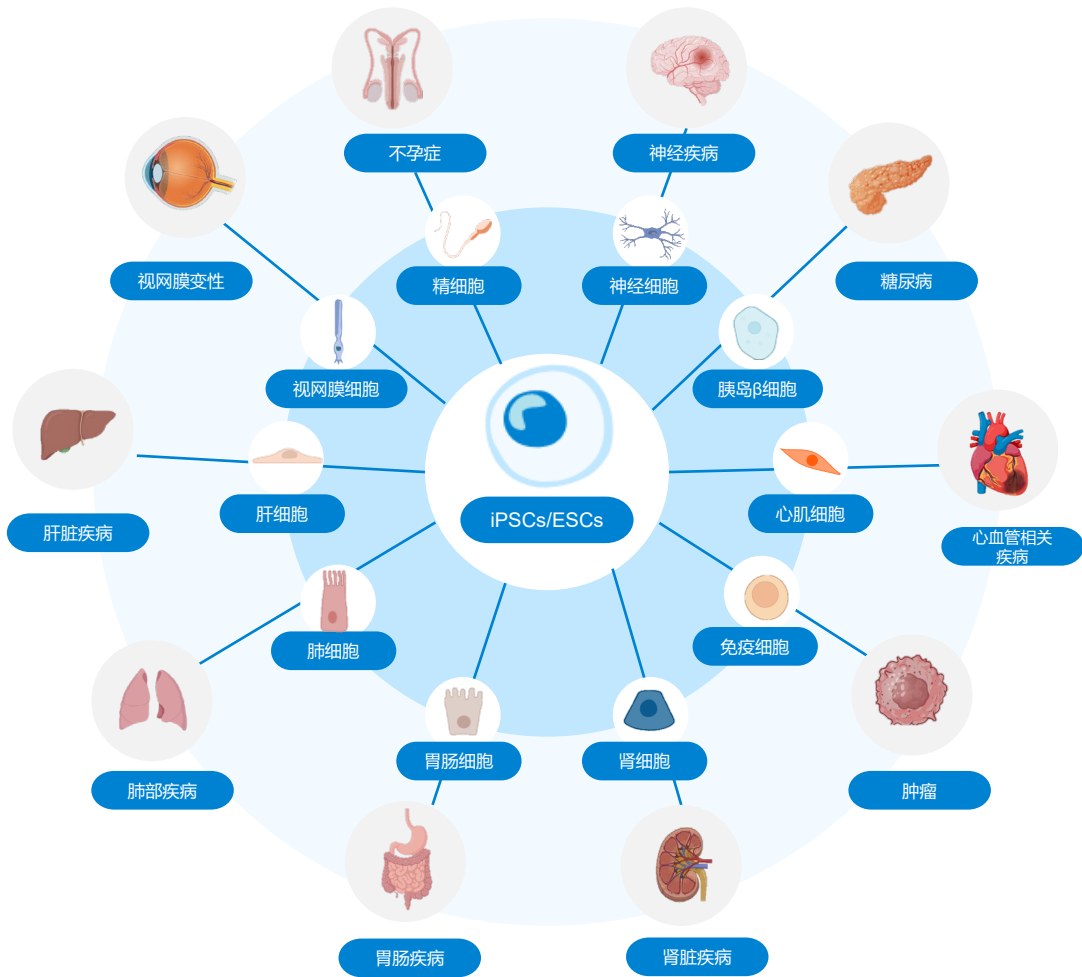
■ 多能干细胞

多能干细胞（Pluripotent Stem Cells, PSCs）是一类具有自我更新和多向分化潜能的细胞，可分化为外、中、内三个胚层的所有细胞类型，例如外胚层来源的神经元与皮肤、中胚层来源的心肌与血液、内胚层来源的肝与胰腺等。PSCs主要包括胚胎干细胞（Embryonic Stem Cells, ESCs）和诱导多能干细胞（Induced Pluripotent Stem Cells, iPSCs）。ESCs源自发育早期囊胚内层细胞，iPSCs通过体细胞重编程获得，具有广阔的临床应用前景。

■ 多能干细胞衍生疗法

多能干细胞衍生疗法是指利用多能干细胞的强自我更新和多向分化潜能，在体外将其定向分化为特定功能的组织干细胞、终末功能细胞或组织，再移植到患者体内以替代受损或死亡细胞、促进组织修复或恢复器官功能的治疗策略。多能干细胞衍生疗法的核心优势在于：细胞来源稳定均一，可规模化生产“现货型”细胞/组织产品，无供源或伦理问题；能够分化为与人体组织功能一致的细胞群体，可以真正实现细胞/组织替代，突破了传统药物无法再生修复的局限。

图：多能干细胞的分化谱系及疾病治疗图谱



来源：文献检索，沙利文分析

成体干细胞疗法

成体干细胞因兼具有限的自我更新能力与定向分化潜能而受到广泛关注。以MSCs和HSCs为代表的此类细胞，正是当前干细胞治疗领域的重点研究对象。

■ 成体干细胞

成体干细胞是存在于已分化组织（如胎盘/脐带、骨髓、脂肪、脐带血等）中的干细胞，具有有限的自我更新能力和多向分化潜能，但无法发育为完整个体，也不具备胚胎干细胞级别的多能性。它们在组织修复、免疫调节及再生医学中发挥重要作用，主要包括造血细胞（HSCs）、间充质细胞（MSCs）、神经干细胞（NSCs）、肺/肾器官特异性前体细胞等。

■ 成体干细胞疗法

成体干细胞衍生疗法将来源于成体组织的干细胞，经体外分离、扩增及基因修饰后，回输至患者体内，以替代受损或功能丧失的细胞、促进组织修复、调节免疫应答或改善靶器官功能，展现出良好的组织修复与免疫调节潜力。成体干细胞衍生疗法主要包括：间充质细胞疗法、造血细胞疗法、神经干细胞疗法、骨祖细胞疗法、血管内皮祖细胞疗法、表皮干细胞疗法、角膜缘干细胞疗法、器官特异性前体细胞疗法等。

表：造血细胞疗法

	治疗原理	技术优势	局限	应用场景
传统HSCs移植	通过清髓预处理，再回输健康供者或患者自身的HSCs，重建造血和免疫系统	- 技术最成熟，临床经验丰富 - 可治愈多种高危血液恶性肿瘤 - 移植物抗白血病效应可清除化疗耐药的残留肿瘤细胞	- 全相合供者稀缺，替代来源伴随GvHD加重或植入延迟风险 - GvHD与感染是主要致死致残原因，预处理毒性限制老年及体弱患者适用。 - 有复发及继发并发症的风险	- 血液系统恶性肿瘤 - 非恶性血液病 - 免疫缺陷病 - 先天代谢病 - 自身免疫病等
基因编辑HSCs	在体外对患者自体HSCs进行精确的基因修饰（运用慢病毒载体或CRISPR技术，然后将编辑后的细胞回输患者体内	- 使用患者自体细胞，无排斥风险 - 从病因层面根治疾病 - 慢病毒载体技术成熟，CRISPR编辑精度持续提升	- 长期HSCs编辑率低，植入持久性不确定 - 脱靶突变及编辑过程损伤影响细胞活性 - 个体化流程长成本高，干细胞池耗竭患者难以适用	- 血红蛋白病、原发性免疫缺陷 - 溶酶体贮积症 - 异染性脑白质营养不良等

图：其他干细胞疗法



间充质细胞疗法

间充质细胞来源广（如胎盘/脐带、骨髓、脂肪组织、牙髓、脐带血等）、免疫原性低，通过旁分泌与归巢发挥免疫调节及修复作用，用于心血管、自身免疫性疾病、组织损伤等。



神经干细胞疗法

可分化为神经元及胶质细胞，分泌神经营养因子并调节免疫微环境；体内来源有限，多依赖iPSCs诱导或MSCs转分化；结合药物或基因编辑，用于神经退行性疾病、脱髓鞘病及急性损伤。



骨祖细胞疗法

骨祖细胞可分化为成骨/软骨细胞，合成基质修复骨软骨缺损；可取自自体（骨髓、脂肪）或异体（脐带、胎盘），与支架结合构建组织工程复合体，用于骨关节炎、关节重建及骨缺损修复。



器官特异性前体细胞疗法

取自患者自身肺、肾组织的寡能成体干细胞，可定向分化为肺泡、肾小管成熟上皮细胞，直接修复脏器实质损伤；同时旁分泌抗炎、抗纤维化因子，重塑器官微环境。



血管内皮祖细胞疗法

血管内皮祖细胞参与血管新生与内皮修复：分化为内皮细胞，旁分泌促血管生成因子。来源广泛，可用于药物支架内皮化、缺血性血管病、损伤修复及软组织再生。



表皮干细胞疗法

表皮干细胞利用皮肤基底层或毛囊bulge区干细胞体外扩增后，构建表皮移植物或促进创面愈合，用于大面积烧伤、慢性溃疡以及皮肤缺损修复。



角膜缘干细胞疗法

使用角膜缘基底层干细胞体外培养扩增后移植，重建眼表上皮，修复角膜损伤、治疗干细胞缺乏症及角膜盲。

来源：文献检索，沙利文分析

间充质细胞疗法

MSCs取自人体多类组织，经分离制备后可分化为中胚层多种功能细胞，依托免疫调节、组织修复等作用，在自身免疫、神经、感染、代谢内分泌等多类疾病中开展临床研究，现已形成完整产业化链条，是应用广泛的前沿细胞治疗技术。

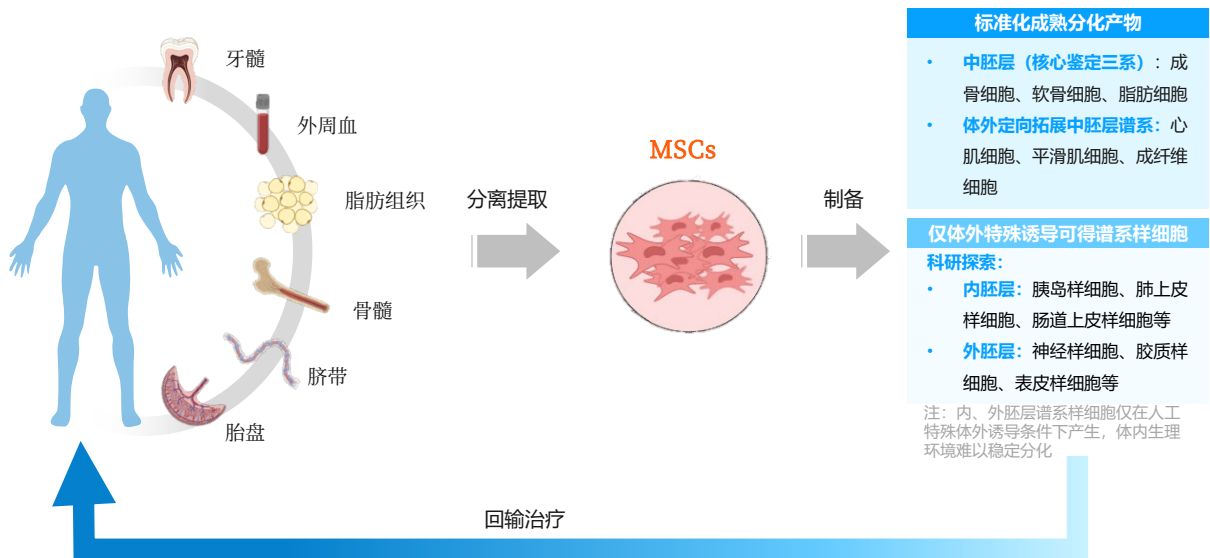
■ MSCs

MSCs来源于中胚层，属于多潜能细胞，主要存在于人体结缔组织与部分器官间质中，在骨髓、脐带、胎盘、脂肪、等多种组织中广泛分布。MSCs具有自我更新能力和多向分化潜能，可在诱导条件下分化为骨细胞、软骨细胞、脂肪细胞等多种功能细胞，同时具备强大的免疫调节、抗炎及组织修复作用，是当前细胞治疗与疾病临床研究中应用最为广泛的干细胞类型之一。

■ MSCs疗法

MSCs疗法是细胞治疗主流技术路线，依靠免疫调节、组织修复、抗炎及旁分泌作用，针对骨关节、代谢、神经退行、心血管、自身免疫等多种传统手段难以根治的疾病开展临床探索；行业已建成取材、GMP 标准化细胞制备、冷链储运、自动化冻存、基因工程修饰及衍生外泌体研发的完整产业链，全球持续推进新药临床试验与注册申报，是落地场景丰富、转化进度领先的疾病治疗新技术。

图：MSCs疗法示意图



自身免疫/炎症性疾病	中枢神经系统疾病	感染性疾病	代谢/内分泌疾病	其他疾病
• 移植术抗宿主病 • 膝骨关节炎 • 克罗恩病 • 间质性肺病//特发性肺纤维化 • 急性呼吸窘迫综合征 • 溃疡性结肠炎 • 其他	• 帕金森 • 脑卒中 • 创伤性颅脑损伤 • 阿尔兹海默症 • 肌萎缩侧索硬化 • 自闭症 • 其他	• 慢性牙周炎 • 病毒性肺炎 • 脓毒症/感染性休克 • 重症细菌性肺炎 • 真菌性肺部感染 • 其他	• 糖尿病 • 糖尿病申报 • 卵巢早衰 • 早发性卵巢功能不全 • 非酒精性脂肪肝 • 肝硬化/肝衰竭 • 其他	• 急性心肌梗死 • 干性年龄相关性黄斑变性 • 角膜损伤 • 其他

来源：文献检索，沙利文分析

-
-
-
-
-
-

第二章

干细胞疗法的监管

政策分析



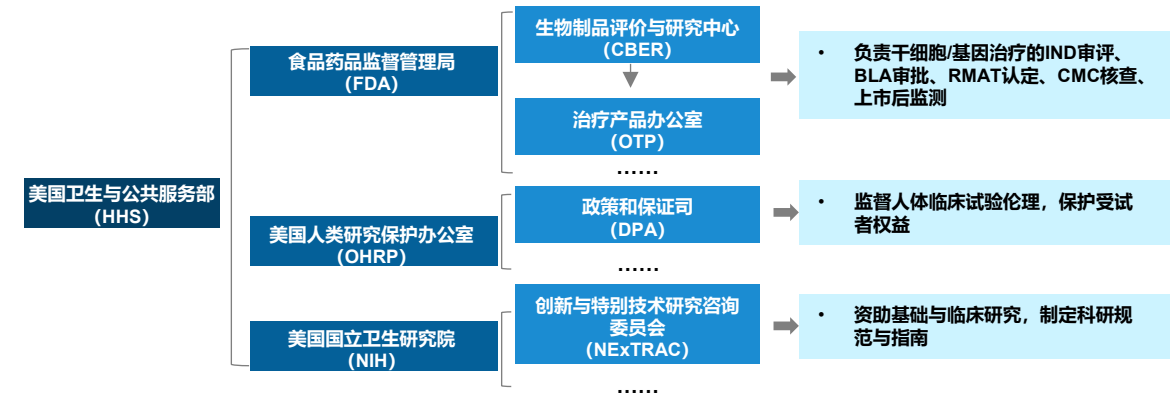
02

美国干细胞疗法监管现状

美国干细胞疗法监管体系

美国干细胞疗法由美国卫生与公共服务部（United States Department of Health and Human Services, HHS）统筹，下属食品药品监督管理局（FDA）为主监管核心，联合美国人类研究保护办公室（Office for Human Research Protections, OHRP）、美国国立卫生研究院（National Institutes of Health, NIH）协同治理。其中，FDA下设生物制品评价与研究中心（Center for Biologics Evaluation and Research, CBER）及其子部门治疗产品办公室（Office of Therapeutic Products, OTP，原组织与先进疗法办公室OTAT）负责

图：美国干细胞疗法监管体系



美国干细胞疗法监管制度

美国对于干细胞疗法的监管已建立了法律、法规、管理制度与指南的三级制度体系。在法律层面，主要法律依据为《美国食品、药品和化妆品法案》（Federal Food, Drug, and Cosmetic Act, FD&C Act）及《公共卫生服务法案》（Public Health Service Act, PHS Act）第351条和361条；在法规层面，主要法规为《美国联邦法规》（Code of Federal Regulations）第21章A、C、D、F、L分章，其中第L分章中的第1271部分是专门对人体细胞、组织以及基于细胞和组织的产品（Human Cells, Tissues, and Cellular and Tissue-Based Products, HCT/P）的监管。

《公共卫生服务法案》将人体细胞和组织分为低风险产品和高风险产品两类管理：

- 低风险生物制品：**符合21 CFR 1271.10 (a) [1]列出的所有标准，受PHS Act 361条的监管，低风险生物制品不需要提交IND和BLA，只需在FDA进行产品登记。
- 高风险生物制品：**不符合21 CFR 1271.10 (a) 列出的所有标准的产品，受PHS Act 351条的监管，应严格按照药品管理要求向FDA提交新药临床试验申请（Investigational New Drug, IND）和生物制品许可申请（Biologic License Application, BLA）。

美国干细胞疗法加速审批机制

为加速干细胞及再生医学产品的研发上市，FDA CBER针对符合条件的产品提供了一系列加速机制，以满足严重疾病患者的迫切临床需求：

- 再生医学先进疗法（RMAT）认定：**这是FDA根据《21世纪治愈法案》专门针对细胞治疗、组织工程等再生医学产品设立的专属加速通道。获得RMAT认定的干细胞产品，不仅享有突破性疗法和快速通道的所有早期审评沟通优势，还能为严重疾病患者提供更早用药机会，同时允许在获得完全批准前/后通过更灵活的方式满足严格的临床证据要求。
- 其他常规加速通道：**除RMAT外，干细胞疗法同样可申请快速通道（Fast Track）、突破性疗法（Breakthrough Therapy）认定、优先审评（Priority Review）和加速批准（Accelerated Approval），通过增加与FDA的互动频率、滚动审查、优先审评时间框架、替代终点/中间终点等方式，大幅缩短药物研发和审批周期。

来源：FDA，公开资料，沙利文分析

美国干细胞疗法监管现状

图：美国干细胞疗法监管制度例举

政策名称	发布时间	发布主体	主要内容
人体细胞治疗和基因治疗的考量 Points to Consider (PTC) in Human Somatic Cell and Gene Therapy	1991	FDA	首次提出使用基因治疗应思考和注意的方向
人体细胞治疗和基因治疗指南 Guidance for Human Somatic Cell Therapy and Gene Therapy	1998	FDA	更新并替换1991年的PTC，旨在为制造商提供有关生产、质量控制测试、基因治疗用重组载体和临床前试验管理方面的最新监管信息
公共卫生服务法 Public Health Service Act (PHS Act)	2001	U.S. Government	该法案第361条和第351条构成美国细胞治疗及产品监管的法律基础：第361条适用于最小操作、同源使用的自体细胞和组织产品；第351条适用于异基因、复杂加工、非同源使用的细胞和组织产品
美国联邦法规 Code of Federal Regulations (CFR), 21 CFR Part 1271	2005	U.S. Government	详细规定人体细胞、组织及细胞组织产品（HCT/PS）的注册、供体筛查、生产过程控制和操作标准，明确HCT/PS的定义，并根据风险等级将其分为需上市前批准和无需上市前批准两类
人类基因治疗产品给药后的长期随访 Long Term Follow-Up after Administration of Human Gene Therapy Products	2006	FDA	加强了上市后对患者进行的长期健康随访，提供有关设计长期随访（LFTU）观察性研究的建议，以便收集基因治疗产品给药后延迟不良事件的数据
人类基因疗法新药申请的化学、制造和控制信息 Content and Review of Chemistry, Manufacturing, and control (CMC) Information for Human Somatic Cell Therapy Investigation New Drug Application (INDs)	2008	FDA	规范所有体细胞治疗产品（包括干细胞）的IND申请CMC要求，旨在解决体细胞治疗产品生产过程的特殊复杂性
NIH人类干细胞研究指南 NIH Guidelines for Human Stem Cell Research	2009	NIH	为NIH资助的干细胞研究提供政策依据
细胞和基因治疗产品效能测试指导原则 Potency Tests for Cellular and Gene Therapy Products	2011	FDA	此指南为细胞和基因治疗产品的制造商等提供有关效能测试的建议，以支持IND或BLA申请
细胞与基因治疗产品临床前评估指导原则 Preclinical Assessment of Investigational Cellular and Gene Therapy Products	2013	FDA	规定基因治疗产品都适用的临床前研究需要考虑的问题，包括临床前研究目标、对临床前研究设计的总体建议、试验动物物种选择等
细胞和基因治疗产品早期临床试验涉及的考量 Considerations for the Design of Early-Phase Clinical Trials of Cellular and Gene Therapy Products	2015	FDA	指南提供了OCTGT目前对主要目的为初步评估试验药物安全性、耐受性或可行性的临床试验提出的建议
21世纪治愈法案 21 st century cures bill	2016	FDA	对再生医学先进疗法（RMAT）引入加快审批程序，对治疗危急重病的再生医学疗法，若初步临床证据提示可解决未满足的临床需求，可认定RMAT资格并加速审批
人类细胞、组织以及基于细胞和组织的产品最小操作和同源使用监管考虑 Regulatory Considerations for Human Cells, Tissues, and Cellular and Tissue-Based Products: Minimal Manipulation and Homologous Use	2017	FDA	对21 CFR Part 1271中“最小操作”和“同源使用”的官方解释，是判定HCT/P走PHS Act 361条（低风险，仅需登记）还是351条（高风险，须IND/BLA）的核心依据。适用于所有HCT/P，包括造血干细胞、MSCs、脐带血干细胞等
FDA干细胞产品监管公告 FDA Announcement on Stem Cell Products	2018	FDA	FDA向多家销售未经批准细胞产品的企业发出警告信，明确强调所有干细胞产品必须经过严格的FDA审批流程，才能确保其安全性和有效性
针对严重疾病再生医学疗法快速审评计划 Expedited Programs for Regenerative Medicine Therapies for Serious Conditions	2019	FDA	加速再生医学疗法在严重疾病治疗领域研发的进程，明确了再生医学先进疗法含义及加速审批的信息
在早期临床试验中研究同时研发多个版本细胞或基因治疗产品 Studying Multiple Versions of a Cellular or Gene Therapy Product in an Early-Phase Clinical Trial	2022	FDA	为在单一疾病的早期临床试验中研究同时开展多种版本的细胞或基因治疗产品研发的申办者提供IND申请、新信息提交、不良事件报告等指导
制造变化与人类细胞和基因治疗产品的可比性行业指南草案 Manufacturing Changes and Comparability for Human Cellular and Gene Therapy Products Draft Guidance for Industry	2023	FDA	为基因治疗产品的IND的申办者和BLA的申请人提供关于产品可比性和临床试验和已获许可的基因治疗产品生产变更管理的建议。提供基于生命周期方法管理和报告基因治疗产品的生产变更，以及可比性研究，以评估生产变更对产品质量的影响
细胞和基因治疗产品效价保证指南 Potency Assurance for Cellular and Gene Therapy Products	2023	FDA	FDA最新的CGT产品效价保证框架指南，将传统终产品效价测试升级为基于风险的全生命周期管理体系，涵盖产品设计、工艺控制、过程测试和放行检测全流程，适用于所有干细胞产品
用于细胞基医疗产品的人源异体细胞扩增的安全性测试指南 Safety Testing of Human Allogeneic Cells Expanded for Use in Cell-Based Medical Products	2024	FDA	FDA首个专门针对体外扩增异体细胞的安全性测试指南，基于细胞扩增潜力进行风险分级，明确了细胞库建立、外源因子检测、基因组稳定性评估和致癌性测试的全套要求，适用于所有异体干细胞产品
人体细胞、组织及细胞组织产品供体资格确定建议 Recommendations for Determining Eligibility of Donors of Human Cells, Tissues, and Cellular and Tissue-Based Products (HCT/PS)	2025	FDA	为21 CFR Part 1271框架下的HCT/P供体资格判定提供一般性建议，包括供者筛查、检测和资格认定标准

来源：FDA，政府官网，沙利文分析

欧盟干细胞疗法监管现状

■ 欧盟干细胞疗法监管情况

欧洲药品管理局（EMA）下属的先进治疗产品委员会（CAT）是干细胞等先进治疗医学产品（ATMPs）的核心审评机构，主要承担产品分类科学建议、上市申请审评、中小企业数据认证及相关科学指导等工作，临床试验审批则由欧盟各成员国主管当局独立负责。欧盟将干细胞疗法统一纳入先进治疗医学产品范畴并严格按照医药产品标准监管，依托《人用医药产品指令》（Directive 2001/83/EC）、《先进治疗医学产品法规》（Regulation (EC) No 1394/2007）、《EMA与集中程序法规》（Regulation (EC) No 726/2004）及《细胞/基因疗法技术要求指令》（Directive 2009/120/EC）构建了完备的监管体系，其审批流程规范清晰，先由CAT对上市申请开展科学评估并形成草案意见，经人用药品委员会（CHMP）出具最终审评意见后，由欧盟委员会作出上市批准决定，最终由EMA授予上市许可证书，并持续开展药物警戒及产品安全性、有效性动态监测工作。

■ 欧盟干细胞疗法加速审批机制

为推动针对严重疾病的干细胞疗法尽早惠及患者，EMA 设立了多项加速审批路径。PRIME 优先药物计划为具有突出临床潜力的干细胞产品提供早期沟通与优先审评支持，加快研发与审批进程；有条件上市许可（CMA）则允许在完整临床数据尚未完善前，基于早期积极结果先行批准上市，企业后续再补充确证性研究数据。

图：欧盟干细胞疗法监管制度例举

政策名称	发布时间	发布主体	主要内容
组织与细胞指令 Tissues and Cells Directive, EUTCD	2006	EMA	建立欧盟统一的人体组织和细胞监管体系，2004 年发布母指令，2006年补充两项技术指令，规范干细胞等细胞产品的采集、供体筛查、处理、存储和全流程追溯要求，为成员国立法提供统一技术标准
前沿药物法规 Regulation (EC) No 1394/2007	2007	EMA	确立欧盟先进治疗药物（ATMPs）统一监管体系，将基因治疗、细胞治疗（含干细胞）、组织工程产品全部纳入药品监管范畴，实行欧盟集中审批制度，标准审评周期210天
人类细胞药物产品指南 Guideline on Human Cell-based Medicinal Products	2008	EMA	对细胞疗法产品的开发、制造和质控以及非临床和临床研发，涉及体细胞治疗药品和组织工程产品
关于安全性和有效性后续行动的指导原则-前沿药物的风险管理 Guideline on safety and efficacy follow-up and risk management of advanced therapy medicinal products	2008	EMA	对前沿药物的药物警戒、风险管理规划、安全性和有效性等方面，以及使用此类产品治疗的患者随访进行指导
前沿药物的临床试验质量管理规范（GCP） Guidelines on Good Clinical Practice (GCP) specific for Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP)	2009	EMA	细化了ATMP的临床试验设计、非临床研究、研究用ATMP的质量、临床试验的安全实施、细胞制备和给药、用药的可追溯性、留样、受试者的保护、安全性报告和监查等
关于干细胞药品的反思性文件 Reflection Paper on Stem Cell-Based Medicinal Products	2011	EMA	涵盖了使用干细胞作为起始材料的药品的上市许可申请，重点说明干细胞的多能性、分化控制、致瘤性风险及临床开发要求
适用于先进治疗药物的基于风险的方法指南 Guideline on the risk-based approach according to annex I, part IV of Directive 2001/83/EC applied to Advanced therapy medicinal products	2013	EMA	建立 ATMP 产品全生命周期风险分级监管体系，根据产品风险等级差异化设定临床试验、CMC 和上市后监管要求，允许低风险干细胞产品简化研发和审批流程
优先药物（PRIME）的快速审批方案	2016	EMA	获准进入PRIME计划的实验性药物，将在临床试验及医药开发方面获得EMA大力支持，加速真正创新药物的开发的审批
用于癌症治疗的细胞基免疫治疗药物效力测试指南 Guideline on potency testing of cell based immunotherapy medicinal products for the treatment of cancer	2016	EMA	对2007年版指南进行3Rs原则技术更新，为细胞基免疫治疗产品（包括造血干细胞及干细胞来源的免疫细胞）的效力测定方法开发和验证提供具体监管要求
前沿药物的生产质量管理规范（GMP） Guidelines on Good Manufacturing Practice (GMP) specific for Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP)	2017	EMA	在原有GMP框架下，针对ATMP进行调整，阐述了这类药品涉及的新的、复杂的生产情况，主张采取基于风险的方法进行生产和检验，允许生产商根据风险级别，在工艺和控制系统方面保留一定灵活性
前沿药物临床试验中质量、非临床和临床要求指南 Guideline on quality, non-clinical and clinical requirements for investigational advanced therapy medicinal products in clinical trials	2019	EMA	对前沿药物的探索性和确认性临床试验申请的结构和数据要求提供了指导
药品指令 Medicinal Products Directive	2023	EMA	再次明确干细胞产品属于ATMPs特殊药品类别，与基因治疗、组织工程产品适用统一药品监管体系
医疗器械法规（MDR） Medical Devices Regulation, (EU)	2023	EMA	明确含干细胞成分的医疗器械需满足基本安全要求，通过合格评定并加贴CE标志后方可在欧盟上市

来源：EMA，政府官网，沙利文分析

日本干细胞疗法监管现状

■ 日本对干细胞产品进行医疗技术和新药“双轨制”监管

日本对干细胞产品实行“医疗技术路径+新药路径”双轨并行的监管体系，以平衡创新速度与临床安全。2013–2014年，日本先后出台《再生医学促进法》和《再生医学安全法》，构建了再生医学领域的基础法律框架；同时修订《药物、医疗器械与其他产品法》（PMD Act），将干细胞相关产品按“再生医疗技术”与“新药/生物制品”进行分类注册：

- **再生医疗技术路径：**由厚生劳动省监管，适用于以患者自体细胞为主、难以标准化的临床治疗技术，通过“计划认定+医疗机构认定”快速通道，可在早期阶段开展临床应用。
- **新药路径：**由独立行政法人医药品医疗器械综合机构（PMDA）监管，适用于可标准化、批量生产的异体干细胞产品，按生物制品标准进行临床试验和上市审批，同时设有条件性早期批准等加速通道。这套体系大幅缩短了干细胞产品从临床研究到上市应用的周期，推动日本成为全球再生医学转化的重要标杆。

图：日本干细胞“双轨制”监管体系



■ 干细胞新药由日本医药品医疗器械综合机构(PMDA)监管

干细胞新药由日本医药品医疗器械综合机构（PMDA）负责监管。以获得上市销售许可为目的、由企业开发的干细胞新药，需经PMDA审查，按照《药物、医疗器械与其他产品法》开展注册临床试验与上市审批。该法案将细胞医疗产品、离体基因医疗产品及体内基因医疗产品统一界定为“再生医学产品”，并在传统药物审批程序基础上增设条件性准入机制。对于经小规模临床试验证实安全且具有潜在疗效的产品，企业可申请有条件·期限附条件上市许可，PMDA将在9个月内完成审批；获批产品可先行商业化应用并收集临床数据，在7年内完成充分的安全性及有效性验证后，即可申请转为正式上市许可。

■ 干细胞医疗技术由厚生劳动省监管

干细胞医疗技术由厚生劳动省依据《再生医学安全法》实施监管，主要适用于药品注册临床试验以外的临床研究与应用。该体系根据细胞来源、体外处理方式及临床适用范围实行三级风险分级管理：

- I类（高风险）：如iPS细胞等相关技术
- II类（中风险）：自体细胞非同源使用
- III类（低风险）：自体细胞同源使用

其中中低风险项目仅需提交计划备案；I类高风险项目除备案外，还需通过再生医学认证委员会及厚生劳动省90天专项审查方可开展。。

图：三级风险申报



来源：政府官网，沙利文分析

日本干细胞疗法监管现状

■ 日本干细胞利好政策

日本通过多项全球首创的制度创新，构建覆盖药品上市与医疗技术应用的全链条加速审批体系，缩短了干细胞疗法临床转化周期：

- 全球首创附条件及期限承认制度：**2014年实施，在安全性基本确认并具备合理疗效可能性的前提下，仅依据小规模临床数据即可授予最长7年附条件上市许可，上市后补充确证数据；
- SAKIGAKE（先驱）认证：**该认证面向全球首创或突破性创新产品，提供全程优先咨询与优先审评，审评时限由常规12个月缩短至6个月；
- 医疗技术分级快速通道：**中低风险干细胞医疗技术经机构再生医学委员会备案即可开展；高风险技术经国家再生医学认证委员会审批后可直接临床应用，无需走完完整药品注册流程。

图：日本干细胞监管制度例举

政策名称	发布时间	发布主体	主要内容
《再生医学促进法》 Regenerative Medicine Promotion Law	2013	日本国会	作为国家战略明确推动再生医学（含干细胞）发展，确立“官产学研”协同机制，设立国家级再生医学研究基金，建立再生医疗技术认证体系
《药品和医疗器械法（修订）》 Pharmaceuticals and Medical Devices Act (PMD Act)	2014	日本国会	新增独立的“再生医学产品”监管类别，由PMDA负责审评；引入全球首创的“附条件·期限批准制度”：最长7年附条件上市，上市后补充确证性数据
《再生医学安全法》 Act on the Safety of Regenerative Medicine (ASRM)	2014	日本国会	规范医疗技术路径：医疗机构开展的干细胞临床研究与应用按本法监管；实行三级风险分类管理；中低风险项目医疗机构内部审查后备案，高风险项目需国家再生医学认证委员会审批
SAKIGAKE（先驱）认证制度	2014	厚生劳动省、PMDA	针对全球首创或疗效优于现有疗法的再生医学产品，提供全程一对一优先咨询+6个月极速审评（常规12个月），可与附条件批准叠加使用
《再生医学等产品制造管理及质量管理基准省令》 Guidelines on Manufacturing Practice for Regenerative Medicine Products (GCTP)	2015	厚生劳动省、PMDA	针对再生医学产品（含干细胞产品）的个性化、小批量、短周期生产特点，制定专门的《再生医疗等产品制造管理及质量管理基准》（GCTP），对细胞采集、加工、培养、储存、运输等全过程提出严格的质量管理和风险控制要求，是再生医学产品生产质量管理的强制性技术标准
《再生医学安全法（2024 修订版）》	2024	日本国会	扩大监管范围至体内基因治疗等新技术；强化患者知情同意与信息披露要求；加重违规处罚力度；建立全国再生医疗技术应用数据库
《再生医学产品有条件及期限批准相关指导原则》 Guidelines on Conditional and Time-Limited Approval of Regenerative Medicine Products	2024	厚生劳动省、PMDA	为再生医学产品（含干细胞产品）申请“附条件·期限批准”提供具体操作指导，明确适用条件、申报材料要求、上市后确证性评价计划制定标准及质量再现性提升方案，旨在提升制度可预见性，支持再生医学产品安全高效早期上市
《人间充质干细胞产品附条件批准专项指南》（2024） Special Evaluation Criteria for Conditional Approval of Human Mesenchymal Stem Cell Products	2024	厚生劳动省、PMDA	全球首个专门针对人源MSCs产品的附条件批准技术标准，明确了MSCs产品申请附条件批准的最低临床数据要求、疗效终点标准和上市后验证要求，大幅提高了MSCs产品审批的可预见性
《药品医疗器械法》（2025 年修正案） Pharmaceuticals and Medical Devices Act (2025 Amendment)	2025	日本国会	全面优化日本创新医疗产品审批体系，将再生医学专属的有条件批准制度扩大到所有创新药，设立创新药研发基金，大幅缩短上市周期

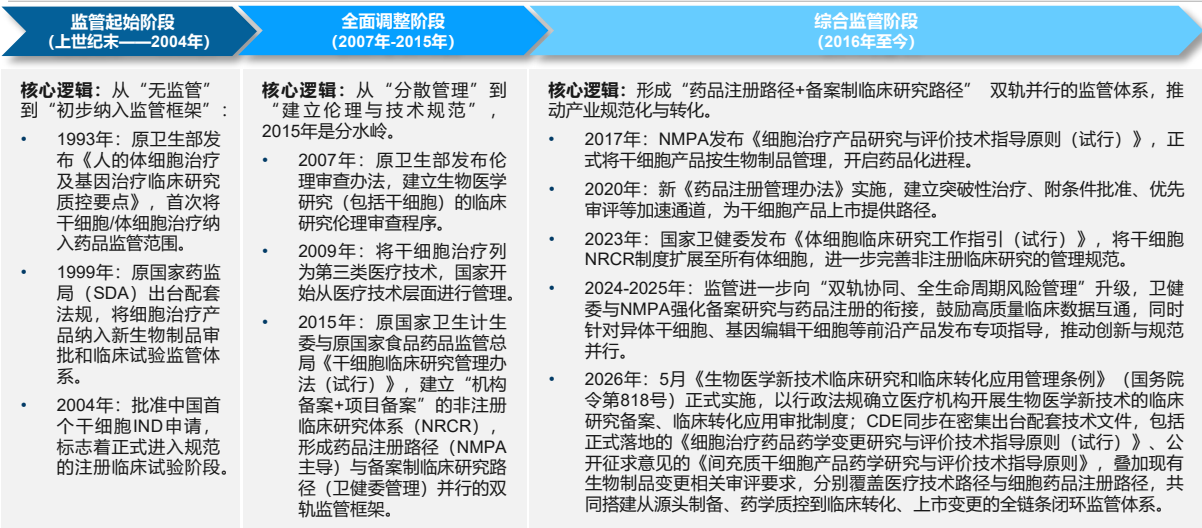
来源：政府官网，沙利文分析

中国干细胞疗法监管现状

中国干细胞疗法监管发展概览

中国干细胞临床实践起步于1964年（亚洲首例骨髓移植），但早期监管体系长期处于空白状态。1993年原卫生部发布首个体细胞治疗监管文件《人的体细胞治疗及基因治疗临床研究质控要点》，2004年批准首个干细胞相关注册临床试验，行业逐步进入规范探索阶段。2015年是中国干细胞监管的重要分水岭：原国家卫生计生委与原国家食品药品监督管理总局联合发布《干细胞临床研究管理办法（试行）》，建立“机构备案+项目备案”的非注册临床研究体系，结束了行业无序发展状态，由此形成药品注册路径（NMPA主导）与备案制临床研究路径（国家卫健委管理）并行的双轨监管框架。2017年12月，国家药品监督管理局（NMPA）发布《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则（试行）》，正式将干细胞产品按药品管理，纳入生物制品监管体系，全面开启干细胞治疗产品的药品化研发与申报进程。

图：中国干细胞疗法监管发展历程

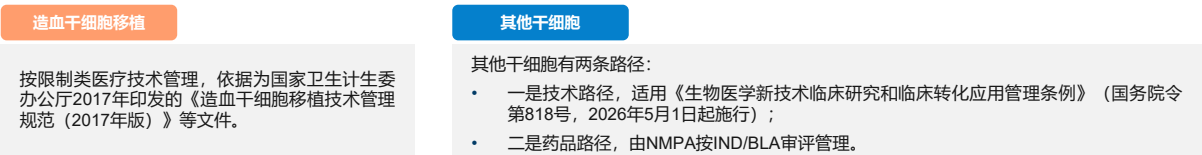


中国干细胞疗法监管制度

中国实行“非注册临床研究（NRCR）备案+药品注册上市”双轨并行的监管体系，干细胞疗法的临床常规应用必须获得NMPA的药品批准，严禁直接将备案研究项目用于收费治疗或临床转化。监管工作由国家药品监督管理局（NMPA）与国家卫生健康委员会（NHC）分工协作：

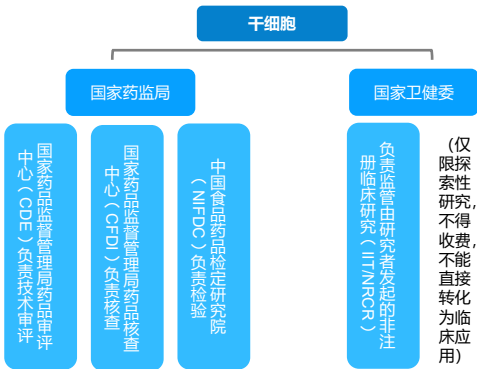
- 国家药品监督管理局（NMPA）：**负责干细胞治疗产品的药品全生命周期监管，包括IND、BLA审评、药品安全性与有效性评价、GMP生产质量管理、上市后监测与再评价等，确保产品按药品标准研发与上市。
- 国家卫生健康委员会（NHC）：**负责监管研究者发起的非注册临床研究（IIT/NRCR），实施机构备案与项目备案制，制定临床研究伦理、质量控制与受试者保护规范，明确要求此类研究不得向受试者收取费用，也不得直接作为常规医疗服务开展。

中国干细胞三条监管路线



来源：政府官网，沙利文分析

图：中国干细胞疗法监管体系

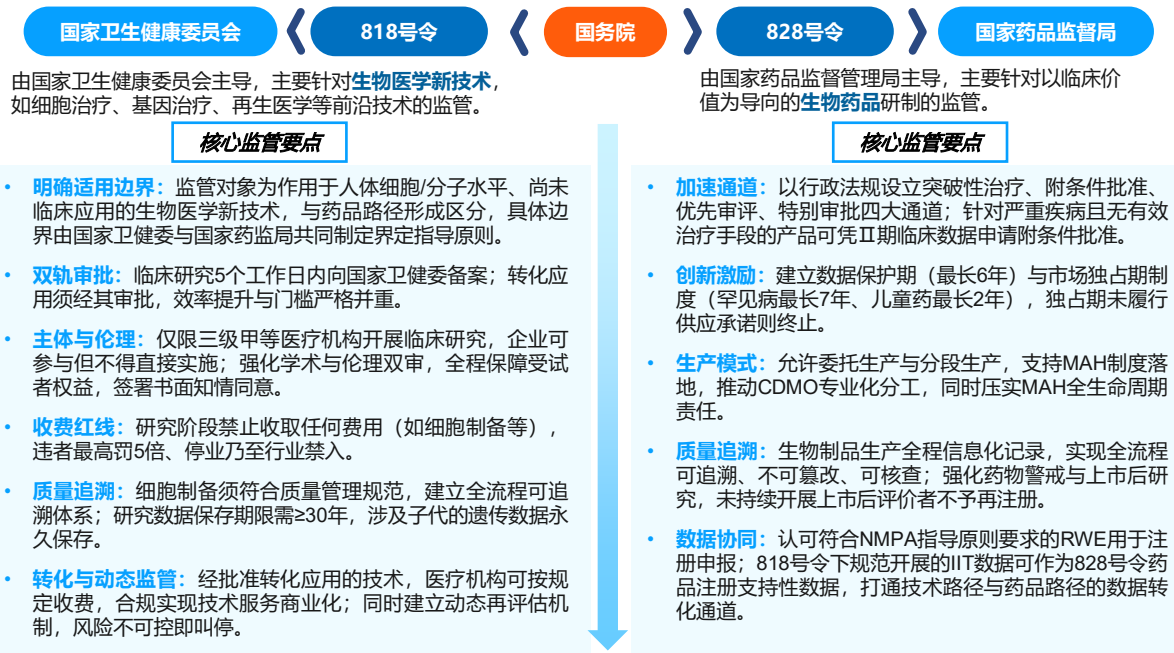


中国干细胞疗法监管现状

中国干细胞疗法利好政策与里程碑

中国持续出台多项精准利好政策，推动干细胞疗法从早期研究向临床转化与产业商业化加速迈进，关键里程碑与开放政策如下：

- 里程碑事件：**2025年1月，首款国产人脐带MSCs注射液获NMPA有条件上市批准。这是中国首个正式获批的干细胞治疗产品，标志着国内干细胞疗法实现从临床研究到药品化上市的关键突破，为后续同类产品的审评审批建立了标杆。
- 开放政策：**2024年9月，自贸区干细胞/基因治疗外资准入放宽。国家发改委、商务部等联合发文，允许外商投资企业在北京、上海、广东、海南自贸区开展人干细胞、基因诊断与治疗技术开发及应用，吸引全球创新资源，加速产业国际化。
- 818政策：**2025年9月，国务院发布第818号令《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》，统一规范干细胞等前沿技术临床研究与转化应用。818号令于2026年5月1日正式施行，由国家卫生健康委牵头监管，聚焦个体化、非标准化、难以工业化生产的细胞治疗技术，核心是严准入、强伦理、明转化、禁违规。
- 828政策：**2026年1月，国务院发布第828号令（修订后的《药品管理法实施条例》），由国家药监局监管，聚焦可标准化、规模化生产的细胞治疗产品（如通用型CAR-T、干细胞制剂等），核心是优审批、强创新、充分分工、严质量。



短期影响

行业将迎来合规阵痛，中小及依赖灰色业务的机构因资质、成本、技术门槛不足加速出清，具备合规体系、临床资源、数据质量优势的头部企业提升市场集中度，规范化变为“生存底线”。

长期影响

818号令与828号令构筑的“双轨制”监管体系，正驱动中国细胞与基因治疗产业发生深刻的长期范式变革。研发端从“实验室导向”转向“临床价值与数据质量”双轮驱动，使RWE与IIT数据的技术-药品路径转化成为新常态。生产端向智能化、GMP标准化及CDMO专业分工升级，短期内推高合规成本，但长期将通过规模化实现成本与安全性的最优平衡。产业定位上，国内标准正加速与国际接轨，头部企业已开启“出海”探索。支付端创新产品借力商保、惠民保等多元渠道提升可及性，但纳入基本医保仍需破解定价与疗效评估的双重瓶颈。监管端，NHC（技术轨）与NMPA（药品轨）将走向深度协同，使“术转药”成为企业路径选择的常态化机制。

对于先试先行地区，818号令与828号令统一了全国监管标准，先行先试地区的特殊政策空间被压缩，其发展重心从政策差异化转向合规能力与产业生态的综合竞争。

中国干细胞疗法相关政策

图：中国干细胞相关政策例举

	相关内容	政策及发布时间	发布机构
利好政策	明确提出加强发展基因治疗、细胞治疗等新技术与装备	《生物产业发展规划》（2013）	国务院
	将“干细胞与再生医学”列为重大科技专项，上升为国家战略	《“健康中国2030”规划纲要》（2016）	国务院
	提出重点发展基因治疗药物、干细胞和免疫细胞等治疗产品	《医药工业发展规划指南》（2016）	科技部
	明确干细胞产品药品化注册路径，正式纳入治疗用生物制品监管范畴	《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则（试行）》（2017）	国家药监局
	建立突破性治疗药物、附条件批准、优先审评审批三大加速通道	《药品注册管理办法》（2020）	国家药监局
	重点发展针对新靶点、新适应症的嵌合抗原受体T细胞（CAR-T）、嵌合抗原受体NK细胞（CAR-NK）等免疫细胞治疗、干细胞治疗、基因治疗产品和特异性免疫球蛋白等	《“十四五”医药工业发展规划》（2021）	科技部、发改委等9部门
	围绕加快创新药上市审批、强化上市后监管，建设药品监管科学研究基地，建设基因治疗产品等质量及安全性评价技术平台	《“十四五”生物经济发展规划》（2021）	发改委
	允许外商投资企业在北京、上海、广东、海南自贸区开展人干细胞技术开发及应用	《商务部国家卫生健康委国家药监局关于在医疗领域开展扩大开放试点工作的通知》（2024）	商务部、国家卫生健康委、国家药监局
	优化细胞与基因治疗药品整体审评审批机制，简化干细胞新药沟通交流流程，缩短IND受理、临床核查周期	《关于优化细胞与基因治疗药品审评审批有关事项（征求意见稿）》（2026年）	国家药品监督管理局
监管政策	建立干细胞临床研究“机构+项目”双备案制度，不再按第三类医疗技术管理	《干细胞临床研究管理办法（试行）》（2015）	原国家卫生和计划生育委员会、原国家食品药品监督管理总局
	明确干细胞制剂质量控制要求和临床前研究评价方法	《干细胞制剂质量控制及临床前研究指导原则（试行）》（2015）	原国家卫生和计划生育委员会、原国家食品药品监督管理总局
	提出对基因修饰的细胞治疗产品非临床研究和评价的特殊考虑和要求	《基因修饰细胞治疗产品非临床研究技术指导原则（试行）》（2021）	CDE
	统一干细胞制剂放行检验标准，降低临床不良反应风险	《干细胞制剂放行检验规范（试行）》（2021）	国家干细胞转化资源中心（NSCTRC）
	为细胞和基因治疗产品临床研发过程中沟通交流的资料准备和临床研发要素考虑等提供建议	《细胞和基因治疗产品临床相关沟通交流技术指导原则（征求意见稿）》（2023）	CDE
	首个干细胞专属药学研究指南，规范干细胞产品研发全流程	《人源干细胞产品药学研究与评价技术指导原则（试行）》（2023）	CDE
	首个干细胞专属临床试验指南，支持IT数据用于药品注册	《人源性干细胞及其衍生细胞治疗产品临床试验技术指导原则（试行）》（2023）	CDE
	首个干细胞专属非临床研究指南，明确安全性评价要求	《人源干细胞产品非临床研究技术指导原则》（2024）	CDE
	明确了干细胞等前沿技术的临床研究备案、转化审批和严禁收费等核心规则，是当前监管的顶层法规之一	《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》（国务院令第818号）（2025）	国务院
	强化了干细胞等创新药的加速审批通道，是药品化路径的重要法律保障	《中华人民共和国药品管理法实施条例》（国务院令第828号）（2026）	国务院
	统一干细胞制剂生产工艺、细胞库、辅料变更的申报与评价标准，规范上市后变更管理	《细胞治疗药品药学变更研究与评价技术指导原则（试行）》（2026）	CDE
	明确MSCs官方定义、供体、建库、扩增、质控、稳定性全套药学研究要求	《间充质干细胞产品药学研究与评价技术指导原则（征求意见稿）》（2026）	CDE
	明确我国细胞治疗药品的范围与归类，不影响现行药品注册分类	《细胞治疗药品范围和归类技术指导原则（2026年版）》（2026）	CDE
	国家卫生行业标准，统一脐带血造血干细胞采集、分离、制备、冻存、质量检测全套操作规范	《脐带血造血干细胞制备与冻存标准》WS/T 895—2026（2026年4月发布，9月1日实施）	国家卫生健康委员会

来源：政府官网，沙利文分析

-
-
-
-
-
-

第三章

诱导多能干细胞 技术分析



03

诱导多能干细胞疗法介绍（一）

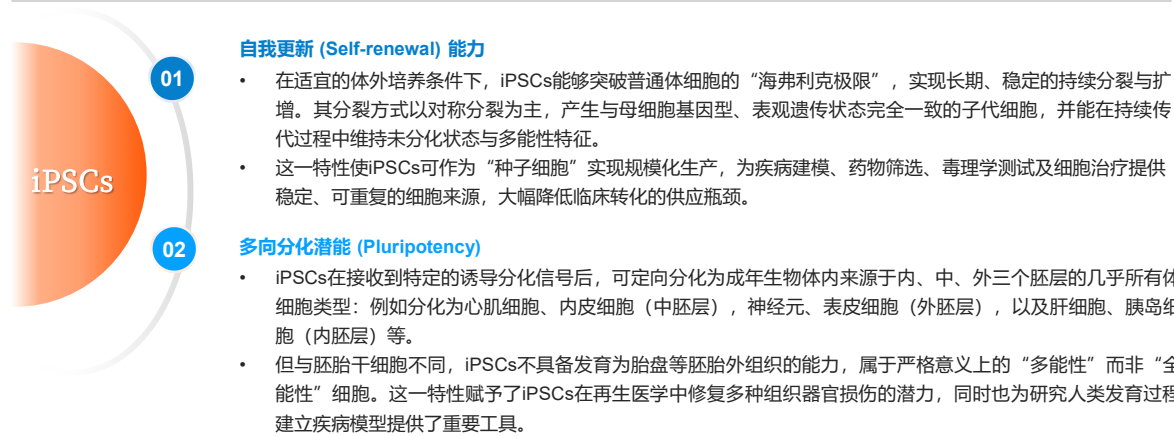
诱导多能干细胞疗法是一种基于“体细胞逆转—多能扩增—定向分化—组织替代/免疫重塑”的创新再生医学策略。将疾病治疗的维度从“症状缓解”跃升至“细胞层面的源头修复”。

■ iPSCs的定义

诱导多能干细胞（Induced pluripotent stem cells, iPSCs）是通过病毒载体（逆转录病毒、慢病毒）或非病毒载体（游离型载体、mRNA）等重编程技术，对皮肤成纤维细胞、外周血单核细胞等终末分化的成熟体细胞进行表观遗传重塑，逆转细胞分化状态、重置细胞命运，从而获得的具有胚胎干细胞样多能性的干细胞。iPSCs具备无限自我更新、三胚层多向分化的能力，可分化为人体各类组织细胞。随着无整合重编程、mRNA非病毒递送、CRISPR精准基因编辑及类器官构建技术的迭代成熟，iPSCs的安全性与可控性大幅提升，目前已广泛应用于疾病模型构建、药物筛选、再生医学治疗等领域。

然而，iPSC技术仍面临多重挑战：致癌性风险（未分化残留细胞可能形成畸胎瘤）、基因组不稳定性（重编程及长期培养可能引入或累积遗传突变）、免疫原性（自体iPSC虽免疫相容性较好，但分化过程可能产生新抗原；异体应用仍存在免疫排斥）、定向分化效率与成熟度不足（获得功能完全成熟的终末分化细胞仍较困难）、生产成本高昂与制备周期较长、以及表观遗传记忆残留等问题，制约其大规模临床转化。尽管如此，iPSCs仍是当前干细胞临床转化的核心前沿平台。

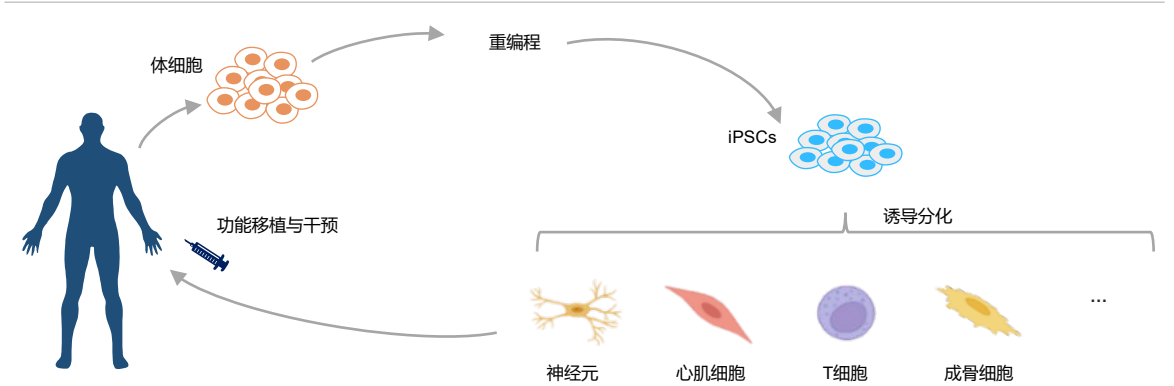
图：iPSCs生物学特性



■ iPSCs疗法

iPSCs疗法是一种基于再生医学与细胞工程学的新型治疗策略，其本质是利用患者自身或健康供体的体细胞，经基因重编程形成iPSCs，再通过定向诱导分化获得目标功能细胞，最终移植回患者体内，以实现组织修复、功能重建或免疫治疗。

图：iPSCs疗法示意图



来源：文献检索，沙利文分析

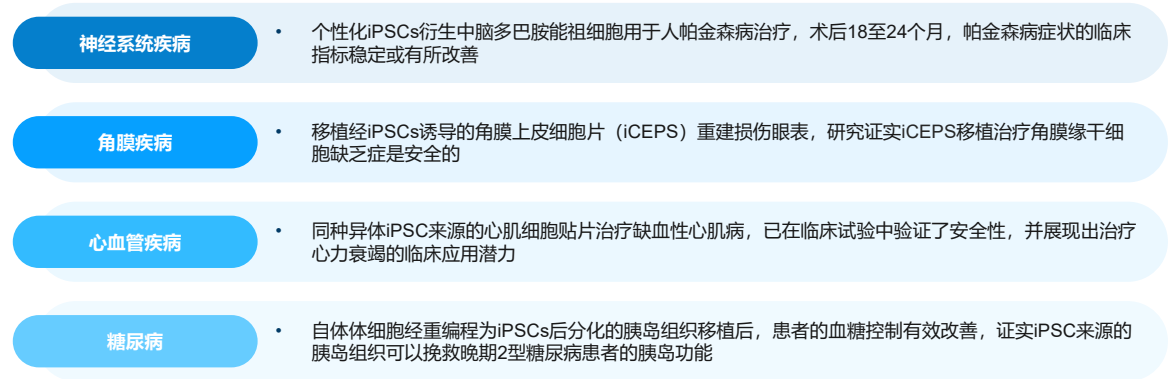
诱导多能干细胞疗法介绍（二）

iPSCs疗法是一种基于“体细胞逆转—多能扩增—定向分化—组织替代/免疫重塑”的创新再生医学策略。将疾病治疗的维度从“症状缓解”跃升至“细胞层面的源头修复”。

■ iPSCs疗法临床研究

iPSCs疗法的临床研究目前已在多个领域取得阶段性进展，其中帕金森病、心力衰竭、角膜疾病和糖尿病方向已建立明确的临床研究基础，部分项目已进入后期临床阶段并展现出良好的安全性与初步疗效；而iPSC来源免疫细胞治疗、类器官移植及自身免疫疾病治疗等方向，目前仍主要处于临床转化早期或实验研究阶段，重点围绕分化效率、规模化生产和免疫调控等关键技术问题开展探索。

图：iPSCs疗法临床研究示意图



■ iPSCs疗法优势分析

iPSCs疗法的核心优势在于其兼具高度多能性与长期自我更新能力，能够在体外稳定扩增并定向分化为多种功能细胞，为神经退行性疾病、角膜损伤、心血管疾病及糖尿病等难治性疾病提供可持续、规模化的细胞来源；同时，iPSC来源于成体体细胞，从根本上避免了胚胎干细胞相关的伦理争议，并有望通过自体来源或低免疫原性工程化策略，大幅降低异体移植的免疫排斥风险。此外，iPSCs平台可与CRISPR基因编辑、3D类器官构建及精准医学技术深度融合，推动个体化再生医学与疾病模型研究的发展。不过，其临床转化仍需进一步解决细胞遗传稳定性、致癌风险控制、生产工艺标准化及成本控制等关键问题。

图：iPSCs疗法的优势



来源：文献检索，沙利文分析

iPSCs疗法技术发展分析

iPSCs技术迭代核心是消除致癌风险、实现标准化量产：重编程从插入风险高的整合病毒载体，经非整合载体过渡，发展为mRNA/化学小分子零足迹方案，根除外源基因残留合规隐患；搭配3D类器官定向分化突破细胞成熟、高纯制备难题，推动疗法从高价自体定制迈入异体通用工业化阶段。

iPSCs重编程方法

目前，iPSCs的重编程方法根据转录因子是否整合入宿主基因组，可分为整合型重编程技术与非整合型重编程技术两大类。整合型技术以慢病毒、逆转录病毒等为载体，能高效递送重编程因子，但其固有风险在于外源基因可能随机插入宿主基因组，存在致突变、致癌隐患；非整合型技术则通过游离型载体、仙台病毒、mRNA、miRNA、重组蛋白或小分子化合物等方式实现重编程，不引入永久性的基因整合，安全性更高，更适配临床转化需求。不同技术路线在重编程效率、材料制备难度、递送便捷性、成本及临床安全性上各有侧重，临床应用中更倾向于采用非整合型方案以降低安全风险。

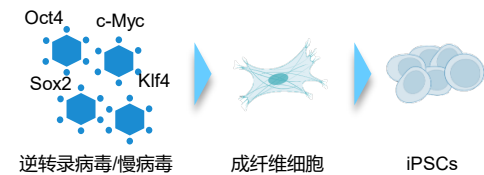
图：iPSCs重编程方法分类



第一代：从0到1的破局——病毒整合重编程法

以逆转录病毒或慢病毒为载体，将重编程因子（OSKM：Oct4, Sox2, Klf4, c-Myc）强行导入并永久插入宿主细胞基因组中，驱动体细胞逆转。2006年，Yamanaka团队凭借此技术打破了体细胞不可逆的百年定论，解决了胚胎干细胞的伦理死局。但其致命缺陷在于外源基因的随机插入会破坏宿主原有抑癌基因，具有极高的致癌风险。这一阶段的技术仅作为基础研究的“概念验证”，被FDA等监管机构严格排除在临床应用之外。

图：病毒整合重编程法



第二代：向安全性妥协的过渡——病毒非整合与非病毒整合法

在提高安全性的诉求下，行业开始向“短暂表达”或“可切除式整合”的过渡技术演进。

- **病毒非整合重编程法**：使用仙台病毒或腺病毒将RNA/DNA递送至细胞质中瞬时表达，而不整合进细胞核染色体。有效规避了基因组突变风险，但病毒残留清理周期长，且制备成本极为高昂。
- **非病毒整合重编程法**：利用PiggyBac转座子系统将重编程因子先整合进基因组，待细胞转化为iPSCs后，再通过转座酶或Cre/LoxP系统将其从基因组中无痕切除。

第三代：临床转化的终极形态——非病毒非整合与化学重编程

非病毒非整合法：使用附加体质粒、体外合成的mRNA或重组蛋白直接进入细胞质表达重编程基因，在细胞传代后可自然丢失。这是目前全球大多数获批IND的iPSCs管线所采用的主流底层工艺。

化学重编程（Chemical Reprogramming, CiPSC）：传统载体方法因外源基因随机整合宿主染色体，存在诱发恶性肿瘤（高致癌性）、破坏基因组稳定性、干扰定向分化以及无法满足GMP均质化质控标准的系统性缺陷，因而无法直接用于临床转化。北京大学邓宏魁教授团队仅使用纯化学小分子组合诱导体细胞重编程。2022年至2025年，该技术实现了重大飞跃，不仅将人类体细胞成功转化为化学诱导多能干细胞（hiCiPSCs），更在2025年最新突破中，将重编程时间缩短至10天，效率提升超20倍。CiPSC完全规避了基因操作，成分100%明确，被视为新一代标准化、工业级细胞制造的终极演进方向。

来源：文献检索，沙利文分析

iPSCs疗法上市及在研情况概览

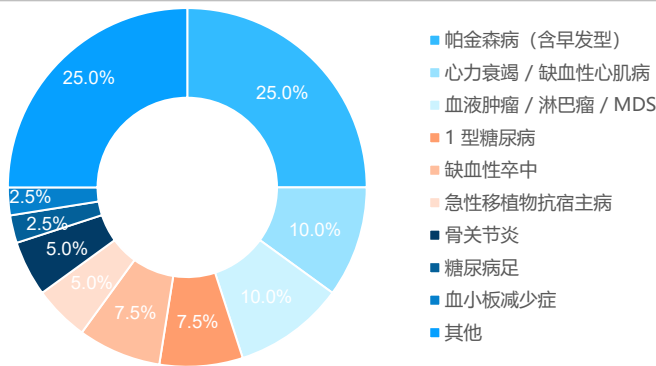
■ iPSCs疗法获批上市产品

2026年3月，日本厚生劳动省以附条件及期限批准方式，正式推出了全球首批两款iPSC来源的再生医学商业化产品：住友制药与Racthera联合研发的帕金森病治疗药物Amchepry，以及Cuorips公司研发的缺血性心肌病所致重症心力衰竭治疗心肌片ReHeart。前者通过将健康志愿者iPS细胞诱导为多巴胺神经元前体后移植入患者脑部；后者将iPS来源的心肌细胞制成心肌补片贴附于心脏表面，以促进心血管修复。这两款产品的上市标志着iPS细胞技术正式从实验室步入商业化阶段，为全球再生医学的商业化与监管探索了重要路径。

■ iPSCs疗法在研管线——按适应症拆分

根据公开数据，全球及中国已进入临床试验阶段的在研产品中，适应症主要集中在帕金森病、心力衰竭、肿瘤、I型糖尿病、脑卒中、骨/关节疾病等，其中帕金森病占比高达25%，是当前最热门的开发方向；同时心血管、血液肿瘤等领域也形成了明显的布局集群。未来，随着研究的不断深入，覆盖的适应症将持续扩大。

图：全球iPSCs在研产品按适应症拆分

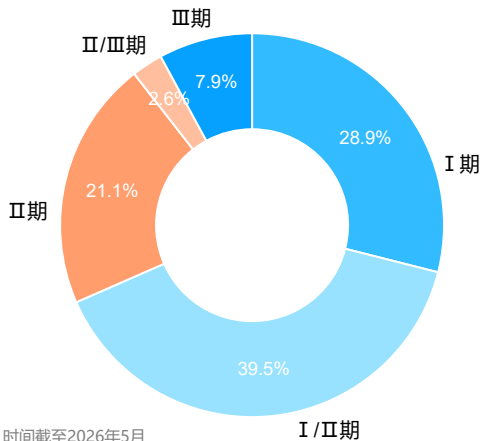


注：数据涵盖已进入临床试验阶段的iPSCs产品，时间截至2026年5月

■ iPSCs疗法在研管线——按临床阶段拆分

根据公开数据，全球及中国已进入临床试验阶段的iPSCs在研产品按临床阶段中，I/II期管线占比最高，达39.5%，其次为I期（28.9%）与II期（21.1%），处于III期的管线占比为7.9%，II/III期占比仅2.6%。所纳入分析的临床试验均以药品上市注册（NDA/BLA申报）为最终目的，属于制药企业主导的注册临床试验。整体来看，当前iPSCs疗法研发仍集中在早期至中期临床阶段。

图：全球iPSCs在研产品按临床阶段拆分



注：数据涵盖已进入临床试验阶段的iPSCs产品，时间截至2026年5月

来源：ClinicalTrials，CDE，公开资料，沙利文分析

-
-
-
-
-
-

第四章 胚胎干细胞 技术分析



04

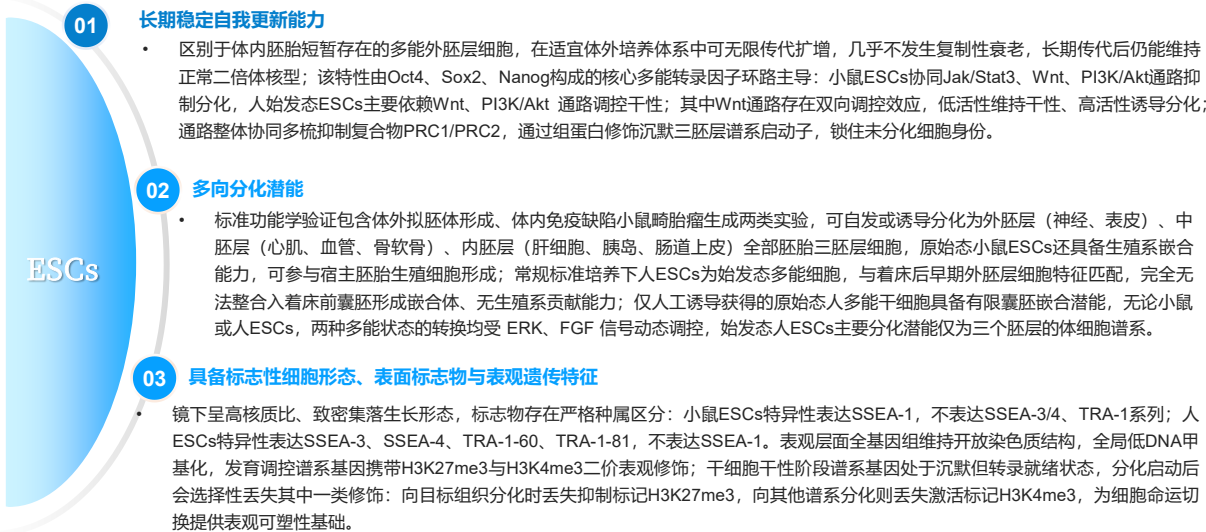
胚胎干细胞疗法介绍（一）

胚胎干细胞为取自着床前囊胚内细胞团的天然多能干细胞，其具备长期稳定自我更新、三胚层多向分化、特异性形态与表观遗传标记三大核心生物学特性。

■ ESCs的定义

胚胎干细胞（Embryonic stem cells, ESCs）分离自着床前囊胚的内细胞团，是体外稳定捕获的天然多能干细胞，自1981年小鼠ESCs建系、1998年人ESCs成功分离后，成为解析早期胚胎发育、构建疾病模型与再生医学研究的核心工具细胞，其核心生物学属性由自我更新、多能分化潜能、独特分子与表观遗传特征、特殊细胞周期及代谢模式共同构成，且存在原始态（naive）与始发态（primed）两种功能分化的多能状态。

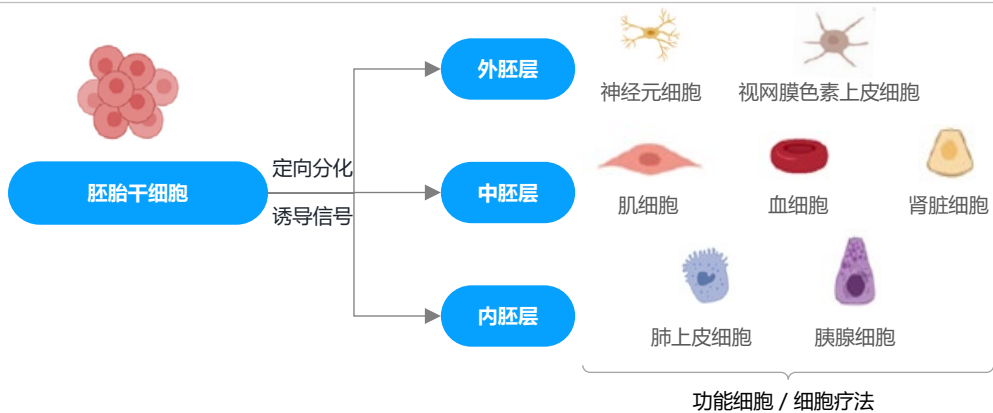
图：ESCs生物学特性



■ ESCs疗法

ESCs疗法是以胚胎干细胞为原料，通过体外定向分化获得心肌、神经、胰岛等功能细胞，移植至患者体内修复受损病变组织的再生医学治疗手段。该疗法依托ESCs完整三胚层分化潜能，用于退行性疾病、器官损伤等难治病症的细胞替代修复。

图：ESCs疗法示意图



来源：文献检索，沙利文分析

胚胎干细胞疗法介绍（二）

ESCs疗法具备全能分化、细胞批次均一、临床循证充分、产业化供给充足四大核心优势，同时行业持续优化规模化无血清生产、异体免疫抑制、细胞纯化质控等核心工艺，逐步缓解移植高成本、异体免疫排斥、残留未分化细胞致瘤风险等核心瓶颈。

■ ESCs疗法临床研究

ESCs疗法临床转化已在眼科、神经退行性疾病、炎症损伤修复、骨科四大领域建立成熟临床数据，异体标准化现货细胞制剂展现出稳定安全性与明确修复疗效；hESC来源心肌细胞、中脑多巴胺能神经元、角膜内皮细胞管线目前处于临床前/研究者发起临床阶段，行业重点围绕规模化无血清生产、异体免疫抑制、细胞分化纯度质控等核心工艺持续优化。

全球各国对人胚胎干细胞研究、临床转化存在严格伦理与法规约束，仅允许使用废弃体外受精囊胚建系，严禁人为制造胚胎用于干细胞制备，且未分化 hESC 禁止直接人体移植，仅分化纯化后的功能细胞可开展备案临床研究。

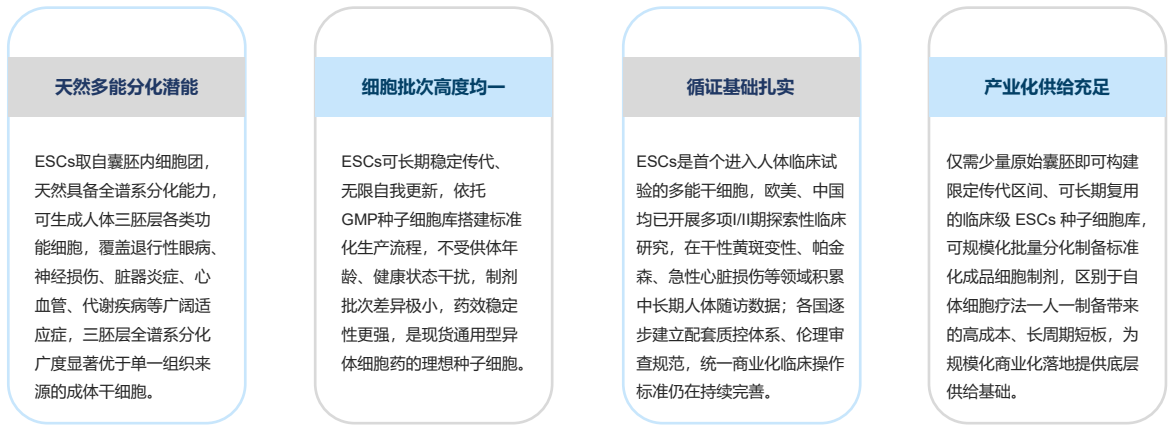
图：ESCs疗法临床研究示意图



■ ESCs疗法优势分析

ESCs的核心优势在于：一，多能分化潜能完整，天然具备向外、中、内全部三胚层功能细胞定向分化的能力，疾病应用场景覆盖范围更广；二，细胞性状高度稳定、批次一致性优异，标准化建库限定传代区间内的hESC种子细胞可稳定自我更新；依托标准化无血清、无异种成分规模化建库与分化工艺，搭配严格的未分化细胞纯化质控，能够批量生产标准化现货异体细胞制剂，大幅消除自体干细胞供体个体差异带来的药效波动。；三，临床转化起步更早、循证数据积累充分，大量临床数据充分验证其移植安全性与组织修复疗效，工艺、质控、临床给药方案均形成成熟行业规范；四，产业化成本与供给优势突出，单株临床级hESC种子细胞系可无限扩增、分化百万份通用型细胞药物，大幅缩短给药等待周期、降低规模化生产与临床使用成本，适配未来细胞药物商业化落地需求。

图：ESCs疗法的优势



来源：文献检索，沙利文分析

ESCs培养技术迭代及中美临床管线梳理

ESCs体外培养历经四代技术迭代，从依赖小鼠饲养层逐步发展为全化学合成无动物源、可规模化GMP量产的工艺。同时，美国已布局神经、眼科、代谢多赛道多条hESCs疗法管线进入临床阶段，国内目前仅有一款hESC来源CASTem注射液完成Ⅱ期临床。

■ ESCs体外建系与规模化培养体系方法

ESCs技术迭代聚焦胚胎干细胞体外建系与规模化培养体系，整体分为四代：初代采用小鼠饲养层与胎牛血清，存在异种污染风险；第二代替换为人源饲养层与血清替代物，小幅降低外源杂质；第三代实现无饲养层培养，依托重组细胞外基质维持细胞干性；第四代采用全化学合成基质搭配生物反应器悬浮扩增，构建无异种、成分明确、可工业化放大的GMP临床级培养平台，持续解决细胞制剂批次不均、异种污染、规模化供给等产业化痛点。



第一代

初代ESCs建系依赖灭活小鼠胚胎成纤维细胞（MEF饲养层），培养基添加胎牛血清；依靠饲养层分泌因子维持干性，但存在大量异种蛋白、动物病原体污染风险，仅用于基础科研，完全不满足临床制剂标准。



第二代

第二代以人源成纤维细胞替代小鼠饲养层，血清替代物替换胎牛血清，大幅降低异种动物污染风险；但依赖活饲养层细胞存在批次不稳定、残留细胞致瘤隐患，成分无法做到完全化学限定，不满足GMP商业化生产标准。



第三代

彻底抛弃饲养层细胞，早期采用Matrigel（动物源提取物）作为贴壁基质，搭配初代无血清限定培养基；仍存在异种污染风险、批次波动，多用于基础科研，无法满足GMP商业化要求。



第四代

采用无动物源重组人源基质（玻连蛋白 / 层粘连蛋白）或全人工合成多肽基质，搭配全化学成分明确mTeSR-E8系列培养基；同步配套微载体生物反应器悬浮扩增工艺，完全消除异种污染隐患、批次差异可控，是当前临床前与GMP临床级hESCs生产主流最优工艺。

■ 美国ESCs疗法在研管线

美国ESCs临床管线覆盖神经、眼科、代谢三大赛道，依托人胚胎干细胞全谱系分化能力，分别布局帕金森、癫痫、黄斑变性、1型糖尿病适应症，从2015至2025年陆续获批临床试验。

产品名称	公司	适应症	临床阶段	首次公示时间
Bemdaneprocel	BlueRock Therapeutics	帕金森病	Ⅲ	2025/04
VX-880	Vertex Pharmaceuticals, Semma Therapeutics, ViaCyte	1型糖尿病	I - Ⅲ	2024/11
VX-264	Vertex Pharmaceuticals, Semma Therapeutics	1型糖尿病	I / Ⅱ	2023/03
OpRegen	Lineage Cell Therapeutics, CellCure Neurosciences, Roche	年龄相关性黄斑变性继发的地图样萎缩	Ⅱ	2022/11
NRTX-1001	Neurona Therapeutics	颞叶癫痫发作	I / Ⅱ	2021/11
ASP7317	Astellas Pharma, CHA Biotech	黄斑变性疾病	I / Ⅱ	2017/05
PEC-Direct	ViaCyte	1型糖尿病	I / Ⅱ	2017/05
CPCB-RPE1	Regenerative Patch Technologies	干性年龄相关性黄斑变性	I / Ⅱ	2015/10

■ 中国ESCs疗法在研管线

国内目前仅有泽辉生物的hESC来源M细胞注射液一条进入Ⅱ期临床试验的人胚胎干细胞管线，覆盖急性炎症、软骨损伤多类适应症，其余多巴胺能神经元、视网膜色素上皮细胞、角膜内皮细胞等hESC衍生产品均处于临床前研发阶段。

产品名称	公司	适应症	临床阶段	首次公示时间
ZH901	泽辉生物	半月板损伤	I / Ⅱ	2022/02
ZH901	泽辉生物	急性呼吸窘迫综合征	Ⅱ	2022/06
ZH901	泽辉生物	间质性肺病急性加重	Ⅱ	2023/07
ZH901	泽辉生物	急性移植物抗宿主病	Ⅱ	2023/07

泽辉生物 —— ZH901治疗aGVHD

产品介绍

国内进度领先、唯一完成Ⅱ期临床的hESC来源细胞治疗产品

ZH901针对多种适应症，其中aGVHD适应症已进入Ⅱ期。针对aGVHD，该产品通过旁分泌抗炎、修复类因子调控炎症反应、修复皮肤、肝脏、肠道等受损靶器官；依托单一hESC种子库实现标准化、批次高度均一的现货量产，相比骨髓 / 脂肪来源成体MSC不存在供体异质性，免疫调节活性更强，可快速用于移植后急性GVHD急救。

临床数据

- ZH901多适应症累计约100名受试者完成给药，其中激素失败aGVHD Ⅱ期临床队列中，患者整体治疗客观缓解率达60%；
- 整体安全性表现优异，未发生任何与ZH901直接相关的重度不良事件。

来源：文献检索，公司资料，沙利文分析

-
-
-
-
-
-

第五章 间充质细胞 技术分析



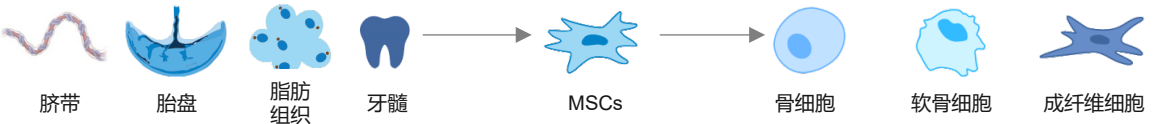
05

间充质细胞疗法介绍

MSCs疗法利用自我更新、多向分化的成体干细胞，通过扩增回输发挥组织修复与免疫调节作用，能够治疗多种疾病，具有低免疫原性、少伦理争议等优势。

■ 间充质细胞概念

间充质细胞（Mesenchymal Cells, MSCs）是一类广泛存在于骨髓、脂肪、胎盘/脐带等组织中的成体干细胞，具有稳定的自我更新能力与多向分化潜能，在适宜诱导条件下可定向分化为脂肪细胞、成骨细胞、软骨细胞等中胚层来源的多种功能细胞，同时还具备强大的免疫调节、抗炎及旁分泌功能，是目前临床转化最为成熟的干细胞类型之一。



■ 间充质细胞疗法概念

MSCs疗法是一类基于成体干细胞的先进治疗策略，目前全球已有多款MSCs产品获批上市。依托MSCs强大的自我更新与多向分化潜能，经体外分离、规模化扩增及严格质控后回输体内，MSCs可主动归巢至组织损伤部位，并通过强大的旁分泌效应发挥核心治疗作用。MSCs能够分泌TGF- β 、PGE2、IL-10等多种关键生物活性因子，以此释放营养信号、调控局部免疫微环境、抑制过度炎症反应并促进血管新生，进而介导受损组织的修复与再生。这种以旁分泌为核心、兼具组织修复、免疫调节与抗炎的协同效应，使其在骨关节炎、自身免疫性疾病、心血管疾病及炎症损伤性疾病等领域展现出广阔的应用前景。

2025年5月，国际细胞治疗学会（ISCT）基于单细胞测序研究首次在分子层面明确区分MSCs与传统干细胞的根本差异，正式发布新标准，将其由“间充质干细胞”更名为“间充质基质细胞”，更精准地反映其以旁分泌、免疫调节及基质支持为核心的治疗机制，终结了长达30余年的身份争议。中国药监体系则基于产业实践与审评延续性，在2026年5月发布的《间充质干细胞产品药学研究与评价技术指导原则》（征求意见稿）中仍沿用“间充质干细胞”命名，明确其以MSC为主要活性成分，通过旁分泌、免疫调节及与微环境相互作用实现治疗价值。无论是“间充质基质细胞”的国际学术定位，还是“间充质干细胞”的中国监管表述，均指向同一类具有重要临床价值的间充质细胞治疗产品，名称差异仅体现科学认知与监管语境的不同，不改变其作为细胞治疗核心平台的重要地位。

■ 间充质细胞疗法的优势

间充质细胞疗法的主要优势体现在强大免疫调节特性与组织修复能力、来源广泛且伦理争议低等方面。该类细胞易于从骨髓、脂肪、胎盘/脐带等组织获取，并可在体外稳定扩增获得充足细胞数量，通过分泌活性因子促进内源性组织修复；同时，MSCs具有低免疫原性与有效的免疫调节作用，在自身免疫病、炎症损伤及退行性疾病中治疗优势突出。此外，间充质细胞还具备良好的归巢能力，可主动迁移至损伤或炎症微环境发挥靶向治疗效应。在中国分级分类监管框架下，MSCs整体属于中高风险等级的生物医学新技术，其中自体来源MSCs通常归为中低风险。

图：MSCs疗法的优势

增殖能力强 MSCs在体外培养条件下能够快速扩增，并在多次传代后仍能维持稳定的染色体核型及分化潜能。	免疫原性低 MSCs低表达MHC I类分子，不表达MHC II类分子及共刺激分子，免疫原性低，不易引起同种异体免疫排斥，可用于异体移植。
来源广泛 MSCs通常来源于成人的脂肪组织、骨髓、牙髓和新生的胎盘/脐带等，获取相对容易且伦理争议小。	安全性较好 MSCs已广泛用于多种疾病的临床前及临床研究，且在上述研究中，其治疗仅伴随轻微不良反应，严重副作用较为少见。

来源：文献检索，沙利文分析

间充质细胞来源（一）

间充质细胞疗法利用自我更新、多向分化的成体干细胞，通过扩增回输发挥组织修复与免疫调节作用，能够治疗多种疾病，具有低免疫原性、少伦理争议等优势。

胎盘来源的间充质细胞

胎盘来源间充质细胞（Placental Mesenchymal Cells, PMSCs）是从胎盘组织中分离获得的一类成体干细胞。研究证实，胎盘各部位均存在MSCs，其中以脐带附着处下方方的胎盘中间层为MSCs的富集区域。PMSCs在合适的诱导条件下，可以分化为成骨细胞、软骨细胞、脂肪细胞等多种类型。此外，PMSCs还具备强大的免疫调节能力和旁分泌功能，能够通过分泌多种细胞因子调控局部微环境，且增殖能力强、免疫原性低、无伦理争议，因此在组织修复和再生医学研究中被广泛应用。

PMSCs已在临床上展现出应用潜力。在骨科疾病领域，PMSCs通过关节腔内注射可有效缓解骨关节炎患者的疼痛并改善关节功能；在创面愈合方面，PMSCs能够促进血管新生和肉芽组织形成，加速糖尿病足溃疡等难愈性创面的修复。此外，基于其强大的免疫调节能力，PMSCs已被用于治疗移植物抗宿主病，并在肝硬化、早产儿支气管肺发育不良及急性呼吸窘迫综合征等疾病的临床研究中显示出良好的安全性和治疗潜力。

脐带组织来源的间充质细胞

脐带组织来源的间充质细胞（Umbilical Cord-derived Mesenchymal Cells, UC-MSCs）来源于新生儿脐带组织，具备向骨、软骨、脂肪分化的能力，同时具有旁分泌功能与免疫调节特性，在组织修复领域应用前景良好。该细胞获取安全无创、来源广、扩增强、免疫原性低且无伦理争议，是极具潜力的MSCs来源；在再生医学中，因其增殖与遗传稳定性优于成体来源MSCs而备受关注。

临床上，UC-MSCs已被用于骨关节炎、糖尿病足溃疡、免疫性疾病及器官修复等关键领域。治疗骨关节炎时，利用其成软骨分化与抗炎能力，通过关节腔注射UC-MSCs或外泌体改善关节功能；针对糖尿病足溃疡等难愈创面，则通过促血管新生、免疫调节加速愈合。此外，在肝硬化、移植物抗宿主病、脊髓损伤及COVID-19相关急性呼吸窘迫综合征等疾病的临床研究中也显示出治疗价值。

脂肪组织来源的间充质细胞

脂肪间充质细胞（Adipose-derived Mesenchymal Cells, ADSCs）是BMSCs的重要替代来源。ADSCs从脂肪组织中分离获得，具有多向分化潜能，在组织器官修复领域展现出良好的应用前景。ADSCs能够向脂肪、骨及软骨方向分化。得益于脂肪组织来源广泛、获取创伤小、扩增能力强等优势，ADSCs已成为极具潜力的MSCs来源。在骨科应用研究中，约27.9%的研究采用脂肪来源的MSCs，其使用率仅次于骨髓来源的MSCs。

ADSCs的临床应用已广泛覆盖骨关节炎与软骨修复、组织损伤与创面愈合以及免疫性疾病与器官修复等多个关键领域。在骨关节炎治疗中，主要利用其抗炎特性和成软骨分化能力，通过关节腔内注射ADSCs或其基质血管组分来改善关节功能。对于糖尿病足溃疡、克罗恩病相关的复杂肛瘻及硬皮病等组织损伤，ADSCs通过促进血管新生和调节免疫微环境加速创面愈合与组织修复。此外，基于其强大的免疫调节能力，该细胞在1型糖尿病、多发性硬化症、帕金森病及心肌缺血等疾病的临床研究中也显示出潜力。

骨髓来源的间充质细胞

骨髓间充质细胞（Bone Marrow Mesenchymal Cells, BMSCs）是最早被发现的一类MSCs，它们在体外培养时能够贴壁生长，形态上类似成纤维细胞，是一群具有一定异质性的细胞。这些细胞在合适的诱导条件下，可以分化为成骨细胞、软骨细胞、脂肪细胞等多种类型。此外，BMSCs还具备强大的免疫调节能力和旁分泌功能，能够通过分泌多种细胞因子调控局部微环境，因此在组织修复和再生医学研究中被广泛应用。

BMSCs已在临床上得到广泛应用。在神经系统疾病领域，针对缺血性脑卒中的BMSCs产品已进入II期临床试验，结果显示其能有效改善患者的神经与运动功能；在骨骼与关节疾病方面，关节腔内注射BMSCs可显著减轻骨关节炎患者的疼痛并改善关节功能，相关治疗也已获批开展针对绝经后骨质疏松症的临床试验。此外，BMSCs还被用于治疗移植物抗宿主病，并探索性地应用于肝硬化和肝衰竭的临床研究中，展现出巨大的临床潜力。

来源：文献检索，沙利文分析

间充质细胞来源（二）

间充质细胞疗法利用自我更新、多向分化的成体干细胞，通过扩增回输发挥组织修复与免疫调节作用，能够治疗多种疾病，具有低免疫原性、少伦理争议等优势。

牙髓组织来源的间充质细胞

牙髓间充质细胞（Dental Pulp Stem Cells, DPSCs）主要从拔除恒牙（尤其是第三磨牙）或乳牙的牙髓组织中分离获得，来源便捷，采集过程不涉及伦理争议。在生物学特性上，DPSCs具备若干相对于其他来源MSCs的显著优势：其一，DPSCs发育上源自神经嵄外胚层间充质，具有更强的神经营养因子分泌能力（包括BDNF、NGF、GDNF等），赋予其在神经系统疾病治疗中的独特潜力；其二，与脐带来源MSCs（UC-MSCs）及脂肪来源MSCs（ADSCs）相比，DPSCs在成骨分化能力和促血管生成活性方面具有明确优势，尤其适用于骨组织缺损修复与缺血性微环境重建；其三，DPSCs可通过分泌IDO、PGE2、HGF等因子有效抑制T细胞活化，表现出低免疫原性与较强的免疫调节能力，为同种异体临床应用奠定了基础。

DPSCs在口腔再生医学与系统性疾病治疗中展现出广泛的应用潜力。在口腔领域，牙周炎所致牙槽骨缺损的修复是当前最具转化价值的方向：局部注射DPSCs可促进牙槽骨-牙周膜复合体的结构重建，已有临床数据显示，细胞注射后一年仍可持续观察到牙槽骨的新生与矿化，提示DPSCs具备长效旁分泌调控能力而非单纯的一过性填充效应。此外，DPSCs亦可用于牙髓再生，替代传统根管治疗，恢复牙髓血管神经功能。在系统性疾病领域，基于其神经营养与免疫调节特性，DPSCs已进入脊髓损伤、帕金森病等神经退行性疾病及系统性红斑狼疮等自身免疫病的临床探索阶段。

外周血来源的间充质细胞

外周血来源间充质细胞（PB-MSCs）是存在于外周血液循环中的一类成体干细胞。相较于骨髓、脂肪等传统来源，PB-MSCs因具备采集方式微创、可重复采样及适用于自体移植等独特优势，正逐渐成为再生医学领域的研究热点。该细胞在骨与软骨修复、严重肢体缺血及组织工程中展现出广阔的应用前景：一方面可分化为成骨细胞与成软骨细胞以修复关节缺损，另一方面能促进缺血肢体的血管新生，从而降低截肢率。此外，通过共培养“年轻化”技术可延缓细胞衰老并增强其免疫调节功能，为难治性疾病提供了安全有效的细胞治疗新策略。

不同来源的间充质细胞

该图对比了骨髓、脂肪、脐带、胎盘、牙髓及外周血等不同来源MSCs在获取难度、扩增能力、归巢能力和免疫原性四个维度的优劣，全面反映了各组织来源MSCs的差异化特征。

图：不同来源的间充质细胞的优势对比

来源	获取方式	扩增能力	免疫调节能力
骨髓	有创；髂骨 / 胸骨骨髓穿刺，局麻，可能造成二次创伤	增殖偏弱（群体倍增时间约40小时）	研究起步最早、应用最广泛
脂肪组织	微创吸脂手术，术后存在感染风险	增殖较高（群体倍增时间约45小时，可稳定传至 8 代才出现衰老）	具有免疫调节能力
脐带	无创，分娩时采集脐带及华通胶	最高（群体倍增时间约24小时，可持续至P10）	较强的免疫抑制能力，低免疫原性
胎盘	无创，分娩后获取	较高；但不同区域差异大，蜕膜（D-MSC）寿命更长	具有免疫调节能力，蜕膜亚群免疫抑制能力突出
牙髓	可以无创获取；脱落乳牙、拔除智齿 / 正畸废牙、牙龈废料	增殖较高（群体倍增时间约25–30 小时）	低免疫原性，细胞表面MHC-I低表达、MHC-II阴性，自体冻存回输完全无排斥
外周血	采血操作无创简便，但干细胞分离产量极低，很难获得足量细胞	克隆形成效率为每百万个单核细胞 1.2-13个，体外扩增能力整体最差，难以满足临床用量	具备免疫调节作用，抗炎因子分泌量少

来源：文献检索，沙利文分析

间充质细胞疗法技术发展分析

MSCs疗法在多种疾病治疗领域展现出良好的应用前景，但该技术仍面临诸多挑战，如细胞异质性显著、长期培养易出现功能衰退、体内归巢效率偏低等。近年来围绕间充质细胞开发了多项新型技术手段，从基因编辑调控、靶向递送优化到组织工程构建等多维度开展探索，为MSCs疗法临床应用提供多元路径。

■ 基因编辑间充质细胞技术

自然来源的MSCs已在长期临床实践中被证明安全、稳定，且全球范围内已有多个产品成功上市（如，美国FDA批准的Ryoncil，中国NMPA附条件批准的艾米迈托赛），技术路径非常成熟。这些已上市天然MSCs产品标志着该技术在分离培养、质量控制、规模化生产及临床转化方面均已形成完善体系，为后续新一代技术奠定了坚实基础。

在此基础上，基因编辑间充质细胞技术通过对MSCs进行精准遗传修饰，克服MSCs在异体移植中潜在的免疫反应、功能持久性不足、归巢效率偏低及产品异质性问题，赋予其更强的免疫耐受、高效归巢及稳定分泌治疗性因子等特性。该领域早期以转基因瞬时表达或随机整合为主，随着技术发展逐步迈入以CRISPR/Cas9为代表的精准基因编辑时代。当前主流策略借助病毒或非病毒递送系统，在保证细胞存活的前提下实现定点基因敲除、敲入或内源基因调控，定向增强MSCs的干性维持、迁移、定植、抗凋亡及免疫炎症调控能力，从而大幅提升其治疗效果与临床转化潜力。

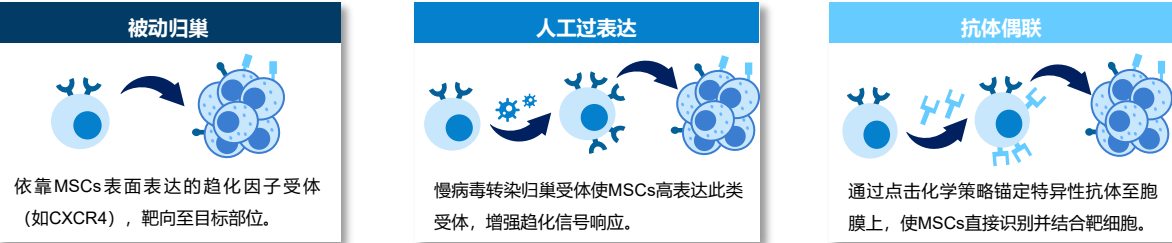
图：基因编辑间充质细胞技术的类型

类型	定义
锌指核酸酶 (ZFNs) 技术	由DNA转录因子衍生的锌指蛋白 (ZFP) 与FokI内切酶构成，通过锌指蛋白组合识别特定碱基序列，定点切割DNA双链，依靠细胞自身修复机制完成基因改造
TALENs基因编辑技术	由AvrBs3来源效应蛋白与FokI内切酶构成，双链核酸组合识别单个碱基，靶向灵活性高，设计构建较ZFNs更为简便，切割DNA双链后借助细胞内源修复通路实现定点修饰
CRISPR/Cas9基因编辑技术	依托原核生物免疫机制，人工sgRNA引导Cas9蛋白定点切割靶标DNA双链；断裂后细胞通过非同源末端连接 (NHEJ) 或同源定向修复 (HDR) 两种内源通路完成敲除、敲入、基因修复等编辑
单碱基编辑 (BE) 技术	基于CRISPR/Cas9开发的高精度编辑系统，由失活dCas9/切口酶nCas9搭配脱氨酶构成，全程不切断DNA双链，直接完成单点突变改造 (CBE实现C→T转换，ABE实现A→G转换)
先导编辑 (PE) 技术	CRISPR衍生的精准编辑工具，依靠工程化pegRNA同时完成靶位点识别与编辑模板递送，无需外源供体DNA且不产生DNA双链断裂，可实现单碱基替换及微小DNA片段的精准插入与缺失
PASTE技术	基于PE基础上融合丝氨酸整合酶体系，Cas9仅制造单链切口，不引发DNA双链断裂；依托整合酶定点将最长36kb的大片段外源DNA插入基因组特定位点，稳定长效表达目的基因

■ 靶向递送间充质细胞技术

传统静脉输注递送间充质细胞的核心瓶颈在于归巢效率低下：大量细胞在肺部、脾脏等非靶器官滞留，真正迁移至损伤部位的比例低。早期研究尝试利用细胞趋化因子受体介导被动归巢，但MSCs在体外扩增过程中，趋化因子受体表达会下调，导致靶向效果远低于预期。后续研究者通过慢病毒转染使MSCs稳定高表达趋化因子受体，虽有效提升了细胞迁移能力，却也带来了病毒整合的长期安全风险、制备工艺复杂及成本高昂等问题。近年来，抗体偶联靶向策略逐渐成为主流方向，该技术通过点击化学等方法将疾病特异性抗体共价锚定于MSCs表面，实现“即插即用”式靶向改造，可灵活切换靶点，且全程无基因操作，具有安全性与可拓展性优势。

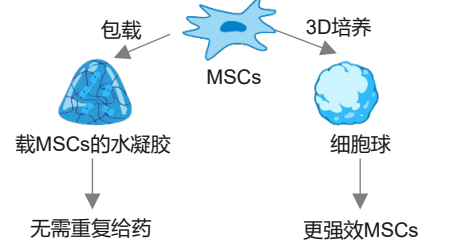
图：靶向递送间充质细胞技术的类型



■ 组织工程技术

组织工程技术为解决间充质细胞治疗的核心瓶颈提供了关键路径。直接输注的MSCs易在体内快速流失，往往需要重复给药，而水凝胶技术可构建保护性微环境，凭借其可调控的理化特性，有效提升细胞的滞留、存活与功能维持，实现精准可控的细胞递送，为解决移植后细胞存活率低的问题提供了新策略。此外，MSCs的归巢与植入效率易受长期培养和传代的影响，采用3D培养技术形成的细胞球，相比传统贴壁培养具有更强的干性、生物学功能与治疗效能，为优化干细胞疗法、提高临床疗效提供了可行途径。

图：组织工程技术



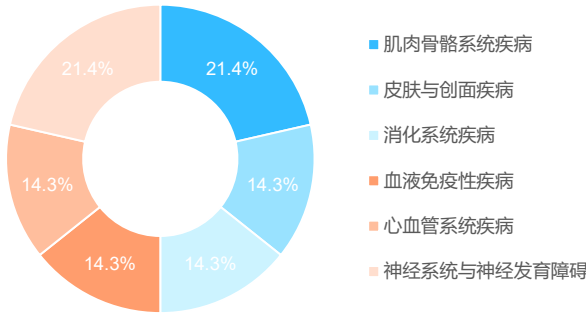
来源：文献检索，沙利文分析

MSCs疗法上市及在研情况概览

■ MSCs疗法上市产品——按适应症拆分

全球已有约13款MSCs产品获批上市，获批适应症覆盖六大疾病赛道，其中肌肉骨骼系统、神经系统与神经发育障碍占比并列最高（各21.4%），是当前产业化落地最成熟的两大方向；消化系统、皮肤创面、血液免疫、心血管四大领域占比均等（各14.3%），实现了多系统疾病的商业化突破。整体而言，MSCs产品已从早期单一适应症探索迈入多科室全面落地阶段，有望进一步拓展更多难治性疾病适应症，持续扩充临床可落地的治疗版图。

图：全球MSCs上市产品按适应症拆分

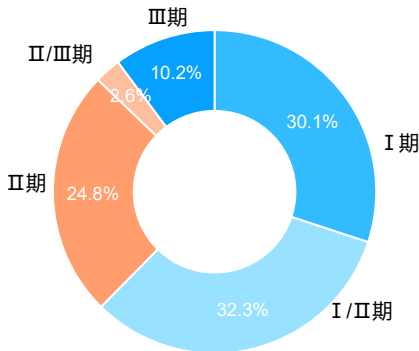


注：数据涵盖已获批上市的MSCs产品，时间截至2026年5月

■ MSCs疗法在研管线——按适应症拆分

根据ClinicalTrials数据，全球已进入临床试验阶段的MSCs在研产品中，适应症分布较为广泛，主要集中在骨骼肌肉系统疾病（16.0%）、免疫系统疾病（11.6%）、神经系统疾病（9.6%）及心血管系统疾病（9.0%）等领域，此外罕见病（8.2%）和消化系统疾病（7.3%）也占据重要份额。整体来看，骨骼肌肉与免疫系统疾病是当前MSCs疗法布局最为集中的两大方向，同时神经系统、心血管及罕见病领域也形成了明显的研发集群。未来，随着机制研究的深入和技术的不断成熟，MSCs疗法覆盖的适应症范围将持续扩大，有望惠及更多患者群体。

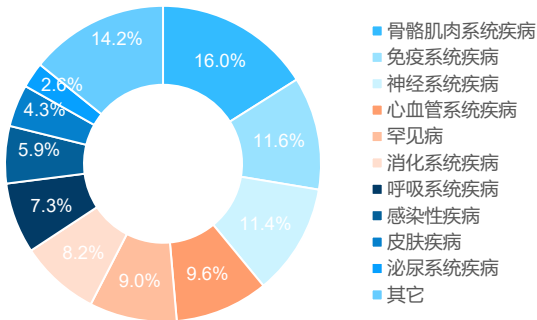
图：全球MSCs在研产品按临床阶段拆分



注：数据涵盖已进入临床试验阶段的MSCs产品，时间截至2026年5月

来源：ClinicalTrials，沙利文分析

图：全球MSCs在研产品按适应症拆分



注：数据涵盖已进入临床试验阶段的MSCs产品，时间截至2026年5月

■ MSCs疗法管线——按临床阶段拆分

根据ClinicalTrials数据，目前全球及中国已进入临床试验阶段的MSCs在研产品，按临床阶段拆分，I/II期管线占比最高，达32.3%，其次为I期（30.1%）与II期（24.8%），处于III期的管线占比为10.2%，II/III期占比仅2.6%。所纳入分析的临床试验均以药品上市注册（NDA/BLA申报）为最终目的，属于制药企业主导的注册临床试验。整体来看，当前MSCs疗法研发仍集中在早期至中期临床阶段。

-
-
-
-
-
-

第六章

干细胞临床 应用分析



06

全球获批干细胞产品分析

全球已有超30款干细胞产品获批上市，包含2款iPSC来源的干细胞产品；主要适应症包括退行性疾病、免疫系统疾病、血液淋巴系统疾病、心脏疾病等。

■ 全球已上市干细胞疗法

截至目前，全球已获批上市干细胞产品来源主要包括MSCs、HSCs和角膜缘干细胞。获批干细胞产品30余种，其中获批的MSCs产品13款，HSCs产品3款、iPSCs产品2款，角膜缘干细胞产品1款。全球获批上市干细胞产品适应症覆盖多个疾病领域，包括退行性疾病、免疫系统疾病、血液淋巴系统疾病、心脏疾病等。

表：全球已上市的代表性干细胞产品

	产品名称	公司	适应症	细胞来源	首次获批时间（地区）
HSCs	RegeneCyte	StemCyte	造血系统疾病	异体脐带	2024（美国）
	Zemcelpro	ExCellThera	血液恶性肿瘤	异体	2025（欧盟）
	Waskyra	Fondazione Telethon ETS	Wiskott-Aldrich综合征	自体	2025（欧盟、美国）
MSCs	MPC	Mesoblast	骨修复	自体/异体骨髓	2010（澳大利亚）
	Queencell	Anterogen	皮下组织缺损	自体脂肪	2010（韩国）
	Hearticellgram	FCB-Pharmicell	急性心肌梗死	自体骨髓	2011（韩国）
	Cupistem	Anterogen	克罗恩病合并复杂肛周瘘	自体脂肪	2012（韩国）
	Cartistem	Medi-post	退行性关节炎及膝关节软骨损伤	异体脐血	2012（韩国）
	NeuroNata-R	Corestem	肌萎缩侧索硬化	自体骨髓	2014（韩国）
	Remestemcel	Mesoblast	儿科aGvHD	异体骨髓	2016（日本）
	Alofisel	TiGenix	克罗恩病合并复杂肛周瘘	异体脂肪	2018（欧盟）
	Stemirac	Nipro Corp	脊髓损伤	自体骨髓	2018（日本）
	Stempeucel	Stempeutics	Bruger氏病引起的严重下肢缺血	异体骨髓	2020（印度）
	AMESANAR	RHEACELL	淤积性溃疡	皮肤	2021（德国）
	Akuugo	SanBio	慢性运动麻痹	异体骨髓	2024（日本）
	艾米迈托赛注射液	铂生卓越	aGvHD	异体脐带	2025（中国）
角膜缘干细胞	Holoclar	凯西制药	烧伤引起的角膜缘干细胞缺失症	自体角膜	2015（欧盟）
神经干细胞	Raguneprocel	住友制药	帕金森病	iPSCs	2026（日本）
心肌细胞片	ReHeart	Cuorips	缺血性心脏病导致的重度心力衰竭	iPSCs	2026（日本）

来源：公司官网，公开资料，沙利文分析

中国博鳌乐城干细胞转化应用情况

博鳌乐城凭借先行先试的生物医学新技术转化政策，已有18项干细胞治疗技术完成临床转化落地，覆盖呼吸、慢病、罕见病等多类疾病领域并实现合规商业化应用。

■ 博鳌乐城干细胞转化应用实施目录情况

截至2026年6月，已有18项干细胞临床技术在博鳌乐城获批转化，其中MSCs技术13款、气道基层层干细胞技术3款、血管内皮祖干细胞技术1款、iPSC技术1款，配套列明各技术落地医院与收费标准，适应症覆盖骨关节、呼吸、心血管、肝病、内分泌、神经退行等多类疾病。

表：博鳌乐城干细胞转化应用实施目录情况

编号	项目全称	干细胞类型	落地医院	备案收费
1	脐带间充质干细胞注射液治疗膝骨关节炎技术	脐带-MSC	瑞金乐城医院	3.635万/次（单膝）
2	慢性阻塞性肺病的自体肺气道基层层干细胞治疗技术	气道基层层干细胞	瑞金乐城医院	15万/次
3	改善射血分数减低性心力衰竭的人脐带来源间充质干细胞治疗技术	脐带-MSC	华西（华东）乐城医院	6万/次（3次/疗程）
4	缓解骨髓移植后抗宿主病的间充质干细胞治疗技术	通用异体MSC	华西（华东）乐城医院	8万/次（1-3次）
5	间质性肺病的气道基层层干细胞治疗技术	气道基层层干细胞	瑞金乐城医院	15万/次
6	支气管扩张症的气道基层层干细胞治疗技术	气道基层层干细胞	瑞金乐城医院	15万/次
7	肺纤维化的宫血间充质干细胞治疗技术	宫血（子宫内膜）-MSC	树兰（博鳌）医院	14万/疗程（3次）
8	早发型卵巢功能发育不全的脐带间充质干细胞治疗技术	UC-MSC	慈铭国际医院	8万/双侧
9	间充质干细胞治疗类风湿关节炎技术	脐带-MSC	华西（华东）乐城医院	5万/次（4次）
10	人脐带源间充质干细胞（VUM02 注射液）治疗肝硬化技术	脐带-MSC	海南梅赛尔医院	15万/次；全疗程45万
11	牙周疾病的牙髓间充质干细胞治疗技术	牙髓-MSC	海南一龄医院	5.98万/单颗
12	2型糖尿病的人脐带间充质干细胞治疗技术	脐带-MSC	慈铭博鳌国际医院	5.98万/次（3次/疗程）
13	失代偿期肝硬化宫血间充质干细胞治疗技术	宫血-MSC	树兰（博鳌）医院	15万/疗程（3次）
14	脐带间充质干细胞液治疗膝骨关节炎技术	脐带-MSC	海南帝湾医院	3.635万/针
15	异体内皮祖细胞（EPCs）治疗严重下肢缺血技术	血管内皮祖干细胞	华西乐城医院	10万/例
16	人GLP-1和FGF21双因子高表达脂肪干细胞注射液输入治疗 2 型糖尿病技术	脂肪-MSC	瑞金乐城医院	36万/疗程
17	减轻膝关节损伤的M-021001细胞治疗技术	多能干细胞来源MSC	博鳌超级医院	8万/单膝
18	人iPSC来源的运动神经前体细胞治疗肌萎缩侧索硬化症	iPSC	瑞金乐城医院	待定

来源：公开资料，沙利文分析

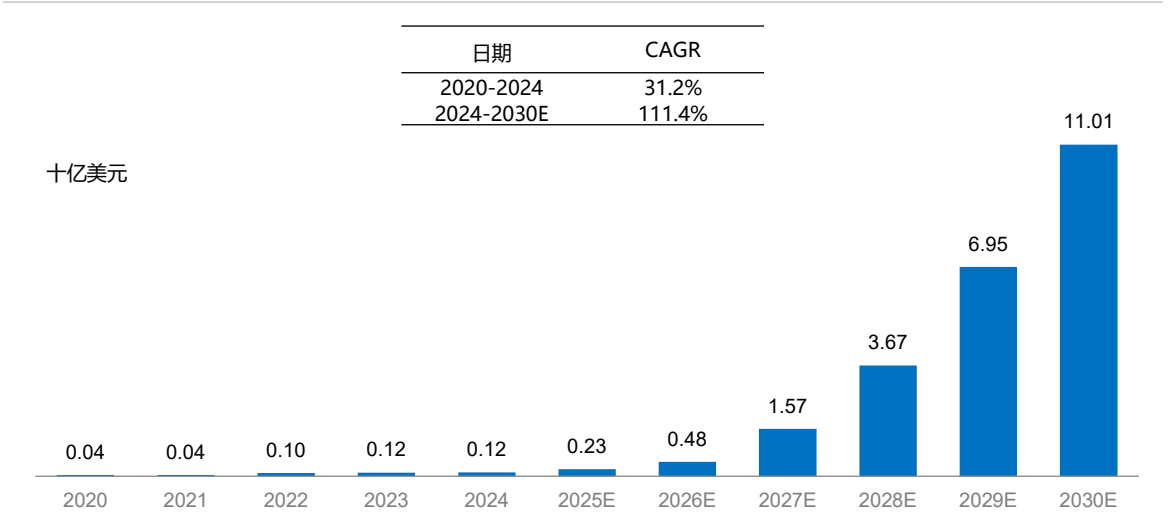
全球及中国干细胞药物市场

全球干细胞药物市场将迎来快速增长，叠加中国首款干细胞药物2025年落地商业化，中国市场增速更显著。

全球干细胞药物市场规模

全球干细胞药物市场规模在2024年达到1.2亿美元，预计2030年将达到110.1亿美元，2024年至2030年的复合年增长率为111.4%。市场在未来预计进一步增长。

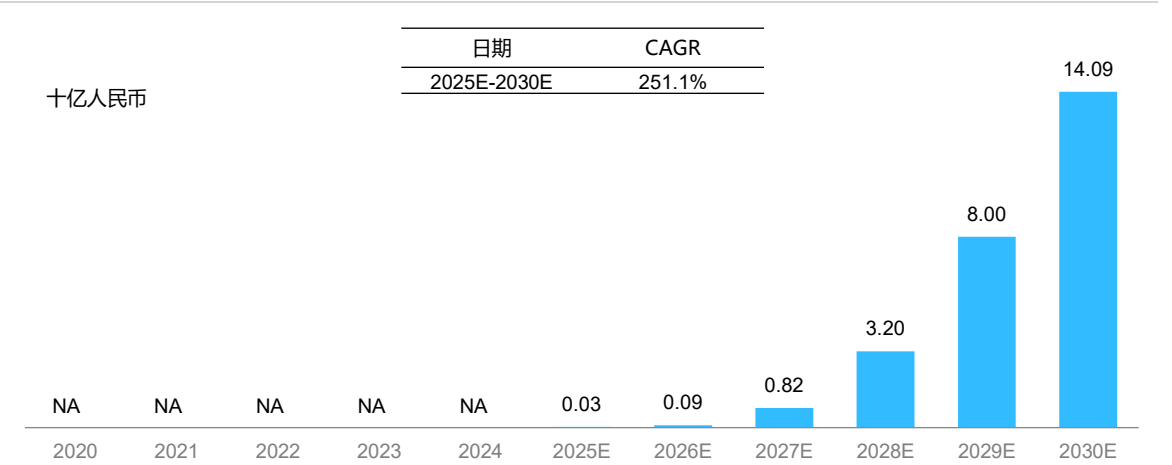
图：全球干细胞药物市场规模



中国干细胞药物市场规模

2025年1月，国家药监局附条件批准了我国首款干细胞药物“艾米托赛注射液”（商品名：睿铂生，人脐带MSCs来源，批注适应症为14岁以上、消化道受累为主的激素治疗失败的急性移植抗宿主病）上市。在此之前，国内尚无干细胞药品获批上市，因此2020至2024年间，中国干细胞药物市场规模为零。随着该产品的商业化放量，市场自2025年起进入实质性增长阶段。中国干细胞药物市场规模预计2025年将达到0.3亿元人民币，2030年将达到140.9亿元人民币，2025年至2030年的复合年增长率为251.1%。市场在未来预计进一步增长。

图：中国干细胞药物市场规模



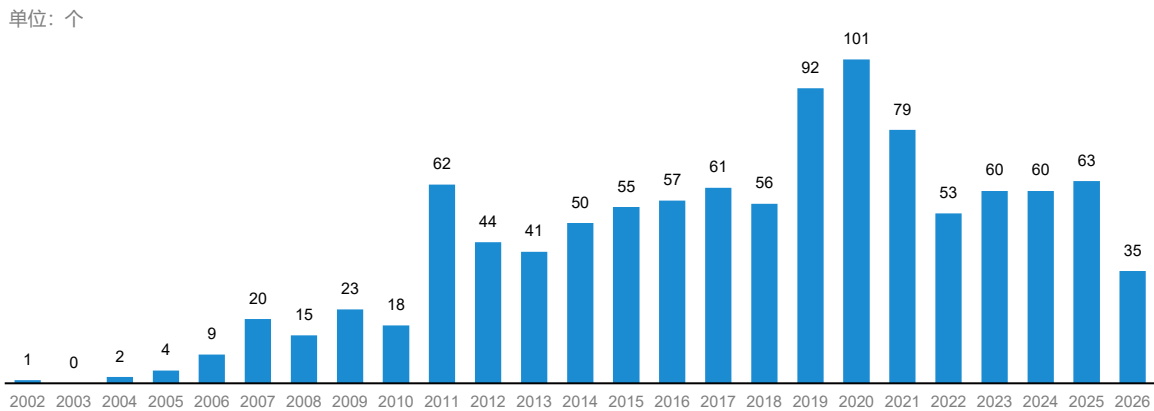
来源：公司官网，公开资料，沙利文分析

全球干细胞疗法在研管线分析（一）

■ 干细胞疗法注册临床试验概况

根据ClinicalTrials数据，截至2026年5月，按注册临床编码统计，本次分析仅纳入分析以药品上市注册（NDA/BLA申报）为最终目的临床试验、由制药企业主导的注册类临床试验，总计全球干细胞疗法相关临床试验累计注册量已超1,060项。2010年前，每年注册的干细胞疗法临床试验数量长期处于个位数至20个以内的低位水平；2011~2018年，每年注册的临床试验数量进入阶段性增长期，年注册量基本在40至60余个区间波动；2019年起，干细胞疗法赛道临床推进加速，年注册量跃升至90项以上，并于2020年达到101项的历史峰值；2021年至今，该赛道研发持续保持活跃，每年新增注册量稳定在50至80项之间。其中MSCs疗法约占整体干细胞疗法的61%。

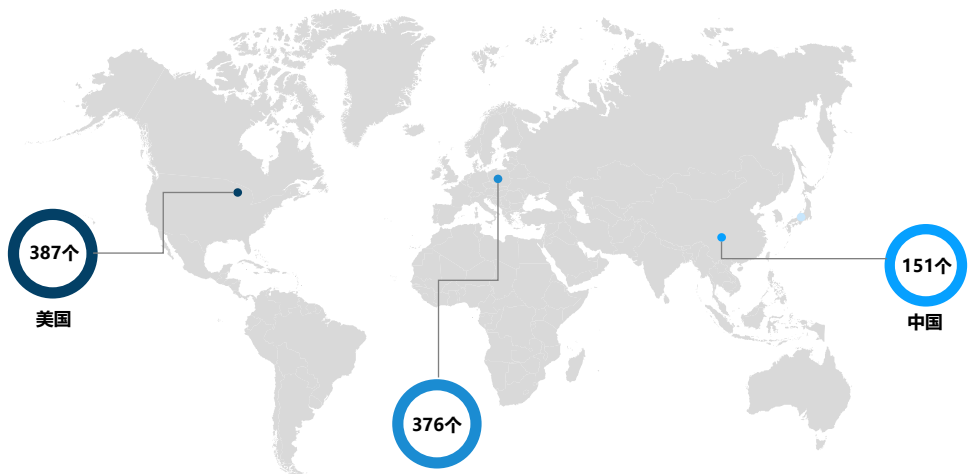
图：全球干细胞疗法临床试验注册情况——按年份分析



■ 全球干细胞疗法在研管线梳理——按试验地区/国家分类

根据ClinicalTrials临床试验数据库的检索结果，干细胞疗法临床试验地区主要集中在美国、欧洲、中国（包含港澳台）和日本等国家或地区。美国开展的干细胞疗法临床试验数量最多，截至2026年5月，按注册号统计，美国干细胞疗法临床试验为387个，欧洲紧跟其后为376个；同时根据CDE数据库统计，中国的临床试验151个。

图：主要国家/地区干细胞疗法临床试验情况



注：多中心临床试验开展的所有地区均计入

来源：ClinicalTrials，CDE，沙利文分析

全球干细胞疗法在研管线分析（二）

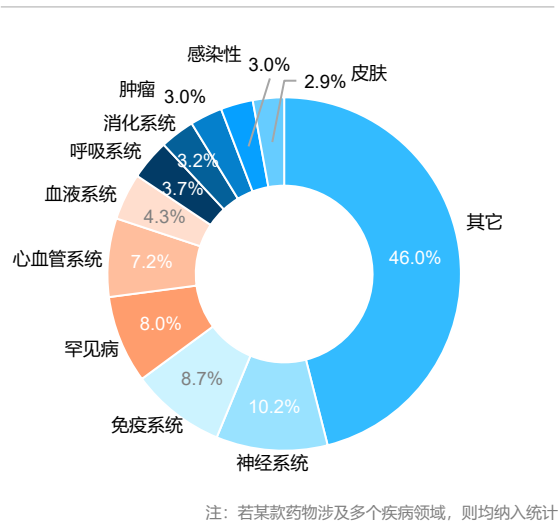
■ 全球干细胞疗法在研管线分析——按疾病领域

截至2026年5月，全球相关疗法在研管线按疾病治疗领域分布呈现出多点开花与核心聚焦并存的格局。明确分类的适应症主要高度集中于神经系统疾病领域，占比达到10.2%，成为该赛道研发投入最为密集的特定方向。

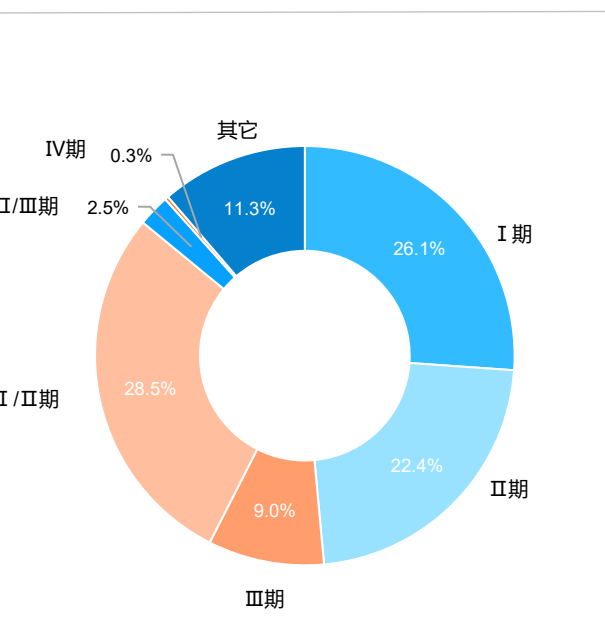
同时，免疫系统疾病、罕见病以及心血管系统疾病等存在巨大未满足临床需求的领域同样是当前企业管线布局的核心热点，占比分别达到8.7%、8.0%和7.2%，构成了行业研发的第二梯队。

此外，随着底层技术的不断成熟与临床探索的深入，包括血液系统疾病（4.3%）、呼吸系统疾病（3.7%）、消化系统疾病（3.2%）以及肿瘤（3.0%）、感染性疾病（3.0%）和皮肤疾病（2.9%）在内的多个细分赛道也有多条在研管线正处于积极推进状态，整体展现出极广的临床应用潜力和多元化的商业转化空间。

图：全球在研干细胞疗法管线分析——按疾病领域



图：全球在研干细胞疗法管线分析——按临床分期



■ 全球干细胞疗法在研管线分析——按临床分期

截至2026年5月，全球在研干细胞疗法管线高度集中于中早期研发阶段。所纳入分析的临床试验均以药品上市注册（NDA/BLA申报）为最终目的，属于制药企业主导的注册临床试验。具体来看，I期、I/II期及II期临床管线构成了整体研发的主导部分，三者合计占比达77.0%；其中，处于I/II期临床的管线数量最多，占比28.5%，其后依次为I期（26.1%）和II期（22.4%），显示当前大量候选管线正密集开展早期安全性与初步有效性验证。

另一方面，进入后期确证性临床阶段的管线数量相对较少，整体分布呈现随分期向后推进而递减的趋势，其中处于III期大样本临床阶段的管线占比为9.0%，处于II/III期过渡阶段的占比为2.5%，两者合计份额为11.5%。

此外，在全部统计管线中，仅有0.3%的极少数项目顺利推进至产品获批上市后的IV期临床观察阶段，同时另有约11.3%的管线处于其他或未明确披露阶段，上述板块共同构成了当前全球干细胞疗法在研管线按临床分期的完整分布全貌。

来源：ClinicalTrials，沙利文分析

中国干细胞疗法在研管线分析

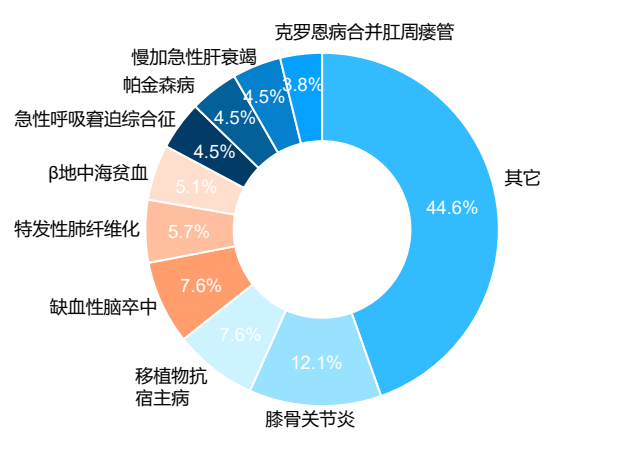
在研干细胞疗法情况分析

根据CDE数据，截至2026年5月，按在注册号统计，所纳入分析的临床试验均以药品上市注册（NDA/BLA申报）为最终目的，属于制药企业主导的注册临床试验，总计中国的干细胞疗法临床试验管线151个。

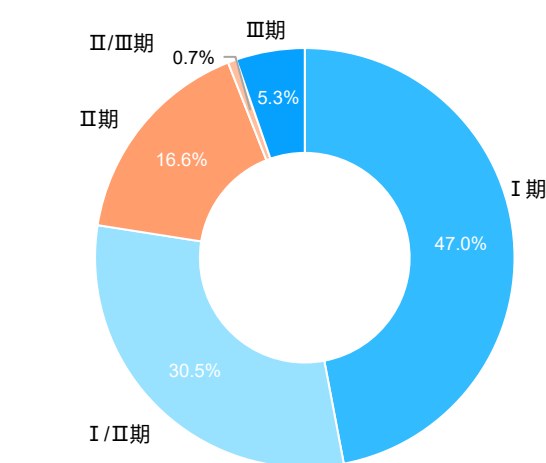
中国干细胞疗法在研管线分析——按疾病领域

根据CDE数据库统计，截至2026年5月，中国干细胞疗法在研管线的疾病领域覆盖范围广泛。所纳入分析的临床试验均以药品上市注册（NDA/BLA申报）为最终目的，属于制药企业主导的注册临床试验。其中，在明确分类的适应症中，膝关节关节炎管线占比约12.1%，是当前国内研发投入最集中、管线数量最密集的核心适应症方向；移植术抗宿主病、缺血性脑卒中、特发性肺纤维化、β地中海贫血管线占比分别为7.6%、7.6%、5.7%、5.1%，急性呼吸窘迫综合征、帕金森病、慢加急性肝衰竭的占比均在4.5%左右，形成了体量稳定、布局均衡的第二梯队；克罗恩病合并肛周瘘管占比为3.8%，是国内干细胞赛道中具备增长潜力的布局方向，整体管线已实现对多系统难治性疾病领域的全面覆盖，形成了层次清晰、覆盖广泛的研发格局。

图：中国在研干细胞疗法管线分析——按适应症



图：中国在研干细胞疗法管线分析——按临床分期



中国干细胞疗法在研管线分析——按临床分期

根据CDE数据库统计，截至2026年5月，中国在研干细胞疗法管线的临床分期呈现出一定的早期集中特征。所纳入分析的临床试验均以药品上市注册（NDA/BLA申报）为最终目的，属于制药企业主导的注册临床试验。其中，I期临床管线占比最高，47.0%，是国内干细胞研发管线中体量最大的阶段；紧随其后的是I/II期临床管线，占比30.5%，与I期管线共同构成了早期临床阶段的核心主体，二者合计占比超75%，充分体现出国内干细胞疗法仍以早期临床探索为主流；II期临床管线占比16.6%，III期临床管线占比5.3%，II/III期临床管线占比0.7%，处于后期临床阶段的管线占比相对有限。整体来看，国内干细胞疗法管线已形成以早期临床研发为核心、后期临床稳步推进的发展格局，与全球干细胞赛道的研发阶段特征基本一致。

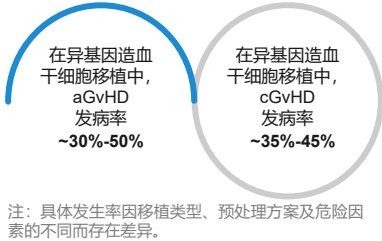
来源：CDE，沙利文分析

干细胞临床应用分析——移植物抗宿主病

MSCs因其独特的免疫调节与组织修复功能，被成功应用于急性移植物抗宿主病的临床治疗，迄今已有多种产品在全球获批上市。iPSC来源MSCs也已进入临床研发阶段，为该病提供了标准化的新一代治疗选择。

■ GvHD定义与机制

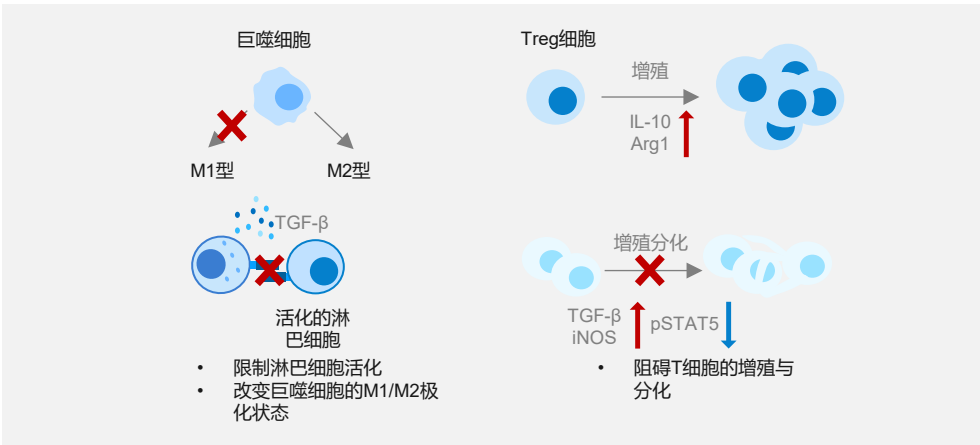
移植物抗宿主病（Graft-versus-Host Disease, GvHD）是异基因造血干细胞移植后的常见并发症，发生率较高。移植物抗宿主病的核心致病机制涉及多个步骤。移植前预处理造成的宿主组织损伤会激活宿主的抗原呈递细胞，进而激活供者T淋巴细胞。活化的供者T细胞大量增殖并分化为效应T细胞（如Th1、Th17），释放大炎症细胞因子（如TNF- α 、IFN- γ ），形成“细胞因子风暴”，直接攻击患者的皮肤、胃肠道和肝脏等靶器官。同时，调节性T细胞功能不足导致免疫耐受无法建立，进一步加剧组织损伤。



■ GvHD的诊疗和未被满足的临床需求

尽管GvHD的诊疗已有重要进展，但仍存在未满足临床需求。首先，医疗需求日益增长：每年约半数接受异基因HSCs移植的患者面临GvHD风险，该病严重影响生活质量并导致非复发死亡，随着人口增长和移植手术增加，患病率预计上升。其次，治疗结果不理想：急性GvHD的一线治疗为糖皮质激素，但其有效率低于50%，仅三分之一有效患者能维持缓解，约30%-50%的患者为激素难治性；慢性GvHD中至少1/3患者需后续治疗。芦可替尼虽已成为激素难治性急性GvHD的标准二线治疗，但耐药与不耐受仍是难题，且三线及以后缺乏共识方案，尤其对纤维化表现（如皮肤硬化、肺部受累）的治疗反应率低。此外，临床实践中仍缺乏标准方案，许多新兴疗法的有效性与耐受性证据多来自规模小、结果相互矛盾的临床前或临床试验。最后，GvHD与移植物抗白血病效应（GVL）的分离仍是核心挑战，如何在控制GvHD的同时不削弱GVL效应亟待突破。

图：MSCs治疗GvHD机制



■ 干细胞疗法在GvHD领域的治疗机制

间充质细胞疗法利用体外扩增的骨髓来源或脐带来源的MSCs，通过静脉输注至患者体内。MSCs具有免疫调节和组织修复双重功能，能够抑制供者T细胞的过度活化，下调炎症细胞因子（如TNF- α 、IFN- γ ）的释放，同时促进调节性T细胞（Tregs）的生成，从而有效控制激素难治性急性移植物抗宿主病（SR-aGvHD）的进展，修复受损的胃肠道、皮肤和肝脏组织。

此外，iPSC衍生的间充质样细胞（iMSCs）同样遵循上述免疫调节机制，并通过单一细胞株实现标准化、规模化生产，为SR-aGvHD的治疗提供了质量更均一、供应更稳定的新一代MSCs产品选择。

来源：文献检索，沙利文分析

干细胞临床应用分析——移植抗宿主病

■ 全球治疗GvHD适应症的MSCs获批产品及代表性产品

全球用于SR-aGvHD的获批MSCs产品主要有三款：美国Mesoblast的Ryoncil（骨髓MSCs，2024年获批）、日本JCR的Temcell（骨髓MSCs，2015年获批）以及中国艾米迈托赛注射液（商品名：睿铂生，脐带MSCs，2025年1月NMPA附条件获批）。三者均为异体MSCs疗法，其中Ryoncil与Temcell同为骨髓来源但在不同国家和地区获批上市。在此背景下，采用新一代iPSC衍生间充质样细胞（iMSCs）技术路线的中盛溯源NCR102正处于临床开发阶段，有望为SR-aGvHD的治疗提供质量更均一、供应更稳定的创新选择。

美国Mesoblast —— Ryoncil	铂生卓越 —— 睿铂生
Ryoncil用于治疗2个月及以上儿童患者的类固醇难治性急性移植抗宿主病。该产品核心作用机制是免疫调节，从健康成人供体骨髓中分离MSCs并进行体外扩增制备，通过静脉输注给药后，MSCs能够分泌抗炎细胞因子，抑制供者T细胞的过度活化和增殖，下调促炎细胞因子（如TNF-α、IFN-γ）的产生，同时上调抗炎细胞因子的分泌，并招募抗炎细胞至受累组织。 Ryoncil是Mesoblast用于美国市场的商品名，Temcell是日本市场的商品名。	睿铂生（艾米迈托赛注射液）用于治疗14岁以上以消化道受累为主的激素治疗失败的急性移植抗宿主病。该产品核心作用机制是免疫调节，从人脐带MSCs发挥免疫调节作用。MSCs通过细胞间接触和旁分泌两种方式，分泌PGE2、IDO等抗炎因子，增强Treg等抗炎免疫细胞功能，同时抑制促炎免疫细胞活性。此外，MSCs能定向归巢至炎症损伤部位实现精准修复。 产品于2025年11月被正式纳入“北京普惠健康保”的特药目录，最高可获得65%的赔付比例。
全球首个获批上市用于12岁以下SR-aGvHD患儿的MSCs疗法	中国首个获批上市的MSCs疗法
定价 约19.4万美元/次 约合人民币140万元 获批情况 于2024年12月 获得美国FDA的 批准上市 临床数据 此次获批主要基于一项多中心、前瞻性、单臂Ⅲ期临床试验。该试验共纳入54例儿童SR-aGvHD患者。结果显示： - 主要疗效结局指标为第28天的总体缓解率和总体缓解持续时间。ORR包括完全缓解率和部分缓解率。第28天的ORR为70%，其中CR率为30%，PR率为41%。 - 最常见的非实验室不良反应（发生率≥20%）包括：病毒性感染性疾病、细菌性感染性疾病、病原体未明确的感染、发热、出血、水肿、腹痛和高血压。 - 推荐剂量为每次静脉输注2×10^6个MSC/kg体重，每周两次，连续给药4周，共8次输注。两次输注之间至少间隔3天。	定价 约1.98万人民币/次 获批情况 于2025年1月 获得中国NMPA的 附条件批准上市 临床数据 此次获批主要基于一项Ⅱ期临床试验结果，其临床数据显示： - 第28天总缓解率（ORR）：63.0%（95% CI: 48.74%–75.71%），其中完全缓解（CR）率为55.6%（95% CI: 41.4%–69.08%）。 - 第56天ORR：51.9%（95% CI: 37.8%–65.7%），CR率为50.0%（95% CI: 36.1%–63.9%）。 - 总生存率（OS）：第28天为94.4%，第56天为88.9%，第100天为79.6%，第180天为72.2%，第360天为65.8%。 - 安全性方面：未报告与治疗相关的不良事件（TRAE）或输注毒性。

中盛溯源 —— NCR102

产品介绍

NCR102注射液是中盛溯源自主研发的iPSC衍生间充质样细胞产品。该产品将健康供者来源的iPSCs定向分化为iMSCs，来源单一细胞株，实现标准化规模化生产，质量高度稳定均一。iMSC更接近胎儿期MSCs，拥有最强的增殖能力和完全的分化潜能，堪称最“年轻”的MSC，通过免疫调节抑制T细胞活化和炎症反应，修复受损组织以控制GvHD进展。

研发情况

激素难治性急性移植抗宿主病

适应症

临床进展

2025年9月首次公示其中国的Ⅱ期临床试验开展

临床数据

该疗法在临床研究中表现出良好的安全性与有效性。作为国内首个获批临床用于SR-aGvHD治疗的iPSC衍生MSC产品，NCR102临床试验进展顺利，即将进入Ⅲ期临床研究，持续评估其在目标患者群体中的临床应用价值。

来源：文献检索，公司官网，沙利文分析

干细胞临床应用分析——心力衰竭

心力衰竭作为高发心血管终末期疾病，现有药物、手术疗法仅能缓解症状无法修复受损心肌，而iPSC来源心肌细胞疗法可通过心肌再生、旁分泌保护实现心脏功能修复。目前已有海外获批产品、国内管线迈入临床Ⅲ期，为心衰治疗开辟了全新再生医学方向。

■ 心力衰竭概述与流行病学

心力衰竭（Heart Failure, HF）是一种复杂的临床综合征，是因心脏结构或功能发生异常改变，导致心室充盈或射血能力受损，致使心排血量无法满足机体组织代谢需要。心衰并非一种独立的疾病，而是绝大多数心血管疾病（如冠心病、高血压等）发展的最终、最严峻的临床阶段，通常表现为持续的呼吸困难、极度疲乏和体液潴留如肺淤血、外周水肿等。随着人口老龄化及心血管重症存活率的提高，全球心衰患病总人数正在不断增加。

■ 心力衰竭的病因与发病机制

全球及中国范围内，缺血性心脏病均已成为导致心力衰竭的最首要病因，同时也是导致心衰患者急性加重和住院的最常见诱发因素。心衰的病理演变是一个动态的心室重构过程，伴随心肌细胞丧失、细胞外基质改变及神经内分泌系统（如RAAS系统和交感神经系统）的长期过度激活，进而导致心肌毒性、肥厚及不可逆的纤维化。目前国际与中国权威心血管指南均已全面采用A（心衰风险期）/B（心衰前期）/C（临床心衰期）/D（晚期心衰期）四个阶段的分期体系。

■ 心力衰竭的诊疗现状

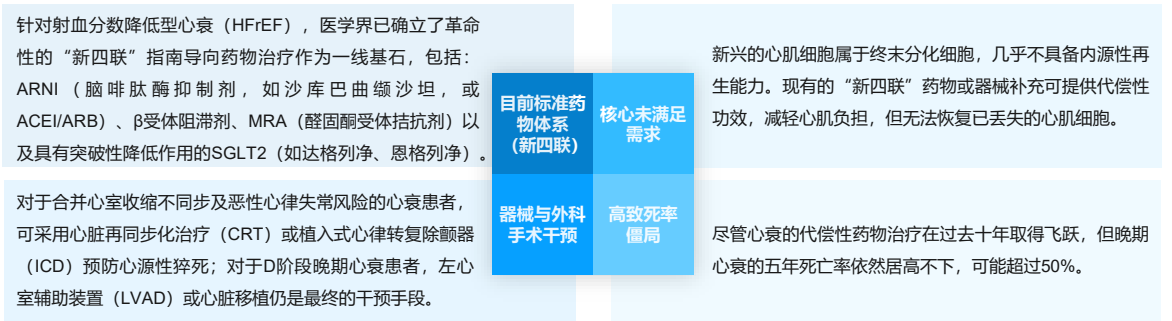
目前，心力衰竭的标准治疗方案（如血管紧张素转换酶抑制剂ACEI、血管紧张素受体拮抗剂ARB、β受体阻滞剂、盐皮质激素受体拮抗剂MRA）主要通过神经激素调节来降低心脏负荷、延缓疾病进展。这些治疗虽能缓解症状，但无法解决心肌细胞的根本性损失，也无法逆转心肌的结构性损伤。

对于晚期心力衰竭患者，心脏移植仍是唯一的根治手段，但供体严重短缺极大限制了其应用；心室辅助装置（VAD）虽可作为移植桥接或终末治疗方案，但存在感染、血栓、出血及设备相关并发症等风险，且无法实现真正的心肌修复。因此，临床上亟需能够实现心肌再血管化、恢复心脏收缩功能的再生疗法。

■ 心力衰竭的未满足的临床需求

目前心衰的标准治疗（包括“新四联”药物及器械/手术干预）虽能有效减轻心脏负荷、改善症状与预后，但由于成年心肌细胞缺乏内源性再生能力，已丢失的心肌细胞无法得到替代或修复。因此，晚期心衰的五年死亡率仍居高不下，临床上亟需能够从根本上修复心肌的变革性疗法。

图：心力衰竭的现有治疗手段及未满足的临床需求

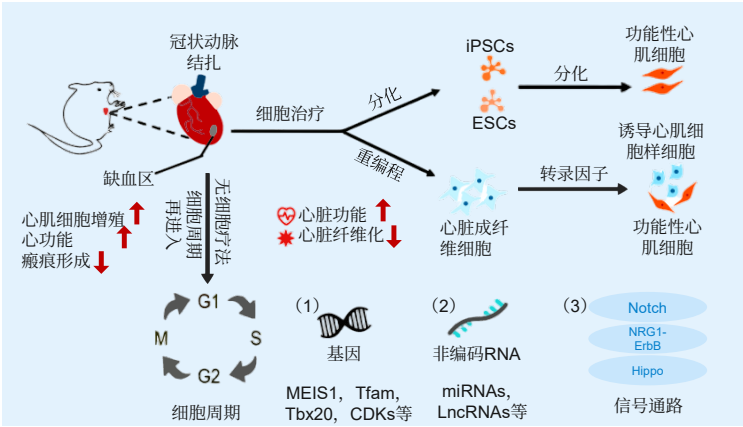


来源：文献检索，沙利文分析

干细胞临床应用分析——心力衰竭

■ 干细胞疗法治疗心力衰竭的机制

iPSCs治疗心衰的核心机制是通过细胞移植实现心肌再生。该疗法将iPSCs定向分化为功能性心肌细胞，通过“心肌补片”或“心肌内注射”等形式移植至受损心肌区域。移植细胞一方面通过旁分泌效应抑制心肌凋亡、促进血管新生，改善心功能；另一方面可直接补充梗死丢失的心肌细胞，替代纤维化瘢痕，从结构上逆转心室重构。iPSCs技术可实现“现货型”功能性心肌细胞的规模化生产，提供长期功能改善而不仅仅是暂时缓解症状。



■ iPSCs获批治疗心力衰竭产品

iPSCs因其能够体外规模化制备高纯度的心肌细胞，为填补心衰“真正心肌再生”的临床空白提供了破局方案。全球首个获批上市的iPSCs衍生心脏再生治疗产品——日本Cuorips的ReHeart，正是这一方向的里程碑，它通过将健康供者iPSCs分化的心肌细胞制成片状组织移植，实现对缺血性心脏病导致的重症心力衰竭患者的功能性治疗，验证iPSCs技术在心衰再生领域的临床可行性。

日本Cuorips —— ReHeart

产品介绍

全球首个获批上市的iPSCs衍生心脏再生治疗产品

ReHeart由大阪大学孵化的初创企业Cuorips Inc.开发。该产品将健康供者来源的iPSC细胞在体外定向分化为功能性心肌细胞，然后培养成约硬币大小、含约1亿个细胞的片状组织（心肌细胞片）。通过手术将这片“活的补片”直接贴附于患者心脏表面受损区域，而非注射到心肌内部。移植后的心肌细胞片主要通过旁分泌效应发挥作用——分泌生长因子促进血管新生、抑制心肌纤维化和心室重构，从而改善心脏功能。

获批情况

定价

预计>1,000万日元

获批日期

2026年3月获得日本厚生劳动省（MHLW）的有条件限期批准

适应症

重症心力衰竭（特别是缺血性心脏病）

临床数据

ReHeart的获批主要基于一项单臂、开放标签的I期临床试验，共纳入8名重度缺血性心脏病所致心力衰竭患者。

- 安全性：所有患者均未出现严重不良事件、免疫排斥或肿瘤形成，整体安全性可接受；
- 有效性：全部患者的疲劳、心悸、呼吸困难等症状均有缓解；超过半数患者的心脏功能指标（如左室射血分数）与运动耐量（6分钟步行距离）出现明显改善。

关键局限：试验未设安慰剂或对照组、样本量极小（n=8）、随访时间有限。

■ iPSCs疗法在心力衰竭领域的代表性产品

HiCM-188是全球首个进入III期临床试验的iPSC来源心力衰竭细胞治疗产品。

艾尔普再生医学 —— HiCM-188

产品介绍

全球首个进入III期临床试验的iPSC来源的心力衰竭细胞治疗产品

HiCM-188注射液是艾尔普再生医学自主研发的HiCM-188（人iPSC来源心肌细胞注射液），属于异体通用“现货型”细胞治疗产品。该产品将健康供者来源的iPSCs在体外定向分化为功能性心肌细胞，通过“精准定位+靶向植入”策略——即利用核素显像与心脏核磁共振技术实现梗死及受损心肌区域的精准可视化，再以矩阵式注射技术将心肌细胞定向植入病灶区域。移植后的心肌细胞主要通过直接补充丢失的心肌细胞和旁分泌效应（促进血管新生、抑制纤维化）发挥作用。

研发情况

最新进展

2026年5月公示了其III期确证性临床试验，计划入组80例患者

适应症

严重慢性缺血性心力衰竭

临床数据

HiCM-188的临床研究已取得多项关键数据。

通过与南京鼓楼医院王东进教授团队合作开展的全球首例iPSCs心衰治疗临床研究（II T），证实该疗法可有效改善心脏功能且疗效持续4年，且未发生移植相关严重不良事件。

根据2025年11月在第十九届钱江国际心血管会议上公布的阶段性结果，该研究已顺利完成I期剂量爬坡试验与II期有效剂量拓展研究，阶段性成果验证了疗法的可行性与安全性。

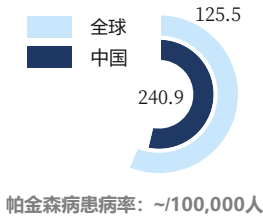
来源：公开资料，公司官网，沙利文分析

干细胞临床应用分析——帕金森病

帕金森病作为高发的中老年神经退行性疾病，现有药物与手术仅能缓解症状无法阻止神经元持续凋亡，iPSCs来源多巴胺能神经细胞可通过细胞替代修复神经功能。

■ 帕金森病概述与流行病学

帕金森病 (Parkinson's Disease, PD) 是一种常见的神经系统退行性疾病，病情随年龄增长呈进行性加重。临床以静止性震颤、肌强直、运动迟缓和姿势步态异常为核心运动症状，同时可伴随情绪障碍、睡眠障碍、认知障碍及自主神经功能紊乱等非运动症状，降低患者生活质量。目前认为遗传与环境因素共同参与发病，约10%患者具有明确家族史，多个常染色体显性或隐性突变位点已被证实与家族性帕金森病相关。核心致病机制（中脑黑质多巴胺能神经元丢失）：中脑深部黑质的多巴胺能神经元发生特异性进行性变性死亡。多巴胺作为控制骨骼肌精密运动的核心神经递质，其浓度的急剧直接导致纹状体通路功能紊乱，触发肢体震颤与僵直。



■ 帕金森病未满足的临床需求

帕金森病现有疗法无法修饰病程，且运动并发症、非运动症状管控不足，传统药物副作用大，还缺少评估病程的特异性生物标志物。

运动并发症的管理

左旋多巴是帕金森病的标准疗法。然而，长达3年或更长时间接受左旋多巴治疗的患者中，有多达一半会出现运动波动。左旋多巴还可能导致异常步态模式，随时可能引发冻结步态，以及一旦发生就难以消除的异动症。

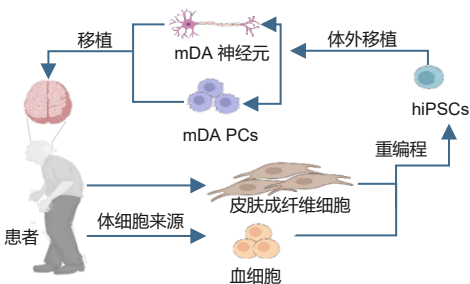
非运动症状的管理

非运动症状如疼痛、便秘、睡眠障碍等贯穿PD全程，涉及多巴胺能与非多巴胺能系统病变，是降低患者生活质量的主因。目前临床对NMS的病理机制、诊疗方案研究仍不够深入，且相关研发资金投入匮乏。

■ 干细胞疗法治疗帕金森病的机制

从健康供者或患者自身获取体细胞（如皮肤成纤维细胞或血细胞），在体外通过重编程技术将其诱导为iPSCs；利用定向分化技术将iPSCs分化为多巴胺能神经前体细胞或更成熟的多巴胺能神经元通过立体定向微创手术将这些细胞移植至帕金森病患者脑内的壳核区域；移植后的多巴胺能神经前体细胞能够在患者脑内进一步成熟为功能性的多巴胺能神经元，从根本上替代患者大脑黑质中丢失的多巴胺能神经元，重建壳核区域的多巴胺合成与分泌功能，从而改善帕金森病的运动症状。

图：iPSCs疗法治疗帕金森病示意图



来源：文献检索，沙利文分析

神经保护与疾病修饰治疗

目前全球尚无任何药物或策略能阻止或延缓PD的进行性病程恶化。开发新型DMT药物亟需确立特异性生物标志物，若缺乏能够指示疾病进展的标志物，将难以有效筛选和验证新药的延缓疗效。

具备低副作用的创新药物

降低传统药物的毒副作用是PD药物研发的核心需求。传统多巴胺受体激动剂易引发恶心、直立性低血压、幻觉、嗜睡及冲动控制障碍等不良反应，未来能够最小化上述副作用的创新药物将最具市场竞争力。

日本住友制药 —— Raguneprocel®

Raguneprocel® (Amchepny®) 用于改善对现有药物（含左旋多巴制剂）反应不足的帕金森病患者的运动症状。该产品将自体iPSCs定向分化为多巴胺能神经祖细胞，通过立体定向手术移植至患者脑内壳核区域。移植细胞在体内成熟为功能性多巴胺能神经元，替代丢失的多巴胺神经元，重建多巴胺分泌功能。

全球首款获批上市的iPSCs衍生再生产品

定价

约5,530万日元
约合人民币238万元

获批情况

于2026年3月获得日本厚生劳动省的有条件限期批准

临床数据

- 此次获批主要基于京都大学医院完成的一项研究者发起、开放标签、剂量递增的1/2期临床试验。该试验共纳入7名50-69岁晚期帕金森病患者，将iPSC来源的多巴胺能神经祖细胞移植至患者双侧壳核内。
- 移植后24个月的结果显示：6例可评估患者中，4名患者运动功能得到改善，其中高剂量组患者的脑内多巴胺合成能力（PET检测指标）提升了63.5%，高于低剂量组的7.0%。在安全性方面，研究期间未观察到严重的肿瘤形成或其他严重不良事件，长期安全性需通过上市后研究进一步确认。

干细胞临床应用分析——帕金森病

■ iPSCs疗法在帕金森领域的已上市或代表性在研产品

目前，伴随日本住友制药Raguneproc®的商业化推进，以及睿健医药、士泽生物、中盛溯源获得优异的临床随访数据，iPSCs正在将帕金森病的治疗从“对症”推向“病因性治疗”的商业化应用阶段。

图：iPSCs疗法在帕金森中的代表性产品

睿健医药 —— NouvNeu001注射液

产品介绍

NouvNeu001注射液是睿健医药基于独创的“AI+化学诱导”平台自主研发的异体通用型iPSCs衍生细胞产品，通过化学诱导手段将iPSCs定向分化为功能加强型特定亚型多巴胺能神经前体细胞。通过立体定向微创手术移植至患者脑内壳核区域，可针对包括帕金森病在内的多种疾病进行治疗。

技术平台

独创的“AI+化学诱导”平台，该方式无需基因编辑，实现细胞功能定向改造和优化。

研发情况

中美双报双批，多次获得FDA特殊豁免权

获得FDA再生医学先进疗法认定

获得FDA快速通道资格

帕金森：全球首个享有FDA特殊豁免权的通用型细胞治疗产品，唯一获得FDA快速通道资格（FTD）和再生医学先进疗法认定（RMAT）双认定的iPSC产品。已完成中国临床II期，美国临床II期进行中；**多系统萎缩：**中国注册临床I/III期开展中，美国临床I期开展中，FDA授予特殊豁免资格；**早发型帕金森：**完成中国注册临床I期。

临床数据

受试者在给单次给药12个月后，运动功能评分（MDS-UPDRS III）在OFF状态平均改善30.6分（改善幅度52.82%），ON状态平均改善12.9分（改善幅度54.67%），优于现有疗法。安全性良好，已顺利通过中美安全委员会多次核查。

士泽生物 —— XS411注射液

产品介绍

XS411注射液是士泽生物自主研发的异体通用型iPSCs衍生多巴胺能神经前体细胞疗法。该产品将健康供者来源的iPSCs定向分化为多巴胺能神经前体细胞，通过立体定向微创手术移植至患者脑内壳核区域。该管线进入临床的适应症包括原发性帕金森病、早发型帕金森病及帕金森型多系统萎缩。

试验设计

针对原发性帕金森病，由国家神经疾病医学中心牵头，目前已进入全国多中心注册临床II期，采用国际认可的PROBE盲法设计RCT，比单臂临床设计证据级别更高，II期入组已完成。

研发情况

中美双报双批，多次获得FDA特殊豁免权

临床高证据级别盲法设计RCT

FDA快速通道资格

原发性帕金森病：中美双报双批，美国FDA授予其特殊豁免权，顶尖临床中心牵头正开展全国多中心注册临床II期；**帕金森型多系统萎缩：**中美双报双批，正开展注册临床I/II期；**早发型帕金森病：**正开展中国注册临床II期。

临床数据

针对原发性帕金森病：牵头创新药物研发国家科技重大专项，在正式注册临床试验前，士泽生物已完成了包括“中国首例”在内的多例原发性帕金森病患者符合GCP/GMP规范的细胞治疗。注册临床数据中核心疗效方面，>40例受试者植入XS411细胞后随访显示，关期MDS-UPDRS III运动评分、无严重异动困扰的开期时间以及日常生活质量评分等均较植前有显著改善。安全性方面，所有已给药患者未出现与移植干细胞相关的不良事件。

帕金森病 iPSC疗法

中盛溯源 —— NCR201注射液

产品介绍

NCR201注射液是中盛溯源自主研发的通用高效iPSC衍生多巴胺能神经前体细胞（iDAP）产品，用于治疗帕金森病。该产品将健康供者来源的iPSCs通过迭代升级技术定向分化为iDAP，经立体定向微创手术（单针道/侧）移植至患者脑内壳核区域，手术安全性更高。移植细胞在体内成熟为功能性多巴胺能神经元，从根本上替代丢失的神经元，重建多巴胺合成与分泌功能。

研发情况

低免疫原性

植入后高转化率

该产品展示出其I期的优异数据，并于2025年12月公示其II期临床试验。

临床数据

正在全国多家高水平研究型医院开展临床试验，已成功完成多例患者给药。结果显示，该疗法具有良好的安全性，多名患者“关期”改善，疾病分期回调，脑内多巴胺功能PET-CT信号显著增强，口服多巴类药物剂量下降，展现出“逆转性”改善趋势。

干细胞临床应用分析——膝骨关节炎

膝骨关节炎的现有治疗仅能缓解疼痛却无法逆转软骨退变，MSCs及iPSC-MSCs可通过抗炎、促软骨修复实现关节结构改善。

■ 膝骨关节炎概述与流行病学

膝骨关节炎是一种异质性的慢性退行性关节疾病，其主要特征为进行性的关节软骨退变。该病理过程不仅限于软骨，还广泛累及滑膜（引发滑膜炎）、韧带、半月板及软骨下骨。KOA临床表现为关节疼痛、僵硬、关节肿胀及活动受限，晚期常伴有焦虑、抑郁情绪，严重损害患者的身体功能与生活质量。膝关节是骨关节炎最常见的发病部位。随着人口老龄化和肥胖率的上升，预计未来会有更多人患有膝骨关节炎。



全球患病率~4,500/100,000人

■ 膝骨关节炎的现有治疗手段及未满足的临床需求

膝骨关节炎的现有治疗以阶梯化对症处理为主，治疗目标是缓解痛苦、延缓进展并恢复功能，遵循阶梯化、个体化原则，但缺乏能从根本上改变疾病进程的有效手段，存在未满足临床需求。

基础治疗：基础治疗是膝骨关节炎全程都需执行的一线干预手段，覆盖所有分期患者。通过疾病科普帮助患者建立护膝认知，配合减重降低膝关节承重压力；同步搭配热敷、超声波等理疗与低强度有氧运动，改善关节血液循环、维持肌肉力量。该方案能缓解轻度不适。

药物治疗：局部外用非甾体抗炎药（NSAIDs）→NSAIDs或对乙酰氨基酚→关节腔内注射（如糖皮质激素或透明质酸）治疗，可短期缓解疼痛、抑制滑膜炎；

手术治疗：手术多用于保守药物干预失效、关节结构严重损毁的中晚期KOA患者，阶梯式选择微创关节镜清理、截骨矫正力线或终末期单髁/全膝关节置换术。关节镜、截骨术能临时改善关节环境、延缓置换时间；全膝属于创伤较大的破坏性手术，存在感染、假体磨损等问题。

缺乏疾病修饰治疗

- 现有药物无法修复已经缺损的软骨组织，也不能阻断软骨基质降解、抑制异常骨赘增生，仅能延缓轻微加重速度，无法从病理根源阻断甚至逆转关节结构的持续损坏；

最初的“治疗空窗期”

- 从患者初次出现关节疼痛确诊KOA，到关节损伤达到手术指征，中间存在长达10~20年过渡阶段，在此期间患者需要长期反复忍受行走痛、上下楼刺痛、夜间静息痛，日常活动、运动能力持续受限，长期处于病痛困扰中；

疼痛控制不足

- 临床一线止痛药物以非甾体抗炎药为主，长期口服会持续刺激消化道黏膜，大幅提升胃肠道不良反应发生率；另外，长期用药会干扰血管内皮、影响血压与凝血功能，显著升高高血压、心梗、脑梗等心血管不良事件风险。

■ iPSCs在膝骨关节炎领域的代表性产品

iPSCs衍生的间充质样细胞（iPSC-MSCs）通过多靶点机制，成为更具潜力的KOA疾病修饰生物疗法。其核心优势在于保留了强大修复潜能的同时，依托iPSC种子细胞的无限扩增潜能，可稳定、持续地分化出高均一性、高活性的iPSC-MSCs，克服了传统成体MSCs供体依赖和细胞老化的致命缺陷。

图：代表性在研产品临床数据分析

iPSCs在研管线 中盛溯源——NCR100

产品介绍

NCR100注射液是**中国首个获批临床的iPSC衍生间充质样细胞（iMSCs）药物**，通过关节腔内注射递送至膝骨关节炎病变部位。其来源于单一iPSC单克隆细胞株，确保产品质量的稳定可控，通过免疫调节和旁分泌效应发挥抗炎、缓解疼痛作用，为干细胞技术在骨关节炎疾病领域的落地应用开辟了新路径。

研发情况

2025年5月公示其在中国开展II期临床，并于11月完成全部入组。

临床数据

NCR100的I期临床试验已完成，结果显示：

- **安全性方面：**安全性良好，未报告与细胞产品相关的严重不良事件；
- **有效性方面：**显示出积极的疗效信号，临床相关指标呈现一致的改善趋势，可有效缓解患者临床症状，具备明确的临床获益潜力。

来源：文献检索，公司官网，沙利文分析

干细胞临床应用分析——膝骨关节炎

■ MSCs在膝骨关节炎领域的代表性产品

MSCs疗法治疗膝骨关节炎的核心机制是通过免疫调节与旁分泌效应，在关节腔内重塑抗炎、促再生的修复微环境，从病理层面逆转或延缓关节退变，实现真正意义上的疾病修饰（DMOAD），而非单纯对症止痛。

抗炎与镇痛
——抑制炎症风暴，重塑免疫平衡

MSCs可显著抑制TNF-α、IL-1β、IL-6、IL-17等关键促炎因子释放，减轻滑膜炎症状与软骨基质破坏；同时诱导巨噬细胞由促炎M1型向抗炎修复M2型极化，降低局部神经敏感性，从而快速缓解关节疼痛、肿胀与僵硬，改善活动功能。

软骨保护与结构修复
——阻止退变，促进再生

MSCs通过旁分泌分泌生长因子（TGF-β、IGF-1、FGF等）与细胞外囊泡，一方面刺激残存软骨细胞增殖、促进II型胶原与蛋白聚糖合成，另一方面抑制基质金属蛋白酶（MMPs）等降解酶活性，减少软骨基质流失，实现软骨结构修复与厚度提升。

微环境重塑与长期获益
——实现疾病修饰目标

不同于传统镇痛、润滑类药物仅缓解症状，MSCs可改善关节腔内缺氧、炎性、纤维化的病理微环境，减少软骨下骨病变与滑膜炎进展，延缓甚至避免关节置换，达到以结构改善为核心的疾病修饰治疗目标。

图：已上市或代表性在研产品临床数据分析

Medipos —— Cartistem®	
产品介绍	- Cartistem®是韩国Medipost研发的全球首款获批上市的同种异体脐带血来源MSCs（UCB-MSCs）产品，适应症为膝骨关节炎（ICRS IV级重度软骨缺损）。 - 该产品依托企业自有脐带血干细胞规模化制备平台，将脐带血单核细胞定向扩增分化获得UCB-MSCs，制剂搭配透明质酸水凝胶载体；植入膝关节缺损部位后，MSCs依靠免疫调节+旁分泌双重效应发挥作用：抑制关节腔炎症反应、缓解关节疼痛、促进软骨再生修复，既能快速改善患者临床症状，还可逆转/阻断膝关节软骨结构不可逆退化，属于疾病修饰型骨关节炎治疗药物（DMOAD）。
获批情况	2012年1月获韩国食药处（MFDS）正式上市批准，是全球首个脐带血干细胞治疗药品。
产品价格	800万~1,000万韩元/支
临床数据	- 自2012年韩国上市至2025年，累计超35,000名膝骨关节炎患者接受Cartistem®治疗，长达十余年随访未出现严重免疫排斥、致癌等重大安全风险，充分证实该同种异体MSCs生产平台的长期安全性。 - 多项2年长期随访研究证实，产品可稳定再生透明软骨，持续降低关节疼痛评分，延缓膝关节置换手术需求，结构修复获益可长期维持。

MSCs在研管线
思比曼 —— AlloJoin®

产品介绍

AlloJoin®是一款**异体人源脂肪MSCs注射液**，通过**关节腔注射治疗膝骨关节炎**。其核心机制是利用MSCs的旁分泌与免疫调节作用抑制炎症、修复软骨，旨在提供持久的疼痛缓解和功能改善，区别于仅对症治疗的传统药物。

研发情况 **中国首个进入Ⅲ期的治疗KOA的干细胞药物**

2026年6月，宣布AlloJoin®的关键性Ⅲ期临床已于5月完成全部入组。

临床数据

AlloJoin®已在Ⅰ期和Ⅱ期临床试验中取得积极结果，结果显示：

- 安全性方面：**Ⅰ期和Ⅱ期临床试验均证实了良好的安全性和耐受性；
- 有效性方面：**Ⅱ期临床试验展现出具有统计学意义的主要终点WOMAC评分获益与软骨修复效果。

MSCs在研管线
博雅生命 —— 华通氏胶质MSCs注射液

产品介绍

该管线是博雅生命旗下博雅医药自主研发的**同种异体脐带华通氏胶来源间充质干细胞（WJ-MSCs）**生物新药。产品依托博雅自有全流程GMP围产干细胞制备平台，从废弃脐带华通氏胶中分离、标准化扩增制备通用型现货MSCs制剂，无需匹配患者自体细胞，可直接关节腔注射给药。

研发情况

2025年12月，公司宣布正式进入临床Ⅱ期。

临床数据

Ⅰ期临床试验中取得积极结果，结果显示：

- 安全性：**随访48周后安全性良好，仅少量受试者出现一过性关节轻微胀、局部轻度肿胀，短期内可自行缓解，整体耐受性良好；
- 初步有效性：**各剂量组受试者VAS疼痛评分显著下降，WOMAC关节功能评分改善，影像学提示软骨磨损进展放缓。

来源：文献检索，公司官网，沙利文分析

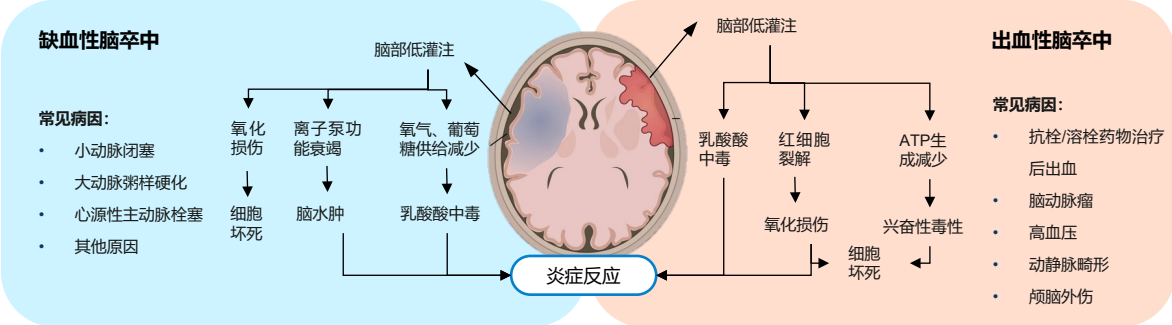
干细胞临床应用分析——脑卒中

脑卒中主要分为缺血性与出血性，当前急性期治疗和恢复期均存在巨大未满足需求，而干细胞疗法为脑卒中的治疗和恢复提供了新的方向。

■ 脑卒中简介

脑卒中俗称“中风”，是一种因部分脑组织的血流供应突然中断导致的医疗急症。主要发病机制包括血管阻塞所致的缺血性脑卒中，以及血管破裂所致的出血性脑卒中。常见危险因素包括高血压、心房颤动、吸烟、糖尿病和高脂血症。其典型急性症状包括面部下垂或口角歪斜、上肢无力、言语困难以及平衡障碍或视力改变。及时治疗对于预防永久性脑损伤和残疾至关重要。

缺血性卒中发病机制在于动脉阻塞，导致血流减少，从而剥夺脑细胞所需的氧气和葡萄糖导致能量代谢衰竭。而出血性卒中最常见原因是高血压性血管破裂、动脉瘤或血管畸形，由此引发的出血会对脑组织产生压迫，导致颅内压升高，并释放出具有神经毒性的血液产物。上述两种发病途径最终均殊途同归，汇聚于炎症、氧化损伤、脑水肿及细胞死亡这一共同终点。



■ 脑卒中中的诊疗现状

诊断需结合症状和脑影像，把缺血性卒中与出血性卒中区分。

	分期	治疗核心目标	主要治疗手段
缺血性脑卒中	急性期 (发病2周内)	尽快打通血管，抢救缺血半暗带	静脉溶栓（4.5h）、机械取栓（大血管闭塞，部分患者可延长至24h）
	恢复期 (数周至1年)	神经功能重塑，减少后遗症	康复训练、神经调控、细胞治疗（临床阶段）等
	稳定期 (1年至数年)	神经功能重建和改善	康复训练、神经调控、细胞治疗（临床阶段）等
出血性脑卒中	急性期 (发病至2周)	止血、降颅压，预防再出血	药物控制血压/颅内压、外科手术清除血肿等
	恢复期 (数周至1年)	避免再出血诱因，促进神经功能重塑，控制血压	康复训练、神经调控、慢病基础药物、细胞治疗（临床阶段）等
	稳定期 (1年至数年)	维持现有神经功能，延缓功能退化，改善后遗症	维持性康复训练、慢病管理等

根据病程进展，卒中又可分为急性期、恢复期和稳定期。急性期（发病后2周内）以抢救生命、稳定病情为核心，缺血性卒中中需争分夺秒进行静脉溶栓或机械取栓以恢复血流，出血性卒中中则需控制血压、降低颅内压或手术清除血肿；恢复期是神经功能重塑的黄金时期，重点是康复训练、预防并发症和二级预防，以最大程度恢复患者的运动、言语和认知功能。对于缺血性卒中，在此期间还可能配合药物或介入治疗改善脑循环；对于出血性卒中，则需继续控制危险因素，促进血肿吸收和组织修复。稳定期是发病后1年至数年，主要是行进神经功能的重建、改善或维持，延缓功能退化，主要治疗手段包括康复训练、神经调控、细胞治疗（临床阶段）等。

来源：文献检索，沙利文分析

干细胞临床应用分析——脑卒中

■ 脑卒中中的未满足的临床需求

目前，针对急性缺血性脑卒中的标准治疗高度依赖时间窗，现阶段存在一个巨大的未满足需求：治疗时间窗过窄，大量患者因错过时机而失去最佳治疗机会。康复阶段同样存在一定的需求缺口。一方面，康复资源匮乏且分布不均，在发展中国家和基层地区尤为突出，常因经济拮据、交通不便、专业康复人员短缺等障碍导致康复中断。另一方面，传统康复手段存在局限性，模式单一、进展缓慢且严重依赖患者主动性，对于重度、病程长或伴有严重认知障碍的患者效果有限。

■ 干细胞疗法治疗脑卒中的机制

iPSCs疗法：缺血性脑卒中引起的神经功能缺损主要源于多种神经元及胶质细胞的丢失。在动物模型中，植入iPSCs或其衍生的神经祖细胞（NPC）可有效促进神经功能恢复，其机制涵盖细胞替代、神经保护、血管新生、突触形成与内源性神经发生等多个层面。在细胞替代方面，NPC能分化为神经元、星形胶质细胞和少突胶质细胞，替代丢失的细胞并整合至现有神经环路。在神经保护方面，移植细胞通过分泌神经营养因子（如BDNF）支持神经元存活与突触可塑性，减少神经元凋亡和小胶质细胞活化，改善脑代谢、白质完整性与血液灌注，降低梗死体积及促炎因子（如IL-1 β 、TNF- α 、IL-6）水平，同时减轻血脑屏障破坏与免疫细胞浸润。在血管新生方面，移植细胞分泌VEGF促进新生血管形成，并促进血管新生。此外，移植细胞还能将其轴突延伸至缺血区并与宿主神经元形成突触，同时刺激内源性神经祖细胞的增殖与迁移，从而实现突触重塑与内源性神经发生。

MSCs疗法：MSCs疗法治疗脑卒中的核心机制主要依赖其旁分泌效应，而非直接分化为神经细胞。移植后的MSCs能够分泌富含多种生物活性分子的外泌体及可溶性因子，通过多靶点协同作用促进神经修复。具体而言，其作用机制可分为四方面：在免疫调节层面，MSCs通过诱导抗炎M2型巨噬细胞极化、抑制T细胞过度活化及调节细胞因子网络，显著减轻卒中后由“炎症风暴”导致的继发性脑损伤；在神经保护层，MSCs分泌的TGF- β 1（在急性期）、IL-1Ra及miR-124、miR-145等因子能有效抑制神经元凋亡与焦亡，并通过维持血脑屏障关键蛋白（ZO-1、occludin、claudin-5）的表达来保护其完整性；在血管与神经再生层面，通过释放VEGF、HGF及SDF-1 α 等生长因子，MSCs能够促进新生血管形成、激活内源性神经干细胞增殖与分化，并增强突触可塑性；特别地，最新研究发现MSCs还可通过隧道纳米管向受损神经元转移线粒体，为濒死神经元提供额外的能量支持，协同其他旁分泌机制共同促进神经修复。

图：干细胞疗法在脑卒中领域的代表性产品

霍德生物 —— hNPC01

产品介绍

hNPC01是霍德生物自主研发的异体通用型iPSCs衍生前脑神经前体细胞产品，用于治疗缺血性脑卒中后稳定期偏瘫。该产品将健康供者来源的iPSCs通过二代RONA技术定向分化为前脑神经前体细胞，经立体定向颅内移植至脑内病灶区域。移植细胞在体内进一步分化为功能性皮层神经元和胶质细胞，以细胞替代与神经环路重建为主，同时兼具旁分泌营养支持作用。

研发情况 获得FDA快速通道及RMAT认定

已完成I期临床，FDA已同意基于中国I期数据，通过桥接和剂量确认后无缝进入美国III期临床试验。

临床数据

hNPC01已完成20名缺血性脑卒中后遗症患者I期临床12个月随访，最长观察18-24个月，安全性良好可控。

临床数据显示：移植的神经细胞可形成新生组织填补梗死灶，且在24个月时稳定存活，目标亚组患者上下肢运动功能改善有效率超92%，12个月平均FMMs评分改善16分，且在18-24个月时仍有持续改善。超半数患者残疾等级降级，语言功能不同程度改善；部分患者肢体运动及生活自理能力实质性提升，可独立生活、重返工作，临床获益良好。

赛隼生物 —— CG-BM1

产品介绍

CG-BM1注射液，异体人骨髓间充质细胞注射液，是广州赛隼生物科技有限公司自主研发的核心产品。该产品将健康成人捐献的骨髓中分离获得的间充质细胞，经体外规模化扩增后通过静脉输注方式给药。移植后的MSCs主要通过免疫调节和旁分泌效应发挥作用：一方面抑制炎症反应、调节局部免疫微环境；另一方面分泌多种神经营养因子和生长因子，促进损伤区域的血管修复与新生、抑制神经细胞凋亡，并可能通过促进内源性神经干细胞活化实现神经功能的修复与重建。

研发情况

2025年6月，CG-BM1的IIa期临床试验正式公示，计划入组18例患者，国内首个自主研发进入该适应症领域的骨髓MSCs产品。

临床数据

I期临床试验已完成，结果显示：

- 不同剂量的CG-BM1注射液在临床应用中安全性良好，未报告严重不良事件，并初步展现出对脑卒中患者神经功能恢复的积极效果。

临床前研究也显示：

- CG-BM1能够改善神经功能障碍、减少脑梗死面积和促进损伤区域血管修复。

来源：文献检索，公司官网，沙利文分析

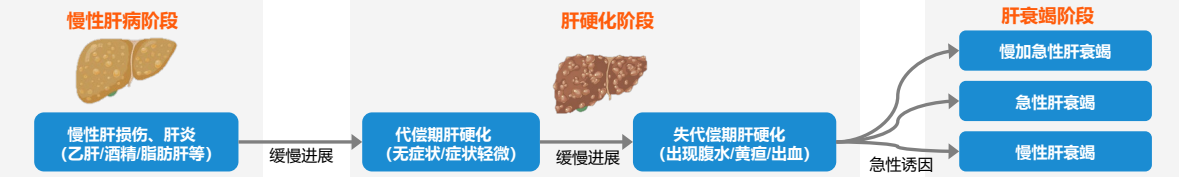
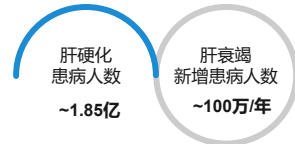
干细胞临床应用分析——肝硬化与肝衰竭

肝硬化可由各类慢性肝病缓慢进展而来，疾病进展可发展为肝衰竭，现有治疗手段存在疗效有限、肝移植供体紧缺等临床痛点，干细胞与外泌体疗法为肝损伤修复、肝功能重建带来了全新治疗方向。

■ 肝硬化与肝衰竭的概述与发病机制

肝硬化是慢性肝损伤的终末阶段，以弥漫性肝细胞坏死、广泛纤维化及假小叶形成为特征，导致肝脏结构严重破坏。其核心机制是肝星状细胞持续活化，转化为肌成纤维细胞，大量合成细胞外基质，导致肝脏弥漫性纤维化和结构破坏。肝衰

竭则是由多种病因所致严重功能障碍，表现为黄疸、凝血障碍、肝肾综合征、肝性脑病及腹水等症候群，是肝功能严重失代偿的结果，“肠-肝轴”紊乱是重要驱动因素：肠道屏障受损、菌群失调及细菌移位可触发系统性炎症，加速器官功能恶化。慢加急性肝衰竭（ACLF）是肝衰竭的危重亚型，常由感染、酒精等急性诱因诱发，在肝硬化基础上诱发多器官衰竭，短期死亡率极高。



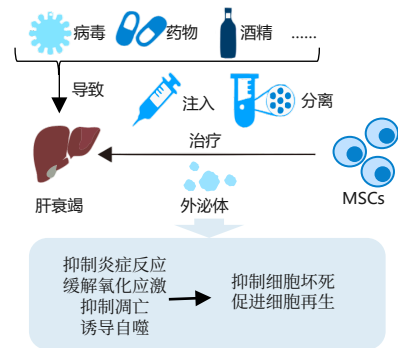
■ 肝硬化与肝衰竭的诊疗现状及未满足临床需求

目前，肝硬化的标准治疗以病因治疗为核心（如乙肝肝硬化长期抗病毒、酒精性肝硬化终身戒酒、MASH相关肝硬化强化代谢控制），辅以并发症的分层管理。然而，上述治疗虽能延缓疾病进展，却无法逆转已形成的肝纤维化和假小叶结构，也难以恢复受损的肝功能储备。肝衰竭则尚无有效的根治性内科解决方案，现有药物治疗如如肝细胞生长因子（HGF）、甘利欣、N-乙酰半胱氨酸、肾上腺皮质激素等药物的疗效有限（患者存活率低）；肝移植虽是唯一根治手段，但受限于供体严重短缺及高昂费用。因此，临床上亟需能够实现肝组织修复、恢复肝功能储备的再生疗法。

■ 基于干细胞旁分泌机制的肝损伤救治新技术

MSCs外泌体治疗肝衰竭的核心机制在于其作为细胞间通讯的纳米级细胞外囊泡，通过携带多种生物活性分子对肝脏的免疫微环境和细胞命运进行多维度、精准的调控。这一过程主要通过两个协同层面实现：首先，在免疫调节层面，外泌体进入肝脏后，其携带的特定miRNA（如miR-223、miR-146a）通过外泌体内化进入巨噬细胞，靶向NLRP3、TRAF6/IRAK1等信号通路，强力诱导巨噬细胞从促炎的M1型向抗炎修复的M2型转化；同时外泌体表面的抗炎因子（如IL-10）通过受体结合发挥作用，共同抑制T细胞等免疫细胞的过度活化，减轻因免疫失控导致的肝细胞大面积损伤。其次，在直接保护肝细胞层面，外泌体可将其携带的特定分子，如miR-423-5p，高效递送至受损的肝细胞内。miR-423-5p能够直接靶向并抑制ZBP1蛋白的表达，进而阻断由ZBP1介导的、依赖于caspase-1/GSDMD通路的肝细胞焦亡。通过这些机制的协同作用，MSCs外泌体能够从抑制炎症损伤和促进细胞存活两个关键环节入手，为肝组织修复与再生创造有利条件。目前国内已开展包括血液净化和静脉注射方式的临床研究和临床试验。

图：干细胞外泌体疗法治疗肝衰竭的机制



■ 基于干细胞旁分泌机制的临床试验及临床研究阶段产品

乾晖科技 —— QH-863-8

产品介绍

国际首个适用于组合型生物人工肝的干细胞药物“血液净化用MSCs”

国际首个获批进入探索性临床研究的干细胞外泌体制剂治疗肝衰竭产品

上述两项产品均为乾晖科技生物自主开发，首次和功能替代的理论基础上，增加炎症控制理念，提出基于干细胞旁分泌机制的救治新技术并开展临床探索，通过人工肝或静脉输注方式给药。外泌体是直径30-150nm的纳米级囊泡，携带蛋白质、mRNA、miRNA等生物活性分子。通过人工肝或静脉输注后，外泌体主要通过旁分泌效应发挥作用，从而修复受损肝功能。

研发情况

最新进展

血液净化用MSCs：已完成I期注册临床试验

PT-MSCs-EV注射液：已完成探索性人体临床研究

适应症

慢加急性肝衰竭

临床数据

血液净化用MSCs(QH-863-3)：已完成I期注册临床试验，15例肝衰竭患者入组基线Meld平均分26.667，治疗后90天生存率100%，无肝移植生存率94.7%；

PT-MSCs-EV注射液：在南方医科大学珠江医院完成的探索性临床研究公布了初步研究数据：20例肝衰竭受试者治疗后4周生存率达85%，12周生存率70%，期间未发生与药物相关的严重不良事件。

该研究是全球范围内首项完成并报告结果的干细胞外泌体治疗肝衰竭的人体临床研究。

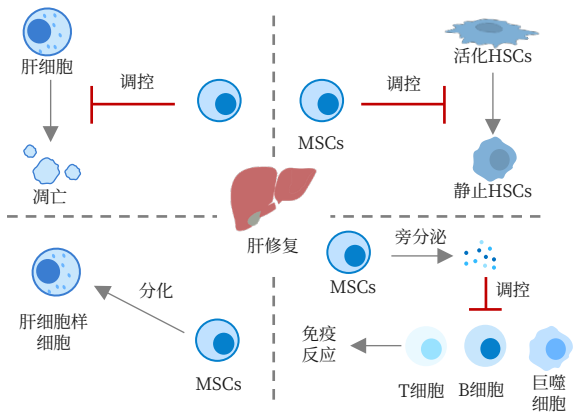
来源：文献检索，公司官网，沙利文分析

干细胞临床应用分析——肝硬化与肝衰竭

■ 干细胞疗法治疗肝硬化的机制

MSCs治疗肝硬化的核心机制在于其强大的免疫调节与抗纤维化能力。具体而言，MSCs可通过旁分泌效应分泌多种可溶性因子（如肝细胞生长因子HGF、骨形态发生蛋白-7 BMP-7、前列腺素E2等）和细胞外囊泡（含microRNA等生物活性分子），这些因子能够直接抑制肝星状细胞的活化，阻止其向肌成纤维细胞转化，从而减少胶原蛋白等细胞外基质的过度沉积。同时，MSCs能诱导促炎的M1型巨噬细胞向抗炎的M2型巨噬细胞转化，调节T细胞、树突状细胞等免疫细胞功能，重塑肝脏免疫微环境，从而控制慢性炎症对肝脏的持续损伤。通过这种多维度协同作用，MSCs能够有效减轻甚至逆转肝纤维化与肝硬化进程，改善肝功能。

图：干细胞疗法治疗肝硬化的机制



相比之下，MSCs治疗肝衰竭的机制则更侧重于快速抑制过度的免疫炎症反应和促进急性损伤后的肝细胞存活与再生。在急性肝衰竭中，MSCs主要通过其旁分泌释放的多种因子（如PGE2、IL-10、IDO）直接抑制肝脏内浸润的T细胞、自然杀伤T细胞、巨噬细胞等免疫细胞的过度活化及其产生的细胞毒性因子（如TNF- α 、IFN- γ ），从而减轻由“炎症风暴”导致的大面积肝细胞坏死。同时，MSCs分泌的HGF、VEGF等生长因子可有效抑制受损肝细胞的凋亡，促进其增殖与存活，为肝脏的自我修复创造条件。

■ MSCs疗法获批治疗肝硬化的产品

MSCs因其能体外规模化制备、免疫调节活性强且无需配型，为“实现真正肝再生”这一肝衰竭治疗难题提供了突破性路径。

赛隼生物 —— CG-BM1

产品介绍

中国首个获批临床治疗ACLF的骨髓MSCs药物

CG-BM1注射液（异体人骨髓MSCs注射液）是广州赛隼生物科技有限公司自主研发的核心产品。该产品将健康成人捐献的骨髓中分离获得的MSCs（BMSC），经体外规模化扩增后通过静脉输注方式给药。移植后的MSCs主要通过免疫调节能力发挥作用：抑制免疫细胞分泌促炎因子，上调抗炎因子水平，从而减轻肝脏的过度炎症反应；同时，MSCs还能显著改善肝功能，在ACLF动物模型中可逆转肝纤维化。

研发情况

最新进展

2025年6月公示了其进入IIa期临床

获批适应症

慢加急性肝衰竭（ACLF）
缺血性脑卒中
肌肉减少症等

临床数据

研究团队早期的临床研究数据显示：

- 骨髓MSCs的治疗可以将ACLF患者生存率从**55.6%提高至73.2%**；
- 在已完成的I期药物临床试验中，初步证实了MSC治疗ACLF的安全性和有效性，**90天生存率为90%**。

中源协和 —— VUM02

产品介绍

中国首个进入Ib/II期临床试验的脐带源间充质细胞，治疗失代偿期肝硬化的产品

VUM02注射液是中源协和自主研发的现货型细胞制剂。该产品由人脐带源间充质细胞组成，采用液氮冻存方式保存，有效期长，复苏后可直接静脉给药。其核心机制是通过免疫调节、抗纤维化及组织修复三重途径干预肝硬化进程。

截至目前，VUM02注射液共计10个适应症获批IND，是国内MSCs药物获得临床试验批准数量最多的产品。其中肝病领域已覆盖**失代偿期肝硬化**和**慢加急性肝衰竭**两大适应症。前期开展了**4项治疗肝硬化的国家干细胞备案临床研究项目**。

临床数据

VUM02注射液前期的多个备案临床研究**已取得多项关键数据**。研究相关结果显示：**本品在失代偿期肝硬化患者安全性、耐受性好，已探索了最佳给药剂量，并展示了一定的有效性趋势。**

所有受试者均未出现与药物相关的严重不良事件，整体安全性可接受；治疗后患者MELD评分，肝功能指标（如白蛋白、胆红素、凝血酶原时间等）等呈现改善趋势。相关文章发表在STTT杂志上。

最新进展

2026年4月21日，VUM02注射液治疗失代偿期肝硬化的**Ib/II期临床试验**首例受试者完成入组给药，标志着该产品正式进入关键临床验证阶段。现为该适应症进展最快的同类产品。

来源：公开资料，公司官网，沙利文分析

干细胞临床应用分析——特发性肺纤维化

特发性肺纤维化是预后差、进展致死的肺部间质病，现有药物仅能延缓病情且副作用突出，肺移植又存在多重现实局限，临床存在显著未满足需求。

■ 特发性肺纤维化简介

特发性肺纤维化 (Idiopathic Pulmonary Fibrosis, IPF) 是一种病因不明，局限于肺部的慢性、进行性、致死性的纤维化性间质性肺疾病。IPF多发于50岁以上的男性及长期吸烟者，影响着全球约300万人，且发病率随年龄增长而增加。IPF患者在确诊后的中位生存期仅为2.5至3.5年，急性加重期的病死率极高，其致死性及生存率甚至劣于绝大多数中晚期恶性肿瘤。临床主要表现为进行性加重的劳力性呼吸困难、持续性干咳、双肺下野可闻及典型的爆裂音以及杵状指。随着通气和换气功能发生不可逆的进行性恶化，患者最终多因严重缺氧导致呼吸衰竭或肺源性心脏病而死亡。



全球患病率 ~ 35.1/100,000人

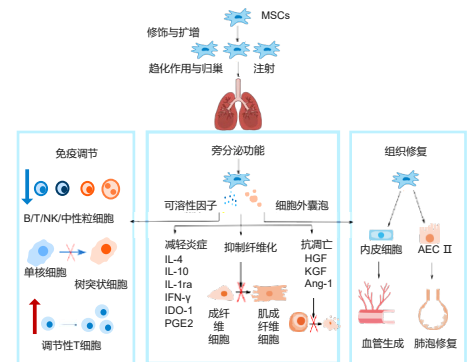
■ 特发性肺纤维化的诊疗现状与未满足需求

目前全球范围内仅有3款获批用于延缓IPF的口服小分子药物：尼达尼布、吡非尼酮与那米司特。然而，多中心长期随访结果表明这两种药物仅能部分减缓肺活量的下降速率，既无法中止纤维化的恶化，更无法逆转已形成的纤维化瘢痕。此外，患者常因严重腹泻、肝功能异常、恶心及光过敏等药物毒副作用而不得不被迫减量或停药。唯一的根治性手段为肺移植，但受限于高昂费用、供体极度匮乏及高龄患者无法耐受等现实障碍，导致绝大多数患者面临治疗绝境。

■ MSCs疗法在特发性肺纤维化的应用与代表性药物

MSCs治疗IPF的机制主要涉及旁分泌介导的免疫调节与抗纤维化效应，包括通过分泌IL-1ra、PGE2、IDO-1等可溶性因子及细胞外囊泡调控巨噬细胞表型转化、抑制T细胞成熟与树突状细胞活化、减少B细胞增殖，同时通过调节MMP/TIMP比例减少胶原沉积，并分泌HGF、KGF等生长因子促进肺泡上皮修复与血管再生；但目前仅有早期临床试验探索其安全性与初步疗效，治疗效果有待进一步验证。

图：MSCs治疗IPF机制



图片来源：Therapeutic Applications of Mesenchymal Cells in Idiopathic Pulmonary Fibrosis

华域生物 —— HYstem-001

产品介绍

HYstem-001注射液是华域生物自主研发的**人脐带MSCs产品，用于治疗特发性肺纤维化 (IPF)**。其核心机制是通过MSCs的免疫调节和旁分泌效应，归巢至肺部损伤区域，分泌抗炎细胞因子抑制炎症、分泌生长因子促进组织修复。

研发情况

于**2025年11月26日**首次公示其**I期临床试验**，由首都医科大学附属北京朝阳医院作为研究机构，采用单臂、开放标签、剂量爬坡设计。

种源筛选方法

为筛选最佳干细胞批次，华域生物在体外模型中证实，筛选后的脐带MSCs可抑制TGFβ1诱导的上皮-间质转化（上调MMP-7/CDH1，下调COL1A1/Vimentin），并抑制博来霉素诱导的支气管上皮细胞凋亡。

在博来霉素诱导的大鼠肺纤维化模型中，不同剂量的干细胞（ $1 \times 10^6 \sim 1 \times 10^7$ cells/kg）可有效改善肺功能、提高存活率并减轻肺组织病变，且呈剂量依赖性。以上体内药效研究为筛选最佳干细胞种源及后续临床试验提供了科学依据。

中源协和 —— VUM02

产品介绍

VUM02注射液是中源协和多年自主研发的**通用现货型人脐带源MSCs注射液**，通过从健康新生儿脐带组织分离、筛选、扩增获得的人脐带源MSCs，规格为5E7个细胞（10mL）/袋，采用液氮冻存方式保存经静脉输注至患者体内发挥作用。MSCs治疗肺纤维化的核心机制是免疫调节、抗炎、抗纤维化及组织修复与再生的协同作用。

研发情况 **获得FDA授予的孤儿药资格认定**

前期全面的非临床研究和药理学研究证明，MSC在体外和动物模型中治疗IPF的安全有效性后，**2023年11月公示其进入I期临床试验**，由广州医科大学第一附属医院作为牵头单位，华西医院、北医三院等作为参与单位；**已完成所有受试者给药及给药后6个月的随访**，长期随访进行中。且正与国家药监局申请开展后续关键性临床试验。

临床数据

在人脐带源MSCs VUM02注射液治疗IPF的I期临床试验中，现有实验结果显示：

人脐带源MSCs具有**良好的安全性和耐受性**，而且**可延缓IPF患者肺功能的下降，提升患者的运动耐力，改善患者的肺部影像学病变及呼吸道症状**。

干细胞临床应用分析——特发性肺纤维化

■ 肺前体细胞疗法在特发性肺纤维化的应用

肺前体细胞疗法治疗IPF的核心机制在于其从病理根源出发的“结构修复”策略，而非仅仅延缓肺功能下降。该疗法的科学基础在于：IPF的本质是肺泡上皮结构的持续性丢失和气体交换功能的不可逆衰退，而现有的抗纤维化药物无法逆转这一过程。该疗法利用患者自体健康的P63⁺气道基底层干细胞——这是成人肺部负责上皮修复的关键干细胞群。通过支气管镜从患者相对健康的肺叶刷取少量细胞，在体外经专利技术扩增后，再回输至患者肺部。移植后的P63⁺气道基底层干细胞通过两大协同途径发挥作用：重建气道上皮屏障与再生气体交换结构。细胞迁移定植于受损肺泡组织，一方面分化形成连续上皮屏障，如同创可贴覆盖破损创面，抑制炎症和纤维化的进程；另一方面也分化成高表达紧密连接蛋白的成熟上皮细胞，形成具有气体交换功能的囊泡样结构。

吉美瑞生 —— REGEND001

产品介绍

REGEND001是全球首创的自体肺前体细胞疗法。该产品利用患者自体的P63⁺气道基底层干细胞，通过支气管镜刷检获取少量健康气道上皮样本后，经专利的R-Clone技术体系在体外无饲养层条件下扩增培养，再经支气管镜回输至患者肺部。移植后的细胞能够在肺损伤区域定植，通过重建气道上皮屏障和再生肺泡气体交换结构两大核心机制发挥作用，直接修复受损的肺泡结构，从而恢复肺脏的换气功能。

研发情况

该产品针对IPF的Ⅱ期临床试验已完成。

临床数据

根据2025年6月吉美瑞生首席科学家左为教授在国际干细胞研究学会年会上以口头报告形式公布的数据：

- **有效性方面**，肺弥散功能较基线水平明显提升，与安慰剂对照组相比具有统计学显著差异。此外，肺脏纤维化评分相对于基线明显下降，与安慰剂组相比同样具有统计学显著差异。
- **安全性方面**，未观察到与治疗相关的严重不良事件，试验组与安慰剂组不良事件发生率相当。

干细胞临床应用分析——肿瘤治疗后血小板减少症

造血干细胞因其卓越自我更新与多向分化潜能，能够有效重建受损的造血系统，被成功应用于肿瘤治疗后血小板减少症的临床治疗。

■ 肿瘤治疗后血小板减少症的定义与机制

肿瘤治疗后血小板减少症（CTIT）是指由抗肿瘤治疗导致的外周血血小板计数低于正常范围的一种常见并发症。其发生率因肿瘤类型和治疗方案而异，在实体瘤患者中总体发生率约为10%-21%，其中以吉西他滨和铂类药物为基础的化疗方案风险最高。



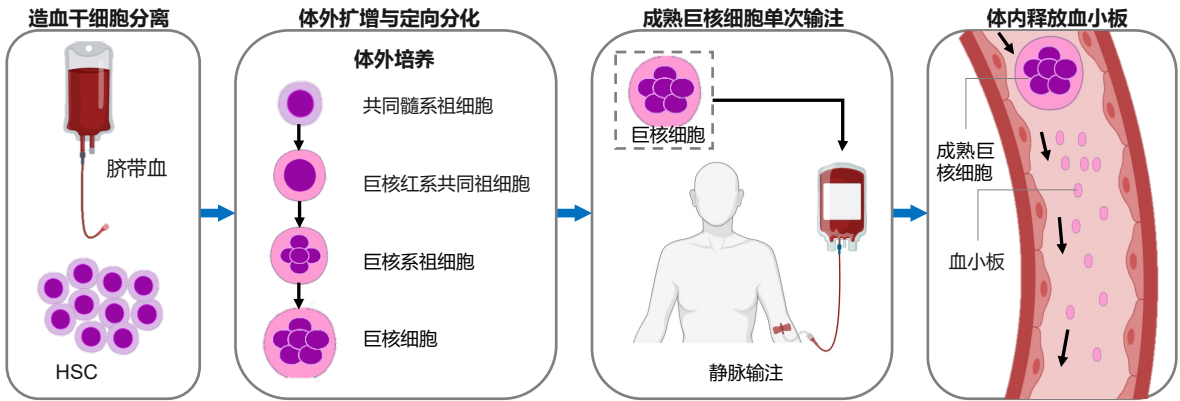
肿瘤治疗后血小板减少症的主要机制涉及血小板生成减少、破坏增加及分布异常三方面。其中，生成减少是最主导的机制，化疗药物及部分靶向药物可直接抑制造血干细胞和巨核系祖细胞的增殖，或通过损伤骨髓微环境导致“无效生成”；破坏增加则见于药物诱导的抗血小板抗体产生或免疫检查点抑制剂激活的T细胞攻击血小板；分布异常主要指某些药物引发肝窦损伤和门脉高压，导致血小板在脾内滞留与破坏增加。

■ CTIT的诊疗和未被满足的临床需求

当前CTIT的管理主要依赖血小板输注和促血小板生成药物（如rhTPO/IL-11），但临床仍存在未满足需求。第一，缺乏能够精准预测严重血小板减少风险的生物标志物，导致干预措施往往滞后于血小板的下降。第二，对于免疫检查点抑制剂所致的免疫性血小板减少症，约30%的患者在再次接受治疗后会出现复发。然而，现有促血小板生成药物对免疫性破坏机制的疗效有限，尚缺乏针对性的优化管理策略。第三，不同疗法（化疗、靶向治疗、免疫治疗）导致血小板减少的机制各异，当前治疗策略却较为同质化，亟需发展基于特定分子机制的个体化精准治疗。

■ 脐带血造血干细胞体外定向分化血小板技术作用机制

该技术以脐带血来源造血干细胞为起始原料，经体外分步定向诱导分化与规模化扩增，依次培育共同髓系祖细胞、巨核红系祖细胞、巨核系祖细胞，最终收获标准化成熟巨核细胞；将制备所得巨核细胞静脉输注至患者体内后，细胞可于血管内持续释放功能性血小板，有效提升外周血小板水平以治疗血小板减少类病症。



■ 巨核细胞治疗CTIT的代表性药物

血霖生物——XJ-MK-002

血霖生物的巨核细胞注射液在CTIT治疗领域已形成差异化竞争格局。其首个**同种异体巨核细胞注射液产品XJ-MK-002于2025年11月首次公示其I期临床，成为全球首个进入临床的巨核细胞产品**。XJ-MK-002通过单次输注脐带血来源的巨核细胞（血小板的前体细胞），利用体内血流剪切力自然分化为功能性血小板，实现快速、持续升板，并规避了传统药物起效慢及IL-11心脏毒性。目前，该产品已经获得了2项FDA授予的儿童罕见病（RPDD）和3项成人孤儿药ODD的认定。针对CTIT适应症，血霖生物还研发了**自体巨核细胞注射液XJ-MK-001，该产品于2025年8月获FDA IND批准**。

来源：文献检索，公司官网，沙利文分析

干细胞临床应用分析——慢性阻塞性肺疾病

自体肺前体细胞凭借卓越的自我更新与多向分化潜能，能够有效修复受损的气道及肺泡上皮屏障，已成功应用于慢性阻塞性肺疾病的临床治疗。

慢性阻塞性肺疾病的定义与发病机制

慢性阻塞性肺疾病（COPD）是由长期暴露于有害颗粒或气体（如香烟烟雾、空气污染、职业粉尘）引起的肺部进行性疾病，是一种常见的、可预防和治疗慢性气道疾病。其特征是持续存在的气流受限和呼吸系统症状，通常与显著暴露于有害颗粒或气体有关，导致气道和（或）肺泡异常，主要包括慢性支气管炎和肺气肿两种病理改变。COPD的发病机制尚未完全明确，氧化应激、炎症反应、蛋白酶/抗蛋白酶失衡等多种因素导致组织重构，进而发生慢性呼吸系统症状和气流受限。近年的研究表明，自身免疫调控机制、遗传危险因素以及肺发育相关因素也可能在慢阻肺的发生、发展中起到重要作用。



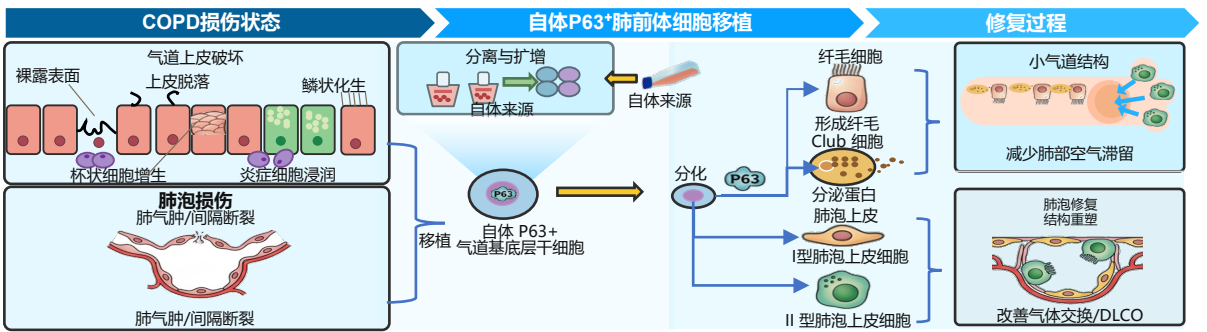
COPD的诊疗和未被满足的临床需求

当前COPD的诊疗主要依赖支气管扩张剂（LABA/LAMA）、吸入糖皮质激素（ICS）及三联吸入治疗，辅以肺康复、长期氧疗等措施，但临床仍存在显著未满足需求。第一，缺乏能够精准预测疾病进展和严重急性加重风险的生物标志物，导致多数患者确诊时已出现不可逆肺损伤，干预措施往往滞后于疾病进程。第二，现有治疗主要缓解症状和减少急性加重，无法有效逆转气道重塑和肺泡破坏，对于重度及频繁加重患者仍缺乏肺组织再生修复手段。第三，不同病理表型（肺气肿型、慢性支气管炎等）和急性加重类型的发病机制差异显著，当前治疗策略主要针对慢性支气管炎，对于肺气肿型的COPD几乎无药可治，损伤的小气道和肺泡结构无法被修复，亟需基于再生机制的创新型治疗手段。

自体肺前体细胞疗法

自体肺前体细胞（P63⁺气道基层干细胞）疗法治疗慢性阻塞性肺疾病的核心原理在于修复和重建受损的小气道及肺泡结构。该疗法通过纤维支气管镜从患者自身支气管基层刷检获取P63⁺肺前体细胞，经GMP条件下体外无饲养层扩增培养后，再经支气管镜精准回输至损伤肺区。移植后的细胞可定植于受损部位，发挥自我更新和多向分化潜能，分化为纤毛上皮细胞、Club细胞等多种功能性上皮细胞，从而重建小气道和肺泡结构，减少肺部空气滞留，同时改善肺脏气体交换功能。

图：自体肺前体细胞治疗COPD机制



干细胞疗法在COPD的代表性药物

吉美瑞生 —— REGEN001

产品介绍

全球首创的自体肺前体细胞疗法

REGEN001是全球首创自体肺前体细胞疗法。该产品通过纤维支气管镜从患者自身支气管基层刷检获取P63⁺肺前体细胞，经GMP体外扩增培养，再回输至肺部损伤区域。移植细胞可分化为气道和肺泡上皮细胞，重建上皮屏障，修复小气道和肺泡损伤，最终减少肺部空气滞留，也提升肺部的气体交换能力。

研发情况

最新进展

针对IPF和COPD的II期临床试验已分别于2025年6月和10月完成全部患者随访并公布积极数据。基于此，针对COPD的III期确证性临床试验已于2026年5月召开启动会，标志着该疗法向上市迈出关键一步。

临床数据

- 安全性：**治疗组与对照组总体不良事件发生率相当，未观察到与细胞治疗相关的严重不良事件；
- 有效性：**肺弥散功能（DLCO）在治疗组表现出持续且显著的提升，DLCO改善从第4周开始显现，24周达峰并稳定持续至52周。肺泡容积同步显著增加，通过CT三维重建首次观察到治疗组功能性肺容积增加及肺气肿区域得到部分修复。患者生活质量改善显著优于对照组。

来源：文献检索，公司官网，沙利文分析

干细胞临床应用分析——慢性牙周炎

慢性牙周炎由各类牙周刺激长期迁延发展，最终造成骨缺损、牙齿脱落；现有疗法存在易复发、骨再生难等痛点，干细胞疗法为牙周组织修复、功能重建提供全新思路。

慢性牙周炎的概览和机制

慢性牙周炎是局部刺激因素引发的牙周支持组织慢性炎症，早期牙龈炎若未及时干预，炎症会持续侵袭牙周深层组织，破坏牙周膜、牙槽骨与牙骨质，引发不可逆组织损伤，甚至造成牙齿松动脱落，且该病与糖尿病、心血管疾病、恶性肿瘤等全身性疾病密切相关，危害全身健康。该病由口腔菌群失衡、宿主免疫应答、遗传及环境因素共同诱发，牙龈卟啉单胞菌等致病菌形成菌斑生物膜并释放毒素，刺激机体分泌大量TNF- α 、IL-1 β 促炎因子，放大炎症级联反应并加快牙槽骨吸收，而IL-1基因多态性、营养不良等因素会进一步提升发病风险。



全球患病率~15/100人

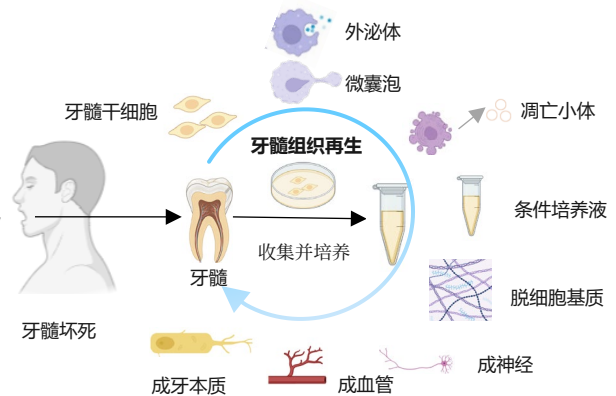
慢性牙周炎的诊疗现状与未满足需求

当前慢性牙周炎临床主要依靠机械清创与牙周外科手术治疗，基础采用龈上洁治、龈下刮治及根面平整（SRP）控制菌斑炎症，重症患者可通过翻瓣术、再生性手术（GBR/GTR）及牙釉基质衍生物（EMD）等术式延缓牙周组织缺损进展。但目前传统SRP对 $\geq 6\text{mm}$ 深牙周袋及重度骨缺损疗效有限，再生手术成功率偏低。同时现有方案存在创伤大的问题，外科手术需剥离牙龈，操作门槛较高，术后易肿痛；GTR、EMD再生耗材价格昂贵，中老年患者自身干细胞活力不足，疗效波动大、可预测性差，且EMD引进受限、临床证据不足。各类疗法效果受个人骨条件、口腔护理影响，个体差异明显。目前临床仍存在明显缺口并依赖手术，缺少微创、便捷、安全、可完整重建牙周支持组织的治疗手段。

牙髓干细胞（DPSCs）疗法

牙髓干细胞（DPSCs）是优质牙源性MSCs，具备稳定自我更新与多向分化潜能，可分化成骨、牙周膜、内皮等修复所需功能细胞，是牙周组织再生理想种子细胞。相比于传统手段，现代再生医学通过深入解析其机制，发现DPSCs不仅通过定向分化参与修复，更主要通过分泌外泌体、微囊泡等胞外囊泡发挥强大的旁分泌效应，向受体细胞传递miRNA与细胞因子等生物信号，有效调控局部炎症微环境。在此基础上，相关研究进一步探索了将胞外囊泡释放的旁分泌信号与脱细胞基质（dECM）支架相结合的联合策略：前者提供生物信号引导，后者提供物理支撑与化学诱导线索，具有促进成牙本质、成血管分化和神经方面的应用潜力。这种方法取材无创、低免疫原性，DPSCs能同步抗炎、修复牙槽骨与牙周韧带，实现微创完整牙周功能再生，弥补传统牙周手术创伤大、再生效果差的临床短板。

图：牙齿MSCs旁分泌效应分化示意图



三有利和泽生物——异体人牙髓MSCs注射液（hDP-MSCs）

产品介绍

本品为自研牙源性干细胞创新药，提取于健康牙髓组织，药品规格 1×10^7 细胞/0.6mL/支，针对中重度牙周炎。

依托免疫调节+组织再生双重机制，局部微创注射给药。对比骨髓、牙周膜干细胞，DPSCs来源充足、增殖能力强、易分离、成药性佳；异体使用免疫原性低，可同步抑制牙周炎症、修复缺损牙槽骨，解决传统治疗无法实现牙周组织再生而手术再生创伤大的临床痛点。

研发情况

核心管线有望成为中国第一个牙源性MSCs药物。

一代牙髓干细胞管线已完成II期临床试验，全部204例受试者随访完成，现阶段开展完整临床数据汇总分析，产品预计2-3年提交上市申请。

二代基因修饰EMSC干细胞管线已完成多适应症动物药效研究，同步在中美欧布局PCT专利，持续夯实管线长期技术壁垒。

临床效果数据

I期临床+IIT研究：

入组III期重度牙周炎，AL $\geq 5\text{mm}$ ：给药180天牙周袋深度平均改善1.81mm，骨修复指标显著优于对照组。

II期临床：

骨缺损 $\geq 3\text{mm}$ 患者：单次给药360天骨缺损改善1.132mm，可长效促骨再生、延缓牙齿脱落。

来源：文献检索，公司官网，沙利文分析

-
-
-
-
-
-

第七章

干细胞产品研发/ 生产技术分析



07

干细胞制剂生产流程

干细胞制剂生产涵盖供者筛选、组织采集、细胞分离与扩增、质量检定及低温冻存等步骤。与传统生物药品不同，干细胞作为活体材料，供体差异大，工艺直接决定疗效，且面临供应链复杂等挑战。

■ 干细胞制剂生产流程

干细胞制剂的生产始于严格的供者筛查，确保细胞来源的安全性，随后进行组织采集与运输。获取的组织经分离与纯化、及原代培养后，通过细胞鉴定与表征确认其身份与质量，进而构建由主细胞库（MCB）和工作细胞库（WCB）组成的细胞库体系，或仅以MCB直接供生产使用，为生产提供均一、稳定的起始物料。生产时，从细胞库中细胞复苏，在符合GMP要求的封闭式自动化平台上进行工艺放大，实现规模化扩增。收获细胞后经收获与洗涤，进入制剂制备环节。最终，产品需通过全面的质量检查，确认细胞活性、表型、生物学效力、分化潜能及微生物安全等指标合格后方可放行，并通过经验证确认的储存与运输方式将成品安全送达临床使用点。

图：干细胞制剂生产流程



■ 干细胞制剂与传统生物药品的差异

干细胞制剂与传统药品的四大差异：1) 活体材料致非均一性；2) “过程即产品”，工艺难以简单放大；3) 自体成本高，异体产品存在潜在免疫原性与输注不良反应风险；4) 活细胞难长期储存，供应链复杂。

图：干细胞制剂与传统生物药品的差异

维度	干细胞制剂	传统生物药品
原材料	骨髓、脐带、脂肪等不同组织来源的细胞原材料在基因表达与功能上差异明显；同时，供者的年龄、性别、BMI及健康状况等个体因素，也会直接影响细胞的质量、形态与分化潜能。	原材料通常是化学成分明确或可高度纯化的分子，通过标准化工艺生产，批间一致性高。
生产过程	培养基成分、生长因子及培养技术的细微差异，均会影响制剂最终效果，难以通过简单放大来实现规模化生产。	工艺相对成熟，经过充分验证。工艺与最终产品的结构和功能关联明确，放大生产的工程学问题已较好解决。
生产规模	自体疗法需为每个患者独立生产，导致成本高昂、生产周期长，无法实现规模效应；通用疗法虽可实现规模化生产，但面临免疫排斥等障碍。	通过大型、集中的工业化生产实现规模化。产品可大批量生产、质控后用于大量患者，成本随产量增加而大幅降低。
保质期	制剂需置于 - 196℃液氮等超低温环境储存，以长期维持细胞活力；产品制备阶段采用专用冻存保护液配方，并通过程序降温设备完成可控速率冻存；成品运输需使用专用液氮转运罐，配套全程不间断温度监控，整体供应链管控要求复杂。	分子结构相对稳定，通常可制成冻干粉针或液体剂型，在 2-8℃或更低温度下即可实现长期稳定的储存与运输。

来源：文献检索，公开资料，沙利文分析

干细胞规模化制备

■ 干细胞制备

干细胞制备是指从特定的人体组织或细胞来源中，分离、纯化并获得目的干细胞，随后在严格的体外条件下进行扩增、操作，最终制成符合临床应用或研究标准的干细胞制剂的全过程。

■ 干细胞制备流程

干细胞制备的核心步骤通常包括：（1）供者筛查与组织采集：对供者开展病原体、传染病及遗传病史全面筛查，排除肿瘤、自身免疫疾病等高风险个体，从源头保障组织原料安全；采集脐带、脂肪、骨髓等目标组织。（2）原代细胞分离与培养：采用对应类型胶原酶消化组织，或密度梯度离心分离干细胞；完成分离后进行贴壁原代培养，未经过传代的初代细胞统一记为P0代。（3）细胞扩增、传代与细胞库构建：使用细胞培养瓶、多层细胞工厂进行逐级传代扩增；行业常规在P1代建立主细胞库（MCB），复苏主库细胞扩增至P2–P3代制备工作细胞库（WCB）。建库阶段需完成全项质量检定：检测CD73、CD90、CD105等特异性表面标志物阳性率，同时验证干细胞成骨、成脂、成软骨三系分化潜能。（4）规模化生产：异体通用型现货干细胞制剂的生产通常需要较大的产能规模，在此类产品的工业化生产中，以搅拌式生物反应器搭配微载体进行三维悬浮扩增是目前应用较为广泛的技术路线之一。（5）细胞收获与制剂制备、低温保存：收集足量合格细胞，搭配人血白蛋白、缓冲盐等药用辅料配制成品制剂；根据临床使用需求选择新鲜给药或程序降温冻存，冻存体系以DMSO复合保护液为主，长期液氮储存。（6）全流程质量控制与批次放行：质控覆盖从供体、细胞库、中间扩增细胞至终制剂全环节；放行检测包含细胞鉴别、活细胞率、细胞纯度、内外源微生物限度、干细胞功能特性、致瘤性安全性评价，保障不同生产批次产品质量稳定、临床使用安全。



华愈生物——细胞全流程规模化智造及技术服务平台

- 全流程智造：**华愈生物以原创的3D细胞智造平台为核心，贯穿干细胞产品生产的全流程，其核心工艺覆盖了从细胞分离培养到最终制剂灌装的关键环节。在扩增阶段，公司自主研发的3D TableTrix®可降解微载体技术，结合3D FloTrix®系列生物反应器及配套培养基，配合特异性降解技术，能够在收获环节完整保护细胞活性与功能。在生产制备的末端环节，3D FloTrix®系列设备覆盖细胞收获、清洗、制剂灌装等下游工艺，实现了从扩增到灌装的全流程自动化、封闭式生产管线。
- 规模化产能——“百/千亿细胞智造一站式解决方案”：**该方案在维持MSCs高活性同时，单批次即可完成百亿至千亿量级细胞收获，成功助力了中国首款干细胞药物上市。
- 3D微载体技术：**其3D TableTrix®微载体的独特片剂形式，可即开即用，遇水即分散为数万颗粒弹性三维多孔微载体，孔隙率超90%，为细胞提供了仿生的3D生长环境。2025年底，华愈生物进一步推出基于基因工程重组胶原蛋白的3D RecomTrix®重组胶原微载体百亿级工艺，以应对全球更严格的监管趋势。
- 细胞收获：**针对收获与洗涤环节的细胞损伤痛点，华愈生物开发了温和、可降解的细胞收获技术。通过特异性降解技术，可在不损伤细胞的前提下，将微载体完全降解成可溶性成分，令细胞与微载体完全分离，确保收获的细胞具有高活性和高质量。
- 一站式3D细胞工艺新药IND注册申报技术服务：**提供从早期工艺开发到规模化制备，从药学研究到IND注册申报的全生命周期技术服务，覆盖MSCs、外泌体、iPSCs、iMSCs等多种细胞治疗产品。公司具备工艺开发、生产制备、质量研究、非临床与临床资料撰写、pre-IND/IND申报及生物医学新技术备案等一体化能力，并可提供GMP厂房设计与设施验证指导。

来源：文献检索，公司资料，沙利文分析

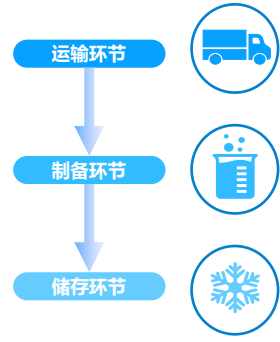
干细胞储存

■ 干细胞储存

干细胞储存，是指通过专用的细胞分离技术从血液或其他组织样本中提取特定类型的干细胞，利用深低温技术对细胞进行长期冻存，使细胞处于休眠状态并保持活性，以便在日后将细胞进行复苏并投入到下游的研究及临床应用中。通俗来说，干细胞储存可以理解为一份“生命保险”——在年轻健康时将自身或新生儿来源的干细胞存储起来，以备将来可能发生的疾病治疗之需。

■ 干细胞储存环节

干细胞储存通常包含以下核心环节：（1）健康调查与签约：客户可能需提供三甲医院出具的常规体检报告及专项病原体筛查报告，确保细胞来源的安全性。各项指标合格后，与细胞库签订储存协议，并预约采集时间。（2）无菌采集与冷链运输：样本采集完成后，通过专用运输箱（保持0-4℃）在24小时内运送至干细胞库，全程冷链保障细胞活性。（3）细胞制备（分离与纯化）：对样本进行二次检测，根据标准操作规程，通过密度梯度离心等方法从组织样本中分离、提纯高活性的干细胞。（4）安全检测：提取的干细胞需经过全面的质量检测，包括有核细胞计数、血型检测、需氧菌检测，以及艾滋病毒、肝炎、梅毒等病原体检测。若发现细菌污染等问题，需进行独立复检，确认不达标则无法保存。（5）深低温冻存：将经制备的细胞加入冻存保护剂（如DMSO），通过程序性降温后储存于-196℃的液氮中。所有检测合格后，记录建档，经质量管理部门审核放行，正式入库。（6）出具报告与定期监测：通常入库后会向客户出具细胞储存报告，并定期提供细胞质量监测报告。



■ 干细胞储存类型

目前市场上可储存的干细胞有以下几种类型：

MSCs

可从脐带/胎盘、脂肪、骨髓等组织中分离获得，在特定条件下可分化为骨、软骨、脂肪、神经、心肌等多种组织细胞。主要应用于组织器官修复与免疫调节。应用覆盖神经、免疫、泌尿生殖、内分泌、呼吸、心血管、消化及运动等人体多系统。

HSCs

在临床上可治疗多种血液系统疾病，包括急性白血病、慢性白血病、再生障碍性贫血、地中海贫血、多发性骨髓瘤等。

iPSCs

可定向分化为心肌细胞、神经细胞、胰岛细胞等人体组织细胞，应用覆盖神经、心血管、内分泌、消化等多个系统。

华域生物 —— 细胞全产业链一站式服务平台

- **细胞资源储存：**华域生物已建设完成符合GMP标准及人类遗传资源管理条例的生物细胞资源存储基地16个，总面积逾100,000㎡。公司自主研发的SinoLife免疫细胞资源存储体系，拥有PBMC自动化冻存体系、高纯度免疫细胞制备体系及符合中检院标准的细胞制备体系三大核心竞争力。公司提供全面的细胞存储方案，包括肿瘤病人PBMC存储、成人PBMC免疫细胞存储、新生儿围产组织存储、动物PBMC存储，以及血液类疾病患者造血干细胞存储等多种类型细胞的冻存服务，拥有完整冻存工艺和自动化存储体系。
- **CDMO：**华域生物的CDMO平台围绕细胞治疗产品的全周期开发，构建由六大核心能力支撑的一站式服务体系。该平台不仅以专业化的研发与合规化的生产设施为基础，更通过标准化的质量管理体系、经过验证的实战型申报经验以及广泛的市场化合作网络，为客户提供从早期工艺开发、临床生产到最终注册申报的全链条整合解决方案。
- **细胞培养技术服务：**华域生物布局了功能性种源筛选，并开发了外周血、成纤维细胞来源的iPSCs制备工艺，布局了外泌体生产和应用转化领域。
- **干细胞治疗药品申报：**拥有丰富的细胞药品研发/申报经验及医疗资源。

博雅生命 —— 细胞科技全产业链服务

- **全链条质量管理体系，实现全流程数据可追溯：**公司拥有AABB、NRL及CAP三重国际认证，通过ISO9001、ICCBBA等国内外权威认证；公司构建符合药品生产质量规范的全流程生产识别与追溯系统，实现从细胞来源到终端应用的双向可追溯。
- **细胞储存：**博雅干细胞专注于细胞储存与健康管理，打造了高标准、自动化的临床级细胞资源库和细胞制造中心，处于干细胞储存第一梯队（市占率32%），在无锡、北京、天津、深圳、青岛拥有5大基地，超10,000㎡的GMP实验室，并连续14年获得AABB国际认证。博雅专注于新生儿围产期干细胞存储、免疫细胞储存、成人干细胞储存及成人免疫细胞存储。存储服务包括样本采集、冷链运输、国际标准检测、专利细胞制备、长期储存等；并搭建了家庭私人定制式细胞资产管理及健康管理平台，提供包括家庭生物资产与健康报告数字化档案、细胞技术服务等服务。
- **细胞自动化医疗器械：**为细胞治疗市场提供丰富的细胞分离、处理、冻存自动化设备，以及临床级自动化医疗器械。帮助细胞治疗科技更好更快地实现临床转化。
- **细胞产品开发与产业化应用：**针对胎盘来源干细胞、脐带来源干细胞、外泌体药物及免疫细胞进行多管线药物研发及临床实践与开发。包含了干细胞多种退行性疾病，多种免疫系统疾病的临床研究；以及自体骨髓浓缩物治疗运动损伤、女性抗衰老、血管类疾病及肝硬化等器质性损伤等疾病的研究与临床合作。
- **干细胞外泌体技术平台：**其外泌体原料已获得美国FDA DMF药物原料及国际化妆品INCI成分双备案。

来源：文献检索，公司资料，沙利文分析

干细胞自动化生产

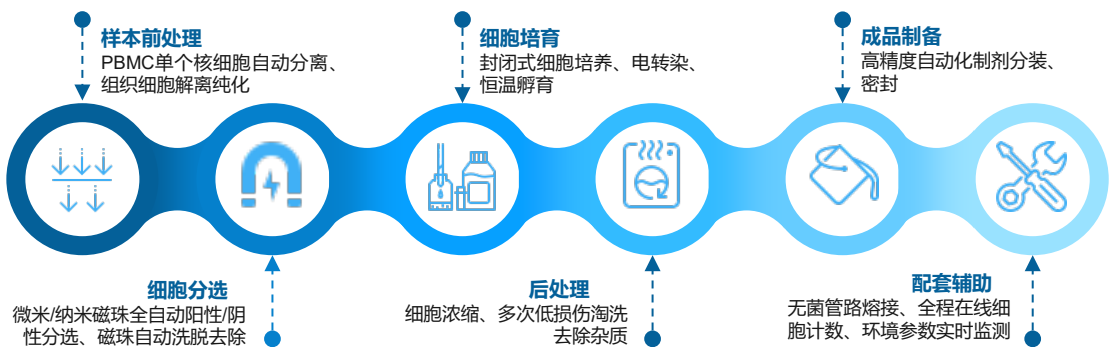
■ 干细胞生产自动化

干细胞生产自动化，指依托专用一体化细胞处理设备、一次性密闭无菌耗材与标准化程控软件，替代人工操作完成干细胞从原料处理到成品制剂的整套制备流程。整套系统为模块化集成设计，无需操作人员反复开盖转移细胞样本，依靠管路、泵体、温控、离心、分选模块联动运行，设备内置预设细胞工艺程序，全程自动完成流体输送、细胞孵育、清洗、浓缩、分装等动作，仅需少量人员完成前期耗材装配与后期样本录入，实现细胞制备流程标准化、程序化运行。

随着干细胞药物进入商业化阶段，传统的干细胞生产以人工操作和开放式的细胞工厂为主，可能存在人力成本高、易污染、单批次产量低、批次间质量不稳定等局限，较难以满足商业化对质量一致性和产能规模的要求。而自动化通过全封闭系统杜绝污染，通过标准化流程确保批次间一致性，通过减少人工干预大幅提升效率，并通过数字化系统实现全过程数据可追溯，满足FDA和NMPA的GMP合规要求，行业面向自动化、密闭化生产线转型可能成为未来一大发展趋势。

■ 干细胞全流程可自动化的生产环节

当前自动化技术可完整覆盖干细胞工业化制备全链条，对应工艺节点全部实现机器替代人工：



■ 干细胞自动化生产优势

自动化细胞制备系统是当前干细胞产业化合规生产的一种主流标准化方案，其具备多维度行业通用核心优势：（1）降低人工依赖：标准化自动化设备可削减很多人工操作工作量，规避人工操作手法差异引发的操作偏差，有效降低批次报废、工艺失败风险；（2）产品质量高度均一稳定：依托统一程控标准化工艺消除人为操作变量，精准控制分装体积、细胞浓度等关键指标，细胞处理前后活性损耗较低，保障不同批次产品一致性；（3）压缩厂房与运营硬件成本：全封闭一体化生产体系可在C级洁净环境完成全部制备工序，能大幅缩减洁净厂房建设面积，长期降低厂房基建、环境运维综合投入；（4）提升生产全过程生物安全性：整套流程采用一次性密闭无菌耗材，细胞样本全程隔绝外部开放环境，从源头降低细菌、真菌等外源微生物污染风险；（5）产能适配多场景灵活可调：模块化设备架构可灵活切换生产规模，既能满足自体干细胞小批量定制制备需求，也可搭建连续流产线实现异体干细胞规模化批量生产。

赛桥生物 —— 细胞治疗工艺装备自动化

- 细胞制备、细胞处理：**赛桥生物布局了Gentle Flex系列，多功能全封闭自动化细胞处理系统，支持PBMC分离、磁珠孵育、病毒转导、细胞收获与制剂分装等操作，可针对不同的细胞类型进行多种细胞处理；Gentle Flex Pro系列，高通量版本，针对实体瘤及通用型细胞治疗产品，支持大体积细胞浓缩清洗及分装制剂，单次处理细胞量可达4E10 T细胞；CellFAB One系列，为集成化全自动细胞制备系统，在Gentle Flex Pro基础上通过模块化组合集成PBMC分离、细胞激活、病毒转导、细胞培养、细胞收获、制剂分装以及微米/纳米磁珠分选与去除等多种功能于一体的全流程细胞处理系统。
- 细胞分选：**赛桥生物布局了Gentle n-MagS®，为纳米磁珠全自动分选系统，配套一次性无菌密闭耗材，实现纳米磁珠标记细胞的全自动化分选；Gentle m-MagS为微米磁珠全自动分选系统，实现微米磁珠标记细胞的分选及去除，连续流处理无体积限制，分选纯度≥80%，磁珠分选样本处理时间仅10-15分钟，磁珠去除工艺时长约10-15分钟。
- 细胞扩增：**赛桥生物布局了Gentle Exp，为全封闭自动化细胞扩增系统，采用特殊设计的摆动平台，通过控制摇摆速度、角度、气体流量、pH、DO、温度及CO₂/O₂浓度等参数提供良好培养环境，支持10L/20L/50L不同规格托盘快速更换，工作体积灵活覆盖400mL至25L，适用于从小试研发到中试及生产的全部阶段。
- 制剂灌装与辅助设备：**赛桥生物布局了Gentle P-Pac高精度自动分装系统，可实现高精度流量感知，可实现连续200袋分装，低温控制保持细胞活率下降小于5%；Gentle P-Pac Pro，为全球首款可扩展式全封闭分装工作站，可扩展至千袋规模，AI控制制剂精度可达±0.2mL，T细胞灌装均一性≤5%。两款产品分别满足小批量高精度与大规模高通量的分装需求。还有一系列辅助设备包括：手持式热合仪、自动转液仪及无菌接管机等产品。

来源：文献检索，公司资料，沙利文分析

质量控制

■ 干细胞疗法质量控制

干细胞活细胞产品具备来源多样、工艺复杂、体外活性易波动的独有特性，行业需围绕细胞生物学属性、全流程安全性、临床生物学效力三大核心维度搭建专项质量研究与全生命周期管控体系；行业核心质量体系壁垒集中体现为覆盖“人、机、料、法、环”的完整合规框架：企业需配置具备细胞专业资质的高素质生产与质控科研人员，配套高精度细胞制备、检测精密设备，建立全溯源机制保障细胞原料、原辅耗材来源合规可追溯，落地标准化、可审计的细胞分离扩增制备工艺并严格遵循细胞治疗专项质控规范，全部生产操作需在符合 GMP 分级洁净标准的受控环境内开展，以此稳定批次质量、规避活细胞生产安全风险。

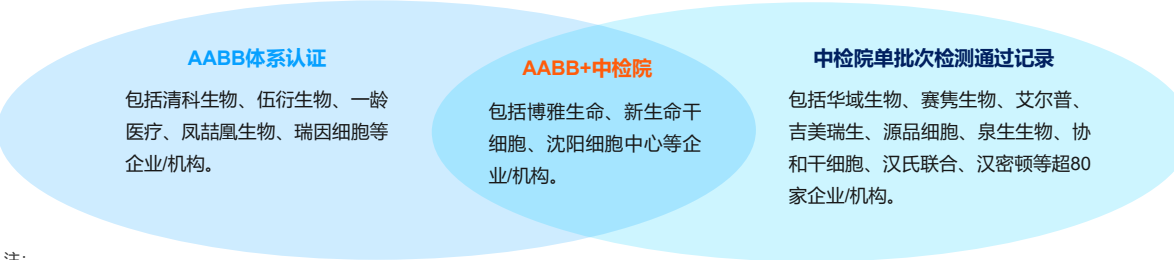
■ 质量控制相关要求

2025年1月13日，国家药监局核查中心发布《细胞治疗产品生产检查指南》，针对NMPA监管的细胞治疗药品企业明确GMP硬性规范，要求企业搭建覆盖细胞采集、加工、保存、运输、出厂全环节质量管理体系，所有操作全程留痕、数据实时记录，每批次产品建立包含原材料、生产工艺、全套检测、出厂记录的完整追溯链条，从生产端管控质量偏差与安全隐患；2026年1月30日，CDE专项发布《细胞治疗药品药学变更研究与评价技术指导原则（试行）》，针对细胞治疗药品研发、临床试验、上市后全生命周期各类药学变更，明确可比性试验技术要求与变更档案全周期追溯留存规范；同年5月15日CDE配套发布通用类文件《生物制品变更受理审查指南（试行）》，统一全部生物制品变更补充申请的申报资料形式审查标准。

■ 关键认证与质量管理体系

AABB体系 	• 血液与生物治疗促进协会AABB标准认证是细胞治疗行业公认的国际顶级权威金标准，认证覆盖细胞采集、制备、检测、储存、发放至临床应用全流程；标准每两年更新一轮，机构每两年完成一次现场复审，持续保障细胞治疗产品的质量与安全。
NRL/CAP 	• NRL：旨在确认实验室在病毒诊断与检测方面的专业能力，确保细胞库内存储的样本不受血液传播病原体的污染，是保障生物样本安全性的关键环节。 • CAP：作为国际公认的临床实验室质量管理最高标准之一，CAP认证代表实验室的检测体系、操作流程与人员能力已全面达到国际规范要求，其结果与能力获得全球相关机构的高度信任与互认。
ISO9001质量体系 	• ISO9001质量管理体系是由国际标准化组织（ISO）制定的全球公认的质量管理框架，它规定了组织建立、实施、保持和持续改进质量管理体系的要求。 • 体系认证地位：ISO 9001是全球使用最广泛的质量管理体系标准。
中检院细胞质量 	• 中检院全称“中国食品药品检定研究院”，是国家药品监督管理局直属的法定检验与最高技术仲裁机构，承担着全国药品、生物制品及细胞制品的质量监督与检验工作。 • 检验报告地位：中检院出具的合规性复核报告，是国内细胞产品开展临床研究认可度最高的权威合规佐证。其检定结论既是企业生产工艺稳健、质量体系完备的国家级权威背书，也是细胞制剂达到临床级应用标准的核心客观依据。

图：AABB体系认证及中检院细胞质量检测单批次检测记录的代表企业



注：
1、AABB认证名录来源于AABB官网；
2、中检院无统一企业准入名录，80余家仅基于公开送检信息整理，单批次检测报告仅对应批次样品有效，不等同企业全流程体系合规。

来源：文献检索，公司资料，沙利文分析

核心技术挑战（一）

干细胞制剂生产的核心技术挑战包括：供者差异与起始物料控制；分离纯化中纯度与功能的平衡；体外扩增易致干性丢失；基因编辑的脱靶及毒性风险；制剂冻存的安全性；质量控制中效力检测难体内验证；以及规模化生产的时间窗口与批次一致性管理。

■ 原材料获取

干细胞制剂生产的原材料获取面临诸多核心技术挑战，但各方面正逐步得到克服。供者因年龄、遗传和健康状况差异较大，企业需依托产品研发数据积累，建立严格的供者筛查与批次放行标准，实现源头规范化管控。传染病窗口期常规血清学检测存在漏检风险，更为精准的多病原体核酸检测正被逐步推广。标准化采集液、冷链运输以及严格的时间窗口控制（如脐带血采集后处理时限 < 24小时），可有效缓解组织活性随放置时间衰减的问题。供者采集材料的数量有限，体外扩增培养工艺的开发需要兼顾扩增水平与传代过程可能干细胞生物学功效及干性降低的技术难题。此外，不同来源干细胞各有优劣势，其产品化方向也在不断探索与优化中，整体行业正从多重技术限制走向可控与标准化。

图：不同来源的干细胞适用性对比

来源	核心优势	核心挑战	解决方案与优化方向	适用细胞类型/产品方向
骨髓	临床应用历史悠久，技术成熟；含HSCs和MSCs等多种细胞类型	侵入性采集，供者痛苦大；细胞数量与质量随年龄下降；个体差异大	严格供者筛选；优化采集流程	HSCs移植（血液疾病）；骨髓MSCs（骨/软骨修复、免疫调节）
外周血	采集方便，供者接受度高；经动员后可富集大量HSCs	需动员剂（副作用）；动员效果个体差异大	优化动员方案；建立预判体系；标准化采集	HSCs移植（主流来源）
脐带血	产后离体采集无创伤；免疫原性低于骨髓/外周血HSCs，HLA配型耐受度高，GVHD风险低	单份CD34 ⁺ 细胞量有限，难以满足大体重成人；仍需HLA分型，错配过多仍存排斥风险	体外扩增；双份脐带血联合移植；公共/自体库建设	HSCs移植（儿童/体重较轻成人）；脐带血MSCs（探索中）；自体不适用于遗传血液病与先天性白血病
脐带组织	来源丰富，采集无创；MSC含量丰富，增殖能力强；免疫原性低	组织来源标准化程度不一；缺乏统一的质量标准	建立组织采集与处理标准；优化MSCs分离与扩增工艺	异体通用型MSCs（免疫调节、组织修复）
脂肪组织	来源丰富，获取微创（抽脂）；MSCs含量高，增殖能力强	个体差异较大；脂肪MSCs异质性较高	建立供者筛选标准；优化分离与培养工艺	自体/异体脂肪MSCs（软组织修复、抗炎、美容/再生医学）
胎盘组织	来源广泛，采集无创；MSC含量丰富；免疫原性低，增殖能力强	组织来源标准化程度不一；存在母体与胎儿细胞混合问题	建立组织采集与处理标准；优化细胞分离与纯化工艺	异体通用型MSCs（免疫调节、组织修复）
iPSCs	来源无限，可分化为几乎所有细胞类型；可自体移植；基因编辑便利	致瘤性风险；分化效率与成本；基因组稳定性问题	优化分化方案；完善质控；建立通用型iPSCs细胞系	自体/通用型iPSCs衍生细胞产品（神经、心肌、免疫细胞等）；药物筛选

■ 细胞分离与纯化

在干细胞制剂的生产过程中，细胞分离与纯化环节面临纯度与功能之间的核心权衡，技术路线根据起始原料形态分为两大体系：针对脐带血、骨髓等液态细胞悬液，主流采用密度梯度离心、免疫磁珠分选（MACS）、流式细胞分选（FACS）及微流控技术；针对脐带、脂肪、胎盘等固态 / 半固态实体组织，则需先经组织剥离、酶解离获得细胞悬液，再依托差速贴壁、定向培养基筛选完成纯化。两类路线各有其优势与局限。该环节的核心矛盾在于，追求高纯度往往容易造成细胞功能损伤、稀有功能亚群丢失——在CD34⁺细胞群中，真正具有长期重建能力的造血干细胞（LT-HSC）仅占约1%，而现有技术难以在保证纯度的同时精准区分这一功能亚群。

图：液态细胞悬液主流分离纯化技术对比

 密度梯度离心 - 原理：基于细胞密度、大小的差异，在离心力的作用下不同细胞会分层分离。 - 优势：操作简便、成本低 - 劣势：纯度低，对细胞有损伤	 免疫磁珠分选 (MACS) - 原理：通过偶联磁珠的抗CD34抗体标记细胞，利用磁场分离CD34⁺细胞。 - 优势：纯度高，达90%、成本低于FACS、临床主流技术 - 劣势：可能改变细胞表面标志物表达	 流式细胞分选 (FACS) - 原理：荧光标记抗体特异性识别细胞后，仪器根据预设参数对单个细胞识别并充电偏转至收集管，实现多参数高精度分选。 - 优势：纯度最高 - 劣势：分选速度慢，存在剪切损伤	 微流控技术 - 原理：在微米尺度的芯片通道中，利用细胞间物理或生物特性的差异，通过电磁场等外力实现精确操控和分离。 - 优势：高通量、对细胞损伤小 - 劣势：规模化困难
---	--	--	--

来源：文献检索，公开资料，沙利文分析

核心技术挑战（二）

■ 体外培养与扩增

干细胞临床级生产需在细胞数量、质量与cGMP合规性之间取得平衡。传统平面培养技术成熟、操作简便，适用于小规模研究和早期工艺开发，但其空间利用率低、难以满足商业化规模的产能需求，且批次间一致性控制面临挑战。为突破这一瓶颈，行业正逐步转向三维规模化培养体系：搅拌悬浮生物反应器可放大性最强、参数控制精确，适用于超大规模生产，但需优化搅拌桨叶设计以降低剪切力对细胞的损伤；固定床生物反应器具备低剪切力环境、支持灌流培养，便于贴壁细胞扩增，但内部可能存在营养梯度，高密度培养时需关注坏死核心风险；中空纤维系统可实现全自动化、封闭式高产量扩增，有助于满足批次间一致性的严格要求。在扩增过程中，常需根据细胞类型添加相应的细胞因子、小分子化合物或基质信号以支持细胞干性与增殖效率。

干细胞体外扩增面临的核心矛盾是扩增倍数提升常伴随干性（自我更新能力）下降，具体表现包括，但不限于：自发分化倾向增强、归巢能力降低、干细胞表面标志物表达改变、细胞因子分泌谱偏移、生物学效力衰减。为此，培养工程需应对多重挑战：溶解氧需精确控制——5%生理性低氧更适合原代干细胞长期扩增，可稳定维持细胞未分化状态与干性基因表达；实验室常规21%大气常氧环境易诱发氧化应激，加快干细胞定向分化进程；干细胞对剪切力高度敏感，机械损伤会影响细胞活力与功能；大规模培养中还面临营养物梯度问题，即空间异质性导致的微环境差异，进而影响细胞质量一致性。

图：细胞扩增的主要添加物

名称	机制
细胞因子组合	提供干细胞存活、增殖和分化所必需的生长信号，是各类干细胞体外培养的基础支撑
小分子化合物	通过靶向调控特定信号通路（如PI3K/AKT），精确调节干细胞自我更新与分化平衡，替代部分传统细胞因子功能
小分子添加剂	作为各类干细胞（ESCs、MSCs、HSCs等）培养体系中的辅助成分，用于维持干细胞未分化状态、防止自发分化

■ 体外培养技术

细胞培养技术的发展，是一条从经验型实验室摸索向标准化工业智能制造演进的系统性升级路径。早期行业逐步摆脱动物血清与异种饲养层依赖，工艺由经典经验型2D贴壁培养，逐步发展至无饲养层、化学成分限定的2D体系，最终搭建全定义、无异种的2D扩增培养平台，从根源消除异种源污染带来的生物安全隐患。

随着基础研究与临床转化需求持续提升，产业沿多条互补技术路线同步升级，各类技术协同配套、不存在单向替代关系：为改善二维培养体系生物学失真、提升空间利用效率，合成水凝胶等材料被用于开发3D仿生、类器官培养体系，该技术现阶段仍以研发探索为主；针对静态3D培养营养扩散受限、量产能力不足的痛点，微载体悬浮培养、搅拌式生物反应器等工程化放大工艺落地应用，支撑活细胞多批次大规模工业化扩增；在此基础上，为降低人工干预带来的无菌风险与批次质量差异，搭载自动化机器人的全封闭流体智能制造产线逐步落地，将活细胞药物生产推向高通量、高度标准化、批次质量相对均一的现代化生物工厂模式。

图：细胞体外培养技术发展时间线与多技术分支演进



来源：文献检索，公开资料，沙利文分析

核心技术挑战（三）

■ 基因修饰与编辑

在干细胞制剂生产中，基因修饰与编辑是实现治疗性基因改造的核心环节，其递送技术主要分为病毒载体与非病毒方法两大类。病毒载体中，慢病毒已成为临床主流，可高效转导静息期造血干细胞并实现稳定整合，已有多个基于慢病毒的离体基因治疗产品获得FDA批准。逆转录病毒虽转导效率较高，但因依赖细胞分裂、且存在插入性致癌风险，临床应用已减少。非病毒递送方面，电穿孔应用最为广泛，可通过物理方式将CRISPR核糖核蛋白复合物等大分子直接导入细胞，但易造成明显细胞损伤与活性下降。此外，脂质纳米颗粒（LNP）、病毒样颗粒（VLP）等新兴递送策略正快速发展，旨在实现更高精度、更低毒性的基因编辑器递送，为下一代安全型工程化干细胞提供技术支撑。

■ 制剂与冻存

在干细胞制剂的开发与应用中，制剂与冻存技术是保障细胞活性、实现产品标准化和长期供应的关键环节。其中，制剂形式与冻存保护剂的选择是最核心的两大要素。

制剂形式主要分为新鲜制剂与冷冻制剂：新鲜制剂细胞活性最优，但储存窗口期短，仅适用于即采即用场景；冷冻制剂可超低温长期保藏，便于规模化生产与长途运输，为干细胞产业化主流形态。

冻存保护剂分为三类：传统高浓度DMSO体系保护效果稳定、应用广泛，但存在细胞毒性；低浓度DMSO复合体系搭配海藻糖、蛋白保护剂使用，可有效降低毒性；无DMSO新型配方完全不含二甲基亚砜，临床安全性更佳，为行业研发升级方向。

■ 质量控制

干细胞制剂作为“活细胞药物”，需对其身份、纯度、效力、安全性及基因组稳定性等关键指标进行全面检验。其生产必须遵循全流程质量管理与风险控制原则，核心在于确保产品的安全性、有效性及批间一致性。质量要求覆盖从供者材料采集到成品放行的全过程，强调对生物材料的严格管控。目前在效力检测方面，各类方法仍面临挑战。体外CFU试验与体内长期重建的关联性受限于实验室间标准化程度，且无法对终产品进行破坏性体内验证。为此，新兴策略如单细胞测序可用于预测干细胞干性，AI模型则能够整合多参数进行综合评估，帮助实现效力检测的标准化。

图：基因编辑面临的挑战



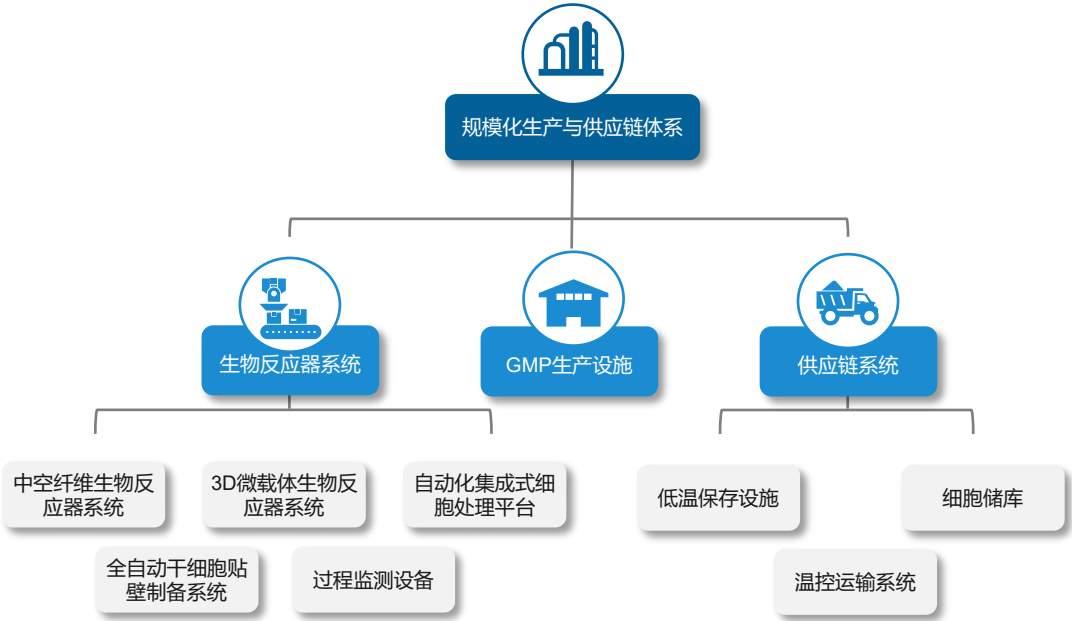
质量指标	目的	主要检测内容
身份	确认细胞来源、类型及遗传背景	STR分型检测（对比供体原始细胞）、细胞形态学、表面标志物检测
纯度	目标细胞的比例及工艺相关杂质/残留物的控制	细胞活性检测、表面标志物检测、残留载体/质粒检测、有毒有害物质残留检测
效力	细胞发挥预期治疗效应的生物学活性	分化潜能检测（三系分化能力）、特定功能验证（免疫调节能力）、生物学活性标志物检测
安全性	无污染、无成瘤/致癌风险、无异常免疫反应	微生物检测（细菌/真菌培养、支原体、内毒素）、病毒筛查（如HIV、HBV、HCV等）、iPSCs未分化细胞残留检测、成瘤性检测（免疫缺陷小鼠畸胎瘤试验）、致瘤性检测（细胞突变增殖风险评估）、细胞活性
基因组稳定性	染色体结构和数目正常，无致突变风险	染色体检查、端粒酶活性检测、必要时进行全基因组测序

来源：文献检索，公开资料，沙利文分析

核心技术挑战（四）

■ 规模化生产与供应链

干细胞制剂的规模化生产与供应链体系，已从传统的手工操作向全封闭、自动化、智能化的“细胞工厂”模式演进。干细胞制剂在供应链方面具有明显特殊性：供者原始生物材料均来源于医疗机构；其中自体（患者特异性）细胞制剂需采用双向物流（采集→生产→回输）且样本处理时间窗口紧张，而现货型通用细胞制剂则需长期超低温库存管控、完整批次管理并严格执行先进先出原则。以上全链条环节均需要企业与医疗机构开展密切的沟通协同，覆盖工艺技术、现场操作两大维度。



■ 全生命周期风险管理

干细胞制剂的全生命周期风险管理需聚焦三大核心风险：致瘤性、免疫原性与批次间一致性。致瘤性源于未分化细胞残留及体外扩增导致的基因突变，需通过体内外致瘤性检测及长期临床随访加以控制。免疫原性主要来自同种异体HLA不匹配及培养过程中引入的异种抗原，基因编辑技术（如CRISPR-Cas9介导的MHC分子敲除）是降低免疫原性的重要策略。批次一致性则需通过cGMP体系、封闭式自动化生产系统及多参数放行检测（表型、功能、基因组稳定性）予以保障。

来源：文献检索，沙利文分析

未满足的需求与未来技术方向

当前干细胞疗法已进入临床转化与商业化初期阶段，但规模化扩增、标准化质控、无DMSO冻存、自动化生产、成本控制以及长期安全性监测仍是制约产业成熟的关键瓶颈。

■ 干细胞产业化六大核心技术方向

为提升临床可及性与可负担性，全球行业正围绕以下六大核心技术方向开展系统性突破与全链条升级：

1) 行业聚焦开发无饲养层、无异种成分的规模化扩增体系以维持干细胞干性；2) 建立全流程非侵入式在线质控体系保障批次一致性；3) 突破无DMSO无血清冻存复苏工艺降低临床不良反应风险；4) 采用封闭式自动化生物反应器实现全流程无人化生产；5) 通过工艺优化与关键原材料国产替代大幅降低单疗程成本、提升临床可及性；6) 同时建立基于单细胞测序与分子影像学的终身随访监测体系，实现干细胞体内行为与长期安全性的全周期精准追踪。

图：干细胞产业化六大核心技术方向网络关系



图：干细胞疗法的核心痛点与前沿解决方案

■ 干性维持的扩增

传统2D平面培养体系存在两大核心缺陷：易导致干细胞分化漂移、干性丢失，无法长期维持其未分化状态及多向分化潜能；以及依赖人工开放式操作，单批次产能有限，无法满足大规模临床需求。

解决方案

核心痛点

利用I型胶原蛋白软水凝胶构建生理性骨髓微环境，诱导血管周围基质细胞高表达巢蛋白，通过代谢重编程稳定HIF-1α表达，在完全无需外源细胞因子条件下维持长期造血干细胞的干性与体内重建能力；同时采用可降解3D多孔微载体构建仿生三维培养体系，实现MSCs的规模化、自动化扩增，优于2D培养维持其多向分化潜能。

■ 成本控制与自动化

传统生产模式下人工操作占比高、批次间差异大，且关键培养基、耗材及生物反应器严重依赖进口，导致单疗程治疗成本高昂（数十万至上百万元），严重制约干细胞疗法的临床可及性与商业化普适性。

解决方案

核心痛点

优化临床级无血清培养基、纳米级免疫磁珠及一次性生物反应器等关键原材料与耗材，并结合封闭式自动化生物反应器，实现细胞富集、扩增、制剂等全流程无人化生产，降低人工、空间及耗材成本。

■ 通用现货型产品

异体细胞移植面临宿主免疫排斥风险，自体细胞因患者特异性制备导致周期长、成本高、工艺难标准化，无法满足大规模临床即时使用与商业化可及性需求。

解决方案

核心痛点

通过CRISPR基因编辑敲除HLA-I类（B2M）和II类（CII TA）分子，同时过表达CD47、MIF等免疫抑制分子，构建免疫逃逸型通用iPSC细胞库，实现无需配型的“off-the-shelf”异体细胞产品。

■ 实时效力检测

传统质量检测多为离线、破坏性、终点式检测，无法实时监控生产过程中细胞的功能状态与异质性，导致批次间一致性难以保证，无法及时发现细胞功能漂移，增加产品放行风险与工艺控制难度。

解决方案

核心痛点

基于拉曼光谱结合深度学习的非侵入式在线过程分析技术，通过实时捕捉脂质-蛋白质生物标志物实现细胞功能状态与效力相关属性的评估，可在细胞形态变化前1小时提前检测出异常，无需标记且不损伤细胞，支持生产过程的实时质量控制。

■ 无DMSO冻存与复苏

传统含10%DMSO的冻存方案存在细胞毒性、神经毒性与过敏风险。制剂开发须考虑用药中DMSO对患者安全的影响，应谨慎控制剂量及制剂配制方法，必要时临床使用前对细胞制剂进行清洗。

解决方案

核心痛点

采用三条经过实验验证的无/低DMSO冻存技术路线：多中心临床验证的含蔗糖、甘油和异亮氨酸的DMSO-free方案；超声微泡介导的海藻糖胞内递送技术，配合海藻糖/葡萄糖保护体系；以及重组人白蛋白（Optibumin 25）结合1%-5%低DMSO方案，在明显降低毒性的同时维持细胞活率、免疫表型与功能完整性。

■ 长期安全性监测

干细胞回输后其在体内的长期分布、归巢、存活及分化行为难以精准预测，存在潜在的致瘤性、异常分化及免疫原性等长期安全性风险，目前缺乏能够覆盖全生命周期的精准、无创监测手段与系统性评价体系。

解决方案

核心痛点

采用CRISPR条形码单细胞标记技术，结合单细胞测序与PET/MRI等多模态分子影像学，构建体内长期追踪体系，实现对移植干细胞的体内动态示踪、分化轨迹解析以及安全性评估，为致瘤性、免疫原性和功能持久性监测提供可视化依据。

来源：文献检索，沙利文分析

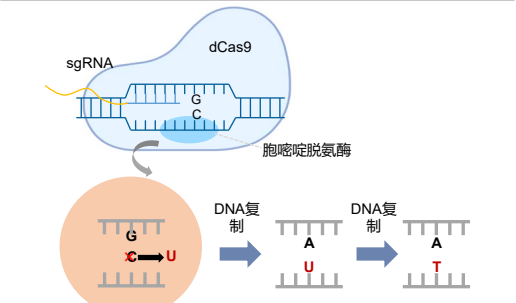
前沿技术分析（一）

为突破干细胞产品在通用性、规模化生产和智能化管控方面的产业化瓶颈，新一代技术正加速迭代演进。在基因编辑领域，技术从早期的CRISPR/Cas9发展至碱基编辑与先导编辑，编辑精度和安全性明显提升，为通用现货型细胞产品的开发提供了核心工具；在生产工艺方面，传统批式生产正逐步向封闭式灌流补料分批工艺升级；由于活干细胞体外扩增代数、细胞倍增水平存在严格质控上限，完整活细胞制剂无法采用全流程连续生产模式，连续制造方案目前主要适配干细胞外泌体等无细胞衍生物；该集成生物反应器与在线废液分离的工艺，可在细胞有效扩增周期内实现自动化高密度培养，有效降低批次间差异与生产成本。与此同时，工业4.0理念与过程分析技术、人工智能及全流程自动化深度融合，正推动干细胞制造向智能化、数字化、高效低成本的方向升级。

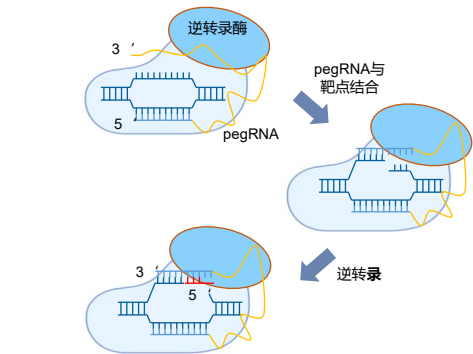
■ 单碱基编辑（BE）技术

BE技术是基于CRISPR/Cas技术的一种新型基因编辑技术，分为胞嘧啶碱基编辑器（CBE）和腺嘌呤碱基编辑器（ABE）。以CBE为例，该系统由失活的dCas9或有单链切割活性的nCas9和胞嘧啶脱氨酶构成，在sgRNA引导下靶向目标DNA并形成R-loop复合体；Cas9蛋白使DNA局部解链，胞嘧啶脱氨酶可结合未与sgRNA配对的ssDNA（移位单链RNA）并将其一定区域的胞嘧啶（C）脱氨变成尿嘧啶（U），继而通过DNA修复或者复制机制使尿嘧啶（U）被胸腺嘧啶（T）替换，最终实现完成C到T、G到A的单碱基精准编辑。单碱基编辑技术可在不引起DNA双链断裂的情况下修复单碱基突变。

图：单碱基编辑（BE）技术



图：先导编辑（PE）技术



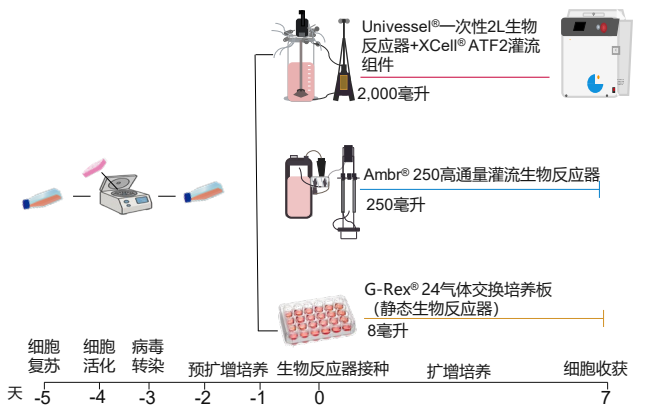
■ 先导编辑（PE）技术

PE技术以CRISPR/Cas9为基础，使用一种工程化的引导RNA（pegRNA），用于模板化所需的编辑序列。其原理为PE-pegRNA复合物结合到与pegRNA间隔区互补的基因组靶点上并形成R-loop；PE切割靶双链DNA中的一条链，释放的3'DNA末端与pegRNA延伸杂交，引发pegRNA模板区逆转录；引物延伸靶DNA链进行DNA聚合，然后生成3'DNA flap，包含下游基因组序列的编辑和同源物；3'DNA flap通过flap相互转换置换基因组DNA的相邻链；切除置换的5'flap后连接剩余的缺口，形成一个异源双链，其中一条基因组链包含编辑序列；DNA修复或复制将编辑序列复制到互补链，并使PE永久存在。PE技术除可对单个碱基进行修改之外，还实现微小插入和微小缺失。

■ 灌注式生物反应器连续扩增技术

灌注式生物反应器连续扩增技术以传统批次式培养为基础，通过细胞截留装置与灌流系统的深度集成，构建全流程闭环连续/半连续生产模式。其核心原理是：灌流系统持续输送新鲜培养基，同时通过细胞截留装置将目标细胞保留在反应器内，代谢废物与耗尽的培养基被持续排出，从而精准维持细胞微环境稳态，避免传统批次培养中出现的营养耗竭与代谢废物积累问题。该技术可提高细胞密度与总产量，延长培养周期，减少批次间差异，大幅降低生产成本与人工干预，是干细胞、CAR-T等细胞治疗产品实现规模化商业化生产的核心扩增模块。

图：灌注式生物反应器连续扩增技术



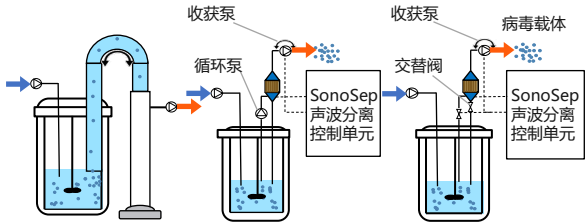
来源：文献检索，沙利文分析

前沿技术分析（二）

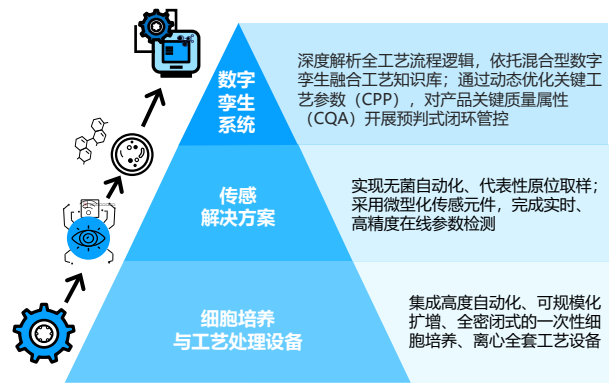
■ 交替切向流（ATF）连续分离纯化技术

ATF连续分离纯化技术替代传统批次式离心分离，通过交替切向流的膜分离机制，实现干细胞的在线连续收获与纯化，其原理为反应器流出物进入ATF系统后，通过隔膜泵驱动培养液在膜柱内形成交替切向流。既减少膜堵塞，又能高效分离目标干细胞与死细胞、细胞碎片等杂质，高活性干细胞被连续收集，杂质则随废液排出，无需终止培养即可实现产品的连续收获，细胞活率维持率高，该技术除了提升细胞收获效率之外，还能维持干细胞的干性与功能活性，是干细胞连续生产范式的核心纯化模块。

图：交替切向流连续分离纯化技术



图：PAT4 CGT的CGT 4.0层级结构



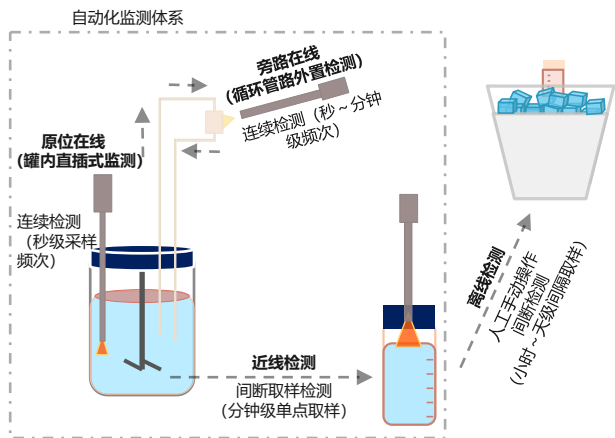
■ 智能化生产

智能化生产（工业4.0）以传统人工驱动的干细胞生产模式为基础，通过过程分析技术（PAT）、机器学习算法与全流程自动化系统的深度融合构建智能闭环体系，其原理为感知层通过PAT技术非侵入式实时采集细胞全维度参数，算法层基于数字孪生系统预判细胞状态与工艺偏差，通过调整关键工艺参数实现对关键质量属性的预测控制，执行层自动化设备实现生产过程闭环控制，合规层实现全流程数据自动记录与可追溯，完全符合全球GMP监管要求，智能化生产除了提升工艺稳健性与产品一致性之外，还能实现生产过程自优化与全球多工厂标准化管理，为干细胞产品全球商业化布局提供核心支撑。

■ 拉曼光谱In-line/On-line非侵入式检测技术

拉曼光谱In-line/On-line非侵入式检测技术替代传统离线取样检测，通过非侵入式光谱传感机制，实现细胞治疗全流程的实时质控与工艺闭环。其核心原理为In-line探头直接插入生物反应器、On-line通过在线流路采样，实时采集细胞脂质、蛋白质等生物标志物的光谱信号，既不取样破坏风险，又能秒级/分钟级连续监测细胞状态与微环境参数。关键工艺参数与质量属性被实时输出，异常信号可提前预警。无需终止培养即可实现全流程动态质控，是细胞治疗工业4.0生产范式的核心质控模块。

图：拉曼光谱In-line/On-line非侵入式检测技术



来源：文献检索，沙利文分析

-
-
-
-
-
-

第八章

干细胞行业驱动 因素及发展趋势



08

干细胞行业发展驱动因素分析

1 临床需求驱动

- 在肿瘤、神经退行性疾病、心血管疾病、自身免疫病等重大疾病领域，传统药物和现有治疗手段疗效有限，缺乏能够逆转病程或根治疾病的手段。与此同时，全球人口老龄化进程持续加速，退行性疾病和慢性病的发病率与患病率逐年攀升，对能够实现组织修复与再生的新型疗法需求日益迫切。此外，全球范围内约80%的罕见病缺乏有效治疗药物，患者长期处于“无药可用”的困境，而干细胞疗法凭借其自我更新、多向分化及免疫调节等独特优势，为遗传性疾病（如地中海贫血、重症联合免疫缺陷病等）提供了实现根本性治疗的希望，有望填补这一巨大的临床空白。

2 技术突破驱动

- 基因编辑技术的快速发展，特别是CRISPR/Cas9系统的优化以及碱基编辑、先导编辑等新型编辑工具的出现，降低了脱靶风险，提升了基因修饰的精准度与安全性，为构建工程化干细胞及修复致病基因突变奠定了技术基础。重编程技术的持续进步，使得iPSCs的分化效率大幅提高，向功能性细胞（如造血干细胞、心肌细胞、多巴胺能神经元、胰岛细胞等）的定向分化取得了突破。三维培养与先进生物材料技术的应用，使得类器官培养、器官芯片构建及生物反应器规模化扩增成为可能，推动了细胞制造的标准化与规模化进程。人工智能与自动化技术的深度融合，不仅实现了细胞培养条件的智能优化，还通过全封闭自动化生产系统大幅降低了人为误差与污染风险，提升了细胞产品的质量一致性。

3 政策与资本驱动

- 政策环境的日益完善与资本的持续涌入为干细胞行业发展提供了强大的外部支撑。FDA、EMA、NMPA等全球主要监管机构，近年来陆续出台或更新了针对干细胞产品的专项技术指导原则与审评标准，为行业规范化发展指明了方向。同时，监管机构设立的多项加速审批机制，如再生医学先进疗法认定、突破性疗法认定等，为具有相对临床优势的干细胞产品提供了更快捷的上市路径。在支付端，医保体系与商业保险机构正积极探索按疗效付费、分期付款等创新支付模式，旨在降低先进疗法给患者带来的单次高昂支付压力，提升治疗可及性。资本层面，全球范围内大量风险投资、私募股权及产业资本持续涌入细胞治疗领域，大型跨国制药企业正通过自主研发、合作开发或并购等方式加速布局，为行业创新注入了强劲动力。

4 产业生态驱动

- 日趋完善的产业生态体系为干细胞行业的规模化发展提供了坚实基础。合同研发生产组织（CDMO）体系日益成熟，为初创企业及生物技术公司提供专业的细胞工艺开发、质量控制与规模化生产服务，降低行业准入门槛与前期固定资产投入。超低温冷链物流体系全面升级，覆盖全球主要市场的-150℃液氮干式运输网络，有效保障干细胞产品在储运全过程中的活性与稳定性，为商业化推广扫清物流瓶颈。此外，国内具备资质的干细胞临床研究中心数量稳步增长；中国凭借庞大的患者基数、丰富的临床资源与活跃的创新氛围，已跻身全球干细胞临床研究第一梯队，年度新增临床试验数量位居全球前列，形成从实验室研究到临床应用的完整转化链条，有力支撑行业持续扩张。

5 成本效益驱动

- 成本控制与效益提升是干细胞疗法从个性化走向普及的关键驱动力。在细胞制造环节，通过采用三生物反应器、微载体培养及连续制造工艺等规模化生产技术，单位细胞的制造成本得到有效降低。通用型“现货型”产品的开发，特别是基于iPSC来源的标准化细胞产品，能够实现“一人生产、多人使用”的模式，减少了个体化制备所需的时间和费用，避免了每例患者单独制备带来的成本负担。在技术路线上，体内直接编辑等前沿技术正在积极探索，旨在跳过复杂的体外细胞分离、编辑、扩增和回输步骤，直接在患者体内完成基因修复或细胞重编程，有望从根本上简化治疗流程，将治疗成本降低，从而真正实现先进疗法惠及更广泛患者群体的长远目标。

来源：公开资料，沙利文分析

干细胞行业发展趋势分析

1 产品形态趋势

- 干细胞行业的产品形态正呈现多元化演进态势。从活细胞向无细胞产品拓展，MSCs来源的外泌体、细胞裂解物等“无细胞”产品因不含活细胞，可有效规避传统活细胞产品在储存、运输及冷链环节的严苛要求，有望成为更便捷、更稳定的下一代治疗产品。从单一细胞向组合产品升级，干细胞与生物材料支架、基因编辑技术及靶向药物的联合应用，可协同增强治疗效果，拓展临床应用场景。从疾病治疗向预防性应用延伸，健康人群的干细胞储存服务以及面向衰老干预、功能维护等消费医疗领域的产品正在快速发展，推动干细胞技术从严肃医疗向“治未病”的大健康领域渗透。

2 适应症拓展趋势

- 干细胞疗法的适应症版图正从传统优势领域向全谱系疾病快速扩张。肿瘤领域中，细胞治疗整体从血液肿瘤向实体瘤纵深突破，肿瘤浸润淋巴细胞、CAR巨噬细胞等新型免疫细胞技术，持续攻克实体瘤微环境的治疗难题，与干细胞疗法形成互补布局。非肿瘤领域正在成为干细胞疗法适应症拓展和产业增量的重要方向，除GvHD、眼科修复、皮肤/创伤修复等已有一定临床或产品化基础的方向外，新增拓展场景主要集中于肌肉骨骼/衰老相关疾病，如老年肌肉减少症、绝经后骨质疏松症；神经退行性疾病，如帕金森病、阿尔茨海默病；代谢/肝病方向，如糖尿病、肝衰竭；以及心脑血管疾病，如脑卒中、心力衰竭、心肌梗死等，推动行业从肿瘤免疫治疗向再生医学全域纵深发展。与此同时，细胞治疗应用场景持续拓宽，从单纯疾病治疗延伸至功能修复与健康干预领域，美容抗衰老、脏器功能修复等规范化消费级再生医疗赛道快速崛起，打开了广阔的产业增量空间。

3 商业模式趋势

- 干细胞行业的商业模式正从传统医疗服务向平台化、服务化与全球化方向深刻变革。从以医院为中心的分散式模式，向“中央实验室制备+区域输注中心网络”的平台化模式转型，通过集中化、标准化的细胞制备体系，确保产品质量的均一性与可及性。从单一的产品销售向服务订阅模式延伸，细胞储存年费制、疗效保障合约以及全病程健康管理服务正在兴起，企业通过提供全生命周期的持续服务，构建与患者之间的长期信任关系。从局限于单一国家市场向全球化布局，跨国多中心临床试验的广泛开展，推动了标准化细胞产品在全球多个市场的同步注册与上市，加速了先进疗法的全球可及。

4 监管与伦理趋势

- 监管科学与伦理框架的持续完善为干细胞行业的有序发展提供了制度保障。在监管层面，再生医学先进疗法认定、突破性疗法认定以及适应性临床试验设计等创新监管工具的推广，加快了具有临床优势的干细胞产品的审评审批进程。针对基因编辑技术的伦理指南正在细化，基因编辑在生殖系细胞中的应用红线已得到明确界定，为行业技术创新划定了清晰的伦理边界。在国际协调层面，人用药品技术要求国际协调理事会相关指南的推进和全球监管互认机制的加强，有力促进了干细胞产品在多国之间的同步研发与上市，降低了企业跨区域申报的制度成本。

5 竞争格局趋势

- 干细胞行业的竞争格局正经历深刻重塑。大型跨国制药企业正通过大规模并购、战略合作等方式，快速掌控核心技术与产品管线，成为行业主导力量。与此同时，中小型生物技术公司则凭借差异化定位，深耕特定技术平台，在通用型细胞疗法、体内直接编辑、诱导多能干细胞/胚胎干细胞定向分化等前沿领域形成独特竞争优势，成为行业创新的重要源泉。值得关注的是，中国本土企业正从早期的跟随式创新向原始创新加速转变，在干细胞靶向递送技术、基因编辑造血干细胞、半相合移植技术等多个细分领域已跻身国际领先行列，展现出强劲的全球竞争力，有望成为未来全球干细胞产业格局中的重要一极。

来源：公开资料，沙利文分析

-
-
-
-
-
-

第九章

干细胞疗法公司资本市场表现分析



09

国内干细胞疗法研发企业融资情况（一）

图：中国干细胞疗法领域融资案例

公司名称	2023	2024	2025	2026*	最新轮次投资情况
艾尔普			D轮		完成D轮融资，投资者包括金雨茂物、华睿投资等
达尔文生物	B轮		D轮 C轮		完成D轮融资，投资者主要包括光谷科创投、西藏龙芯投资等
宜明生物	C+轮	Pre-D轮			完成近2亿元人民币融资，投资者主要包括北京昌平产业发展投资基金，北京市医药健康产业投资基金
士泽生物	A+轮	B轮	B+轮	C+轮 C轮	连续完成多轮共十几亿元市场化融资，投资方涵盖峰瑞资本、启明创投、礼来亚洲基金、红杉中国、三生制药、中国国风投资基金及苏产投社保基金等顶尖风险投资机构持续投资及国家基金投资
睿健医药		B轮	B++轮 B+轮	C+轮 C轮	完成超5亿元C轮及C+轮融资，投资方涵盖光合创投、达晨财智、杏泽资本、北极光创投、祥峰投资、元希海河等市场化机构，策源资本、成都科创投、中信建投资本、锡创投、泰格医药、鼎泰星、新基业等国资、券商资本与产业机构
泽辉生物	B+轮 B轮	B++轮	C轮		完成C轮融资，投资者主要包括中科创星、H&G等
吉美瑞生	B轮		B+轮	C轮	获3.4亿元人民币C轮融资，投资方包括禹泽资本、合肥高投、洪泰基金、合肥产投、共青城富汇等7家知名公司及机构，原股东冷杉溪资本、天士力资本等5家投资方持续追加投资。
中盛溯源			B轮	C轮	完成多轮近20亿元融资，股东涵盖招商健康、广州产投、国新基金、合肥产投等国资机构，君联资本、广发信德、博远资本、德诚资本、优山资本等专业市场化机构，以及华东医药、石药国药等产业方
华鑫生物			B+轮	C轮	完成数亿人民币C轮融资，投资者包括北京市医药健康产业投资基金、北京市新材料产业投资基金、工银投资、京国投、国新基金、高榕资本、中金资本、本草资本等
三有利和泽生物			A轮	C轮	景泰利丰参与其A轮融资
霍德生物				C轮	完成近2亿元C轮融资首关，投资者包括新股东天士力资本、海邦资本和广州健康产业投资基金，以及老股东隆门资本。
赛隼生物	B+轮			Pre-C轮	获超亿元人民币Pre-C轮融资，由太平医疗健康基金领投与粤财中垠共同领投、松禾资本跟投
赛桥生物		B轮	B+轮		完成B+轮融资，投资方为复健资本和常高新
华腾生物	A+轮	B轮		B+轮	完成数千万人民币B+轮融资，投资者包括平云资本等
血界生物	A轮		B轮 A++轮 A+轮	B+轮	完成过亿元人民币B2轮融资，实现B轮近3亿元人民币增资，投资者包括深创投、河北产投等新股东，以及鼎晖投资、苇渡创投等

注：本表所列融资信息均为公开披露数据，统计截止时间为2026年7月；按融资轮次由高到低排序；轮次相同时，按融资完成时间先后排序。

来源：公开资料，沙利文分析

国内干细胞疗法研发企业融资情况（二）

图：中国干细胞疗法领域融资案例（续）

公司名称	2023	2024	2025	2026*	最新轮次投资情况
爱萨尔生物			B轮		获B轮融资，由甘肃国投集团领投，胜辉资本、前海智博资本跟投
跃赛生物		A+轮 A轮	A++轮	A+++轮	完成超5,000万人民币A+++轮融资，投资者包括磐霖资本、全村创投、外高桥等
艾凯生物	A++轮			A+++轮	获过亿元人民币A+++轮融资，由沃杰资本、知壹投资、联新资本联合投资
乾晖科技			A+轮	A++轮	完成超亿元第五轮融资，是细分领域内首次吸引领先产业投资方和市场化投资机构共同投资的标的。公司投资方包括:海尔创投、国科投资、国民创投(科技部科技成果转化基金)、中广投资、融易创业等
睿源生物		A轮	A+轮		获A+轮融资，由布谷天阙投资独家投资
拓华生物	A轮		A+轮		获A+轮融资，由长兴基金独家投资
夏同生物		A轮	A+轮		获A+轮融资，由夏汇天同科技独家投资
瑞普晨创		A轮	A+轮		完成5亿人民币A+轮融资，投资者包括国新基金、元生创投、浙江产投、华睿投资、东方嘉富、荷塘创投、余杭国投集团、疆亘资本、贝橙基金等
慧心医谷		Pre-A轮		A+轮 A轮	获数千万元人民币A+轮融资，由北京市医药健康产业投资基金独家投资
源品生物		A轮			完成A轮融资，投资方为北京汇城林生态修复和广东君诚
天津和创生物		A轮			完成A轮投资，由澳门科技大学基金会领投数千万元人民币
思比曼生物			种子轮	A轮	完成超亿元种子轮融资，由泰福资本领投，新老投资者跟投

注：本表所列融资信息均为公开披露数据，统计截止时间为2026年7月；按融资轮次由高到低排序；轮次相同时，按融资完成时间先后排序。

来源：公开资料，沙利文分析

全球干细胞领域授权交易及兼并购情况（一）

■ 干细胞疗法的授权交易和并购案例

跨国巨头医药企业通过与干细胞疗法研发公司合作开发管线，吸收标的公司的先进技术和平台经验，布局全球再生医学产业，加速临床阶段管线的研发进度。众多药企如诺和诺德、安斯泰来、日本新药、参天制药等通过独家授权、资产收购、成立合资公司的方式获取干细胞核心技术与成熟临床管线，健全再生医学业务布局，加速商业化扩张进程。

图：干细胞疗法的授权交易和并购案例

时间	合作双方	合作投入	交易内容
2026.05	 	未披露	双方达成全球独家合作，共同推进帕金森病临床阶段异体多能干细胞衍生多巴胺前体细胞疗法（STEM-PD）的临床开发和商业化。Cellular Intelligence将利用其AI平台优化细胞生产工艺，诺和诺德负责全球临床开发和商业化。
2026.02	 	未披露	Ayrmid授予ACA Pharma Omisirge®（Omidubicel，脐带血造血干细胞产品）在大中华区（中国内地、香港、澳门）及东南亚部分地区的独家商业化权。
2026.02	 	未披露	Ayrmid与Ariti签署希腊和塞浦路斯分销协议（Omisirger为干细胞/再生产品）。
2026.01	 	4.5亿人民币	思比曼生物将其AlloJoin®（洛它阿托赛，脂肪来源异体MSCs）在中国大陆、香港、澳门地区的独家商业化权授予复星凯瑞。
2026.01	 	未披露	双方达成合作，Zeo ScientificX获得Cytora公司hOMSC300（口腔粘膜来源异体MSCs）在美国的独家商业化权。
2026.01	 	未披露	双方达成合作，Made Scientific负责美国本土的生产制造。
2025.12	 	1.27亿人民币	Medipost授予帝国制药CARTISTEM（脐带血来源MSCs）在日本的独家商业化权。
2025.12		未披露	天津昂赛将其自体用脐带MSCs（Amcell）在香港地区的独家权益授予香港先进再生医学生物科技有限公司。
2025.10	 	未披露	双方成立合资公司Visionary Yike Stemcell Technologies，共同推进亿珂生物的糖尿病干细胞疗法在全球的开发和商业化。
2025.06	 	未披露	南京艾尔普再生医学与华润三九签署HiCM-188（iPSC来源心肌细胞）在中国大陆地区的项目合作联合开发协议。
2025.06	 	3.48亿人民币	TWOCELLS授予科研制药gMSC®1（滑膜来源异体MSCs）在日本的独家开发和商业化权。
2025.04	 	1.43亿人民币	尚高生命科学以1.43亿人民币的总金额收购新加坡干细胞公司InfiniClone的全部资产，包括其干细胞技术平台和知识产权。
2024.09	 	1.38亿人民币	ENCell授予露曦生物EN001（脐带来源MSCs）在香港、澳门、台湾、越南、泰国、新加坡六个亚洲国家和地区的独家开发和商业化权。
2024.07	 	未披露	澳大利亚Cartherics公司与昆士兰大学（通过其商业化子公司UniQuest）、悉尼大学达成双重协议，授权其iPSCs细胞系用于共同开发治疗终末期心力衰竭的iPSC来源心肌细胞（iPSC-CMs）。
2024.03	 	未披露	Aderans将其毛发再生干细胞技术的全球独家开发和商业化权授予Stemson。

来源：公开资料，沙利文分析

全球干细胞领域授权交易及兼并购情况（二）

图：干细胞疗法的授权交易和并购案例（续）

时间	合作双方	合作投入	交易内容
2024.01	  Athersys Healios	0.14亿人民币	Athersys因核心产品MultiStem治疗缺血性中风的Ⅲ期临床试验失败，向美国法院申请第11章破产保护，Healios以0.14亿人民币的价格通过信用竞标收购其全部资产。
2023.09	  ixaka Alaya.bio	未披露	Alaya.bio收购ixaka的全部核心资产，包括其in vivo CAR-T平台和脂肪来源MSCs管线。
2023.03	  Human Life CORD JAPAN 持田製薬株式会社	未披露	双方将共同开发和商业化基于脐带来源MSCs的HLC-001细胞治疗产品，用于治疗造血干细胞移植后非感染性肺部并发症等难治性疾病，持田制药负责日本市场的流通销售并支付首付款、里程碑款项及销售特许权使用费。
2023.02	  ErneXa Therapeutics LINEAGE CELL THERAPEUTICS	未披露	Eterna授予Lineage其低免疫原性iPSC细胞系在神经系统疾病领域的独家期权和许可权。
2023.02	  Capricor Therapeutics 日本新薬	未披露	双方达成合作，Capricor授予日本新药CAP-1002在日本的独家商业化权。
2022.12	  biorestorative therapies Regenexx Las Vegas	未披露	双方达成合作，Regenexx将其慢性腰椎间盘突出疾病干细胞技术的全球独家许可权授予BioRestorative。
2022.08	  Curi Bio NEXEL	未披露	Curi Bio授予NEXEL其iPSC药物发现平台在韩国的独家分销和服务权。
2022.04	  JRM 株式会社日本再生医療 METCELA	未披露	Japan Regenerative Medicine将其JRM-001（心脏来源MSCs）的全部权益转让给Metcela。
2022.01	  Capricor Therapeutics 日本新薬	未披露	Capricor授予日本新药CAP-1002在美国的独家商业化权。
2021.07	  EXCELLTHERA astellas	未披露	ExCellThera授予安斯泰来其UM171分子在多能干细胞领域的独家使用权。
2021.05	  STEMEDICA pulthera	未披露	Stemedica授予Pulthera其骨髓来源MSCs技术在全球（除特定市场外）所有呼吸系统适应症的独家开发和商业化权。
2020.12	  pluri CELL-BASED SOLUTIONS AT SCALE INNOVARE r&d	未披露	Pluristem授予Innovare其PLX细胞（胎盘来源MSCs）在墨西哥的独家商业化权。
2020.10	  Steminent SCM Lifescience	未披露	仲恩生医授予SCM其StemchymalR在韩国的独家开发和商业化权。
2020.10	Personalized Stem Cells  sorrento	未披露	Sorrento获得COVI-MSC（脂肪来源MSCs）的全球独家开发和商业化权。
2020.10	  Bone Therapeutics PREGENE 深圳普瑞金生物药业股份有限公司 SHENZHEN PREGENE BIOPHARMA CO.,LTD.	4.35亿人民币	Bone Therapeutics授予领晟医疗和普瑞金ALLOB在大中华区、台湾、新加坡、韩国、泰国的独家开发和商业化权。
2020.05	  jCyte Santen	17.89亿人民币	jCyte授予参天制药其jCell（人视网膜前体细胞）在美国以外地区的独家开发和商业化权。
2020.04	  SanBio OcuMension 康康维视	5.44亿人民币	双方达成战略合作，共同开发SanBio的两款眼科干细胞产品SB623和MSC2（骨髓来源MSCs）。

来源：公开资料，沙利文分析

第十章

干细胞行业相关 企业介绍

注：按照企业全称首字母排序

10



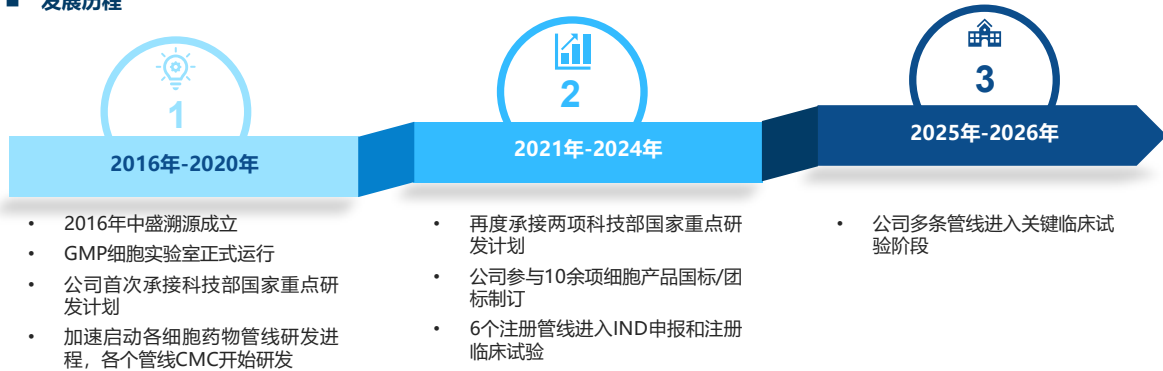
干细胞行业相关公司 – 安徽中盛溯源生物科技股份有限公司

■ 公司简介

中盛溯源生物科技股份有限公司成立于2016年，专注于开发广泛可及的iPSCs衍生细胞治疗产品。公司已建成iPSCs技术上游（临床级培养试剂）、中游（一站式iPSCs衍生产品CDMO服务）和下游（iPSCs衍生细胞治疗产品）的覆盖全产业链的产品和服务体系，拥有国际领先的高标准科研级和临床级干细胞研发生产设施。同时系统性建立了围绕iPSCs技术应用的发明专利组合，覆盖了iPSCs的重编程、多种功能细胞的定向诱导分化、生产工艺和关键原材料等领域。



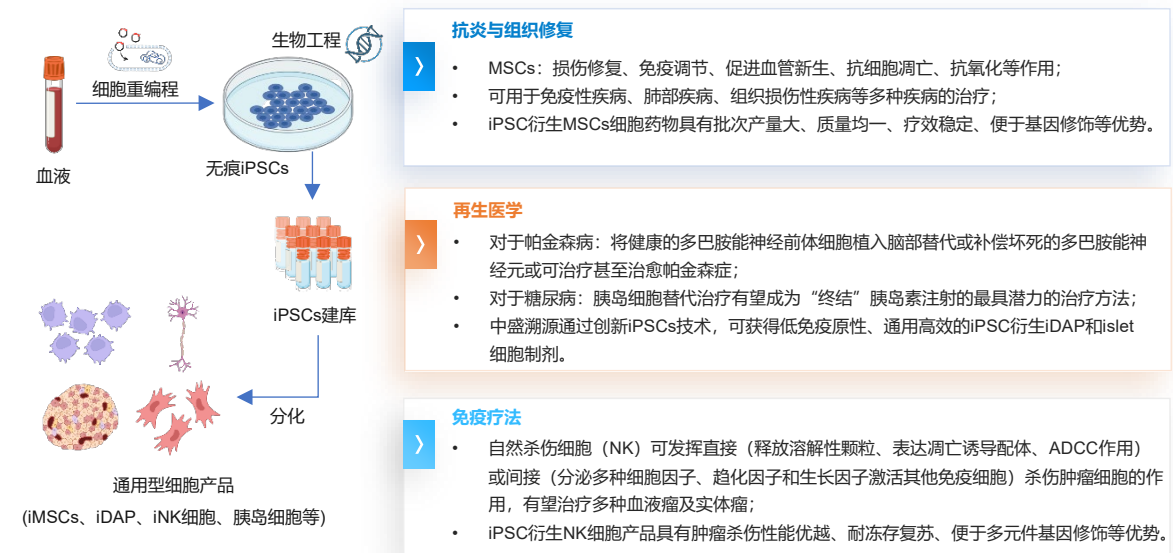
■ 发展历程



■ 核心平台

中盛溯源的iPSCs技术平台，是由hiPSCs技术全球首创人之一俞君英博士领衔创建。iPSCs技术平台的核心是通过重编程将体细胞（如血液细胞）“逆转”成具有多向分化潜能的干细胞，进而能分化成几乎任何类型的人体功能细胞。

基于其成熟的iPSCs技术平台，中盛溯源将iPSCs定向分化为具有特定治疗功能的目标细胞，并应用于三大医学领域：抗炎与组织修复、再生医学、免疫疗法。通过iPSCs技术的赋能，致力于实现细胞治疗产品的“现货型”、规模化供应，从根本上解决传统细胞疗法中细胞来源受限、批次间差异大、成本高昂等产业化难题。



来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 安徽中盛溯源生物科技股份有限公司

■ 研发管线

中盛溯源围绕iPSCs核心技术，布局抗炎与组织修复、再生医学和免疫疗法三大医学领域，已陆续将iPSCs衍生3种功能细胞（iMSC、iDAP、iNK）的多条产品管线推动至注册临床试验阶段。其中NCR100和NCR300为国内首款获批临床的iMSC和iNK细胞产品，NCR101为全球首款获批临床的基因修饰iMSCs细胞产品。公司后续将持续探索iPSCs衍生细胞治疗产品的临床价值。



领域	产品	适应症	IND-enabling studies	临床 I 期	临床 II 期	临床 III 期
抗炎与组织修复	iMSC	膝骨关节炎				
	iMSC	激素难治性 aGvHD				
	iMSC ^{plus}	间质性肺病				
再生医学	通用型iDAP	帕金森病				
	通用型islet	糖尿病				
免疫疗法	iNK	骨髓增生异常综合征				
	iNK	预防异基因造血干细胞移植后 AML复发				

■ 核心优势

中盛溯源由hiPSC技术全球首创人之一俞君英博士领衔，自成立以来，已成长为国内iPSC领域进入临床阶段管线最多的企业。公司先后荣膺国家级专精特新“小巨人”企业、入选工信部首批重点培育中试平台等国家级荣誉，凭借自主创新的iPSCs技术，构建了行业领先的技术壁垒。通过持续推动“创新+产业化”双轮驱动，中盛溯源打造了覆盖上游（临床级培养试剂）、中游（一站式iPSC衍生产品CDMO服务）和下游（iPSC衍生细胞治疗产品）的全产业链自研体系。

作为全球唯一在iMSC、iDAP、islet、iNK四大方向均有管线布局的iPSCs企业，公司已成功推进6条管线进入注册临床试验阶段，在抗炎与组织修复、再生医学、免疫疗法三大领域全面布局，成功推出全球首款基因修饰iMSC产品（NCR101），国内首款iMSC产品（NCR100）及国内首款iNK产品（NCR300），确立了在通用现货型细胞药物领域的领军与先发地位。

全球iPSCs首创团队领航

hiPSCs技术全球首创人之一俞君英博士领衔，是国内首批开展 iPSC衍生细胞治疗产品研发的企业，核心研发实力行业领先。

全球iPSCs核心专利壁垒成型

自主全面掌握iPSCs重编程及定向分化IP，围绕功能细胞分化在国内、海外多国及PCT完成全方位专利布局，形成坚实的知识产权保护体系。

多元产品管线布局

管线多元丰富，围绕iPSC衍生 iMSC、iDAP、islet、iNK 多个方向完成全面布局，覆盖抗炎组织修复、再生医学、免疫疗法三大领域，现有6条管线进入注册临床试验阶段。

全产业链自研体系

建立了原材料试剂、一站式iPSC衍生产品CDMO服务、iPSC衍生细胞治疗产品全产业链自研体系。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 北京华龛生物科技有限公司

公司介绍

华龛生物成立于2018年，源自清华大学科技成果转化，由清华大学生物医学工程学院杜亚楠教授团队领衔创立，清华大学为参股共建单位。华龛生物专注于为细胞治疗与再生医学领域提供全球领先的细胞规模化制备整体解决方案。其核心产品为拥有中美药用辅料资质的创新型3D微载体，成功突破高达千亿量级的细胞大规模扩增关键技术瓶颈。公司已实质性推动中国首款干细胞新药上市，并助力多家CGT企业完成IND申报并获批。作为国家高新技术企业及专精特新“小巨人”企业，公司获得国家科技部、工信部等多部委科研专项支持，已完成C轮融资，拥有上万平方米的研发与生产平台。目前，公司业务已覆盖五大洲20多个国家和地区。



发展历程

2018

- 2018年，北京华龛生物科技有限公司成立

2021-2022

- 2021年，3D微载体获得2项CDE、1项FDA药用辅料资质；同年，天津华龛智能科技有限公司成立；
- 2022年，“3D微载体细胞规模化智造技术”获“**日内瓦发明金奖**”；同年，建立3D FloTrix® 细胞技术平台。

2025

- 助力中国首款干细胞药物上市，药品定价为美国同类产品定价的1/70；
- 海外总部CytoNiche Biotech Pte. Ltd.于新加坡成立；
- 入选工信部“2024年未来产业创新发展优秀典型案例”；
- 当选**国家工信部**“高性能生物反应器创新任务”揭榜挂帅项目牵头单位；
- 当选**国家科技部**重点研发项目唯一独立课题承担方。

2019-2020

- 2019年，天津华龛生物科技有限公司成立；同年，入选“**中关村颠覆性项目**”，荣获“国家高新技术企业”认证；
- 2020年，原创3D TableTrix®系列微载体、3D FloTrix®系列中试生产级生物反应器上市。

2023-2024

- 2023年，上海华龛生物科技有限公司成立；同年，荣获国家级“专精特新·小巨人企业”称号；3D微载体再获FDA原料药及药用辅料资质、MSCs无血清培养基获FDA药用辅料资质；
- 2024年，**入选国家精准医学产业创新中心首批“揭榜挂帅”项目**；《千亿细胞智造一站式解决方案》《细胞智造一次性解决方案》正式上线并进入市场。

2026

- 助力全国首款外泌体药物IND申报获批
- 助力多款干细胞药物IND/NDA申报获批

华龛生物参与两项CGT国家标准起草工作：2026年4月，由华龛生物作为主要起草单位参与制定的**两项国家标准——《生物技术-细胞治疗产品和基因治疗产品生产过程中存在的辅助材料》与《生物技术-生物过程-用于治疗用细胞制造设备系统的通用要求和考虑》**，经国家市场监督管理总局（国家标准化管理委员会）批准发布。此前，华龛生物也曾参与《细胞治疗产品生产用原材料的质量管理规范》、《人源间充质干细胞外泌体制备与检验规范》团体标准的起草工作。

全产品线

核心耗材	细胞培养	细胞/外泌体收获	制剂灌装
V系列 G系列 W系列 CW系列 3D TableTrix® 微载体 & 3D RecomTrix® 重组胶原微载体 3D FloTrix® Digest 微载体裂解液 3D FloTrix® MSCs 无血清基础培养基 3D FloTrix® MSC化学成分限定 无血清基础培养基 3D FloTrix® NK细胞 无血清培养基套装	3D FloTrix® microSPIN 6通道微型生物反应器 3D FloTrix® miniSPIN 生物反应器 3D FloTrix® miniSPIN FLEX 4通道生物反应器 3D FloTrix® vivaROCK 生物反应器系统 3D FloTrix® vivaSPIN 自动化生物反应器 3D FloTrix® vivaSPIN-SU 一次性生物反应器 3D FloTrix® megaSPIN 一次性生物反应器	3D FloTrix® vivaPREP 细胞收获系统 3D FloTrix® vivaPREP ULTRA 细胞收获系统 3D FloTrix® vivaEXO 外泌体收获系统 3D FloTrix® megaEXO 外泌体收获系统	3D FloTrix® vivaFILL 细胞灌装系统 3D FloTrix® vivaPACK PRO 细胞灌装系统 3D FloTrix® vivaVIAL 细胞灌装系统
配套试剂及耗材			辅助设备
3D FloTrix® 裂解液残留检测试剂盒 3D FloTrix® 微载体残留检测试剂盒 miniSPIN 一次性反应瓶 vivaSPIN 耗材包 vivaSPIN-SU 耗材包 megaSPIN 耗材包 vivaPREP ULTRA 耗材包 vivaFILL 耗材包 vivaVIAL 耗材包			3D FloTrix® vivaWELD TPE无菌接管机 3D FloTrix® vivaSEALER封管机 3D FloTrix® vivaWELD PVC无菌接管机 3D FloTrix® vivaSEALER-PVC手持热合仪

“耗材+设备+服务”的一站式整体解决方案，可实现千亿量级细胞药物及其衍生品的规模化、自动化、智能化、密闭式生产。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 北京华龛生物科技有限公司

■ 核心产品

依托原创的3D FloTriX®技术，华龛生物自研推出了3D TableTriX®微载体与3D RecomTriX®重组胶原微载体（非动物源）系列。

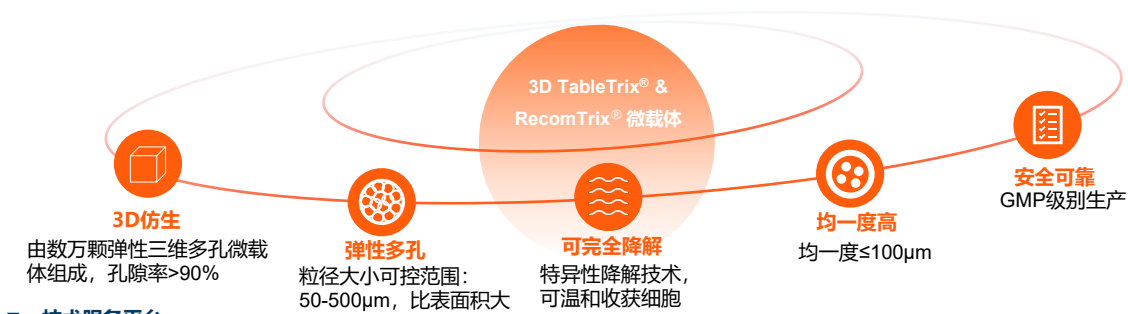
技术原理：该系列产品通过构建三维立体的动态仿生微环境，极大地满足了贴壁细胞的规模化扩增需求；同时，搭配特异性降解技术，可高效、温和收获细胞。

应用场景：产品已广泛应用于干细胞制剂、细胞外囊泡、疫苗及蛋白类制剂等产品的上游工艺开发，以及再生医学、类器官与食品科技（细胞培养肉等）等领域。

资质认证：核心产品3D TableTriX®微载体系列已获3项美国FDA及2项中国CDE药用辅料资质，通过中检院资质评价及安全性评价。



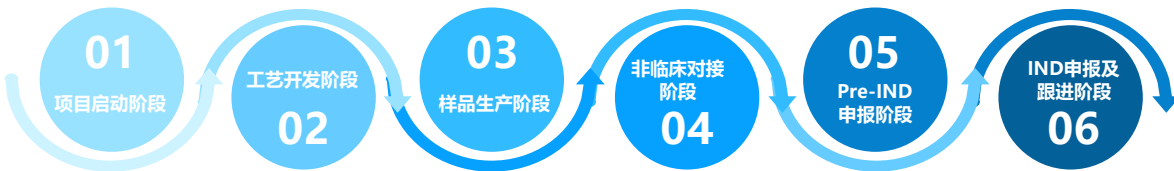
围绕3D微载体，华龛生物打造的原创3D细胞智造平台，可提供覆盖细胞培养、细胞收获、制剂灌装等细胞大规模生产制备全流程的定制化整体解决方案，助力实现千亿量级细胞药物及其衍生品的规模化、自动化、智能化、密闭化生产。



■ 技术服务平台

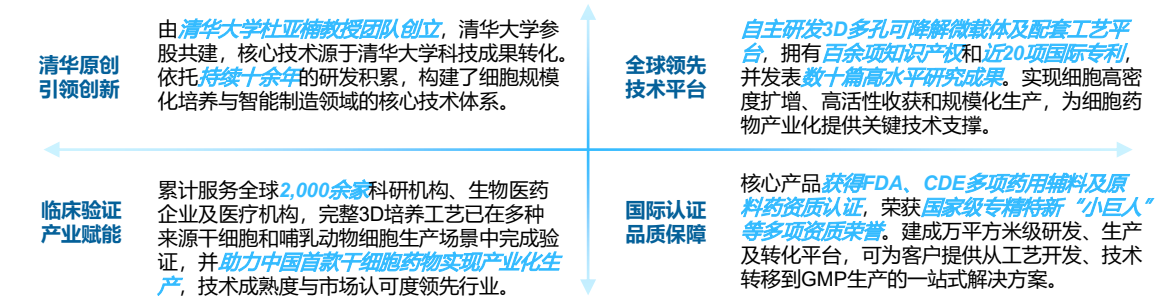
华龛生物3D FloTriX®细胞技术平台——3D细胞智造与再生医学中心，为企业提供符合GMP标准的3D细胞规模化、自动化、标准化、智能化生产制备服务，以及从工艺开发到注册申报的全链条技术支持。其中，全自动化细胞药物生产线以3D FloTriX®细胞工艺为基础，颠覆传统人工制备模式，显著降低生产成本与批次间差异。中心还可提供技术研究、工艺开发、生物医学新技术备案及IND注册申报等服务，涵盖MSCs、iPSCs、NK细胞等细胞产品，以及外泌体、病毒等相关生物制品，给予合作方全面助力。

此外，华龛生物质量检测平台是基于3D FloTriX®细胞技术平台构建的专业化质量控制体系，专注于干细胞、外泌体等细胞治疗产品的全生命周期质量监控，严格遵循GMP及相关法规要求，承担原辅料、中间产品、成品及生产环境的质量检测与监控工作。



▲华龛生物技术服务项目交付流程

■ 核心优势



来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 北京三有利和泽生物科技有限公司

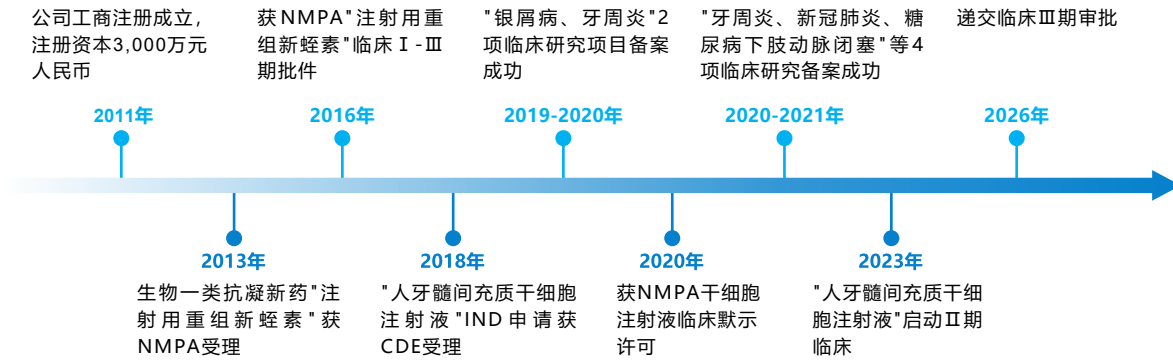
■ 公司介绍

北京三有利和泽生物成立于2011年，依托吴祖泽、王松灵双院士学术团队与科研平台，是国内牙周再生干细胞领域的标杆企业。公司以细胞与基因治疗（CGT）为核心，聚焦慢性病创新药开发，依托国内首个牙资源库，夯实产业底层能力，全面覆盖牙源细胞存储、GMP制备、CDMO服务及基因修饰干细胞专利技术；在此基础上搭建“牙髓间充质基质细胞-基因修饰的间充质基质细胞-工程化的细胞外



泌体”完整技术链条，形成完善CGT研发管线。企业具备工艺开发、中试制备、临床备案与IND申报一体化，核心产品包括自研牙髓干细胞一类新药、纳入国家新药创制重大专项的新蛭素。

■ 发展历程



■ 核心业务布局

公司核心布局细胞生物技术与创新新药。公司持有HGF基因修饰间充质干细胞核心专利，建有标准化牙髓生物资源库，配套对外服务的细胞治疗CDMO平台，覆盖细胞制备、存储、质控全流程。创新药包含异体牙髓干细胞一类新药，多条管线针对各类慢性病。

创新药研发
(长期)

- 细胞治疗管线：**异体人牙髓间充质干细胞注射液（国家一类新药），具备较好的组织再生修复能力。依托自有技术平台，同步布局十余条差异化在研管线，全面覆盖口腔修复、皮肤免疫、呼吸纤维化等高发性慢性疾病，搭建完整慢病治疗产品矩阵。

技术研发服务
(中期)

- 生物样本存储服务：**建成国内首个标准化牙髓生物资源储存库，覆盖牙源样本采集、干细胞分离扩增、细胞冻存全流程，形成细胞制备—低温存储—GMP标准化质控的完整闭环，实现全链条合规管控。
- CDMO平台：**对外开放成熟的工艺平台，提供一站式细胞治疗CDMO技术的输出服务，赋能合作伙伴高效推进细胞药物研发与转化。
- 技术壁垒：**自主掌握HGF基因修饰间充质干细胞（EMSCs）核心专利技术。

■ 核心优势

全球首创的异体牙髓干细胞疗法

首创性：研发了全球首个治疗牙周炎的异体人牙髓干细胞（hDP-MSCs）注射液，突破了传统牙周病“治标难治本”及依赖手术的局限，实现了“组织再生与功能重建”的跨越。

临床优势显著

微创局部注射无手术创口，口腔门诊即可操作，单次仅5-10分钟；长效促进牙槽骨再生，延缓掉牙2-3年，综合性价比优于传统手术。细胞取自健康的废弃牙齿，取材无痛苦、无伦理风险，资源充足。

团队优势

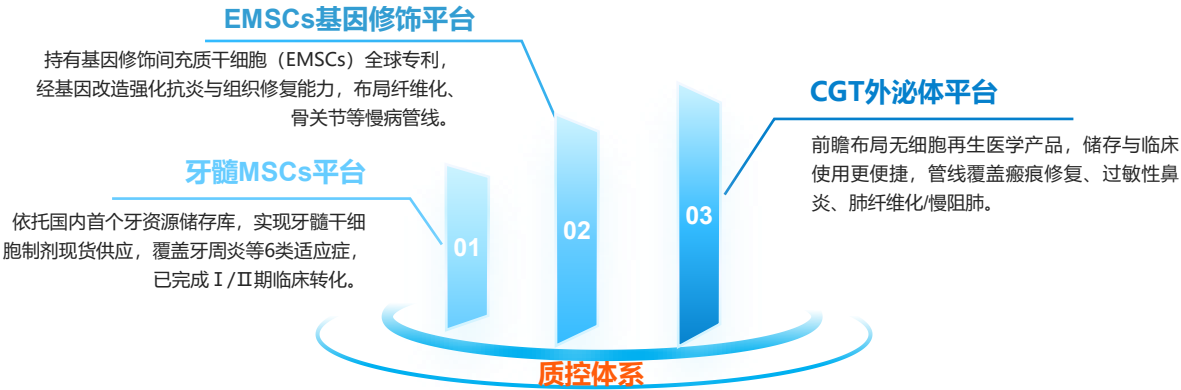
双院士团队科研背书，建有国内首个牙资源储存库与GMP制备、质控平台，打通研发、制备、临床转化全链条，具备成熟的新药落地与技术输出能力。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 北京三有利和泽生物科技有限公司

■ 技术平台

公司搭建牙髓MSCs、EMSCs基因修饰干细胞、CGT外泌体三大核心技术平台，配套GMP合规质控体系，形成“细胞—基因工程细胞—无细胞外泌体”完整技术迭代链条，提供工艺开发、中试制备、临床备案与IND申报一体化技术服务；并建立国内首个牙资源储存库，依托自有资源库量产现货型牙髓干细胞制剂，适配牙周炎等6类适应症，已完成 I、II 期临床转化；EMSCs平台持有基因修饰间充质干细胞全球专利，经基因改造强化抗炎与组织修复能力，布局纤维化、骨关节等慢病管线；CGT外泌体平台前瞻性布局无细胞再生医学产品，产品储存、临床使用更便捷，管线覆盖瘢痕修复、过敏性鼻炎、肺纤维化/慢阻肺。质控平台覆盖原料、中间体、成品全流程检测，保障研发与申报合规。



■ 核心管线

公司基于牙髓间充质干细胞，沿两条技术路线差异化开发：牙髓间充质干细胞——不经基因编辑，依靠细胞原生活性实现免疫调节与组织再生修复，主攻口腔黏膜、骨缺损、皮肤免疫、外周血管缺血等慢性疾病修复。基因修饰间充质干细胞——在干细胞基础上导入相关生长因子基因，强化抗纤维化、促血管新生、抗炎及病灶靶向归巢能力，针对肺纤维化、肝纤维化、气道过敏、肢体缺血、神经损伤等重度难治慢性病。两大平台共用上游制备体系。牙髓间充质干细胞侧重轻中度组织缺损修复，基因修饰间充质干细胞聚焦重度纤维化与缺血损伤类复杂病症，形成分层互补的治疗管线布局。

产品	适应症/用途	临床前研究	IIT备案	IND	I 期临床	II 期临床
MSCs产品	牙周炎					
	下肢动脉闭塞症					
	银屑病					
	根尖周炎					
	舍格伦综合征致唾液分泌降低					
	口腔黏膜下纤维病变（OSF）					
EMSCs产品	肺纤维化					
	下肢动脉闭塞症					
	哮喘					
	过敏性鼻炎					
	膝骨关节炎					
	脑卒中后遗症					
	肝纤维化					

来源：公司资料，沙利文分析

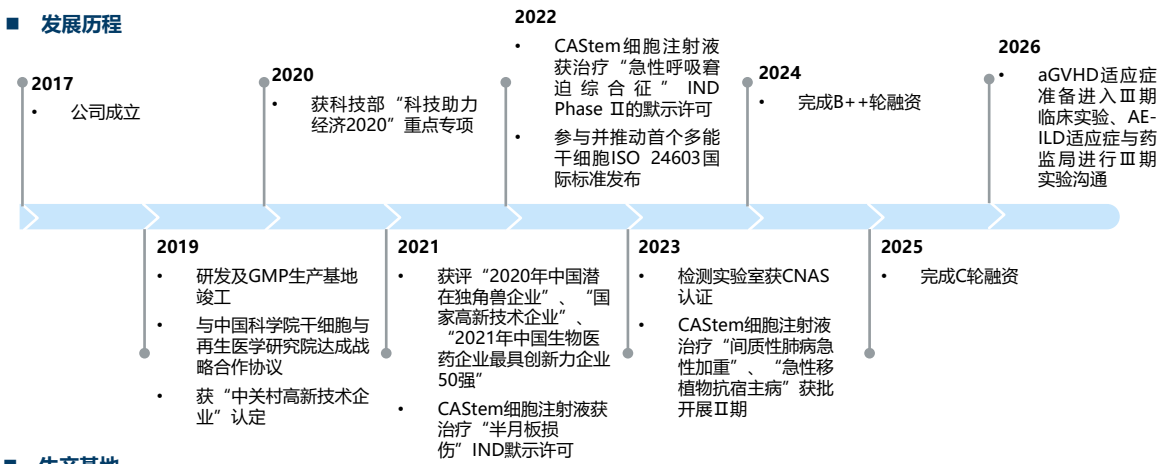
干细胞行业相关公司 – 北京泽辉辰星生物科技有限公司

■ 公司简介

泽辉生物致力于开发治疗多种疾病的多能干细胞（“PSC”）衍生的创新细胞治疗产品。公司2021年被认定为国家高新技术企业，2022年1月被认定为北京市“专精特新”中小企业。作为中国乃至全球最早一批开展PSC衍生细胞治疗产品研发的公司之一，泽辉生物是中国首批获得PSC衍生细胞疗法IND批准的公司及中国唯一一家拥有进入临床试验的人胚干细胞（“hESC”）衍生细胞治疗产品的公司。



■ 发展历程



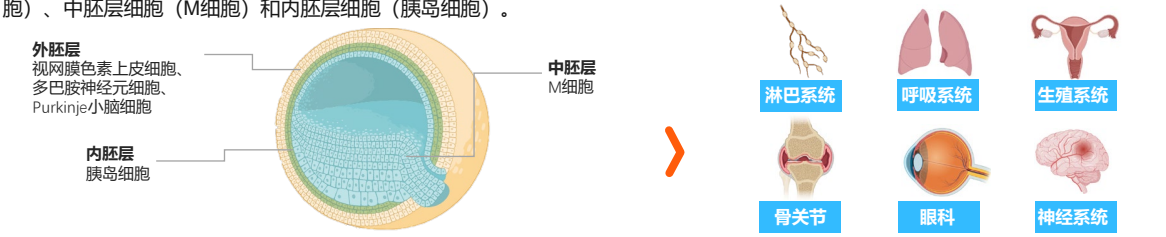
■ 生产基地

泽辉生物在北京中关村科技园昌平园东区拥有2,400m²的研发及生产基地，具有500m²的“B+A”洁净车间、CNAS认证的QC实验室，建立了国际一流水准的GMP干细胞药物生产厂房，配备了完备的细胞培养和检测设施，可制备满足cGMP要求的临床试验用药，已有多批次临床样品用于局部和系统给药临床试验，完全能够满足现阶段为国内患者提供安全、可靠和高质量干细胞药物的需求。



■ 业务布局

泽辉生物开发工作的近期重点是hESC衍生治疗产品，其为能够分化成人体所有细胞类型的人胚衍生的PSC。公司拥有多项独特的从PSC（多能干细胞）分化成不同功能细胞的核心技术，覆盖外胚层细胞（视网膜色素上皮细胞、多巴胺神经元细胞、Purkinje小脑细胞）、中胚层细胞（M细胞）和内胚层细胞（胰岛细胞）。



来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 北京泽辉辰星生物科技有限公司

■ 核心产品

泽辉生物依托自主研发PROF一体化多能干细胞技术平台，重点开发hESC衍生治疗产品，搭建差异化多能干细胞候选药物管线，共布局四款核心在研产品；其中核心管线ZH901（CASem 细胞注射液）为人胚干细胞分化得到的免疫基质调节细胞，也是国内多款适应症同步进入II期临床试验的PSC来源细胞治疗产品，且aGVHD适应症已完成临床II期。同时该管线已获NMP批准开展急性呼吸窘迫综合征、间质性肺病急性加重、急性移植抗宿主病、半月板损伤四项适应症的注册临床，另有ZH902、ZH903、ZH906等多款候选产品处于临床前研发阶段，分别针对干性年龄相关性黄斑变性、帕金森病、角膜内皮失代偿开展研究，整体管线覆盖呼吸、免疫、运动、神经、眼科多类尚无理想治疗方案的退行性、炎症及组织损伤疾病，全部细胞产品依托同源标准化种子细胞库制备，可满足 GMP标准化大规模工业化生产需求。



临床管线								
	在研药物	适应症	监管机构	临床前	IND申报	临床 I 期	临床II期	临床III期
M类细胞	ZH901	间质性肺病急性加重	NMPA					
		急性移植抗宿主病	NMPA					
		半月板损伤	NMPA					
		全因急性呼吸窘迫综合征	NMPA					
临床前管线								
	在研药物	适应症	监管机构	临床前	IND申报	临床 I 期	临床II期	临床III期
mDAP细胞	ZH903	帕金森病	NMPA					
RPE细胞	ZH902	干性AMD	NMPA					
CenC细胞	ZH906	角膜内皮失代偿	NMPA					

■ 核心优势

泽辉生物依托自主完整PROF多能干细胞一体化技术平台，叠加中科院独家专利合作资源、标准化GMP生产基地与稳定资本支撑，形成国内稀缺的多适应症PSC细胞管线布局，凭借细胞批次稳定、工业化适配、多疾病差异化布局、自主知识产权齐全等多重综合优势，在国内多能干细胞细胞治疗赛道建立差异化核心竞争力，专注针对各类难治性、缺乏有效治疗手段的疾病推进细胞新药临床转化。

研发创新

泽辉生物建立了多能干细胞药物研发体系，针对目前未满足医疗需求的疾病研发不同细胞药物，实现今后细胞药物的工业化大规模生产。

泽辉生物基于自身产品的特性和细胞疗法开发领域关键的专有技术，开发了多款功能细胞，涵盖肺部疾病、骨关节疾病、血液疾病、中枢神经疾病、眼科疾病等多种适应症。

国标制定

公司参与制定了首个人类干细胞国家标准GB/T 42466《生物样本库多能干细胞管理技术规范》及五组标准，包括T/CSCB 0009-2022《人类干细胞研究伦理指南》、T/ CSCB 0011-2022《人中脑多巴胺能前体细胞》、T/CSCB 0012-2022《人神经干细胞》、T/CSCB 0015- 2022《人干细胞来源细胞外囊泡通用要求》及T/CSCB 0010-2022《人自然杀伤细胞》。

生产能力

公司自成立以来发展迅速， 2019年5月，在北京中关村科技园昌平园东区建立了研发生产基地，生产设施按照GMP标准设计和运营，配备完备的细胞培养和检测设施，建立了干细胞药物质量管理体系，成功开展干细胞产品的工艺研究和质量研究，完全能够满足现阶段为国内患者提供安全、可靠和高质量干细胞药物的需求。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 博雅生命科技有限公司

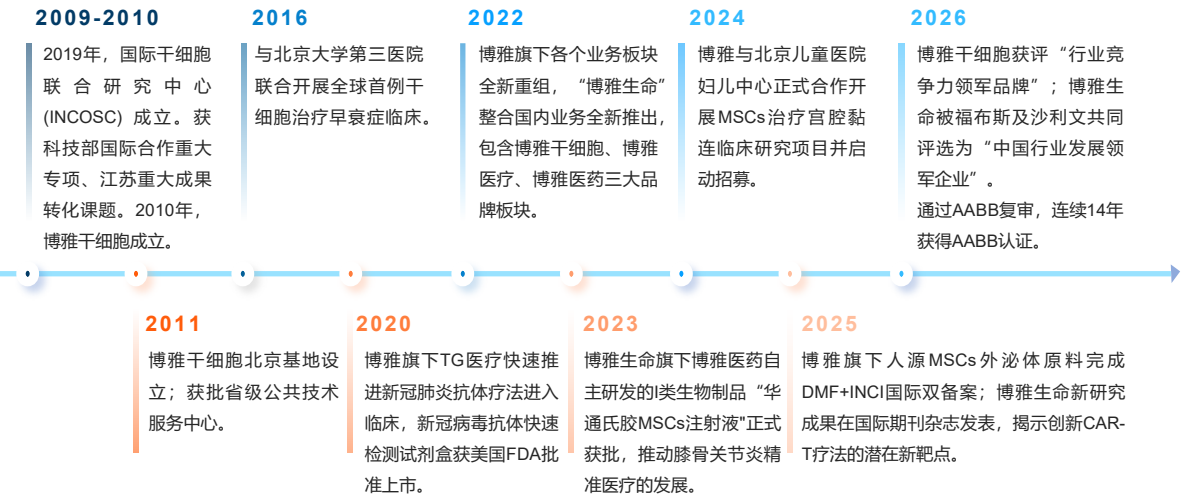
■ 公司简介

博雅生命是一家在细胞治疗技术开发及应用领域全产业链覆盖的生命健康科技企业，旗下包括博雅医疗、博雅干细胞、博雅医药三大业务品牌板块，囊括细胞治疗临床研发、细胞自动化设备与医疗器械、干细胞与免疫细胞存储、细胞药物研发等多个业务管线。博雅生命的长期愿景是打造一家在细胞科技领域有竞争力的生命健康企业，守护每一个家庭的健康。



- 博雅干细胞：**专注于细胞存储与健康管理，打造高标准、自动化的临床级细胞资源库和细胞制造中心，提供全品类细胞存储及制备服务；同时提供家庭全生命周期健康咨询与健康管理服务，利用细胞科技守护家庭健康。
- 博雅医疗：**专注于细胞自动化设备及医疗器械，并提供相关技术服务。研发的细胞自动化设备包括自动化组织/血液细胞分离系统、自动化细胞3D培养系统、细胞自动化冻存系统等，同时面向国内细胞临床应用提供专利的、自动化的手术室即时系统。
- 博雅医药：**专注于细胞治疗临床研究及细胞药物研发，包括干细胞药物、免疫细胞药物、细胞医疗技术以及细胞衍生产品研发。目前博雅已经与国内40多家三甲医院建立了临床合作关系。

■ 发展历程



■ 核心优势

接轨国际标准 - 三重国际认证，引领细胞行业生产与质量管理标准 - 符合中国、美国及欧盟标准的GMP实验室车间 - 通过中国食品药品检定研究院检定的临床级细胞质量 - 数字化、智能化的实验室管理	生产与质量管理体系	研发产能 - 全球竞争力的细胞全产业链 10,000m²临床级GMP实验室 - 全国5个核心实验室基地 >40家三甲医院的临床伙伴
拥有自动化细胞治疗医疗器械平台 - NMPA、FDA510 (k) 多重认证的细胞治疗医疗器械 - 自动化手术室即时应用系统 - 临床级细胞自动化生产与制备整体解决方案 - 已经实践于超过20种疾病的临床管线应用	自动化平台	核心专利 - 拥有覆盖全产业链的核心专利 - 近100核心细胞技术专利 - 近3,000次围产期干细胞临床实践 - 专利外周血 / 骨髓细胞治疗平台 - 完备的干细胞、免疫细胞、外泌体质量控制标准质量管理体系

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 博雅生命科技有限公司

■ 核心业务

博雅生命旗下的**博雅干细胞**已经建库17年，专注于新生儿围产期干细胞、免疫细胞存储、成人干细胞存储及成人免疫细胞存储，是细胞存储行业中的头部细胞库。博雅干细胞同时通过了血液与生物治疗促进协会AABB标准、世界卫生组织官方指定的NRL及美国病理学家协会CAP三重国际认证及能力检测，同时已通过中国食品药品检定研究院的检定，代表着临床级的细胞质量标准。





新生儿干细胞存储



成人免疫细胞存储



家庭全生命周期定制化健康服务

样本采集

干细胞采集
免疫细胞采集

冷链运输

专车运送、全程冷链温控

国际标准检测

通过AABB标准认证、NRL病毒检测、CAP实验室能力检测

专利细胞制备

专利自动化干细胞分离系统，严格入库标准

长期储存

细胞全程处于休眠状态

- 博雅自动化大规模细胞制造中心**可标准化、低成本规模化生产细胞，细胞回收、活率、纯度指标优异。中心配套三套专业设备：AXP快速分离系统高效处理样本，细胞回收率高；BACCS冷链系统全程精准温控溯源；BioArchive自动化液氮存储系统控温冻存，复苏细胞活性高，提升患者术后存活率，构建完整高品质细胞制备全流程。

原始靶细胞回收率 > 90%

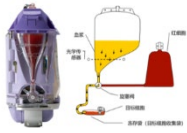
原始靶细胞活率 > 95%

培养收获的细胞活率 > 95%

24h活率维持在90%以上

细胞产品纯度达到99%

AXP®单个和细胞自动分离



- ✓ 单个核细胞回收率>97%
- ✓ CD34+干细胞回收率>98%
- ✓ 去红率>88%
- ✓ 30分钟快速分离，可同时处理6份样本

BACCS™巴斯™冷链控制



- ✓ 集溯源、定位集实时温度监控为一体
- ✓ 精确感知0.1℃的温度变化
- ✓ 有效保障运输过程中样本温度稳定性

BioArchive®自动化液氮储存系统



- ✓ 单存单取，避免热效应
- ✓ 程序化降温
- ✓ 样本取出后复苏细胞活性达94%
- ✓ 病人术后存活率较使用传统MVE提升10%

博雅医药是博雅生命旗下专注于细胞药物开发的业务板块。针对胎盘来源干细胞、脐带来源干细胞、外泌体药物及免疫细胞进行多管线药物研发及临床实践与开发。包含了干细胞针对早衰症、卵巢早衰、骨关节炎等多种退行性疾病，红斑狼疮、硬皮病等多种免疫系统疾病的临床研究；以及自体骨髓浓缩物治疗运动损伤、女性抗衰老、血管类疾病及肝硬化等器质性损伤等疾病的研究与临床合作。

■ 博雅核心技术平台

	PlacentaPro® 围产期干细胞技术工艺与转化平台	INCOCELL® 细胞治疗技术开发平台	VitaEXO® 外泌体技术研发与转化平台
技术	围产期MSCs (MSCs)	诱导多能干细胞 (iPSCs) 重编程	外泌体 (Exosome) 工程化递送
聚焦	骨关节炎、早衰症、慢性病	通用型、现货型细胞药品	神经退行性疾病、黄斑变性
定位	资源源头：0岁细胞保存与以字体个性化细胞疗法为核心的MSCs临床转化	技术攻坚：解决细胞来源标准化与规模化	精准医疗：高通量制备与无细胞治疗探索
特点	深耕胎盘、脐带围产期MSCs (MSCs) 提取制备与临床应用，在骨关节炎、卵巢早衰、糖尿病等衰老退行性疾病的干细胞治疗领域拥有成熟技术与丰富临床经验。	核心布局干细胞研发储备，搭建GMP标准iPSCs诱导分化生产体系，推进相关临床前研究与临床转化。	深耕外泌体高通量制备与临床转化，布局神经、腿部退行性疾病应用；同步研发内外源装载工程化改造技术，优化蛋白、核酸靶向递送，提升转化疗效。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 广东乾晖生物科技有限公司

■ 公司简介

广东乾晖生物科技有限公司是国内领先的致力于“组合型生物人工肝”及类器官等生物科技技术和产品研发的高新技术企业，针对未被满足临床需求：肝衰竭疾病，拥有全维度技术解决方案以及囊括三类有源医疗器械、一类治疗用生物制品等丰富的相关产品管线，目前相关再生医学技术和产品逐步拓展至其他适应症领域，有望通过自主研发的创新技术解决医学界的现实难题，惠及更多病患。



■ 发展历程



■ 核心技术

乾晖科技团队基于临床应用场景，结合肝衰竭疾病的时相分层救治策略，首次在功能替代的理论基础上，增加炎症控制理念，提出基于干细胞旁分泌机制的救治新技术并开展临床探索，根据肝衰竭病程进展的不同阶段匹配多项组合型生物人工肝相关技术和产品。其中，国际首个适用于组合型生物人工肝的干细胞药物“血液净化用MSCs”基于干细胞旁分泌机制，通过人工肝血液净化模式开展治疗，实现了从“机械清除毒素”到“生物阻断炎症风暴/调节内稳态+促进再生”的范式革命，相关产品已完成全自动生产工艺迭代。组合型生物人工肝脏治疗仪属于重大前沿科技成果，于2021年受推荐参加中国共产党建党100周年“不忘初心、牢记使命”大型成果展，并获中国共产党历史展览馆永久收藏陈列，陈列海南博鳌乐城永不落幕国际创新药械展。目前形成的第三代组合型生物人工肝脏治疗仪（型号：QH-1A）具有独特的特点：



来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 广东乾晖生物科技有限公司

■ 研发管线

乾晖科技公司深耕肝脏疾病创新疗法，已形成多项核心产品管线，致力于提供全维度的产品解决方案，目前已实现多个全球首创里程碑：国际首台“组合型生物人工肝治疗仪”（型号：QH-1A）已完成两项注册临床试验，进入创新申报准备，临床试验研究中心包括中山大学第三附属医院、南方医科大学南方医院、浙江大学医学院附属第一医院；国际首个适用于组合型生物人工肝的干细胞药物完成 I 期注册临床试验，15例肝衰竭患者入组基线Meld平均分26.667，治疗后90天生存率100%，无肝移植生存率94.7%；全球首项“干细胞外泌体”（PT-MSCs-EV注射液）治疗肝衰竭的探索性人体临床研究已完成，20例肝衰竭受试者治疗后4周生存率达85%，12周生存率70%，期间未发生与药物相关的严重不良事件，初步验证了疗法的安全性与潜在疗效信号。人脐带MSC来源外泌体（PT-MSCs-EV注射液）除肝衰竭适应症外，已积极开展不同适应症的拓展研究。其中，针对难治性耳聋适应症，乾晖科技外泌体制剂参与了全球首个鼓室注射PTMSC外泌体治疗耳聋的临床研究。



产品	产品类型	应用范围	临床前研究	IND	临床 I 期	临床 II 期	临床 III 期
干细胞型生物人工肝药械组合产品 QH-863-3+QH-1A	药械组合产品	慢加急性肝衰竭					
PT-MSCs-EV注射液	干细胞来源外泌体制剂	肝衰竭					
		难治性耳聋					

干细胞型生物人工肝药械组合产品

QH-863-3+QH-1A的药械组合产品近期取得突破性进展，该药械组合产品由干细胞型生物人工肝（一类治疗用生物制品，药物名称：QH-863-3）联合组合型生物人工肝治疗仪（三类有源医疗器械，QH-1A）组成。目前，“组合型生物人工肝治疗仪”已通过三类有源医疗器械注册检验，其配套的“血液净化用MSCs”药械组合产品已获一类治疗用生物制品IND。该组合产品首次和功能替代的理论基础上，增加炎症控制理念，提出基于干细胞旁分泌机制的救治新技术并开展临床探索，专为处于急性期的重症肝衰竭患者提供新型救治方案，并在最新公布的多中心临床研究及注册临床试验中展现出极佳的疗效与安全性：19例重症患者入组基线Meld平均分大于25分，在全面完成三个剂量组共29次治疗后，全程无相关严重不良反应，且治疗后90天生存率达到100%，无肝移植生存率94.7%，远超传统疗法约50%的生存水平。

■ 核心优势

“高致死率”临床赛道精准切入

我国是肝病高发国家，肝衰竭作为各类肝病的终末阶段，病情危重且病死率极高。当前，肝移植虽是唯一具有根治潜力的治疗手段，但受限于供体来源极度匮乏，绝大多数患者无法得到及时有效的治疗，导致临床上存在巨大的未满足需求。乾晖科技精准切入这一存在巨大供需缺口、极度缺乏有效疗法的空白领域，市场爆发力与临床应用前景极为广阔。

“组合型生物人工肝”核心技术

公司在国际上首创“细胞治疗+高端医疗器械”的组合型生物人工肝方案，该方案不仅有望将患者预期治愈率大幅提升至80%，更通过底层技术突破将治疗成本压缩至10万元以内。目前，两款核心产品已进入临床IND申报阶段；同时，其率先建成的成熟细胞库构筑了竞争对手至少五年以上的“追赶壁垒”，叠加包含51项高价值发明专利在内的72项全维度专利群，覆盖接触式生物反应器等核心部件，确立了极深的技术与时间护城河。

跨学科的顶尖产学研转化团队

药械组合创新对团队的复合能力要求极高。乾晖科技由兼具深厚理论与丰富临床一线经验的南方医科大学肝胆外科主任领衔创立，研发团队更汇聚了2名国家“863”课题负责人及5名中科院系统背景专家。这支融合了前沿生物学、工程器械与临床医学的顶尖“全栈式”团队，从根本上打通前沿科研成果从实验室走向手术台的高效转化路径。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 广州赛隼生物科技有限公司

公司简介

赛隼生物成立于2016年，是一家专注于干细胞创新药物研发的高新技术企业。公司基于对MSC在机体稳态维持与损伤修复机制的深刻理解，构建了覆盖“源头发现—工艺放大—精准递送—新药研发”的全链条自主核心技术集群，包括临床级MSC规模化扩增工艺，靶向病损组织高效递送系统，经不同发育路径MSC功能亚群定向分选，以及内源性MSC的原位激活与再生调控平台。该体系有效解决了MSC治疗中面临的功能异质性、疗效稳定性等瓶颈问题，为急危重症、神经精神疾病以及衰老相关疾病的治疗提供全新策略。



在临床管线布局上，目前已获5项干细胞新药临床试验（IND）批件，针对慢加急性肝衰竭（ACLF）的核心产品已顺利完成临床II期，正蓄势启动III期注册研究，是国内首个针对该适应症进入III期临床的MSC候选药物，进度全球领先；针对慢性缺血性脑卒中的管线稳步推进至临床II期，研发进度位居国内第一梯队。

2026年，凭借全球首个获批IND的老年性肌少症MSC新药进入临床I期，公司率先在衰老相关疾病领域建立战略性先发优势。依托“818”号令，已成功获准开展老年痴呆症、老年脑小血管病、强直性脊柱炎等干细胞生物医学新技术的临床研究，充分展现了持续性的源头创新和战略性的前瞻布局能力。

赛隼生物不仅是技术创新的先行者，更是生命健康的守护者。秉承“生命可以被修复”的理念，公司已建立符合CNAS及ISO 9001质量管理体系的全链条新药创制平台，覆盖早期靶点发现、工程化工艺开发、合规化生产到临床医学转化全流程。公司正以扎实的临床数据和国际化的战略视野，向具有全球竞争力的创新型生物制药领军企业稳步迈进。

发展历程



创始人介绍



项鹏 中山大学教授 赛隼生物创始人
干细胞与再生医学国地联合工程研究中心主任
国家级创新领军人才
重点研发首席科学家

承担国家级、省部级重大项目20余项
在Nature等杂志发表通讯作者SCI论文100余篇
授权发明专利13项、国际专利6项
牵头制定“人间充质干细胞”等2项团体标准

成果荣誉



来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 广州赛隼生物科技有限公司

■ 技术平台及研发管线

赛隼生物自主研发的骨髓MSC注射液CG-BM1，累计获5项国家药监局IND许可，适应症覆盖：慢加急性肝衰竭、缺血性卒中、急性呼吸窘迫综合征、老年性肌少症、绝经后骨质疏松症；其中CG-BM1治疗慢加急性肝衰竭管线已完成临床II期，慢性缺血性卒中管线已推进至临床II期，老年性肌肉减少症已启动临床I期。在一代MSC规模化扩增平台基础上，公司进一步布局二代精准靶向型MSC平台和三代多能干细胞诱导分化平台，围绕急性缺血性卒中、炎症性肠病、脓毒血症及阿尔茨海默病等方向储备后续管线，形成“一代平台临床突破，二、三代平台适应症拓展”的研发管线布局。



	一代：骨髓MSC	二代：精准靶向型MSC	三代：多能干细胞诱导分化平台
	CG-BM1 MSC规模化扩增平台	CG-BM2 MSC靶向产品构建平台	CG-X定向诱导分化平台
领先优势	稳定合规的骨髓采集渠道 独特的无血清培养体系 成熟高效的生产品质工艺	全球首创的靶向递送技术 优化的GMP级转染技术	稳定的临床级多能干细胞资源 独特的功能细胞分化路径 创新的疾病治疗策略
基于平台的管线选择逻辑	炎症疾病，调节旁分泌功能，以全身性的危重症、老年性退行性疾病和神经精神疾病为主，在MSC可自发富集的靶器官（肺、肝、脾等）	聚焦靶向病损组织的能力构建，扩展至MSC难以自发富集的靶器官（脑、肠、皮肤）	进一步扩展至功能退行性疾病，通过外源补充功能性细胞恢复机体功能
研发管线	慢加急性肝衰竭 老年性肌少症 慢性缺血性卒中 绝经后骨质疏松 急性呼吸窘迫症 自闭症	急性缺血性卒中 脓毒血症 炎症性肠病 脂肪性肝炎 特应性皮炎	阿尔茨海默病 性腺功能减退症

慢加急性肝衰竭

慢加急性肝衰竭（ACLF）的发病机制复杂，导致单靶点药物的治疗效果不佳，病人死亡率居高不下，迫切需要寻找新的治疗策略。项鹏教授所在的中山大学干细胞与组织工程教育部重点实验室团队前期研究发现MSC具有调控免疫平衡、减少继发感染、保护受损肝脏细胞的作用，提示MSC治疗ACLF的潜在可能。随即联合中山大学附属第三医院林炳亮教授团队启动了全球首个自体骨髓MSC治疗ACLF的大样本RCT研究，将患者生存率从55.6%提高到73.2%。在此基础上，以颜孙兴博士为首的赛隼生物团队进行了产业化开发，针对骨髓MSC开展系统性的药学研究和临床前研究，申请并获批自体骨髓MSC注射液（CG-BM1）治疗ACLF新药临床试验默示许可，迅速完成I期临床试验，证实了MSC治疗ACLF的安全性和初步有效性。目前已完成双盲、随机、安慰剂对照的II期临床试验，即将启动III期临床试验。

■ 核心团队

团队实力雄厚

由顶尖研发团队+顶级创投资本组成的技术转化专业阵容

赛隼生物的核心团队覆盖干细胞药物工艺开发、药理药效评价、新药临床研发的全链条专业能力，研发人员占公司总人数 80% 以上，硕博人员占比超 80%，科研配置实力突出。

- 公司经营管理层拥有干细胞产业化运营、政企投融资合作相关成熟经验，统筹企业日常经营、对外商务布局。
- 设置四大专业团队：研发科学家团队负责干细胞技术攻关、知识产权规划布局；质量管理团队把控全流程生产环节质量合规；医学事务团队对接临床机构，统筹临床试验相关医学沟通工作；注册团队推进新药临床试验申报、药品注册项目管理，完整覆盖干细胞新药商业化所需各环节。

■ 核心优势

赛隼生物拥有成熟的干细胞规模化生产体系和临床前项目运营管理能力，具备完整的干细胞产品临床前研究、成功的IND申报经验和临床试验运营管理经验，建立了生物医学新技术快速转化中心。

临床资源

- 中山大学附属第一医院
- 中山大学附属第三医院
- 北京协和医院
- 上海交通大学医学院附属瑞金医院
- 四川大学华西医院
- 浙江大学医学院附属第一医院
- 西安交通大学第一附属医院
-

40+ I/II/III期临床合作医疗机构

产能优势

赛隼生物拥有3,000m符合GMP标准的（CNAS L17624 & ISO9001 双认证）临床转化基地，确保了研发合规性与质量稳定性；

同步6,000m新增产业空间在建，为III期临床及后续商业化生产提供坚实的产能储备，实现研发端至产业化端的无缝衔接。

技术优势

异体人骨髓MSC注射液等获得5项国家药监局IND临床试验默示许可；牵头承担“十四五”国家重点研发计划“干细胞研究与器官修复”重点专项；累计申请专利15项、获授权11项，构筑起坚实技术壁垒。

战略布局

依托技术迭代打造差异化优势，完成干细胞产品从通用型向靶向精准化升级：布局二代精准靶向型MSC攻克传统干细胞病灶富集率低、滞留时间短的行业痛点；三代多能干细胞诱导平台解决干细胞穿透血脑屏障的难题；以及内源性MSC的原位激活与再生调控平台。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 湖南源品细胞生物科技有限公司

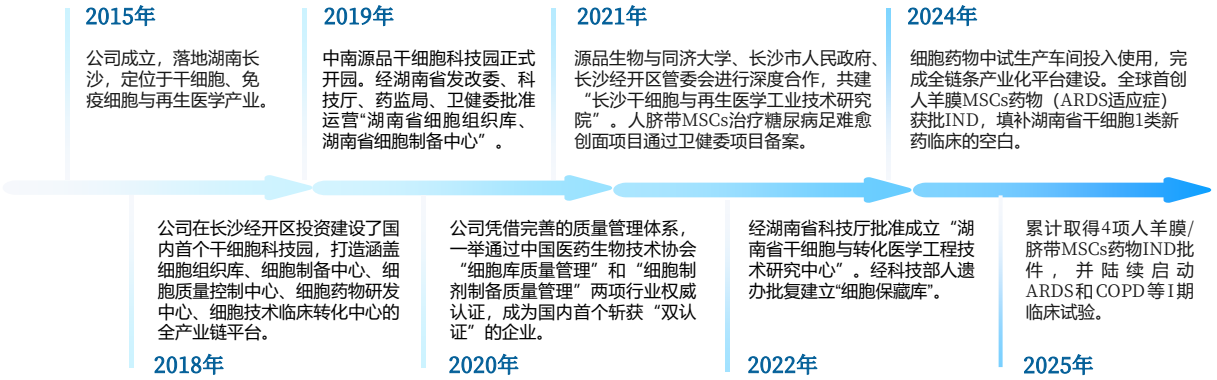
■ 公司简介

源品生物成立于2015年，是一家专业从事干细胞与免疫细胞储存、细胞药物研发、细胞产品生产制备、细胞治疗技术临床应用、全生命周期健康管理等业务的高新技术企业，也是湖南省细胞产业链主单位。公司深耕干细胞与再生医学领域，依托专业产业体系，搭建了细胞科技全链条业务管线。

公司自2019年科技园开园以来，历经六年深耕发展，在细胞核心技术攻坚、细胞药物研发上取得重大突破，在细胞资源存储、细胞产品生产制备、质量管控及规范化运营等方面树立行业标杆，综合实力成功跻身国内产业第一阵营。公司致力于打造国内领先、具备国际竞争力的细胞与再生医学产业平台，以前沿细胞科技赋能生命健康，守护万千家庭。



■ 发展历程



■ 核心技术优势

单细胞测序及生物信息学研究，构建干细胞组织来源选择技术优势

依托发表在《Nature》杂志上的单细胞测序研究成果，公司搭建干细胞多组学生物信息数据库，结合单细胞测序及细胞亚群研究，并结合细胞因子芯片，解析脐带、羊膜等不同组织来源的MSCs与临床应用价值的潜在联系；同时优化工艺攻克羊膜MSCs分离纯度低和增殖能力弱的技术难点，为干细胞存储与临床转化建立独家技术优势。

通用型iPSCs的研究与设计，构建干细胞药物疗效与可及性优势

基于非病毒重编程、基因编辑、iPSCs定向诱导分化技术，攻克iPSCs基因组稳定性及成瘤性、异体细胞免疫原性、定向分化效率等行业难题，可制备胰岛、神经、NK等功能细胞，针对糖尿病、神经疾病、肿瘤等临床重大难治性疾病，构筑前沿技术壁垒，推动细胞治疗产业化落地。

细胞类型	细胞来源	适应症	基础研究	临床前研究	临床I期	临床II期
MSCs	人羊膜	慢性阻塞性肺疾病 (COPD)				
	人羊膜	绝经（更年期）综合征 (MS)				
	人羊膜	急性呼吸窘迫综合征 (ARDS)				
	脐带	膝关节关节炎 (KOA)				
胰岛细胞	异体 iPSCs	I型糖尿病 (T1 DM)				
	异体 iPSCs	II型糖尿病 (T2 DM)				
神经前体细胞	异体 iPSCs	神经系统疾病				

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 湖南源品细胞生物科技有限公司

■ 核心业务

公司实施“一体两翼”发展战略，即瞄准世界技术前沿与客户需求，以细胞药物研发、细胞临床治疗及其产业化为主体，以细胞存储和细胞衍生产品两大现金流业务为两翼，抢占行业竞争制高点，开创细胞治疗市场蓝海，构建全链条闭环的细胞产业平台。



细胞药品及技术研究与应用

公司科研团队基于单细胞测序与分析技术，搭建了干细胞多组学生物信息数据库，并通过细胞亚群研究和细胞因子芯片技术，揭示不同组织来源（脐带、羊膜、绒毛膜、脂肪）MSCs与临床疾病治疗的潜在联系。通过创新性工艺研究与优化，解决了人羊膜MSCs分离纯度和增殖能力弱的技术难点。

■ 自主药物研发：

羊膜MSCs治疗急性呼吸窘迫综合征（ARDS）、羊膜MSCs治疗慢性阻塞性肺疾病（COPD）、羊膜MSCs治疗绝经综合征（MS）、脐带MSCs治疗膝骨关节炎（KOA）。

■ 自主技术研究：

脐带MSCs治疗糖尿病足难愈创面、羊膜MSCs治疗早发性卵巢功能不全、脐带MSCs治疗小儿自闭症、干细胞外泌体规模化制备及在组织损伤修复中的研究。

新生儿干细胞储存

- **储存细胞种类：**脐带MSCs、胎盘羊膜MSCs、胎盘亚全能干细胞等。
- **关键词“新生修复”，**干细胞最佳的存储时间是在出生时。
- 业务遍及全国多个省份，其中湖南省已覆盖14个地州市，合作医院接近100家，业务处于省内领先。

成人免疫细胞储存

- 采集成人外周血免疫细胞长效冻存，用于提升免疫力、肿瘤与免疫相关疾病干预；
- 依托**湖南省细胞组织库与湖南省细胞制备中心**，配套免疫健康监测、临床制剂制备全周期健康管理服务。
- 已在12个省（含澳门）以及马来西亚成功开拓了专业服务商。其中湖南服务商数量已发展至60多家。

iPSC细胞储存

诱导多能干细胞（iPSC）储存，是指将个体在健康、年轻时的体细胞（如外周血）采集后，通过重编程技术将其转化为多能干细胞，并在极低温（-196℃液氮）下长期冻存，以保留细胞最佳状态。

技术支撑：公司目前已掌握一套具有自主知识产权的包含iPSC重编程、基因编辑、培养、制备、分化、鉴定、检测等在内的完善体系和生产工艺，聚焦糖尿病、神经系统疾病、恶性肿瘤等临床重大难治性疾病。

细胞衍生产品

- 围绕生物护肤产品定位，开发细胞衍生液体单元与膏霜乳液单元护肤品品类。同时，公司还加大细胞小分子肽等新型生物活性化妆品原料开发力度，推出更具功效的新概念护肤品。
- 品牌：赛伶、赛伶元细胞
- 二类械字号：2个；妆字号：13个；美国FDA注册号：10个

■ 核心优势

全链条
自有产业
平台

公司建成五大研发生产核心基地，涵盖湖南省细胞组织库、湖南省细胞制备中心、细胞质量控制中心、干细胞与再生医学研究院和干细胞技术临床转化中心，打通细胞采集、冻存、制剂生产、科研试验、临床应用全链条闭环。

独家原创
干细胞技术
壁垒

公司搭建两大差异化干细胞核心技术平台。依托单细胞测序及分析成果搭建多组学数据库，精准区分不同组织MSCs功能差异，自研工艺攻克羊膜MSCs纯度、增殖难题，多款干细胞新药已进入临床I期。同时掌握通用型iPSC全套研发技术，突破基因组不稳定、免疫排斥、分化低效等行业痛点，可定向制备胰岛、神经、免疫等功能细胞，布局糖尿病、神经系统疾病、恶性肿瘤等多条研发管线，形成从基础机制解析、细胞制备到新药临床转化的完整技术护城河。

多项核心
专利+专家
团队

公司科研专利储备扎实，源品生物共申请专利58项，已获授权国际发明专利2项、国内发明专利16项、实用新型专利2项，同时拥有核心专有技术20项（不申请专利）；同时组建顶尖科研团队，由院士和国内顶级教授专家构成，为干细胞底层技术研发、新药管线开发提供坚实人才与知识产权支撑。

扎实过硬
的软硬件
基础设施

公司重资产打造的中南源品干细胞科技园，硬件处于国内领先水平；同时也是国内首个获得中国医药生物技术协会“细胞库质量管理合格证书、干细胞制剂制备质量管理合格证书”双认证的企业；细胞制剂获得中检院最高权威认证；公司还参与多项国家、省、行业标准制定。

干细胞行业相关公司 – 华域生物科技（天津）有限公司

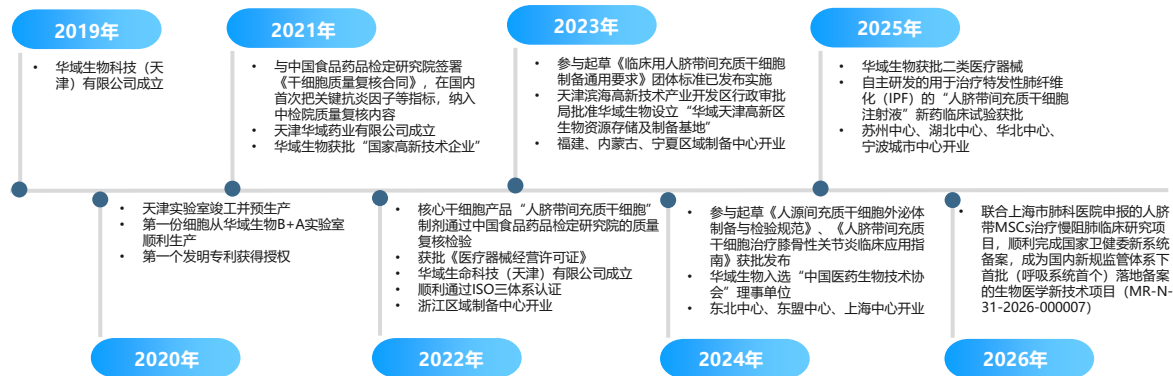
■ 公司介绍

华域生物科技（天津）有限公司（Sino Biotech）总部坐落于天津高新技术产业园区，是一家集国家科技型企业、天津市专精特新企业、天津市创新型企业等诸多荣誉于一身的国家认证的高新技术企业。集团专注于创新和品质，秉持“成人达己、成己为人”的理念，在全国率先搭建了国际标准的细胞药物CDMO+CQO+CRO平台，以16个符合cGMP标准及《人类遗传资源管理条例》要求的生物细胞资源存储基地为基础，全力打造细胞药物、生物医学新技术及生物资源存储转化体系，推动生物细胞产业规范化发展，为提升全民生命健康水平而不懈努力。



华域生物
SINO BIO

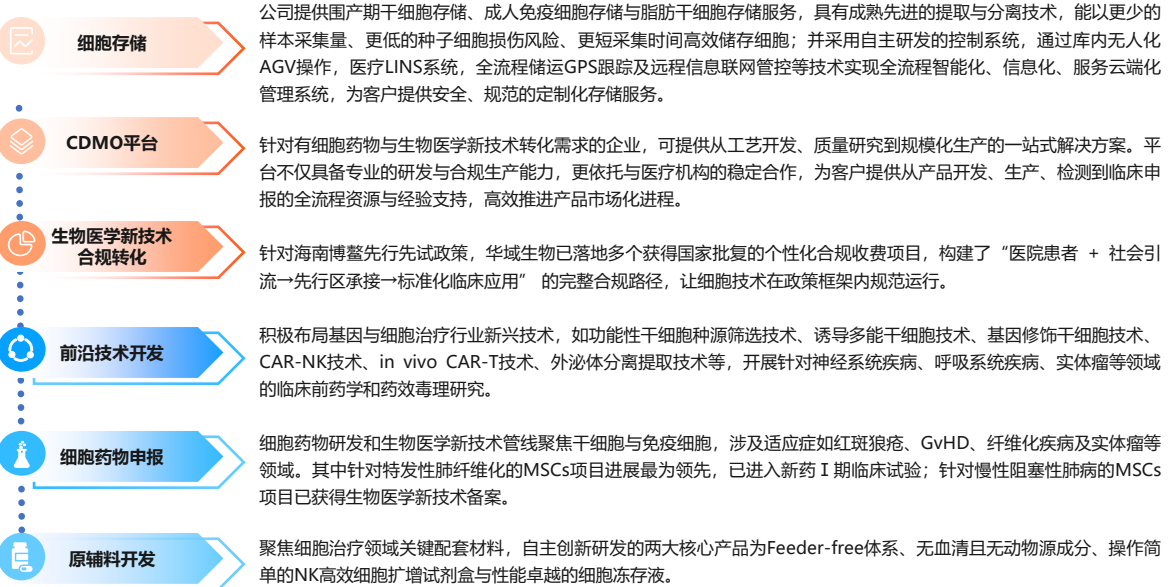
■ 发展历史



■ 业务板块

华域生物以细胞研究和再生医学技术为核心，专注于细胞科技产业领域的创新及发展。主营业务包括细胞存储、CDMO服务、生物医学新技术转化、细胞药物申报、原辅料开发、前沿技术开发、健康管理、生物护肤等业务，旨在打造完整的再生医学全产业链闭环。

图：主要业务板块梳理



来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 华域生物科技（天津）有限公司

■ 核心管线

华域生物已形成以UC-MSCs为核心、涵盖干细胞与免疫细胞的多元化研发管线，聚焦特发性肺纤维化、GvHD、膝关节炎及实体瘤等重大疾病领域，布局从早期研究到III期临床的全周期开发路径，在细胞药物创新与临床转化方面具有系统化能力。



华域生物
SINO BIO

图：核心细胞药物/生物医学新技术申报管线

来源	适应症/用途	早期研发	CMC开发	非临床研究	IND	I 期临床	II期临床	III期临床
细胞药物								
UC-MSCs	特发性肺纤维化	药物临床试验批件2025LP01967						
UC-MSCs	移植物抗宿主病							
在研项目								
MSCs	下肢缺血性创面修复、骨质疏松，勃起功能障碍、衰弱综合征、肌肉减少症							
NK	实体瘤、阿尔兹海默症							
基因修饰MSC	肺纤维化							
CAR-NK	实体瘤							
IPSC	神经系统疾病、损伤修复							
来源	适应症/用途	早期研发	CMC开发	非临床研究	备案申请	临床研究	转化审批	院内应用
生物医学新技术								
UC-MSCs	慢性阻塞性肺病	MR-N-31-2026-000007						
IPFP	膝关节炎	已进入备案审批阶段						
UC-MSCs	急性肾损伤	通过机构伦理审核						
UC-MSCs	初发 I 型糖尿病	通过机构伦理审核						

■ 生产布局

图：华域生物生产布局



来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 南京艾尔普再生医学科技股份有限公司

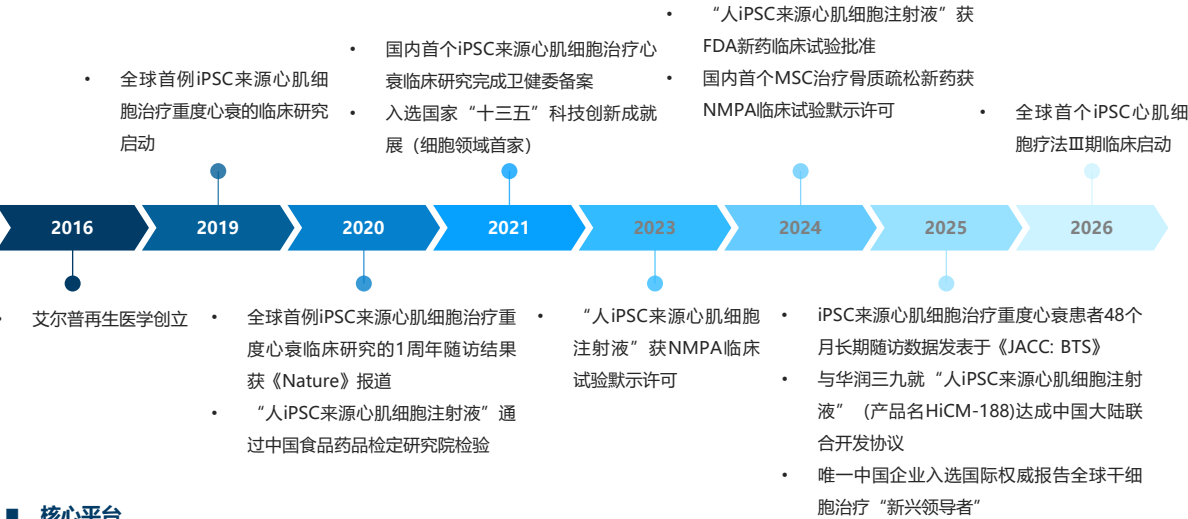
■ 公司简介

艾尔普再生医学创立于2016年，是一家全球领先的老龄化难治疾病再生医学创新疗法开发公司。公司始终践行“Live Better & Longer”，为让人类健康地活到120岁，围绕心血管系统等老龄化难治疾病持续性推进创新治疗产品的开发。凭借其细胞培养溶液独家专利技术，提升分化效率，降低细胞生产上游成本，结合HELP Cell-foundry量产平台，打造安全有效、质量可控、患者可负担的创新治疗产品。



艾尔普再生医学
HELP THERAPEUTICS

■ 发展历程



■ 核心平台

作为国内首家利用iPSC技术进行细胞治疗研发和产业化的公司，艾尔普再生医学的核心技术壁垒主要体现在底层干细胞技术与自动化量产工艺的结合。

HELP Cell-foundry 全自动化量产平台

全球首创的人工智能全自动化细胞生产线，曾入选国家“十三五”科技创新成就展。该平台彻底打破了传统手动培养“耗时长、批间差异大、产量低”的行业瓶颈，实现了规模化、标准化的细胞“智造”，单条产线年产量可满足100,000人次用药，在提升产品稳定性、批次一致性、制备成功率的同时，极大降低了生产成本。

自动化生产

HELP Cell-foundry实现了全面的细胞生产自动化。从培养细胞到分离和分选，每个步骤都经过精确的自动化控制，从而实现高通量的细胞生产，减少人工操作的错误和差异，提高生产效率和均一性。

实时监测和反馈

HELP Cell-foundry配备了智能传感器和实时监测系统，可以实时监测关键参数如温度、pH值和氧气浓度等。通过机器学习算法的分析和反馈，实时调整培养条件，保持最佳的生长环境。这种实时监测和反馈机制确保了细胞的健康生长和产品质量的稳定性。

灵活适应不同需求

HELP Cell-foundry具有灵活的适应性，可以满足不同细胞类型和应用领域的需求。无论是培养特定的细胞系，还是针对特定研究目的进行筛选和分选，HELP Cell-foundry都可根据生产要求进行定制化调整，实现最佳的结果。

干细胞行业相关公司 – 南京艾尔普再生医学科技股份有限公司

■ 研发管线

公司围绕老年退行性难治疾病持续推进“通用现货型”细胞药物开发，致力于打造安全可靠、成本可控、患者可负担的创新细胞治疗产品。目前，艾尔普主要在心血管、骨科、眼科三大领域布局了多条基于iPSC技术的通用型细胞治疗管线。在心血管领域，其用于治疗严重心力衰竭的iPSC来源心肌细胞注射液HiCM-188，已进入国内确证性临床试验阶段，这是该药物上市前的最后关键验证阶段。



领域	产品	适应症	概念验证	临床前	临床 I 期	临床 II 期	临床 III 期
心血管疾病	HiCM-188 (中国)	晚期心力衰竭					
	HiCM-188 (美国)	晚期心力衰竭					
	HiCM-388 (中国)	急性心肌梗死					
骨代谢疾病	HMM-910 (中国)	绝经后骨质疏松症					
眼科疾病	HiO-630 (中国)	干性年龄相关性黄斑变性					

HiCM-188临床研究进展

作为针对缺血性重度的创新细胞疗法，艾尔普再生医学自主研发的HiCM-188突破性采用“精准定位+靶向植入”的治疗策略：通过核素显像与心脏核磁共振技术实现梗死及受损心肌区域的精准可视化，再以矩阵式注射技术将iPSC衍生心肌细胞定向植入病灶，从源头推动心肌细胞再生与心脏功能修复，为传统治疗手段效果不佳的重症心衰患者开辟新的治疗路径。目前，该产品已在中国进入多中心、随机、对照的确证性III期临床试验（REVIVE-HEART研究），预计纳入80例晚期心力衰竭患者（NYHA III-IV级）。此前已完成的I期和II期临床研究阶段性成果验证了疗法的可行性与安全性。

■ 研发实验室



CRIC|心脏再生疗法研究中心

艾尔普再生医学致力于心脏再生疗法的开发与临床应用，全球领先的HiCM-188心力衰竭研发管线，新药临床试验已获国家监管部门批准，且完成国家卫健委首个基于诱导多能干细胞技术的临床研究备案，已顺利完成I期剂量爬坡试验与II期有效剂量拓展研究。



OD LAB|眼科疾病联合研究实验室

由艾尔普再生医学与江苏省人民医院携手开展的诱导多能干细胞来源视网膜色素上皮细胞治疗年龄相关性黄斑变性研究项目，先后入选2022年度江苏省重点研发科技计划（社发专项）及南京市生命健康科技专项。相关研发管线有望为“无药可用”的年龄相关性黄斑变性患者带来新曙光。



MR LAB|运动系统修复实验室

艾尔普再生医学已掌握稳定、高效的细胞生产和制备技术，在保证细胞活性、数量、功能等方面不断优化细胞分离方式与培养技术，满足临床骨病治疗需要。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 睿健毅联医药科技（成都）有限公司

■ 公司简介

睿健医药成立于2017年，是一家专注于小分子化学转录调控诱导多能干细胞（iPSC）产品开发的生物医药企业，核心产品主要用于帕金森病、多系统萎缩（MSA-P）及眼科疾病。

睿健医药是全球首个基于“AI+化学诱导”平台的细胞药物开发公司，由剑桥大学和爱丁堡大学归国人员创立。成立以来，公司已获得多项中国发明专利及PCT国际专利，并承担多项国家重点项目。2026年6月至7月，睿健医药先后完成超5亿元C轮及C+轮融资。



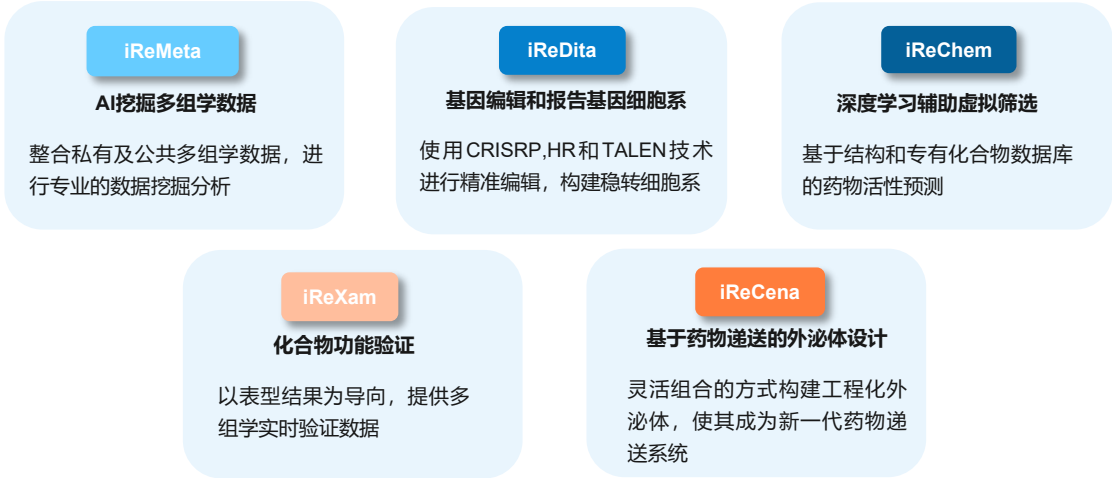
■ 发展历程



■ 核心技术

睿健医药具有自主知识产权的新一代研发生态系统，拥有独特的“AI+化学诱导”平台，该平台由五大核心技术板块构成：iReMeta（基于大数据及人工智能驱动的模式生物元数据整合平台）、iReChem（聚焦发育生物学的化合物发现平台）、iReDita（高效的基因编辑平台）、iReXam（细胞验证平台）和iReCena（基于化学诱导细胞的外泌体复杂药物开发平台），形成了从靶点发现到药物递送的全链条研发体系。该平台的核心运行逻辑分为三大步骤：首先通过独特的计算生物学平台iReMeta挖掘细胞转化的核心驱动基因；其次利用AI高通量筛选精准锁定诱导细胞定向分化的小分子化合物组合；最后以纯化学诱导方式实现细胞命运与功能的精准重塑。

基于该平台开发的通用型iPSCs疗法NouvNeu001的安全性和有效性都已得到初步验证。与其它细胞疗法相比，化学诱导通用型细胞疗法的生产成本相对更低，患者的可及性更高，更具商业化价值。



来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 睿健毅联医药科技（成都）有限公司

■ 核心管线

睿健医药的核心策略是选择最适合再生医学的方向，专注于自身擅长的发育生物学领域，并瞄准目前缺乏有效干预手段的退行性疾病。当前公司的管线主要聚焦中枢神经系统（CNS）和眼科领域。其核心管线NouvNeu001（帕金森病）已获中美双报双批，并获得了FDA快速通道（FTD）与再生医学先进疗法（RMAT）双认定；针对早发型帕金森病的NouvNeu003、针对多系统萎缩的NouvNeu004及针对眼科的NouvSight001等管线亦处于领先地位。



候选药物	适应症	IND申报	I 期临床	II 期临床	III期临床
NouvNeu001	帕金森病	- NMPA+FDA双报双批首个iPSCs衍生帕金森细胞治疗产品，FDA授予的全球首个特殊豁免资格 - 中国临床II期全部给药；美国II期首批患者给药，获得“S.E/FTD/RMAT”资格			
NouvNeu003	早发型帕金森病	完成中国注册临床 I 期			
NouvNeu004	多系统萎缩	- 全球首个针对多系统萎缩的细胞治疗药物，中美双报双批 - NMPA批准开展 I - III 全周期临床实验；FDA授予“S.E”资格；中国临床 I 期首批患者给药			
NouvSight001	视网膜变性	已获得FDA孤儿药资格。2026 Q3中美IND双报			
NouvNeu002	缺血性卒中	2026 H2中美IND双报			

■ 最新融资进展

2026年Q2，睿健医药完成超5亿元C轮及C+轮融资。短期内连续完成两轮融资，充分体现了新老投资人对睿健医药的持续认可。也标志着睿健医药进入从“技术平台验证”向“临床价值兑现”和“资本化加速”转变的关键阶段。C轮由光合创投、杏泽资本联合领投；C+轮由成都科创创投领投，中信建投资本、锡创投、鼎泰星、新基业、弘毅资本参投，元希海河、金沙江联合润璞园丰等老股东持续追加投资。

本轮投资方阵容多元，涵盖地方国资、券商资本与产业机构；公司过往融资中，达晨财智、策源资本、北极光创投、祥峰投资、泰格医药等知名机构亦曾深度布局。光合创投及杏泽资本联合领投，所募集资金将全面用于公司核心临床管线全球推进、“AI+化学诱导”技术平台持续迭代升级、规模化工业化生产体系建设、国际多中心临床开发以及全球化商业合作布局落地。成都科创创投，中信建投资本、弘毅资本等机构的参与，有助于提升公司在资本市场、后续融资和潜在资本化路径方面的资源连接能力。鼎泰星、新基业等产业方的投资，则体现出产业资本对公司临床管线和未来产品价值的关注。

■ 核心优势

睿健医药作为全球首个基于“AI+化学诱导”的一站式细胞药物研发平台，由剑桥、爱丁堡等顶尖学府归国科学家创立，已建立覆盖化合物、培养基及工艺的自主知识产权体系，并建成B+A级GMP生产厂房及万平米级研发基地，具备从源头发现到低成本、大规模制备通用型细胞药物的全链条能力。

技术优势



睿健医药是全球首个基于“AI+化学诱导”的一站式细胞药物研发平台，重构了传统细胞治疗研发范式。这种方式无需基因编辑，仅通过小分子化合物与基础培养基的简单组合，即可完成从iPSCs到功能加强型通用型细胞药物的高效、低成本、大规模制备。

专利与知识产权优势



睿健医药已建立覆盖全新结构诱导化合物、基础培养基、生产工艺及质量体系的知识产权系统，拥有自主知识产权的化学诱导平台及相关专利布局。

团队优势



睿健医药由来自英国剑桥大学、爱丁堡大学及罗斯林研究所的归国科学家共同创立，并组建了一支国际化队伍，分别在生物医药科学创新、转化医学及临床、生物医药法规领域、跨国药企运营管理、资本运作领域均具有15年以上海内外成功经验。

产能与生产优势



睿健医药已建成B+A级GMP生产厂房，一万平米以上的工业化生产和研发基地，满足覆盖全球市场的同种异体细胞药物产能，同时具备覆盖中美澳多地的物流投送能力。

来源：公司资料，沙利文分析

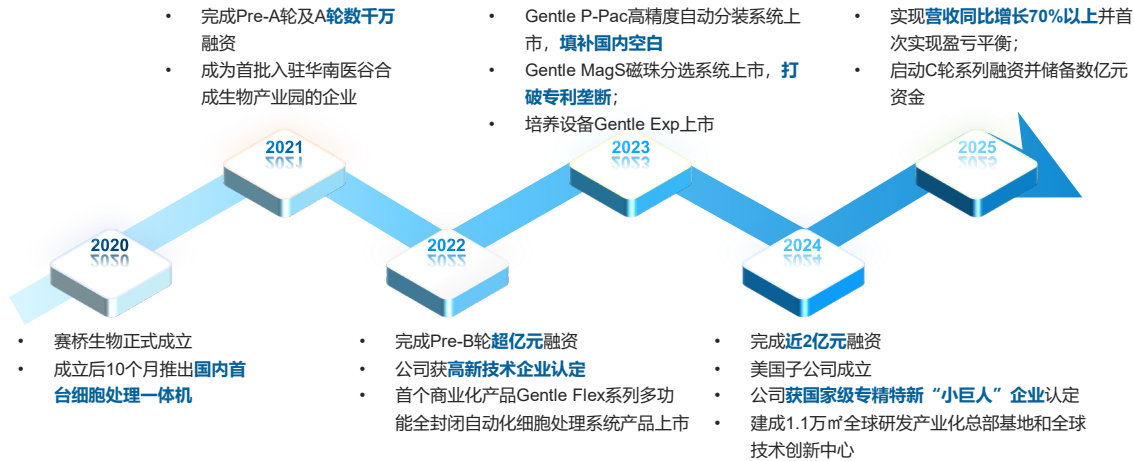
干细胞行业相关公司 – 深圳赛桥生物创新技术有限公司

■ 公司简介

赛桥生物成立于2020年3月，是面向细胞与基因治疗领域的产业化能力构建者。公司以工艺—工具一体化创新为核心，赋能CRO/CDMO平台建设，助力细胞药物从早研、临床到商业化的标准化转化。赛桥持续链接企业、医院、科研机构与国际资源，推动CGT产业生态建设与全球化布局。目前已服务超200家企业、100余条细胞治疗管线，业务覆盖全球10余个国家。



■ 发展历程



■ 核心平台

赛桥生物围绕细胞治疗产业化全链条，形成了“深圳总部基地—北京研究院—常州生产基地”三位一体的产业布局。深圳总部基地作为全球研发与产业化中枢，承载前沿技术研发、规模化测试与商业化转化功能，推动创新成果从实验室走向产业应用；北京研究院聚焦微流控芯片等底层核心技术，强化源头创新与产学研协同，突破细胞治疗自动化关键瓶颈；常州生产基地则承担规模化制造与供应链保障职能，以GMP标准车间、全流程自主可控能力和质量体系支撑产品稳定交付。通过研发、验证、生产与质量体系的协同联动，赛桥持续构建面向全球的细胞治疗自动化装备与产业化能力。



商业化全生命周期深度赋能

赛桥生物围绕细胞治疗产品从早期研究、临床转化到商业化生产的全生命周期需求，构建了以自动化制备技术、工艺适配能力和产业化系统方案为核心的综合赋能体系。公司深度覆盖MSC、CAR-T、NK、TCR-T等多类技术路径，已支持中美40+款进度领先细胞药物突破关键节点，并通过近100套工艺方案交付，帮助创新药企、医院平台及CDMO客户缩短开发周期、提升制备稳定性，推动管线从研发设计走向规模化、标准化和商业落地。

全自主知识产权布局

赛桥生物始终坚定源头创新，400+项专利共同搭建出完整先进的产品矩阵，满足客户全品类+全周期工艺需求，多项关键指标突破行业天花板，完成合成生物高端装备从技术发明到规模应用的商业闭环，实现细胞基因药物大规模、低成本、高效率生产。

企业产能全新升级

赛桥生物加速构建“深圳总部智造中枢+常州耗材供应链基地”的双基地协同体系。其中，深圳总部承担自动化设备研发、工程验证、整机制造与智能制造能力建设；常州基地聚焦关键耗材规模化生产与稳定供应，总计规划建设20,000㎡GMP标准车间。通过设备与耗材两端自主可控，赛桥进一步提升产品一致性、交付稳定性和供应链安全能力，持续赋能药企、CRO/CDMO平台及海外合作伙伴的产业化建设。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 深圳赛桥生物创新技术有限公司

■ 核心产品

赛桥生物聚焦细胞治疗工艺装备创新，构建覆盖“分离-分选-转染-培养-计数-收获-制剂-放行”全流程的自动化产品矩阵，打造10余个持续创新的系列单机装备，实现从早期研发、临床研究到商业化生产的全周期覆盖。通过工艺与工具的深度融合，支撑100+管线场景高效开发，以自动化能力提升细胞制备的一致性与稳定性，推动行业从“定制化研发”向“规模化生产”跨越。赛桥以持续创新的产品体系，为产业提供“精准、高效、合规”的工艺解决方案。赛桥生物的核心产品体系以CellFAB One全系列一体机、Gentle Flex系列、Gentle P-Pac系列为主干，并逐步延伸至Gentle Exp、Gentle n-MagS/m-MagS、CB-LeakGuard等产品。



一体化自动化——CellFAB 系列

重构自动化细胞制备范式

CellFAB One一体机是赛桥生物当前重点推出的自动化细胞制备系统，面向细胞治疗产品从研发转化到产业化生产过程中的高一致性、高稳定性和低人工依赖需求。该系统可将细胞处理、培养、换液、收获、洗涤、制剂化等关键步骤集成于封闭环境中运行，帮助用户降低开放操作风险，提升批间一致性和生产效率；同时支持多类型细胞、多工艺流程及多应用场景的灵活适配，为药企、医院、科研机构及CRO/CDMO平台快速建立标准化细胞制备能力提供核心工具。

自动封闭



CellFAB One E
适用于无磁珠工艺

柔性开放



CellFAB One M
适用于微米磁珠工艺

开箱制备



CellFAB One N
适用于纳米磁珠工艺



CellFAB One MN
适用于纳米磁珠分选+微米磁珠激活工艺



CellFAB One I
适用于无磁珠工艺+培养箱病毒转导

模块化自动化——Gentle 系列

针对特定步骤的定制化自动化

Gentle系列是可实现细胞治疗流程中关键单元操作自动化的独立系统，涵盖外周血单个核细胞（PBMC）分离、磁珠处理及灌装/终处理。这种模块化设计实现逐步构建流程，一次完善一个步骤。

Gentle Flex Pro



多步骤处理能力：外周血单个核细胞（PBMC）分离、磁珠孵育、病毒转导、洗涤与分装
支持50L样品体积；可处理多达 1×10^{11} 个T细胞
高流速（可达220毫升/分钟），回收率超90%
FaSe™快速分离技术，低剪切力，高细胞活性

封闭式自动化细胞处理系统，
适用于实体瘤应用与大批量
异基因流程

Gentle n-MagS®

纳米磁珠分选系统，适用于
CD3+细胞及其他目标细胞群

全自动化封闭式磁分离
纯度95%、活性超95%、回收率超60%
整合流量传感器与在线称重功能
可与Gentle Flex Pro无缝搭配，实现全流程自动化



Gentle P-Pac



每袋分装2–150mL，每批次总容量可达3L（每循环20袋）
分装精度 $\pm 0.3\text{--}2\%$ ，浓度变异系数 $<5\%$
灌装过程中维持 $2\text{--}8^{\circ}\text{C}$ ，保持细胞活性
速度比手动快10倍，确保袋体完整性一致
独立通道设计，可同时进行多体积分装

适用于病毒与细胞处理的自
动化灌装与终处理平台

来源：公司资料，沙利文分析

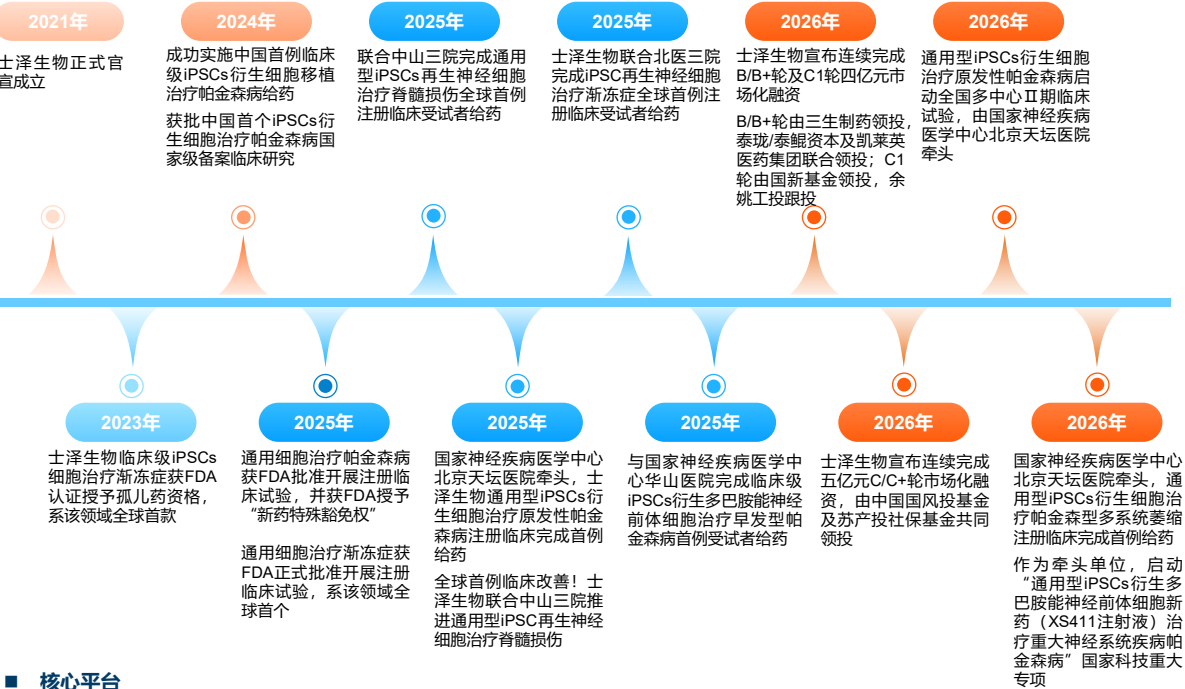
干细胞行业相关公司 – 士泽生物医药（苏州）有限公司

■ 公司简介

士泽生物成立于2021年，由李翔博士全职归国创立，专注于开发临床级、异体通用、“现货型” iPSCs衍生神经细胞药物，聚焦帕金森病为代表的尚无实质解决方案的中枢神经系统疾病。公司为江苏省双创团队领军企业、姑苏重大创新团队企业、姑苏创新创业领军人才企业、上海市东方英才计划企业、上海市春申计划杰出引进人才企业等；连续获评中国潜在独角兽及江苏省潜在独角兽企业；作为项目负责或牵头单位，承担国家“揭榜挂帅”重点攻关项目、创新药物研发国家科技重大专项等。



■ 发展历程



■ 核心平台

士泽生物的核心技术是基于底层自主知识产权的XellSmart重编程及定向诱导分化平台，该平台能够以无基因组整合的高安全标准将体细胞高效转化为临床级iPSCs，从而规模化制备用于攻克重大神经系统疾病的异体通用“现货型”神经细胞新药。

XellSmart 细胞重编程技术平台

可快速、高效、稳定地转化为临床级诱导多能干细胞，全程无基因组整合；平台内置单克隆追踪溯源系统，确保每一株细胞来源清晰、质量可控。

XellSmart 基因编辑平台

可在iPSCs阶段一次性完成单基因到多基因的敲除、敲入、敲减、过表达及位点特异性突变，为通用型现货iPSCs衍生细胞药物的开发提供精准、稳定、规模化的源头保障。

XellSmart 多能干细胞诱导分化平台

可快速、高效的诱导人多能干细胞分化为神经元，体外高效、稳定的制备不同脑区特化的，人类神经胶质细胞和其他功能细胞类型。

XellSmart 临床前动物疾病模型构建平台

针对神经系统疾病核心适应症，平台可构建高质量动物模型，配套病理表型与多维评价指标体系，为机制研究、药物筛选与创新疗法验证提供坚实支撑。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 士泽生物医药（苏州）有限公司

■ 研发管线

士泽生物已获得中国国家药监局和美国食品药品监督管理局正式批准的九项中美注册临床试验批件，多款通用型iPSCs衍生神经细胞新药已处于中美注册临床试验阶段，包括原发性帕金森病（中国注册临床II期及美国注册临床I期）、早发型帕金森病（中国注册临床II期）、帕金森多系统萎缩（中国注册临床I+II期及美国注册临床I期）、脊髓损伤（中美注册临床I期），此外用于治疗肌萎缩侧索硬化症/渐冻症的产品（中国注册临床I+II期、美国注册临床I期），是中国首个获得美国FDA认证并被授予全球孤儿药资格的自主iPSCs衍生细胞新药。



产品	适应症	药物发现	临床前研究	IND-Enabling	FIH研究	I期	II期	III期	申报地区
XS411注射液	原发性帕金森病	FDA授予特殊豁免权；创新药物研发国家科技重大专项；FDA快速通道资格							中美
	早发型帕金森病	脑科学与类脑研究国家科技重大专项							中国
	帕金森多系统萎缩（MSA-P）								中美
XS228注射液	脊髓损伤	全球首款							中美
	肌萎缩侧索硬化症/渐冻症			全球首款；全球孤儿药资格					中美

■ 研发实力

士泽生物长期专注于开发临床级、异体通用“现货型”iPSCs衍生细胞药，主要攻克尚无实质临床解决方案的中枢神经系统疾病。基于创始人团队十六年的技术沉淀，其在三大核心疾病领域的初期研究成果及临床转化路径如下：

帕金森病

—— 全球第二大神经退行性疾病

在正式注册临床试验前，士泽生物已完成了包括“中国首例”在内的多例原发性帕金森病患者符合GCP/GMP规范的细胞治疗，注册临床数据中核心疗效方面，>40例中晚期帕金森病患者植入干细胞后随访显示，关期MDS-UPDRS III运动评分、无严重异动困扰的开期时间以及日常生活质量评分等均较移植前有显著改善。安全性方面，所有已给药患者未出现与移植干细胞相关的不良事件。目前全国多中心注册临床II期已完成入组，采用国际认可的PROBE盲法设计RCT，比单臂临床设计证据级别显著更高。

肌萎缩侧索硬化症/渐冻症

—— 运动神经元退行性绝症

XS228细胞注射液是中国首个获得美国FDA认证并被授予全球孤儿药资格的自主iPSCs衍生细胞新药。由北京大学第三医院牵头、国内渐冻症诊疗专家樊东升教授担任主要研究者，>10例受试者经腰椎穿刺接受XS228给药，给药过程顺利，未出现手术或围术期相关并发症，临床I期随访体现了XS228治疗良好的安全性及潜在的有效性趋势。

脊髓损伤

—— 重大中枢神经系统物理性损伤

目前已实现中美双报，在中山大学附属第三医院/大连医科大学附属第一医院开展注册临床试验，已成功完成“全球首例”在内的>10例受试者给药。该名受试者在接受治疗360天后，运动与神经功能获得持续性、突破性改善，已成功实现站立，这一里程碑式的进展，标志着脊髓损伤再生医学临床研究取得了国际突破性临床成果。

■ 核心优势

技术专利

士泽生物拥有强大且持续扩展的知识产权组合。截至2025年，公司已在全球提交和获得授权的专利 **几十项**，覆盖多种亚型特化的体细胞分化、低免疫原性干细胞改造等核心技术平台。公司实施 **全球化专利布局策略**，重点覆盖美国、欧盟、日本、中国等全球主要医药市场，以全面保障技术成果的商业化权益。

核心团队

在李翔博士领导下，目前公司已组建约百人的具有国际竞争力的高素质全职团队，覆盖 **iPSCs衍生细胞药研发及产业化核心环节**，**博士/博士后及产业界10年以上工作经验超20余人**，研发人员占比 **超70%**。核心团队成员来自海内外著名高校，以及细胞治疗业界知名公司，团队拥有国际及产业界最前沿的干细胞治疗技术和转化经验。

产业化技术及平台

自主建设及运营 **>5,000平方米** 的研发中心、B+A级GMP基地及质控中心，自主开发的多款临床级iPSCs衍生细胞药已完成核心CMC开发、建立了 **全流程的临床级制备工艺及质量控制体系**，作为一站式平台，完成多种GMP级iPSCs衍生亚型神经前体细胞治疗新药产品的正式注册批及临床批生产并用于多项国家级备案临床研究或注册临床试验。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 思比曼生物医药科技（上海）有限公司

■ 公司简介

思比曼生物科技(ElpasBio Holdings)是一家专注于再生医学领域的领先临床阶段生物科技公司，由西比曼生物科技于2023年拆分而来并于2025年完成千万美元级种子轮融资。公司拥有打造世界级水平细胞产品的经验与能力，深耕干细胞领域15年，先后开发和探索了自体 and 异体、不同来源的多款干细胞产品。公司在中国无锡和上海设有符合生产质量管理规范（GMP）的生产和研发基地。核心产品AlloJoin®是中国首个获批进入Ⅲ期临床试验的治疗膝骨关节炎的干细胞药物。



■ 发展历程



■ 核心产品

AlloJoin®是思比曼基于其先进的异体MSCs技术平台开发的一款拥有自主知识产权的产品，该产品旨在探索通过抑制炎症并修复受损软骨，为骨关节炎患者提供安全且长效的症状缓解的可能性，致力于成为全球首款获批上市的、具备改变膝骨关节炎疾病进程潜力的再生医学产品。AlloJoin®已在Ⅱ期临床试验中展现出良好的安全性和有效的临床疗效，当前该产品采用全球首创“双终点”设计的关键性Ⅲ期临床试验正在稳步推进中。

AlloJoin®	洛它阿托赛, lotazadromcel
产品类型	异体人源脂肪MSCs注射液
目标适应症	膝骨关节炎(Knee Osteoarthritis, KOA)
作用机制	旨在通过抑制炎症并修复受损软骨，为骨关节炎患者提供安全且长效的疼痛缓解和功能改善。它不仅关注临床症状的改善，还注重关节软骨的结构性修复。
核心临床里程碑	- AlloJoin®是中国第一个自主研发、经CDE默示许可直接进入Ⅱ期临床，并且是中国第一个获批进入Ⅲ期临床试验的治疗膝骨关节炎的干细胞药物。 - 在2025年4月启动的关键性Ⅲ期临床试验中，它采用了全球首个“双终点”设计方案，将膝关节症状与结构改善一同作为主要评价指标。
商业化进展	2026年1月，思比曼与复星医药控股子公司复星凯瑞达成战略合作，授予后者AlloJoin®在中国境内及港澳地区的独家商业化权益。

目前，思比曼拥有自主知识产权的产品AlloJoin®在Ⅱ期临床试验中，初步证实了其具有较好的临床安全性，以及有效改善KOA患者膝关节疼痛僵硬症状和延缓膝关节软骨磨损的初步效果，其高剂量组早期可见促进软骨再生趋势，中长期随访显示与对照组相比可减缓软骨磨损消耗。基于复星凯瑞在细胞治疗领域的商业化能力和洞察，思比曼生物授予复星凯瑞AlloJoin®在中国境内及港澳地区的独家商业化相关权益。

加速商业化布局

独家商业化权益

首付款与里程碑付款

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 思比曼生物医药科技（上海）有限公司

■ 研发管线

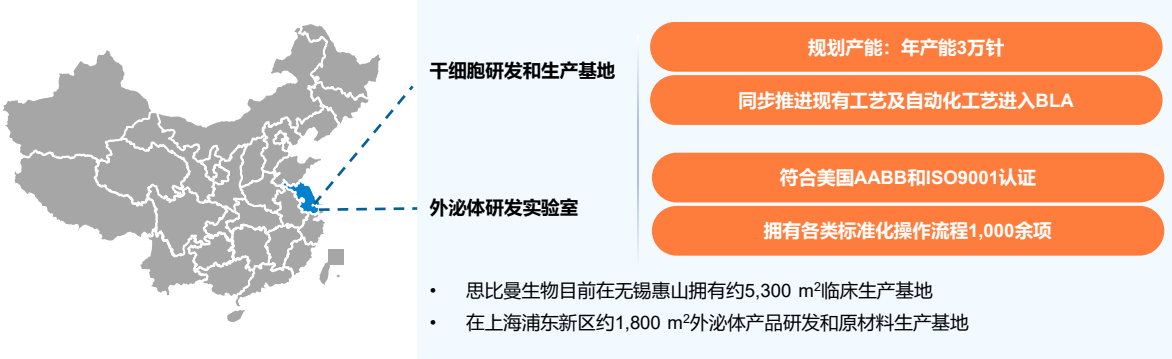
思比曼作为从西比曼生物科技剥离并独立运作的创新生物科技公司，其管线布局深度聚焦于再生医学领域，围绕核心管线AlloJoin®全面布局具有前景的干细胞及其外泌体衍生生物产品。



产品	技术平台	适应症	临床前	IND	临床 I 期	临床 II 期	临床 III 期
AlloJoin® 异体人源脂肪MSCs注射液	干细胞	膝骨关节炎	NMPA				
			美国FDA				
异体人源脂肪MSCs注射液	干细胞	膝骨关节炎 (与3D打印支架连用)					
异体人源脂肪MSCs注射液	干细胞	肌腱疾病					
异体人源脂肪MSCs注射液	干细胞	骨不连					
异体人源脂肪MSCs注射液	干细胞	骨质疏松					
干细胞衍生物	干细胞衍生物	皮肤损伤					
干细胞衍生物	干细胞衍生物	糖尿病肾病					

■ 核心优势

布局产能支持产品商业化



知识产权覆盖各环节

授权专利 19项	专利申请 17项	思比曼依托贯穿样品收集、分离培养、储存运输及终产品配方等全环节的30余项核心专利，成功构筑了端到端的“全产业链”知识产权闭环，为核心管线强势领跑国内III期临床以及顺利达成重磅商业化授权交易铸就了极其坚实的技术护城河。
-------------	-------------	---

资深医药高管与顶尖科学家领衔

思比曼核心团队由资深医药高管与顶尖科学家领衔，拥有丰富行业经验，深耕干细胞赛道超十五载。

来源：公司资料，沙利文分析

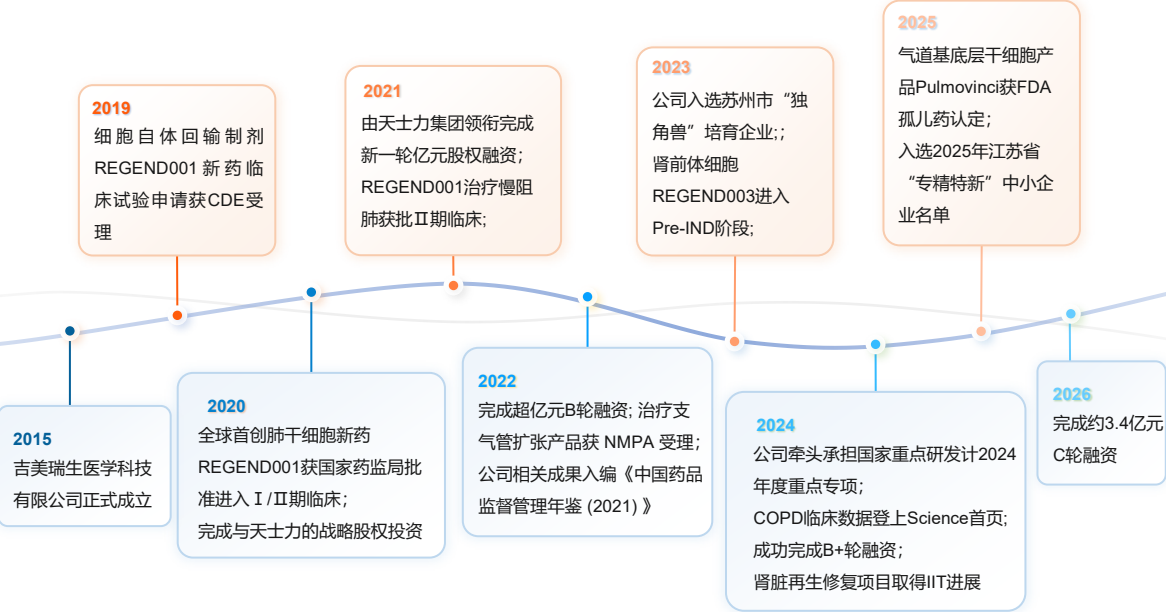
干细胞行业相关公司 – 苏州吉美瑞生医学科技股份有限公司

■ 公司简介

吉美瑞生 (Regend Therapeutics Limited) 成立于2015年，是一家正由临床阶段向早期商业化过渡的生物科技公司。公司致力于发现、开发和商业化细胞治疗产品，旨在修复、再生及增强人体组织器官结构和功能，从而为不可逆器官损伤患者提供再生医学创新解决方案，实现延长人类健康寿命、提升生活质量的目标。

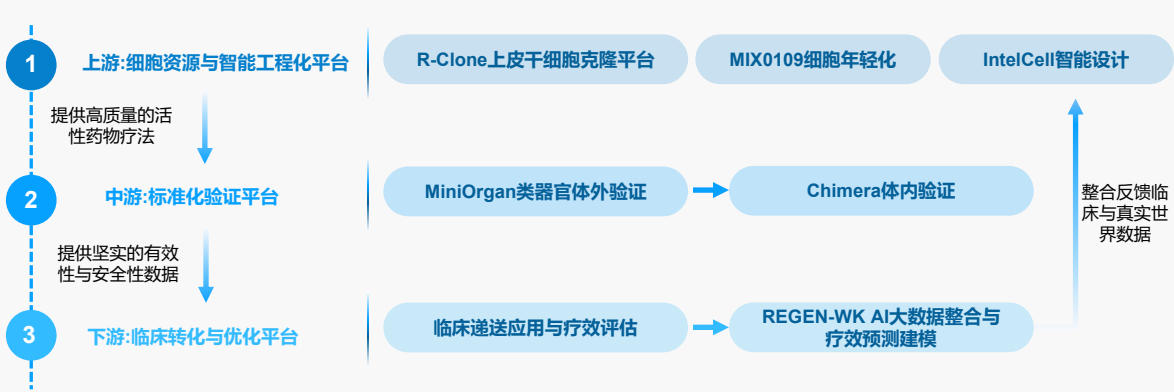


■ 发展历程



■ 核心平台

吉美瑞生公司牵头承担国家重点研发计划“干细胞研究与器官修复”专项，构建了完整的再生医学技术体系，全面贯通从细胞分离与扩增、功能增强、智能设计，到体外与体内验证、靶向递送，以及基于AI的疗效预测与临床反馈优化的全流程开发闭环。该体系具备良好的可拓展性，可快速延伸至肺、肾、脑、肝、子宫、胰腺、胃、肠及皮肤等多个器官系统的治疗应用。吉美瑞生已构建多项自主技术平台，包括R-Clone上皮干细胞克隆平台、IntelCell智能细胞平台、MIX0109组织与细胞再生技术、Chimera嵌合动物模型平台、REGEN-Wukong AI平台以及器官特异性验证平台。



来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 苏州吉美瑞生医学科技股份有限公司

■ 研发管线

吉美瑞生依托多项自主技术平台，建立起一条具有全球创新性的再生医学产品管线。REGENDD001是一种创新的自体肺前体细胞疗法。2025年分别完成慢性阻塞性肺疾病（COPD）和特发性肺纤维化（IPF）适应症的II期临床试验。REGENDD001的I期和II期临床数据已证明其具有逆转COPD和IPF患者疾病进展的潜力，具体体现为气道和肺泡组织再生，且肺功能在多个维度均显著改善。其首个肺部再生临床试验的数据已发表于Science Translational Medicine，并获Science首页专题报道。企业肺前体细胞疗法被Nature Reviews Drug Discovery列为治疗COPD的药物开发方向。REGENDD001获得FDA的孤儿药资格认定，为其未来的全球开发提供支持。2025年5月，针对慢性肾脏病（CKD）的肾前体细胞疗法REGENDD003获得中华人民共和国国家药品监督管理局的IND批准，此后已进入I期临床试验。该候选药物有望为再生肾单位和治疗肾衰竭提供根治方案。2026年3月，I期临床试验的首例入组患者成功完成自体肾前体细胞肾内移植，标志着再生医学领域的一个历史性里程碑。



产品	产品类型	适应症	临床前	研究者临床试验	IND	临床I期	临床II期	临床III期
REGENDD001 (Aeriautotemcel, 艾瑞奥泰赛细胞悬液)	自体肺前体细胞 (气道基底层干细胞)	慢性阻塞性肺疾病 (肺气肿型)	II期已完成					
		特发性肺纤维化	II期已完成					
			获批FDA-ODD					
		间质性肺病	IIT已完成					
		支气管扩张症	IIT已完成					
		闭塞性细支气管炎						
REGENDD002	自体肺前体细胞 (年轻化重编程)	慢性阻塞性肺疾病、 间质性肺病、支气管 扩张症等						
REGENDD007	通用型肺前体细胞	慢性阻塞性肺疾病、 间质性肺病等						
REGENDD003	自体肾前体细胞	慢性肾脏病						
REGENDD008	通用型肾前体细胞	慢性肾脏病						
REJUVE101	工程化干细胞 外囊泡	多器官衰老相关疾病						
REJUVE109	化学表观重编程制剂	多器官衰老相关疾病 (含肿瘤)						

■ 研发产能



GMP生产体系

上海超级器官研发中心

现今

建筑面积 1,000 m²

年度产能 900 亿个细胞

2025 产能利用率 28.2 %

未来

建筑面积 10,000 m²

年度产能 2,700 亿个细胞



质量管理

生产全过程由覆盖工艺全生命周期的完善质量管理体系 (QMS) 实施精准管控



自动化

基于R-Clone上皮干细胞克隆平台技术，合作开发智能自动化细胞制备平台—集约式生物自动化细胞培养工作平台，整合自动化、智能系统、信息化、人工智能及图像处理技术。

- 安全性及可靠性
- 质量控制
- 效率及智能化

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 苏州血霁生物科技有限公司

■ 公司简介

血霁生物是由海归专家创立的干细胞生物技术公司，致力于通过干细胞定向再生造血世系细胞，以用于各类疾病的细胞治疗以及开展相关药物研发。公司具有独特的干细胞重编程、编辑和分化技术，以血小板的体外再生作为优先和核心发展的方向，切入成体干细胞和iPSCs细胞定向分化的细胞治疗领域，解决癌症、肝病、急危重症、血液疾病等疾病中急缺的血小板需求，以及开发各类血小板异常、癌症等相关疾病的创新药物。



■ 公司历程

血霁生物自成立以来，深受资本的青睐。从种子轮一路走来，血霁生物以清晰的定位、鲜明的特色、稳健的业务、务实的团队一直吸引着投资机构的目光。公司成立首年里，完成了3轮融资。此后，公司持续获得资本加持，稳步推进A+轮、B轮等多轮融资，投资方涵盖赛诺投资、元禾控股、深创投、鼎晖投资等知名机构。与此同时，血霁生物在技术研发、国际临床申报及企业资质认定方面不断取得突破，核心管线批准并进入临床阶段，2026年完成近3亿元B轮融资，发展步伐更加坚实。



■ 核心技术平台

血霁生物依托三大核心技术：造血世系细胞体外再生平台、iPSCs建系与基因编辑平台，以及血小板药物递送技术，通过模拟人体造血过程与精准基因编辑，实现血小板等多种功能细胞的高效体外生产，并利用血小板天然靶向、高生物相容性等优势，开发针对肿瘤等重大疾病的创新药物递送系统。

核心技术

- 1 造血世系细胞体外再生平台**
模拟人体造血生理过程，实现从干细胞到功能性血液细胞（血小板、巨核细胞、红细胞、免疫细胞等）的全流程体外定向分化与规模化生产。
- 2 iPSCs建系与基因编辑平台**
iPSCs重编程：采用非病毒、非整合型重编程技术（如游离质粒、mRNA转染），将体细胞（皮肤/血液细胞）逆转为iPSCs，无基因组插入风险、安全性高；iPSCs无血清培养：配套自主无血清培养基，实现iPSCs稳定传代、高活性、低分化偏移；精准基因编辑：储备CRISPR-Cas9定点编辑技术，用于降低免疫原性、疾病模型构建、功能基因调控。
- 3 血小板药物递送技术**
利用血小板天然靶向、循环半衰期长、免疫原性低的特性，开发血小板载体的药物递送系统，用于肿瘤、自身免疫病等重大疾病治疗。

- 可装载容量高：**血小板体表面积很大，可以装载很多的药物
- 具备一定的趋向性：**除倾向出现在出血部位外，血小板天然比较倾向靶向炎症、癌症、斑块等部位
- 安全性好：**血小板没有细胞核，所以不会有遗传物质带来的潜在安全问题
- 药物递送效率高：**血小板是直接血液里面循环，没有太多的损耗
- 生物相容性好：**血小板属于细胞载体，所以它进入体内后不容易被免疫系统排斥，不会被清理

血小板药物递送平台

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 苏州血霁生物科技有限公司

■ 研发管线

血霁生物是中国第一家、也是继日本和美国之后的全球第三家血小板体外再生的公司。公司最优先的管线是血小板的体外再生，致力于为中国带来不依赖献血的“第二次输血革命”。血霁生物拥有深厚的iPSCs重编程技术、基因编辑技术和分化技术的功底，已经成功递交了iPSCs建系、干细胞分化成NK、巨噬细胞等各造血世系细胞的专利，为未来血霁的发展提供无限的可能。



药物代号	适应症/用途	临床前	IND	I 期	II期	III期	商业化	临床区域
升板药								
XJ-MK-002 (同种异体巨核细胞注射液)	肿瘤治疗引起的血小板减少 (CTIT)				2025年8月28日获CDE正式批准			中国
	再生障碍性贫血 (AA) 所致血小板减少症				2026年3月3日获CDE正式批准			中国
	血小板减少症				2026年3月13日获FDA正式批准			美国
XJ-MK-001 (自体巨核细胞注射液)	肿瘤治疗引起的血小板减少 (CTIT)				2025年8月22日获FDA正式批准			美国
PLT-001	未公开							中国
衰老相关管线								
cPLT-001	未公开							美国
cPLT-002	未公开							中美双报
血小板衍生品								
血小板药物递送平台	用途：肿瘤、自免等疾病药物递送							NA
药物代号		罕见病类别			数量		区域	
罕见病管线（已获批）								
XJ-MK-002		ODD			3		美国	
		RPDD			2		美国	
XJ-PLT-001		ODD			2		美国	
XJ-PLT-002		ODD			1		美国	

■ 核心优势

血霁生物聚焦血小板短缺的临床刚需，凭借来自顶尖高校的创始团队、完善的知识产权布局及持续获得红杉、鼎晖、深创投等知名机构投资的多轮融资能力，展现出技术与商业化并重的突出优势。



临床需求匹配

聚焦血小板短缺这一临床刚需场景（全球年需求量超百万单位），产品直接解决输血依赖与供应不稳定问题，市场潜力巨大。



资本与团队优势

团队背景：创始团队来自斯坦福大学、哈佛大学、北京大学等国内外顶尖高校，兼具海外科研经验与本土产业化能力。



融资能力

成立数年内完成多轮融资，投资方包括红杉中国、鼎晖投资、鲁信创投、北极光创投等知名机构，最新一轮（2026年6月）获深创投、河北沿海产业投资基金等投资，资本认可其技术商业化潜力。



资质与认证

获批拥有71项注册商标及5项专利授权，知识产权布局完善。

来源：公司资料，沙利文分析

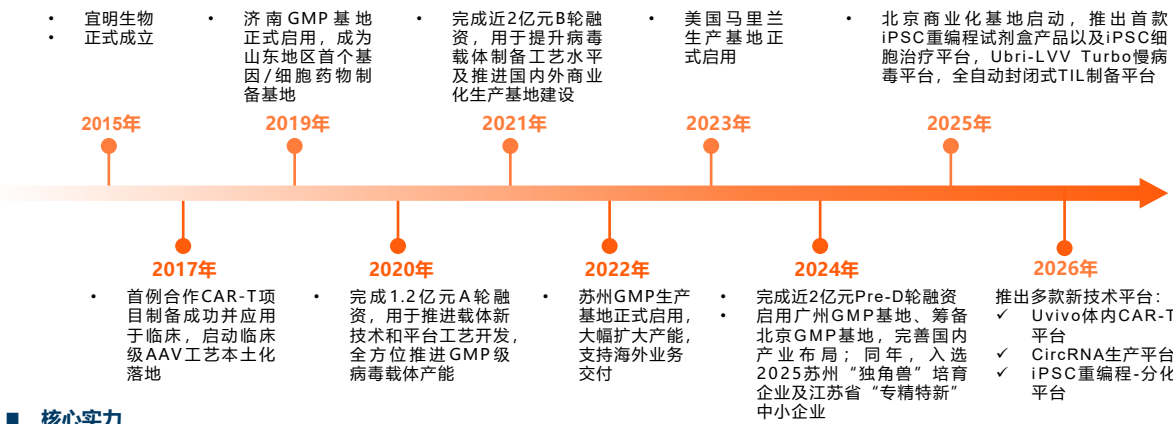
干细胞行业相关公司 – 宜明（北京）生物医药股份有限公司

■ 公司简介

宜明（北京）生物医药股份有限公司（简称“宜明生物”）成立于2015年，是一家致力于先进治疗药品（ATMP）的技术开发和应用，提供一站式CRDMO整体解决方案的全球化企业。宜明生物在美国马里兰，中国北京、苏州、济南和广州建立GMP生产基地，总面积超30,000平米，配备50+条生产线，涵盖质粒、病毒载体、细胞治疗药物及RNA药物临床及商业化生产，并在温哥华、南京设立了专注于前瞻性技术开发应用的全球研发中心。已承接/交付临床级产品（IIT/IND/ I - II期）百余批次，帮助客户完成30余项创新药物IND获批临床。



■ 发展历程



■ 核心实力

宜明生物拥有位于马里兰、苏州、济南、广州、北京的全球化GMP生产基地，已启用生产服务面积近30,000平米，并在温哥华、南京设立了专注于前瞻性技术开发应用的全球CMC研发中心。宜明生物在全球拥有约五十条GMP生产线，涵盖质粒生产线、病毒生产线和细胞制剂生产线，基于质量源于设计（QbD）的理念，参照所有细胞治疗和基因治疗现行法规。基于成熟的生产平台工艺、完善的GMP体系及丰富的项目经验，宜明生物可全方位满足客户各个阶段的生产需求、包括早期研发、IIT、IND、临床试验及商业化生产。

宜明生物苏州GMP生产基地正式获得EU QP签发的GMP符合性声明

- 坐落于苏州工业园区生物医药产业园，面积近9,000平方米，此前已成功取得BSL-2、ISO9001等多项资质认证，体系符合国家卫健委细胞治疗监管规范，并获欧盟QP签发EU GMP符合性声明，合规底座扎实。
- 作为宜明生物全球化布局的重要核心，基地配有数十条质粒、病毒载体、细胞、RNA产品线。
- 拥有包括研发生产、质量检测、灌装、仓储等在内的100多个功能间，提供ATMP从早期研发、工艺开发、临床研究（IIT/IND/ I - III期）到商业化生产的一站式CDMO服务。

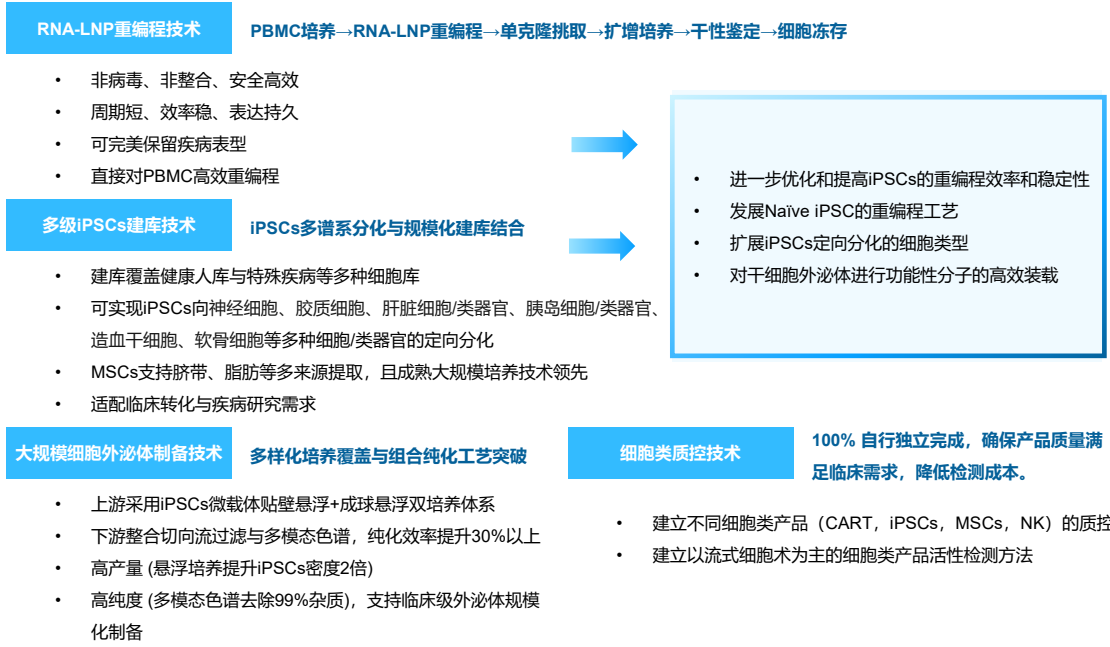


来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 宜明（北京）生物医药股份有限公司

■ 干细胞业务核心技术

宜明生物已建立符合GMP规范的质粒载体生产平台工艺，蛋白质平台工艺，RNA-LNP非病毒载体平台工艺，病毒载体制备平台工艺，细胞治疗产品平台工艺，基因编辑平台工艺。宜明生物依托国际化的研发团队与完善的产业化平台，开发并建立完善的多谱系GMP级细胞制备平台，基于RNA-LNP的安全型iPSCs重编程、iPSCs定向分化（包括神经细胞、胶质细胞、肝脏细胞/类器官、胰岛细胞/类器官、造血干细胞、软骨细胞等细胞）、iPSCs大规模培养（微载体悬浮培养密度达 1×10^7 cells/mL）及干细胞外泌体（产量较传统方法提升5倍）技术，实现“通用型细胞”与“个性化细胞”双线并行开发。截至目前，宜明生物已累计完成近20项核心技术模块与生产设施的FDA DMF备案，构建起覆盖ATMP全生命周期的服务网络。



■ 核心优势

宜明生物依托原创RNA-LNP iPSCs重编程技术、国际化专业团队、完备专利布局与全球GMP产能，提供覆盖iPSCs建库至商业化生产的全链条干细胞CRDMO一站式服务。

依托自有Ubri-iPSC®重编程工艺平台与Ubri-Amrita®RNA-LNP试剂盒，拥有独立知识产权，在全球率先实现无整合风险的、可直接对PBMC进行无病毒重编程 iPSCs的商业化平台。	技术平台	围绕RNA-LNP递送、iPSCs重编程、环状RNA稳定表达、干细胞规模化培养四大方向布局完整自主知识产权，覆盖重编程载体配方、工艺流程、检测试剂盒、无血清干细胞培养体系，规避海外技术专利卡脖子问题。	专利布局
核心创始与研发团队由多名深耕多能干细胞、基因递送、GMP细胞生产的海归博士组成，核心成员拥有海外顶尖实验室、国际药企CGT产业化多年以上研发经验，深耕 iPSCs重编程、干细胞质量标准赛道多年。	团队优势	以南京研发中心、北京、广州、济南GMP生产基地产能协同，配备全封闭A级隔离器干细胞生产线。	产能优势

来源：公司资料，沙利文分析

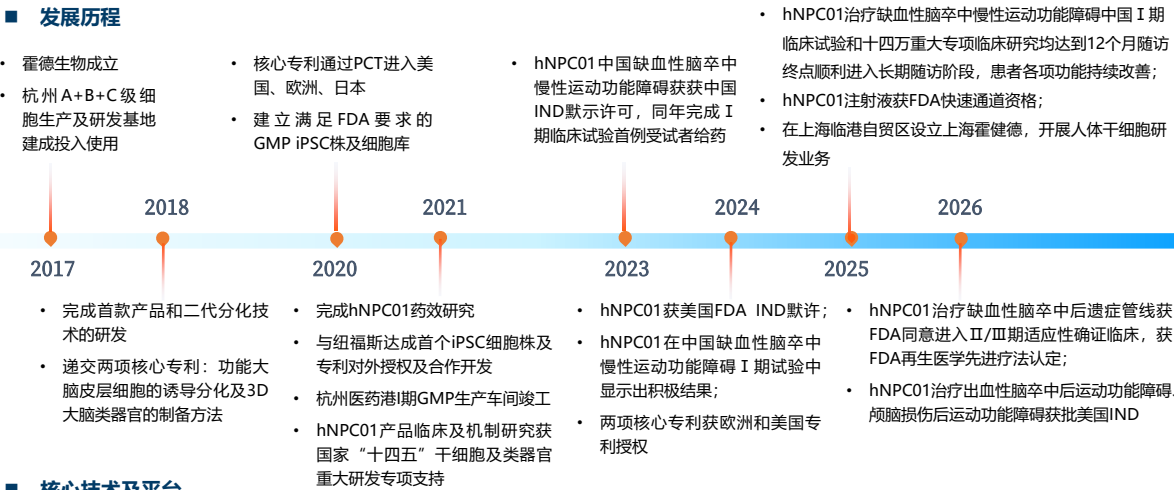
干细胞行业相关公司 – 浙江霍德生物工程有限公司

■ 公司简介

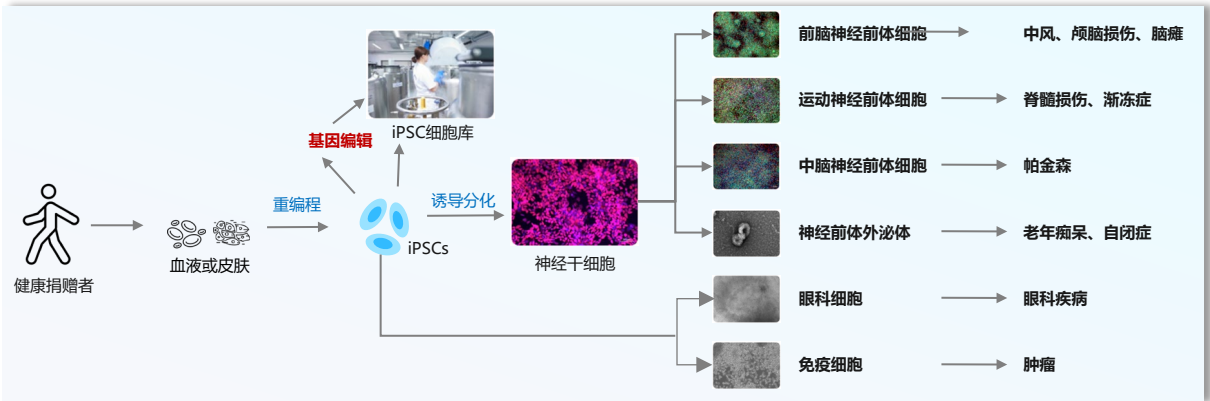
浙江霍德生物工程有限公司于2017年1月成立，是一家全球创新、专注于开发iPSC衍生通用型细胞治疗产品的生物技术公司，集团公司在杭州、上海两区拥有总计6,400平方的细胞药物研发中心、GMP细胞生产车间与质控中心和办公场地。霍德生物在iPSC重编程、多能干细胞神经分化及多种细胞工程方面具有领先的全球专利及创新技术优势，建立了iPSC细胞产品CMC平台，封闭自动生产工艺和多种创新分析方法。霍德生物已建立可用于境内外商用授权的GMP iPSC细胞株，并拥有多款在研产品，其中首个人前脑神经前体细胞hNPC01注射液的中美 IND 申请是国内最早获批，已完成一期临床且获得FDA快速通道资格和RMAT认定，是目前国际开发速度最快的同类iPSC细胞产品，可针对脑卒中、颅脑损伤后遗症、脑瘫、癫痫等重大未被满足的临床需求。



■ 发展历程



■ 核心技术及平台



iPSC重编程、基因编辑及多种细胞定向分化平台

公司构建了符合GMP与FDA合规要求的iPSC种子细胞库，可供50亿人次使用；并依托自主研发的RONA2.0神经分化技术可以工业化生产高质量的临床级异体hNPC，工艺及质控可支持单批次600剂的稳定生产，规模化直接成本仅数千元。从多能干细胞分化获得的FOXG1阳性神经前体细胞具有高产量、高纯度、高稳定性等优势，在体内可分化为高成熟度的多种功能性神经细胞，并可观察到这些细胞逐渐整合进中风动物模型的神经网络。

GMP生产中心

霍德生物集团公司在上海设立了研发中心，在杭州设立了6,000m²以上的GMP生产中心，形成了集技术研发、临床转化与国际合作于一体的全球化运营网络。其研发及生产基地，包含3条独立细胞产品生产线的2,000m²GMP车间，及4,200m²生产及研发总部基地。

来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 浙江霍德生物工程有限公司

■ 研发管线

霍德生物已围绕其核心产品hNPC01（人前脑神经前体细胞）布局了多条管线。其中，进展最快的是缺血性脑卒中适应症，该管线已获得中美两国IND批准，目前已完成国内 I 期临床试验且获得FDA快速通道资格，美国FDA已同意其直接进入2/3期确证性临床，并于2026年6月获得再生医学先进疗法（RMAT）认定；6月，针对出血性脑卒中后运动功能障碍适应症和颅脑损伤后运动功能障碍适应症的新药临床试验申请近日获得FDA正式批准；脑瘫和癫痫等适应症处于临床前研发阶段。



候选药物	适应症	R&D	CMC	临床前	IND	I 期临床	II & III期临床
前脑神经前体细胞 hNPC01	缺血性脑卒中						
	出血性脑卒中						
	颅脑损伤						
	脑瘫						
	癫痫						
神经前体细胞外泌体 hNPCEX	自闭症						
	老年痴呆						

■ 核心产品

霍德生物正在开发第一个现货型细胞产品人前脑神经前体细胞hNPC01，用于脑卒中、颅脑损伤的细胞替代疗法。通过Hopstem第二代神经分化技术以及在GMP条件下生产的iPSC分化而来的hNPC01，是FOXC1阳性>90%的临床级人前脑神经前体细胞，可以在体外和在颅内移植后的啮齿/非人灵长类动物pMCAO模型中长时间存活，并分化为多种功能神经细胞和胶质细胞，其组成和功能成熟度与人类大脑皮层相似。初步动物研究表明，人神经前体细胞体内分化的神经元可以与啮齿动物神经元形成突触，电生理活跃并可整合到神经回路中。人神经前体细胞在移植后还可能释放神经营养因子和其他有益因子，以稳定或促进局部神经功能和连接。与对照组相比，接受细胞移植的非人灵长类动物脑卒中模型有显著的功能改善。hNPC01治疗缺血性脑卒中所致慢性运动功能障碍的中国 I 期临床研究目前最长随访已达2.5年，未发现任何除免疫排斥反应外的产品相关不良反应，未发现相比基线出现功能异常的情况。

- 12个月终点时目标亚组人群的Fugl-Meyer运动量表（FMMS）平均改善达16分，达到FMMS10分以上临床显著改善的患者比例接近80%；
- 18个月时92%以上的目标亚组患者达到显著临床意义改善，54%达到mRS残疾等级1级下降；
- 2年随访数据显示药效进入稳定平台期，未见疗效回落现象。

继获得FDA快速通道资格以及RMAT后，TBI新适应症IND的成功获批，使得hNPC01成为全球首个同时获得美国FDA批准开展缺血性脑卒中、出血性脑卒中和颅脑损伤三大脑损伤适应症临床研究的前脑神经前体细胞产品。

■ 核心优势



来源：公司资料，沙利文分析

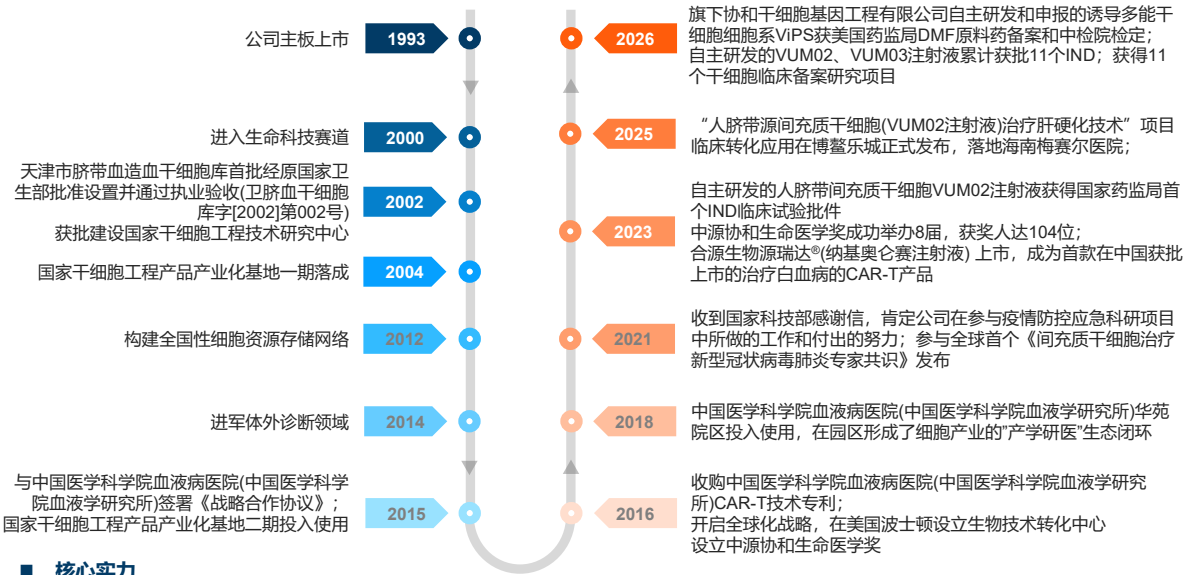
干细胞行业相关公司 – 中源协和细胞基因工程股份有限公司

■ 公司简介

中源协和细胞基因工程股份有限公司（600645.SH）作为国内领军干细胞产业上市公司，以“精准医疗 造福人类”为发展愿景，围绕“精准预防”“精准诊断”“细胞治疗”三大板块进行产业布局，为大众提供涵盖全生命周期的健康管理服务。公司在细胞治疗赛道通过与中国医学科学院血液病医院等头部科研院所合作打造集“产学研医”为一体的细胞治疗科研与转化平台，为推动我国细胞治疗进展和提高医疗健康水平贡献力量。

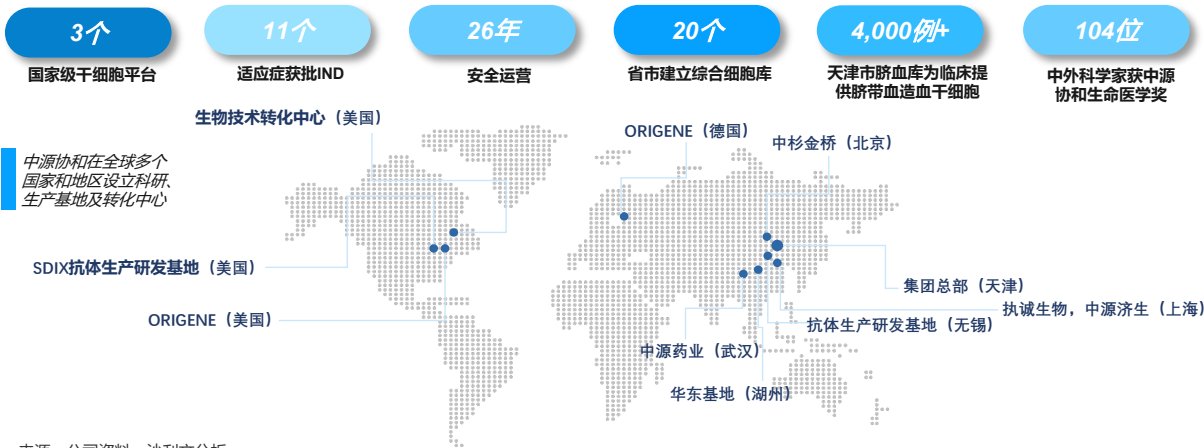


■ 发展历程



■ 核心实力

作为国内深耕细胞产业26年的领军上市企业，公司依托**国家干细胞工程产品产业化基地、国家干细胞工程技术研究中心、天津市脐带血库**三个国家级和多个省部级干细胞平台优势，始终将研发创新视为企业可持续发展的核心竞争力，持续深化与重点医疗机构、科研院所的协同合作，打造干细胞再生医学的高水平技术研发和转化平台。近五年来，研发团队在联席总裁张宇博士带领下，参与了国家重点研发计划等多个干细胞相关科研重点项目，获得了11项IND批件及11个国家干细胞备案临床研究项目，累计在SCI权威期刊发表高水平文章30余篇，授权和公开发明专利20余项，持续的研发创新为发展注入新质生产力，也为技术转化与应用奠定了坚实基础。



来源：公司资料，沙利文分析

干细胞行业相关公司 – 中源协和细胞基因工程股份有限公司

■ 干细胞研发管线

干细胞新药方面，截至目前公司全资子公司武汉光谷中源药业有限公司自主研发的冷冻保存型细胞制剂VUM02、VUM03注射液（人脐带源MSCs注射液）已有11个适应症获批临床试验。公司参股的北京三有利公司与首都医科大学共同申报的“人牙髓MSCs注射液”治疗慢性牙周炎已于2024年完成II期临床试验全部受试者入组，正在开展定期随访工作。干细

胞临床研究项目备案方面，公司与医科院血研所等知名三甲医院紧密合作，VUM02、VUM03注射液共计获得11个卫健委/NMPA和中央军委后勤保障部干细胞临床备案研究项目。根据CDE网站统计，公司MSC药物获得药物临床试验批准的数量为国内第一，领跑干细胞新药赛道。此外，“人脐带源MSCs(VUM02注射液)治疗肝硬化技术”项目临床转化应用在博鳌乐城正式落地。



产品	适应症/用途	临床前	临床前备案	IND	临床 I 期	临床 II 期	临床 III 期	上市
VUM02	重型/危重型新型冠状病毒感染							
	新冠病毒感染重型/危重症肺炎							
	失代偿期肝硬化							
	特发性肺纤维化	FDA 孤儿药认定						
	急性移植抗宿主病	FDA 孤儿药认定						
	肺炎后进展性肺纤维化							
	急性呼吸窘迫综合征							
	慢加急性(亚急性)肝衰竭							
	系统性硬化症							
	活动期中重度溃疡性结肠炎							
VUM03	克罗恩病复杂性肛瘘							
人牙髓干细胞注射液	慢性牙周病							

■ 三个临床级的干细胞研发与转化平台

脐带血造血干细胞 (2000-)

- 建设有天津市血液细胞治疗重点实验室，天津市企业技术中心等；
- 与中国医学科学院血研所血液病医院紧密合作20多年；
- 截至2025年12月31日，天津市脐带血库累计提供超过4,000份移植；
- 陆续开发有脐血NK、扩增HSC、CBMC等系列产品；
- 获得前沿生物技术国家重点研发计划项目支持。

脐带间充质细胞 (2010-)

- 建设有天津市干细胞与再生医学转化重点实验室；
- 11项IND获得CDE临床试验默示许可，2项获FDA孤儿药，11个备案临床研究项目；
- 产品获得了中检院检定、CMBA自律规范认可、CNAS认证、FDA DMF备案，INCI认证、ISO三体系认证等；
- 获得多个新发突发与重大传染病防控、干细胞与器官修复等国家重点研发计划项目支持。

脐血诱导多能干细胞 (2020-)

- 科研级/临床级的HLA纯合子iPSC文库；
- 采用更安全的非整合型电转系统；
- 样本为脐带血库存储的脐血单个核细胞，有伦理批准、知情同意；
- 细胞库获得中检院检定、FDA DMF备案、hPSCreg国际认证、ISO三体系认证等；
- 获得了创新药物研发国家重点研发计划，天津市重点科研平台专项等支持。

■ 源启VIPs细胞库

中源协和脐血单个核细胞 (CBMC) 源HLA纯合子iPSC细胞库

作为深耕细胞产业20余年的上市企业，中源协和(SH:600645)依托在细胞资源存储与临床转化领域积累的深厚品牌公信力，构建具备行业竞争力的iPS细胞技术平台，赋能于临床级iPS细胞库的制备与服务，为再生医学产业发展提供全新的赋能方案。依托上述技术平台与合规体系，中源协和已经与国内外10余家企业洽谈HLA纯合子iPS细胞株合作开发服务；同时，基于成熟平台提供iPS细胞制备及建库的CDMO技术服务。推动细胞治疗技术的临床应用与商业化进程。

核心优势：

- HLA脐带血CBMC，PBMC等多种细胞来源的高效安全重编程技术
- ISO9001(质量管理)、ISO14001(环境)和ISO45001(职业健康安全)三体系认证
- 中国合格评定国家认可委员会CNAS认可的检测标准
- 中国食品药品检定研究院(中检院)签发的质量复核检测报告
- 美国FDA的药物主文件 (DMF) II型原料药双备案
- 国际人类多能干细胞注册平台(hPSCreg)的认证

来源：公司资料，沙利文分析

■ 法律声明

- ◆ 本报告著作权归沙利文所有，未经书面许可，任何机构或个人不得以任何形式翻版、复刻、发表或引用。若征得沙利文同意进行引用、刊发的，需在允许的范围内使用，并注明出处为“沙利文”，且不得对本报告进行任何有悖原意的引用、删节或修改。
- ◆ 本报告分析师具有专业研究能力，保证报告数据均来自合法合规渠道，观点产出及数据分析基于分析师对行业的客观理解，本报告不受任何第三方授意或影响。本报告数据和信息均来源于公开信息渠道，沙利文拥有对报告的最终解释权。
- ◆ 本报告所涉及的观点或信息仅供参考，不构成任何投资建议。本报告仅在相关法律许可的情况下发放，并仅为提供信息而发放，概不构成任何广告。在法律许可的情况下，沙利文可能会为报告中提及的企业提供或争取提供投融资或咨询等相关服务。本报告所指的公司或投资标的的价值、价格及投资收入可升可跌。
- ◆ 本报告的部分信息来源于公开资料，沙利文对该等信息的准确性、完整性或可靠性拥有最终解释权。本文所载的资料、意见及推测仅反映沙利文于发布本报告当日的判断，过往报告中的描述不应作为日后的表现依据，沙利文不保证本报告所含信息保持在最新状态。在不同时期，沙利文可发出与本文所载资料、意见及推测不一致的报告和文章。同时，沙利文对本报告所含信息可在不发出通知的情形下做出修改，读者应当自行关注相应的更新或修改。任何机构或个人应对其利用本报告的数据、分析、研究、部分或者全部内容所进行的一切活动负责并承担该等活动所导致的任何损失或伤害。

联系我们

知识中心 Knowledge Center
弗若斯特沙利文

 联系邮箱:
hcknowledgecenter@frostchina.com

市场公关部
弗若斯特沙利文

 联系邮箱:
PR@frostchina.com

FROST & SULLIVAN

沙利文

