

2020年6月

加速临床急需境外新药 进入中国的政策研究

中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会
中国药科大学国家药物政策与医药产业经济研究中心

目录

摘要	1
前言	4
中国境外新药注册情况分析	6
(一) 境外新药情况分析.....	6
1.研究方法 - 境外新药数据库的建立.....	6
2.境外新药批准情况分析.....	6
3.境外新药可以满足中国的临床需求.....	8
4.小结.....	11
(二) 中国境外新药政策分析.....	12
1.研究方法 - 调研问卷及深度访谈.....	12
2.跨国公司引入境外新药的主要考虑.....	12
3.药品审评审批改革取得阶段性成效.....	15
4.小结.....	21
临床急需境外新药政策分析	22
(一) 临床急需境外新药名单产品的申请与批准情况.....	22
1.研究方法 - 申请与批准情况数据库的建立.....	22
2.名单产品NDA申请情况.....	22
(二) 临床急需境外新药名单产品遴选与执行现状分析.....	27
1.研究方法.....	27
2.跨国公司引入名单产品的主要考虑因素.....	28
(三) 优化临床急需境外新药政策的建议.....	31
第一、优化品种遴选工作流程.....	31
第二、建立长效机制，持续推进加快境外新药上市进程.....	32
第三、鼓励创新，落实适合中国国情的知识产权保护体系.....	33
结语	34
研究组织及致谢	35

摘要

为了实现健康中国 2030，自 2015 年起中国政府改革药品医疗器械审评审批制度，有序加快境外已上市新药在境内上市审批。RDPAC 发起并联合中国药科大学和 IQVIA，共同开展了“加速临床急需境外新药进入中国的政策研究”课题，通过对境外新药的批准情况以及监管审批环节进行深入的研究，对临床急需境外新药审评审批政策提出建议，惠利中国患者。

积极构建境外新药引入的创新生态体系

通过统计 FDA、EMA、PMDA 从 2009 年 1 月 1 日至 2019 年 6 月 30 日的药品审批信息以及中国的批准情况，课题组发现：目前在欧美日任意一家监管机构批准的新药中，近 75% 的新药未进入中国市场，其中有 50% 以上的新药可满足中国急迫的临床需求；在欧美日均获批的新药中，尚有 50% 的新药未能进入中国，其中约 64% 的新药可满足中国急迫的临床需求。

项目组深度挖掘跨国公司引入境外新药的主要考虑：“市场吸引力不足”、“研发成本过高/难度大”和“知识产权保护有待完善”是药企引入境外新药时的主要影响因素。这与 RDPAC 曾提出的对创新生态体系的完善不谋而合。

● 在“市场吸引力”和“知识产权保护”方面，创新药的市场营商环境还需进一步完善，这包括对创新药市场准入和知识产权保护制度的完善：

1、扩大国家医疗保险投入和商业保险的引入，提升对创新药的支付范围和水平，从而确保创新回报，达到鼓励创新的目的；

2、中国知识产权保护制度正在不断完善中，行业期待尽快明确清晰的市场独占期限。

摘要

创新药品在合理的、可预期的市场独占期内获得相应的回报后，通过仿制药品的引入，降低药价，使药品回归其公益属性，从而构筑仿创平衡。

● 在“研发”方面，当前药物研发时间不断延长、投入不断增加，为了提高效率保证质量，采用全球同步开发的策略是重要的解决办法。在中国，审评制度改革和临床能力建设是支持全球同步开发战略的重要基石：

1、目前中国临床研究机构数量有限、临床研究者意愿和能力亟待提升、鼓励中国患者参与临床研究的政策以及人类遗传物质的管理等领域还需进一步的完善。

2、在药品监管审批环节，伴随 ICH 的加入、CTA60 天默许制度的建立等，中国药品审评审批改革正在不断创造和完善全球同步开发的政策环境。中国药监通过 5 年的时间完成了这样的调整，是世界药品监管历程上的一次壮举。RDPAC 后续还会对监管的流程优化方面进行深度研究，助力建立国际融合的、科学的、透明的和可预见的法规体系。

进一步优化临床急需境外新药政策，惠利中国患者

对于过去错失全球同步开发机会的境外新药，中国政府引入了《临床急需境外新药审评审批工作程序》过渡期相关政策。课题组对截至 2020 年 5 月 31 日两批名单中新药的 NDA 递交和批准情况进行分析，结果显示非罕见病类产品的平均审评审批时长约为 6-7 个月，罕见病产品为 4-5 个月，审评审批速度得到显著提高。但两批名单中分别有 48% 和 35% 的产品尚未递交申请，在这样利好的政策下企业申请的顾虑有哪些？

课题组对企业申请的顾虑进行了调研，研究结果显示：遴选程序、上市后临床要求和知识产权保护，以及纳入的品种范围是名单产品引入的主要顾虑：

摘要

- 1、我们建议优化遴选程序，允许企业先自主申报，再通过专家评定等流程来确定名单，提高临床急需境外新药的落地效率。
- 2、建立长效机制，结合新版《药品注册管理办法》的优先审评审批和附条件批准等加快通道，根据中国的临床需求及时调整临床急需境外新药的范围，参照国际指南明确临床要求，对符合临床需求的产品减免中国的临床试验要求，加快上市。
- 3、提升新药的营商环境，落实适合中国国情的知识产权保护体系，包括专利链接制度和数据保护制度等，进一步完善新药的市场准入政策，使得创新的回报得以产生，促使本土创新药品的不断产生和境外新药的不断引入。

RDPAC 愿成为中国政府的合作伙伴，助力实现健康中国 2030

综上所述，中国政府正着力建设短、中、长期的新药加速审评审批政策机制。现行的临床急需境外新药政策，为加速临床急需新药进入中国，打下了良好的基础。新版《药品注册管理办法》及其配套文件中加快通道等政策，为新药全球同步开发提供了政策支持。未来在研发、临床研究、市场准入、知识产权保护乃至创新投入等环节的完善，将构筑起完善的创新药的生态体系。疾病是人类共同的威胁，实现健康是人类共同的目标，RDPAC 愿意于中国政府携手，更快、更好的满足中国患者的健康需求，实现健康中国 2030。

前言

在 2016 年全国卫生与健康大会上，习近平总书记指出“没有全民健康，就没有全面小康。要把人民健康放在优先发展的战略地位。”随后，中共中央、国务院印发了《健康中国 2030 规划纲要》，建设健康中国。为了促进健康，确保药品可及性，自 2015 年起，中国政府相继出台《关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见》、《关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》等政策，进一步加快药品医疗器械审评审批制度改革。2018 年 6 月 20 日李克强总理主持召开国务院常务会议，确定加快境外已上市新药审批等措施：有序加快境外已上市新药在境内上市审批。对治疗罕见病的药品和防治严重危及生命疾病的部分药品简化上市要求，可提交境外取得的全部研究资料等直接申报上市，监管部门加快批准。

为落实该国务院常务会议的会议精神，加快临床急需的境外已上市新药审评审批，国家药品监督管理局（下称“NMPA”）会同国家卫生健康委员会（下称“NHC”）于 2018 年 10 月 30 日发布了《临床急需境外新药审评审批工作程序》及申报资料要求。随后国家药品监督管理局药品审评中心分别于 2018 年 11 月 1 日和 2019 年 5 月 29 日发布了两批《临床急需境外新药名单》。

在此背景下，中国外商投资企业协会药品研制与开发行业委员会（下称“RDPAC”）发起，联合中国药科大学国家药物政策与医药产业经济研究中心和艾昆纬管理咨询(上海)有限公司（IQVIA），共同开展了“加速临床急需境外新药进入中国的政策研究”课题。该课题对中国境外新药的批准情况以及医药创新生态系统中监管审批环节进行深入的研究，以此为基础，结合问卷调研的定量研究和专家讨论的定性研究等方式，旨在通过对临床急需境外新药相关政策的制定与执行现状进行分析，进而为加速境外新药、尤其是临床急需境外新药进入中国提出政策建议，最终提升中国患者的新药可及性、满足中国患者健康需求。

前言

RDPAC 一直致力于成为中国实现“健康中国”目标以及不断提高居民和患者生活质量的重要的合作伙伴，促进新药尽快进入中国市场，满足中国患者的临床需求。在2016年，RDPAC 与中国医药企业管理协会、中国化学制药工业协会、中国医药保健品进出口商会共同发布《构建可持续发展的中国医药创新生态系统》报告，关注不同环节对医药创新生态系统的影响，提出了医药创新生态系统架构（如下图所示）的概念。“加速临床急需境外新药进入中国的政策研究”课题属于医药创新生态系统架构中“监管审批”环节的研究内容之一，主要关注临床急需境外新药的相关政策。

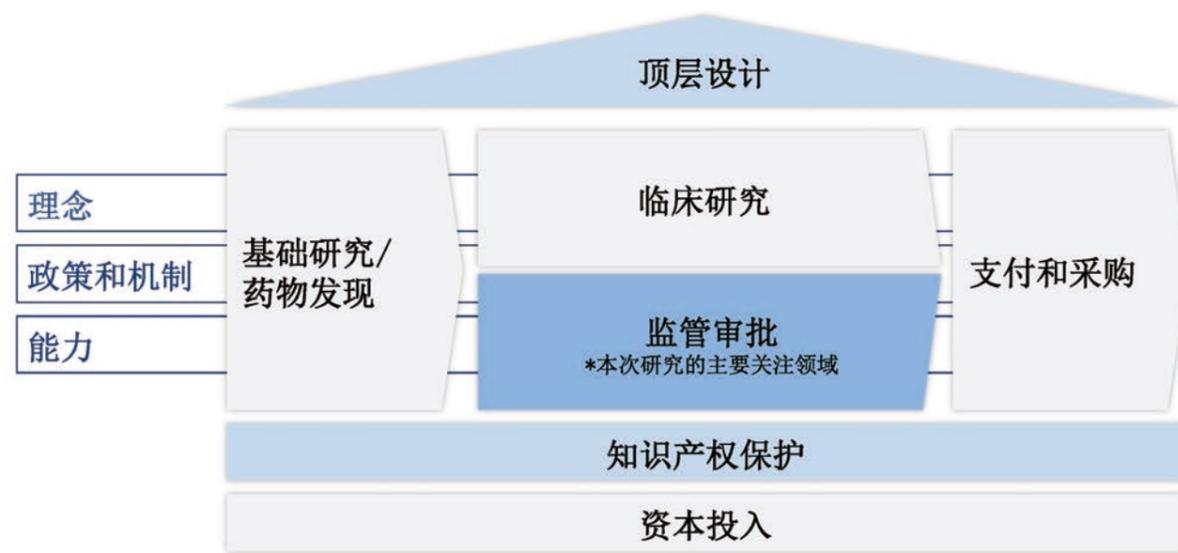


图 1.1. 医药创新生态系统架构图

中国境外新药注册情况分析

（一）境外新药情况分析

1. 研究方法 - 境外新药数据库的建立

通过统计美国食品药品监督管理局（下称“FDA”）、欧洲药品管理局（下称“EMA”）、日本药品和医疗器械综合机构（下称“PMDA”）官网上从2009年1月1日至2019年6月30日的药品审批信息，课题组获取了境外已上市新药的相关信息（包括批准情况、适应症信息等），并据此与国家药品监督管理局（下称NMPA）（前国家食品药品监督管理局）药品审批信息进行对比，获得境外已上市新药原始数据。在此基础上，课题组与涉及的跨国企业确认了境外已上市新药数据的信息，最终完成了境外已上市新药数据库的建立¹。

2. 境外新药批准情况分析

据不完全统计，FDA、EMA 和 PMDA 从2009年1月至2019年6月间一共批准了622个新药（新化学分子实体及原研生物制品，不含改良型新药，下同）。三家监管机构批准的数目不同，FDA、EMA 和 PMDA 各自批准了423、359、298个新药；进一步的分层分析结果显示，在三家机构均获得批准的境外新药有168个。

在FDA、EMA 和 PMDA 一共批准的622个新药中，NMPA 批准了145个，有477个新药尚未进入中国。在均获得三家机构批准的168个新药中，中国批准了其中的84个，尚有84个新药未能进入中国。课题组将这84个新药推荐给药监管部门参考，推动境外新药进入中国，以期解决中国的药滞问题。

¹ 因非 RDPAC 会员公司并未参与该项目，课题组确认范围为 RDPAC 会员公司

中国境外新药注册情况分析

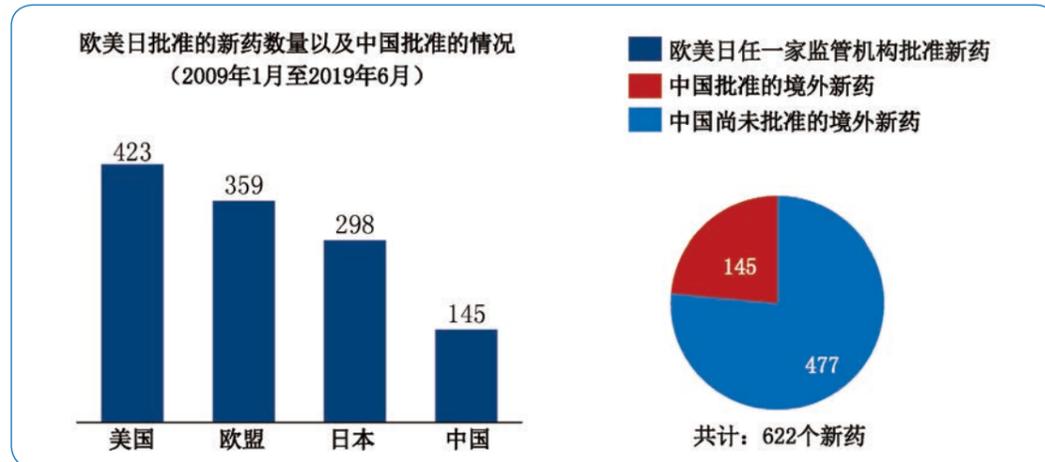


图 2.1 欧美日（任意一家监管机构）批准的境外新药数量以及中国批准的情况（2009 年 1 月至 2019 年 6 月）

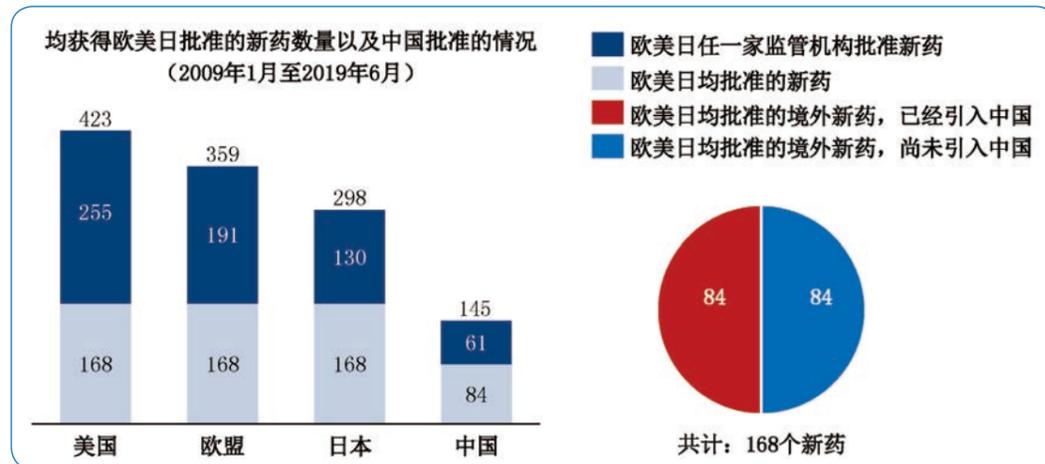


图 2.2 欧美日（三家监管机构均）批准的境外新药数量以及中国批准的情况（2009 年 1 月至 2019 年 6 月）

在欧美日任意一家监管机构批准的 477 个尚未进入中国的境外新药中，有 275 个新药为 RDPAC 会员公司产品，占比 58%；在 84 个欧美日均批准的新药中，有 72 个为 RDPAC 会员公司产品，占比 86%。RDPAC 愿意成为中国药品监督管理部门的坚强合作伙伴，共同努力，推动更多的新药尽快地进入中国市场，满足中国患者对对新药的需求。

3. 引进境外新药利于满足中国的临床需求。

3.1. 境外新药适应症分布分析

据不完全统计，尚未进入中国的境外新药，主要集中用于抗肿瘤与免疫调节剂、全身性抗感染、消化道及代谢、中枢神经系统和呼吸系统等治疗领域。在欧美日任意一家监管机构批准的 477 个尚未进入中国的新药中，抗肿瘤与免疫调节剂新药共有 112 个，占比达 23%；在欧美日均获批的 84 个新药中，主要分布于抗肿瘤与免疫调节剂、呼吸系统等治疗领域，其中 33 个新药属于抗肿瘤与免疫调节剂，占比达 39%。

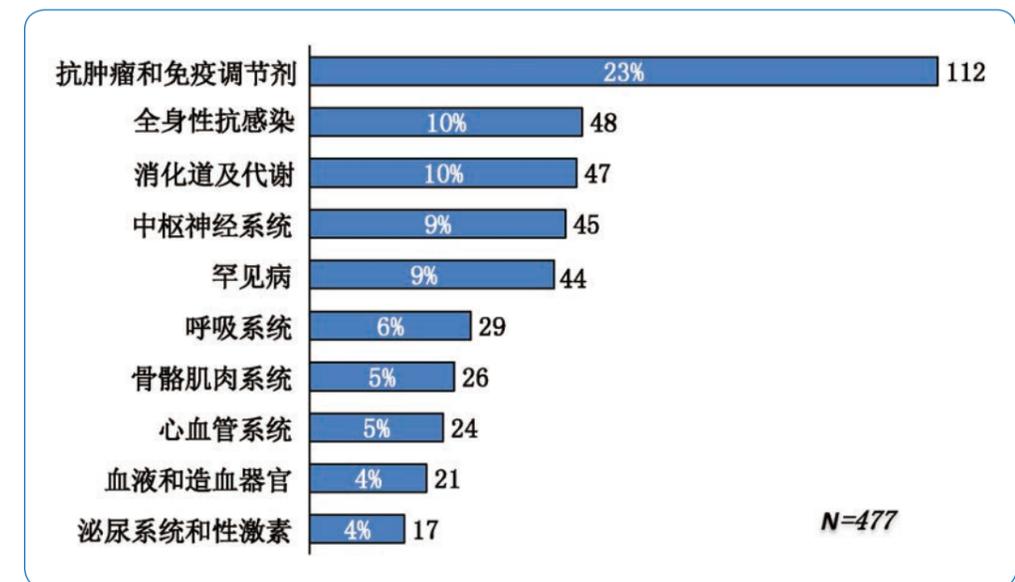


图 2.3 欧美日（任意一家监管机构）批准的 477 个新药的治疗领域分布（前十）

中国境外新药注册情况分析

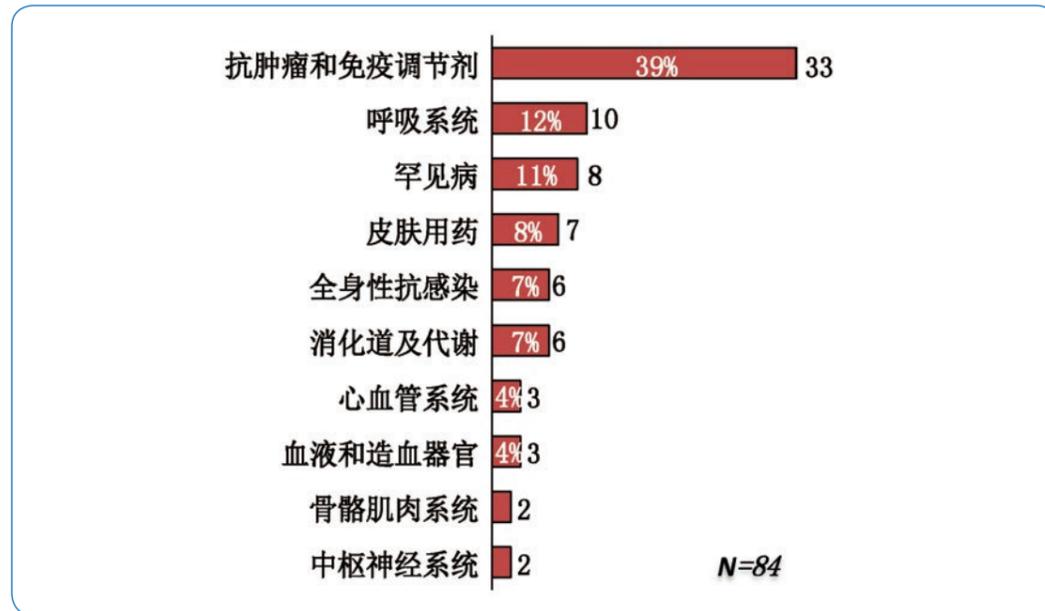


图 2.4 欧美日（三家监管机构均）批准的 84 个新药治疗领域分布（前十）

国家卫健委发布的《2019 中国卫生健康统计年鉴》数据显示，构成 2018 年中国民众死亡原因的疾病主要是心血管系统疾病、肿瘤、呼吸系统疾病、消化道及代谢疾病、中枢神经系统疾病、泌尿系统等，这几类疾病的总和占城市居民致死构成的 89.22%，占农村居民致死构成的 88.13%，具有亟待解决的且尚未满足的临床需求。在 477 个欧美日任意一家监管机构批准的新药中，共有 274 个新药（57%）与目前居民死亡构成的主要疾病领域重合。同样，在 84 个欧美日均批准的新药中，共有 54 个新药（64%）与上述疾病领域重合。

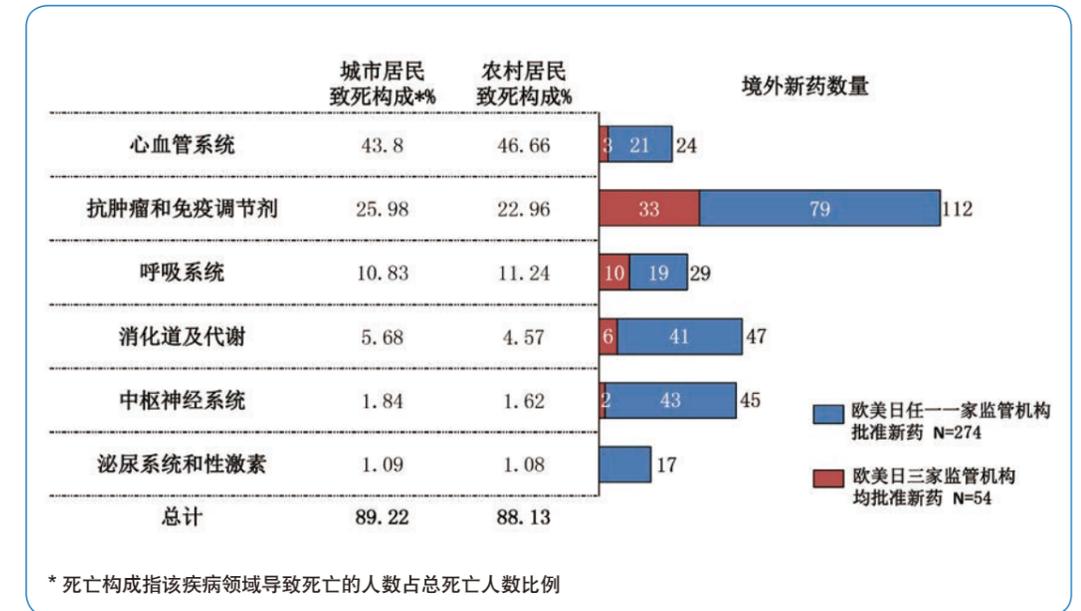


图 2.5 中国居民死亡构成疾病领域的境外已上市新药分布

3.2. 罕见病治疗境外新药情况分析

目前国际上已确认的罕见病有 6,000-7,000 多种，影响着全球约 6%-8% 的人口，给患者、家庭和社会造成沉重的负担，但罕见病药物可及性极差²。中国政府号召“加强癌症、罕见病等重大疾病防治，事关亿万群众福祉”，要保障 2,000 多万罕见病患者用药。为了贯彻落实这一精神，国家卫生健康委员会等 5 部门联合制定了《第一批罕见病目录》。这是中国首次官方定义罕见病，该《目录》的颁布是罕见病领域零的突破，是行业发展的基石。依照《第一批罕见病目录》，在 477 个欧美日批准的新药中有 44 个可用于罕见病治疗，在欧美日均

² 徐新杰, 朱玲, 黄辉. 国际孤儿药研发激励政策概述及其对中国的启示 [J], 国际药学研究杂志, 2017(2): 112-116

中国境外新药注册情况分析

获批的 84 个新药中包括 8 个罕见病用药。

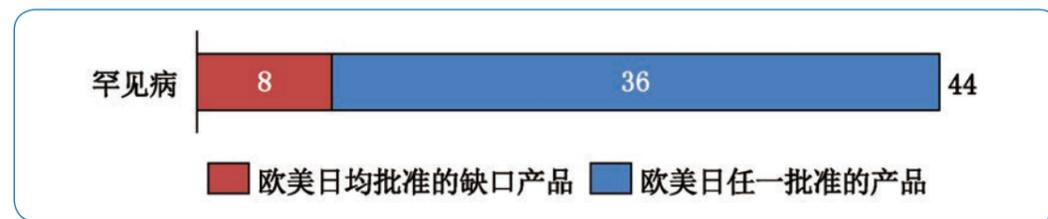


图 2.6 罕见病治疗境外新药情况

4. 小结

创新药通过提供新的治疗方案来攻克重大疾病，从而改善患者生活状态、提高患者生存质量、提升社会健康水平。一项研究结果表明³，新药为患者提供了更有效的治疗选择，不仅延长了患者寿命，还缩短了患者的平均住院时间，有助于降低政府卫生费用支出。证据显示，1986 年至 2001 年上市间的新药使得 2016 年居民寿命损失（YLL）降低 28%，并使患者平均住院天数降低了 16%。

目前在欧美日任意一家监管机构批准的新药中，尚有 77% 的新药未进入中国市场，其中有 57% 的新药与目前居民死亡构成的主要疾病领域重合；在欧美日均获批的新药中，尚有 50% 的新药未能进入中国，有 64% 的新药与中国的临床需求疾病领域重合。有 44 个罕见病治疗药物尚未进入中国。

在 2016 年中共中央、国务院印发了《健康中国 2030 规划纲要》。《纲要》指出：“共建共享、全民健康”，是建设健康中国的战略主题。这要求政府不断发展优化现行的医疗水平，引入具有高临床价值的新药，提高患者对优质药物的可及性。助力实现“健康中国 2030”的目标。

³Lichtenberg, F. R. (2019). The impact of pharmaceutical innovation on the burden of disease in Canada, 2000–2016. SSM-population health, 8, 100457.

(二) 中国境外新药政策分析

1. 研究方法 - 调研问卷及深度访谈

在对境外新药批准情况和适应症分析的基础上，课题组针对过去境外新药在中国注册情况的关键问题设计问卷，选取 5 位有代表性的调研人员进行问卷测试及反馈修改，确定最终问卷内容。调研问卷定向分发给 42 家 RDPAC 会员公司，并在分发前对各公司负责人进行了问卷介绍，以避免问卷理解的差异而影响调研结果，最后共回收问卷 30 份，有效问卷 30 份，有效问卷比例为 71%。

此外还采用定向调研，选取了我国从事境外新药监管、研发、注册以及企业运营的 9 位资深业界人士进行深度访谈，深度了解境外新药引入中国的情况。本次调研的对象均有 15 年以上的行业经验，包括跨国公司的中国区负责人、研发负责人、商务发展负责人以及注册部门负责人。故整体来看，此次调研结果的可靠性较高。

2. 跨国公司引入境外新药的主要考虑

在回收到的 30 份调研问卷中，有 20 家（67%）、18 家（60%）和 16 家（53%）会员公司分别提出了“市场吸引力不足”、“研发成本过高/难度大”和“知识产权保护有待完善”是药企引入境外新药时的主要影响因素。此外，“监管政策不明确”、“中国已有可替代的产品”、“审评审批周期过长”等也是影响境外新药引入中国的原因。为了更好的了解调研问卷反馈的问题，课题组进行了深度访谈，以分析其背后的原因和彼此的关联。

中国境外新药注册情况分析

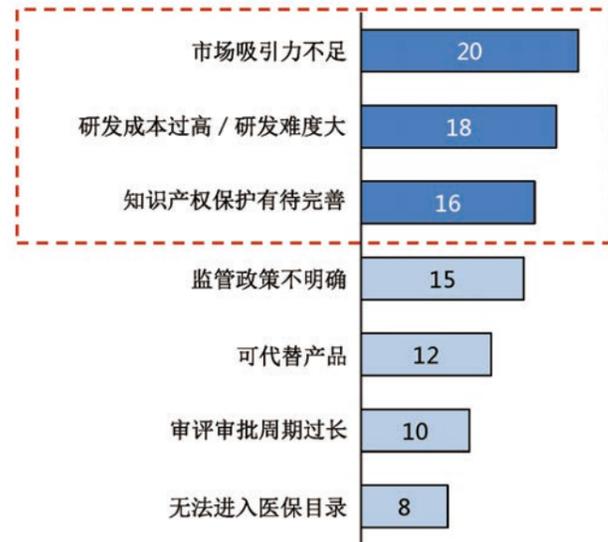


图 2.7 跨国公司在中国启动境外新药的研发工作的主要考虑因素

创新药的产生需要“创新投入”、“创新成果”和“创新回报”三个关键环节可以正向循环。资本不断的对创新的投入会促使新药作为创新成果不断的产生，创新成果带来了合理的、有时限的创新回报后，又将不断的刺激创新投入的持续进行。在创新循环中，三个环节都很重要，缺一不可。



图 2.8 创新循环

在“市场吸引力”方面，被访谈者们表示无论是医疗还是制药领域，中国都是国际上极其重要的市场。但是其创新药的市场营商环境还需进一步完善。其中，市场准入和专利保护至关重要：1) 如果能改善创新药的市场准入政策，会更好鼓励新药，包括境外新药进入中国市场。当前，中国的医保目录正在逐步剔除临床疗效不确切、容易滥用或性价比不佳的产品，纳入符合中国临床需求的“救命救急”的好药。在这个被称为“腾笼换鸟”的时代背景下，如果“金丝鸟笼”可以进一步扩大，比如扩大国家医疗保险投入和商业保险的引入，使增加的资金用于提升对创新药的支付范围和水平，将会确保创新的回报，达到鼓励创新的目的；2) 创新的专利和数据保护也同样重要。中国知识产权保护制度正在不断完善中，行业期待尽快明确清晰的市场独占期限。创新药品在合理的、可预期的市场独占期内获得相应的回报后，通过仿制药品的引入，市场竞争而降低药价，回归药品的公益属性。

创新药的市场准入政策和知识产权保护制度的建立能够促进合理的、有时限的创新回报的产生，这不但能够保护和激励本土创新，也能够引入境外创新。持续的创新投入对提升科技水平，保障人民健康有着关键性的作用。在人类对抗疾病，追求美好生活的愿景下，人类健康的重任不会是一个国家的独立任务，“创新无国界”。在全球化的时代趋势下，满足中国临床需求的境外新药也是创新成果，需要创新回报的不断实现，以促进不断的创新投入。

在“研发成本过高和研发难度大”方面，被访谈者们均认同近十年来，药物发现、研究直至获得各国管理当局批准上市的时间不断延长，投入的资金量不断增加。跨国公司制定新的策略以提高药物研发的质量和效率，其中，避免重复的地区性研究而采用全球同步开发的策略，是提高药物研发效率的重要方式之一。近年来不断深化的药品审评审批改革也在不断建立和创造全球同步开发的途径，下文的 3.1 章节将对此进行详细阐述。同时，下文也会对“监管政策不明确”、“审评审批周期过长”进行具体分析。此外，研发方面的临床研究机构数量有限、临床研究者意愿和能力的提升、中国患者参与临床研究的意愿以及人类遗传物质的管理等领域还需进一步的完善。

中国境外新药注册情况分析

深度访谈的结果与 RDPAC《构建可持续发展的中国医药创新生态系统》报告中，医药创新生态系统架构（图 1.1）中的各个亟待改善的部分不谋而合。

3. 药品审评审批改革取得阶段性成效

3.1. 全球同步开发正在逐步实现

随着药物研发全球化进程的发展，作为具有大量人口资源、疾病种类分布广泛、研究费用相对较低的发展中国家，中国必然成为跨国公司进行国际多中心临床试验的重要选择地点，另一方面，该试验也是后续申请受试药物进口中国必要的铺垫。

2007 年《药品注册管理办法》（局令第 28 号）（以下简称“原注册办法”）对允许开展国际多中心临床试验给与明确，但管理途径有待完善，这与调研问卷中 50% 会员公司反应的“监管政策不明确”相一致。深度访谈中，被访谈者反映，在原注册办法中，虽然允许境外申请人在中国进行国际多中心药物临床试验（临床试验用药物应当是已在境外注册的药品或者已进入 II 期或者 III 期临床试验的药物）等，但是，该文件未对参加国际多中心临床研究的境外新药申请进口注册的管理途径与常规的研发途径进行区分。以化学药品为例，在原注册办法中，对于境外新药只有作为一类药品或三类药品申报这两种途径。参加国际多中心临床的境外药品一般不满足一类药品的申报要求；如若按照三类药品申报，其要求是进口注册临床研究申请前，应当获得境外制药厂商所在生产国家或者地区的上市许可。为此申请人不得不在第一次申请并获得批准参加国际多中心临床试验后，再次递交中国三类药品的进口注册临床研究申请，获得“同意接受国际多中心临床数据，同时免除中国的注册临床研究”的批准后，再第三次递交中国三类药品的进口上市申请。以上整个流程即为业内颇为诟病的“三报三批”。生物制品也有类似的要求⁴。

⁴ 罗建辉, 尹红章. 浅谈治疗用生物制品进口注册临床试验与国际多中心临床试验的关系 [J]. 中国新药杂志, 2013 (13): 1496-1499

“三报三批”的程序也使得中国的境外新药“审评审批周期过长”。据报道国际多中心临床试验的审评时间为 4~12 个月，平均为 7 个月，中位时间为 7 个月⁵。但国际多中心临床试验中计划的受试者入组研究的时间窗有限，相比于发达国家的临床审批时限，中国的时限仍旧偏长，对部分新药的及时加入全球同步开发构成影响。此外，据不完全统计，由于国家药品监督管理局药品审评中心（以下简称 CDE）前期的工作积压，审评审批的周期整体较长，以 2015 年为例，申报临床研究申请的平均时长为 27 个月，新药上市申请的平均时长为 26 个月，对标美国 FDA 批准的时间，中国新药的批准平均在其批准后 5-7 年。上述各种原因均对部分境外新药引入中国带来了影响。

2015 年 8 月，国务院印发《关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见》，明确药品医疗器械审评审批改革的目标、任务和具体措施。2017 年 10 月，中办、国办印发《关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》，进一步加快和深化药品医疗器械审评审批制度改革。在一系列鼓励创新、加快审评审批体制改革的政策“组合拳”下，中国药品审评审批改革取得阶段性成效，新药审评审批速度明显加快。2018 年 7 月国家药品监督管理局官网发布的《关于调整药物临床试验审评审批程序的公告》在药物临床试验审评审批制度中引入“60 天默示许可”。国际多中心临床研究申请可以通过“60 天默示许可”的途径获得批准，这一系列的改革措施促进了全球同步开发的实现。

此外，自 2015 年起，国家药监局药审中心扩大审评队伍，提高药品审评审批容量，境外新药的批准数量逐年上升，在努力达到国际领先审评审批水平。尤其是考虑到在中国⁶与美国⁷审评团队规模差异较大的背景下，中国新药审评审批效率提升明显。2017 年，原国家局颁布《关于调整进口药品注册管理有关事项的决定（2017 年第 35 号）》，允许同步开发，取消部分进口药品在境外上市的要求，取消“三报三批”。同年国家药品监督管理局

⁵ 杨志敏, 温宝书, 史继峰, 等. 国际多中心临床试验在中国申报和审评状况研究 [J]. 中国医药工业杂志, 2009, (2):155-157

⁶ 根据第四届中国药品监管科学大会上国家药监局药审中心孔繁圃主任的发言，目前药审中心约有 700 名审评人员

⁷ 根据美国药监局官网显示，2018 年美国药监局共有约 6500 名审评人员

中国境外新药注册情况分析

以监管成员机构的身份正式加入国际人用药品注册技术要求国际协调会（下称“ICH”），意味着中国药品注册技术与国际接轨之路已经全面打开。2018年，国家局发布《关于接受药品境外临床试验数据的技术指导原则的通告》（2018年第52号），进一步细化对境外数据审评接受的标准。2019年《中华人民共和国药品管理法》、《中华人民共和国疫苗管理法》以及2020年《药品注册管理办法》（下简称“新版《注册管理办法》”）陆续颁布和实施，彰显了国家进一步鼓励药物创新，提高药物可及性的决心。未来中国可以更广泛的进入全球同步临床开发，境外新药得以在中国获得同步（相继）批准。

基于调研问卷和深度访谈，课题组对于医药创新生态系统架构中的（详见图 1.1）“监管审批”环节进行了细化，结合国际先进监管的共同目标：建立国际融合的、科学的、透明的和可预见的法规体系，绘制了中国药品监管体系优化的政策建议框架。除本次研究的过渡期《临床急需境外新药》相关政策外，RDPAC 后续还会对完善监管法规体系、知识产权保护以及如何迎接新技术带来的监管科学发展等等，进行更为深入、全面的研究，以供监管部门参考。

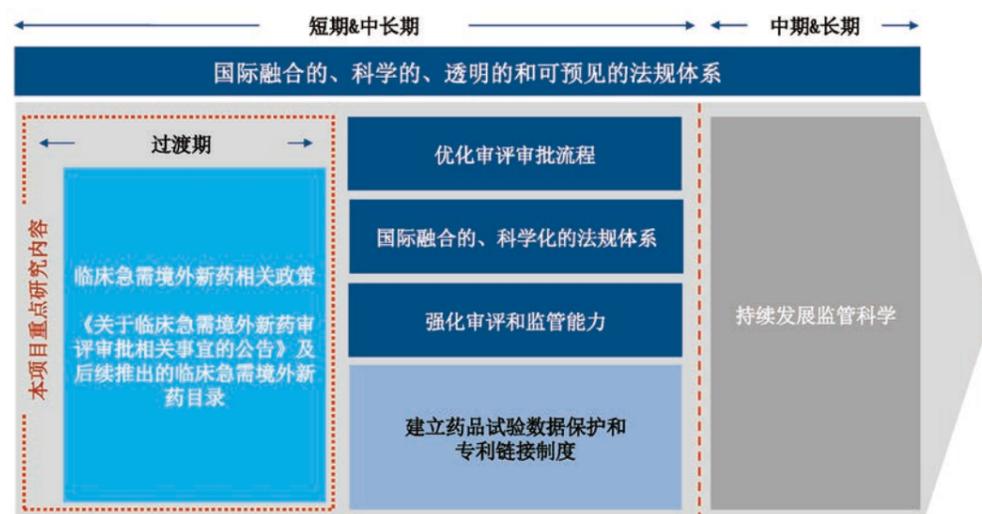


图 2.9 药品监管体系优化的政策建议框架

3.2. 罕见病药品的审评审批政策改革

目前中国的罕见病正逐步的受到相关政策的激励。在国务院印发的《药品安全“十二五”规划》中提到鼓励罕见病用药。国家药品监督管理局及药品审评中心出台了一系列政策加速罕见病药品的审评审批，主要政策如下：

2018年7月，国家药品监督管理局发布《接受药品境外临床试验数据的技术指导原则》（2018年第52号），对于治疗危重疾病、罕见病、儿科且缺乏有效治疗手段的药品注册申请，经评估其境外临床试验数据属于“部分接受”情形的，可采用有条件接受临床试验数据方式，在药品上市后收集进一步的有效性和安全性数据用于评价。

2018年10月，国家药品监督管理局、国家卫生健康委员会发布《关于临床急需境外新药审评审批相关事宜的公告》（2018年第79号），对近十年在美国、欧盟或日本上市但未在我国境内上市的用于治疗罕见病等药品，设置专门通道，加快审评审批。配合该公告，2018年11月，国家药品审评中心发布《第一批临床急需境外新药名单》（共40种），其中包含21种罕见病药品；2019年5月发布《第二批临床急需境外新药名单》（共26种），涵盖17种罕见病药品。

2020年1月，国家药监局发布《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则（试行）》（2020年第1号），进一步指导和规范真实世界证据用于支持罕见病等药物研发和审评的有关工作。

在这一系列政策的推动下，罕见病新药的审评审批速度明显加快。

3.3. 临床急需境外新药政策简介

如上文所述，欧美日任意一家监管机构批准新药中，尚有77%的新药未进入中国市场；在欧美日均获批的新药中，尚有50%的新药未能进入中国。这些产品已经丧失了参加全球同步开

中国境外新药注册情况分析

发的机会，但其部分产品，包括罕见病药品属于能够满足中国临床急迫需求的好药。2018年6月20日李克强总理主持召开国务院常务会议，会议指出，要有序加快境外已上市新药在境内上市审批；对治疗罕见病的药品和防治严重危及生命疾病的部分药品简化上市要求，可提交境外取得的全部研究资料等直接申报上市，监管部门加速批准。

为落实该国务院常务会议的会议精神，加快临床急需的境外上市新药审评审批，国家药品监督管理局会同国家卫生健康委员会组织起草并于2018年10月30日发布了《临床急需境外新药审评审批工作程序》及申报资料要求（下简称为“加速批准政策”，英文为 Accelerate Approval Policy，简称“AA policy”）。主要明确如下程序：

品种遴选：在该文件中，对近十年在美国、欧盟或日本上市但未在我国境内上市的新药，符合条件的新药均予以考虑。其品种遴选工作坚持以临床价值为导向，遵循公开、公平、公正的原则。其筛选流程包括：（1）初步筛选：国家药品监督管理局药品审评中心（以下简称 CDE）组织专家对近十年在美国、欧盟和日本上市但未在我国境内上市的新药进行梳理，初步筛选出符合本程序要求的品种名单；（2）专家论证：国家药品监督管理局（图中简称 NMPA）、国家卫生健康委员会（图中简称 NHC）召开专家论证会，对初步筛选的品种名单进行论证，根据专家意见遴选出符合本程序要求的品种名单；（3）公示：CDE 将遴选出的品种名单向社会公示；（4）公布：国家药品监督管理局药品审评中心发布纳入专门通道审评审批的品种名单。程序描述如下：

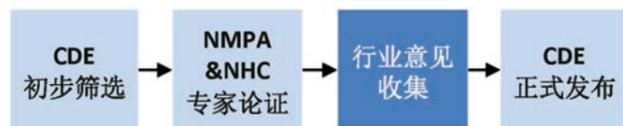


图 2.10 《临床急需境外新药审评审批工作程序》中遴选过程示意图

加速审评审批：凡列入专门通道审评审批品种名单的，其在美国、欧盟或日本首次上市的持证商经研究认为不存在人种差异的，可提出上市申请；递交境外取得的全部研究资料 and 不存在人种差异的支持性材料，或提供在日本或中国香港、澳门、台湾地区药品充分临床使用情况研究报告等。药审中心建立专门通道开展审评，对罕见病治疗药品，在受理后3个月内完成技术审评；对其他境外新药，在受理后6个月内完成技术审评（不含补充资料时间）。国家药品监督管理局在接到药审中心报送的审核材料后10个工作日作出审批决定。

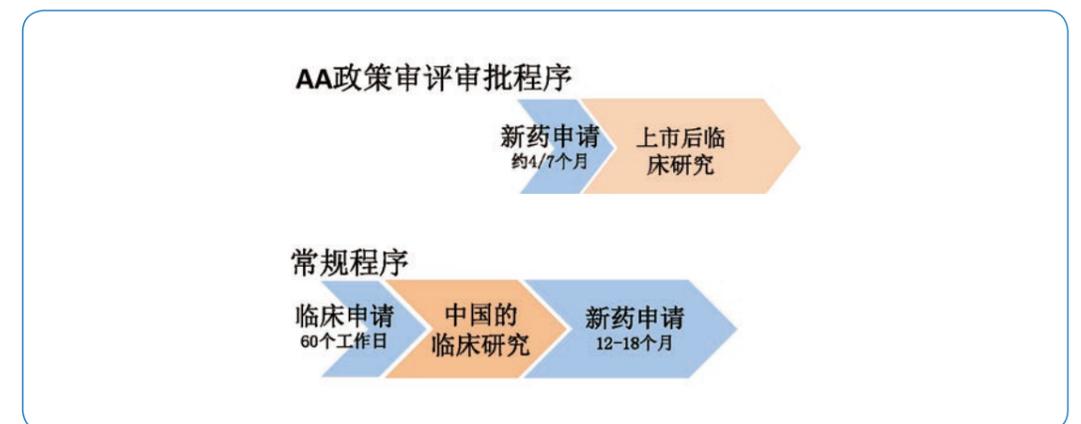


图 2.11 《临床急需境外新药审评审批工作程序》中审评审批程序与常规注册程序的区别（示意图）

随后国家药品监督管理局药品审评中心分别于2018年11月1日和2019年5月29日发布了两批《临床急需境外新药名单》。

名单产品的适应症分布情况：按照 CDE 发布的名单中对治疗领域、适应症、以及列为临床急需原因的描述，将其治疗领域进行归类 and 排序，列表如下。其中，罕见病占比较高，共计 36 个产品约 55%，其次为抗肿瘤药品、皮肤科（含银屑病等免疫性疾病治疗药物）、抗感染药品等。

中国境外新药注册情况分析

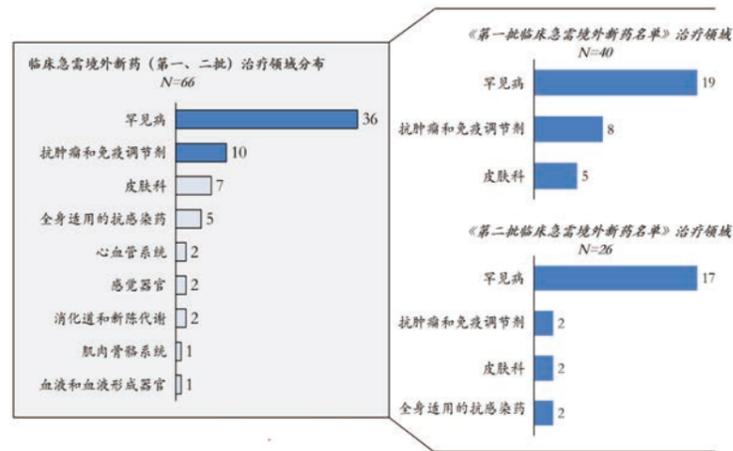


图 2.12 两批临床急需境外新药名单产品的适应症分布

4. 小结

伴随药品审评审批改革，通过参与全球同步开发引进新药的模式正在逐步实现，境外罕见病新药的审评审批政策也在逐步形成。尽管对于“监管审批”环节还有待进一步的完善，但中国药监通过 5 年的时间完成了这样的调整，是世界药品监管历程上的一次壮举。我们相信在不久的将来，伴随药品监管制度的不断完善，中国药监将逐步迈进全球高水平的监管队伍中。

创新药营商环境还需进一步完善，创新药的市场准入政策和知识产权保护制度的建立及完善，能够促进合理的、可预期的创新回报的产生，从而促进创新产品，包括进口新药的不断引入。药品审评审批改革取得阶段性成效，全球同步开发正在逐步实现，以降低研发的成本和难度。但临床研究能力有待提升，临床试验监管体系及人类遗传资源管理的相关政策还有待完善，这些可能是限制了进口新药进入中国的因素之一。

对于过去错失全球同步开发机会的境外新药，中国政府引入了《临床急需境外新药审评审批工作程序》等过渡期相关政策，其立足于解决历史的遗留问题，筛选并加快审批未上市境外新药中能够满足中国迫切临床需求的产品，属于“监管审批”环节的过渡期政策。下文中，课题组将对其具体执行情况进行分析，以提出建设性意见和建议。

临床急需境外新药政策分析

(一) 临床急需境外新药名单产品的申请与批准情况

1. 研究方法 - 申请与批准情况数据库的建立

课题组基于药审中心发布的两批《临床急需境外新药名单》(以下简称“名单产品”)，查询截至 2020 年 5 月 31 日丁香园 insights 数据库中的药品审评审批信息，分析前两批临床急需境外新药名单中新药的上市申请(以下简称“NDA”)和批准情况，以供后续分析临床急需境外新药政策的执行情况和临床急需境外新药名单的覆盖情况。

2. 名单产品 NDA 申请情况

2.1. 名单产品提交申请与 NDA 批准情况概述

截至 2020 年 5 月 31 日，第一批临床急需境外新药名单的 40 个药品中，21 个(53%)新药递交了上市申请，这其中 15 个(38%)新药已经获得 NDA 批准，6 个(15%)新药尚在技术审评中；第二批临床急需境外新药名单的 26 个药品中，17 个(65%)新药已经递交了上市申请，这其中 8 个(30%)新药已经获得 NDA 批准，9 个(35%)新药尚在技术审评中。整体来看，两批临床急需用药名单 66 个新药中，38 个(58%)新药已经递交申请，尚有 28 个(42%)新药未递交申请。

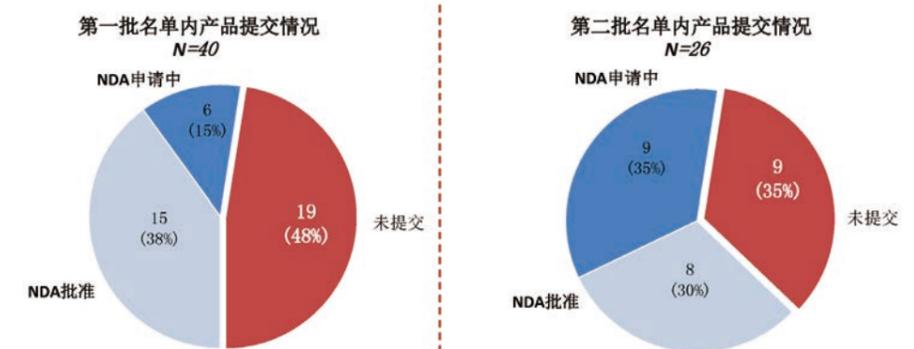


图 3.1 两批临床急需境外新药的 NDA 申请情况

临床急需境外新药政策分析

从递交申请的数量来看，自 2018 年 11 月发布第一批名单产品以来，截至 2020 年 5 月 31 日，历经超过一年半的时间，有 19 个（48%）产品尚未递交申请；自 2019 年 5 月 29 日发布第二批名单产品，截至 2020 年 5 月 31 日期间近一年的时间内，有 17 个（65%）产品递交了上市申请，只有 9 个（35%）产品尚未递交申请。《第二批临床急需境外新药名单》内产品的上市申请提交率高于第一批目录内产品。

在二批临床急需境外新药名单发布的共计 66 个新药中，属于 RDPAC 会员公司的产品共有 49 个，占比 74%，这一数据与“RDPAC 会员公司必须是创新药研发企业”的要求相一致。截至 2020 年 5 月 31 日，共递交 28 个产品，即，近一半的产品进行了上市申请的递交。在第一批名单中共包括 RDPAC 会员公司产品 29 个，其中 15 个产品进行了上市申请递交，占比 52%；这一数据在第二批名单中分别是 20 个 /14 个 /70%。课题组对 RDPAC 会员公司名单产品尚未递交的原因进行了调研，调研结果将在后续部分进行详细分析。

2.2. 名单产品的批准时长分析

根据《临床急需境外新药审评审批工作程序》及申报资料要求（下简称为“加速批准政策”），药审中心建立专门通道开展审评，对罕见病治疗药品，在受理后 3 个月内完成技术审评；对其他境外新药（下简称“非罕见病产品”），在受理后 6 个月内完成技术审评（不含补充资料时间）。国家药品监督管理局在接到药审中心报送的审核材料后 10 个工作日作出审批决定。

课题组对批准的产品进行了分析，由于 2020 年初产品的审评审批受到新冠疫情的影响，国家局的审批决定采用 20 个工作日来计算。统计结果显示，纳入临床急需境外新药名单后，药品的审评审批速度得到显著提高。两批目录中共计 14 个非罕见病产品平均审评审批时长约为 6-7 个月（200 天左右），能够满足 6 个月内完成技术审评（不含补充资料时间）且 10 个工作日作出审批决定的法规要求（受新冠疫情影响，2020 年初的产品批准时间延长为 20 个工作日，即审评审批总时长计 210 天左右）。两批目录中共计 9 个罕见病产品，其平

均审评审批时长约为 4-5 个月（140 天左右），基本能够接近 3 个月内完成技术审评（不含补充资料时间）且 10 个工作日作出审批决定的法规要求（审评审批总时长计 120 天左右）。相较于一般流程，名单产品的审批时限明显缩短。如下对两批名单产品的审批时限进行了详细的分析。

第一批名单产品的批准时长分析

目前，在第一批名单中有 15 个新药获得 NDA 批准。课题组对其批准时长进行了分析。15 个名单产品中，有 6 个产品属于罕见病治疗用药，有 9 个产品属于非罕见病产品。其中，有 4 个名单产品（其中有 3 个产品为罕见病治疗用药）的 NDA 申请早于其列入目录的时间（2018 年 11 月 1 日），其批准时长的计算以进入目录的时间为起始点；其他产品以其递交（国家局收到审评费用）到批准（制证完毕 - 已发批件）的周期来计算批准时长。

经统计，9 个非罕见病产品平均审评审批时长为 199 天，排除干扰的特殊情况和发补情况，平均时长为 191 天，能够满足 6 个月内完成技术审评（不含补充资料时间）且 10 个工作日（约为 210 天左右）作出审批决定的法规要求。



图 3.2 第一批临床急需境外非罕见病产品的 NDA 批准时长

* 9 个产品的平均批准时长；** 排除特殊情况和发补情况的 6 个产品的平均批准时长

临床急需境外新药政策分析

6个罕见病用药的情况比较复杂：如前所述，其中3个产品的NDA申请递交时间早于其列入目录的时间（2018年11月1日），其批准时长的计算以进入目录的时间为起始点，且其中2个产品均在技术审评的过程中出现需要补充资料的情况。6个产品的平均审评时长为134天；排除特殊情况和发补的3个产品，剩余3个产品的审评时长平均为145天，基本能够接近3个月内完成技术审评（不含补充资料时间）且10个工作日（约为120天左右）作出审批决定的法规要求。



图 3.3 第一批临床急需境外罕见病新药的 NDA 批准时长
* 6个产品的平均批准时长；** 后3个产品的平均批准时长

第二批名单产品的批准时长分析

在第二批名单中有8个新药获得NDA批准，其中，有5个产品为非罕见病产品，其余3个为罕见病产品。

经统计5个非罕见病产品，其中产品1和2的NDA申请递交时间早于其列入目录的时间（2019年5月29日），其批准时长的计算以进入目录的时间为起始点。产品3的审评过程中有补充资料的情况发生。另外，产品5的最后审批日期受到新冠疫情的影响，虽然技术审评于2020年1月完成，但后续的内部流程时间较长，于2020年3月底完成。虽然存在多种影响因子且样本量有限，但平均审评审批时长仍可以满足相应的法规要求。



图 3.4 第二批临床急需境外非罕见病产品的 NDA 批准时长
* 5个产品的平均批准时长；** 后2个产品的平均批准时长

罕见病用药样本有限：一共有3个产品获得批准，其中1个产品的NDA申请递交时间早于其列入目录的时间，其批准时长的计算以进入目录的时间为起始点，另外2个产品均未出现需要补充资料的情况。3个产品的平均审评时长为152天；排除特殊情况和发补的1个产品，剩余2个产品的审评时长平均为124天，基本能够接近3个月内完成技术审评（不含补充资料时间）且10个工作日（约为120天左右）作出审批决定的法规要求。



图 3.5 第二批临床急需境外罕见病产品的 NDA 批准时长
* 3个产品的平均批准时长；** 后2个产品的平均批准时长

临床急需境外新药政策分析

（二）临床急需境外新药名单产品遴选与执行现状分析

《临床急需境外新药审评审批工作程序》对部分境外新药开启了专门审评审批通道，对不存在人种差异的新药采取免临床直接上市的政策；同时，其审评审批时限得以明显的缩短，为解决中国药品的药滞问题，提高中国患者对新药的可及性做出了贡献。与此同时，我们也注意到，在二批临床急需用药名单 66 个新药中，尚有 28 个（42%）新药未递交申请，为什么在这样利好的政策下，仍旧有一些临床急需境外新药未进行注册申请呢？课题组带着这个问题，对其背后的原因进行了调研分析。

1. 研究方法

在对境外新药批准情况和适应症分析的基础上，课题组针对“名单产品”未在中国申请的关键问题设计问卷。RDPAC 会员公司的新药在二批临床急需境外新药名单中共有 48 个，占全部 66 个新药的 72%，因此 RDPAC 会员公司的调研结果可以有效反映进入临床急需境外新药名单的新药进入中国的决策因素。在调研问卷分发前对其负责人进行了问卷介绍，以避免问卷反馈过程中的不一致而对调研结果产生影响。由于前两批《临床急需境外新药名单》中涉及的 RDPAC 会员公司仅 20 家，故一共发放了 20 份调研问卷，收到有效反馈 12 份，反馈率达 60%。此外，还特别联系了尚未递交申请会员公司的负责人，以便更好地了解其深层次的原因。

在对前述 9 位资深业界人士进行深度访谈时，也特别了解了名单产品递交时的主要考虑，尤其是纳入非 RDPAC 代表的考虑，从而全面的判断目前名单产品进入中国市场时面临的挑战，为之后优化临床急需境外新药相关政策的建议提供参考。

2. 跨国公司引入名单产品的主要考虑因素

问卷反馈结果表明，企业均表示拥护《临床急需境外新药审评审批工作程序》，对中国政府、药品监督管理部门为了解决中国患者的临床需求所作出的进步表示由衷的敬佩。同时，也希望药审中心继续发布《临床急需境外新药名单》，用以解决原有法规环境造成的药滞问题。但是，在对临床急需境外新药名单中的品种的引入方面主要顾虑如下：遴选程序、上市后临床要求和知识产权保护以及品种范围。

第一点：7 个（58%）受调研企业认为目前临床急需境外新药的遴选流程有待优化。

在就“为何第二批品种递交申请情况显著优于第一批名单产品”进行访谈时，企业代表分享其经历：在第一批临床急需用药名单制定时，主要由 CDE 进行遴选，药监局与卫健委牵头组织专家对遴选的药品进行讨论，来形成品种名单。虽然 CDE 在 2018 年 8 月发布了第一批名单（意见征求版）并公开征求意见，但鲜有企业反馈希望将其已在意见征求名单中但不计划递交的产品撤出；企业多数的反馈意见是，希望该批名单增加其它临床急需境外新药。最终在 2018 年 11 月 1 日发布的第一批名单最终版本与意见征求版未见明显变化。即为业内流传的“想进去的未进去，不想进去的进去了”。而在第二批临床急需用药名单的制定过程中，针对第一批名单反馈时企业主动要求纳入名单的产品，CDE 予以了考虑并提前了解备选药品进入中国的意愿。课题组分析这可能是第二批名单产品递交申请比例较高的原因之一。

在深度访谈的过程中，有专家反馈，现有的遴选过程基本上是阶段性的发生。即行业并不清楚什么时候会启动产品遴选，什么时候会发布下一批临床急需境外新药的目录。企业在递交申请前有大量的准备工作，包括资料的整理、产品线的布局、甚至包括工作人员的扩充等等，行业呼吁更为清晰、透明的管理程序。例如，参考国际上其他的特殊途径认证过程，企业可以按计划递交其纳入“临床急需境外新药加快批准程序”的申请，监管和卫生部门在合理的时间对其资质进行判定，随后企业可以进行相关通道的 NDA 递交。

临床急需境外新药政策分析

第二点：7个（58%）受调研企业认为含试验数据保护的知识产权保护制度需要尽快完善并落实。

企业代表反映，目前药监部门对药品上市后的临床要求尚不清晰，对真实世界数据的接受度也未有明确说明，因此企业难以预测药品上市后的临床研究支出。企业最担心的是即便通过了“临床急需境外新药加快程序”的批准，还有可能面对未来 NDA 批准时，药品监管当局留在批件中的“作业”，尤其担心这些“作业”是类似“确证性临床试验”的大规模的临床研究。

中国加入 ICH 以后，对 ICH 指南的引入不断深入。目前新版《药品注册管理办法》的配套文件也正在制定中，其中，在《境外已上市境内未上市药品临床技术要求》（征求意见稿）中，参考了 ICH 的精髓，“对于全球数据中没有中国人群相关数据，且未见明显种族因素影响……，用于严重或危及生命疾病、罕见病且无有效治疗手段的药品，……并应开展上市后有效性和安全性临床试验以支持药品全生命周期获益/风险评估……”，对有可能存在种族敏感性的产品要求“确证性临床试验”。该征求意见稿体现出对于无种族影响的临床急需药品（含罕见病药品），减免“确证性临床试验”。行业期待该技术指南的实施。

数据保护是新药的市场独占期的重要举措之一。虽然药监局于 2018 年发布《药品试验数据保护实施办法（暂行）》征求意见稿，但该征求意见稿尚未正式发布，且其对这些境外已上市的新药（含新适应症）并未设计相应的临床数据保护。目前部分的境外上市新药其专利期有限，如果进入中国，不但需要大规模的临床研究支出，而且这些临床研究并不会得到相应的数据保护，这些将会影响企业商业决策的积极性。

此外，部分境外新药所剩专利期有限，即将面临国内仿制药品（包括生物类似物）上市以及带量采购的压力，进口引入的热情受到限制。

创新的有效期限需要保护，只有在合理期限内给与创新以相应的保护，创新的动力才能得以持续的实现。新药一般需要近十年的研发周期，新药研发者“耐得住寂寞”，愿意持续投入精力和心血来“治病救人”，如果没有合理的、可预测的市场独占制度，创新的资金投入、人才投入就会面临严峻的考验。设立能够维系“仿”“创”平衡的知识产权保护制度，对鼓励创新、保护创新至关重要。

第三点：6个（50%）受调研企业认为如何有序加快境外已上市新药在中国上市审批还不够明确。

2018 年 6 月 20 日李克强总理主持召开国务院常务会议上提及：“有序加快境外已上市新药在境内上市审批。对治疗罕见病的药品和防治严重危及生命疾病的部分药品简化上市要求……”。企业代表认为，中国已经在加速审评审批政策上取得重大成果，与此同时新药缺口仍然存在，且其中大部分未上市的新药能满足疾病治疗需求，减轻医疗疾病负担。因此及时引入境外新药，对增加疾病治疗选择和满足患者健康需求而言具有重大意义。新版《药品注册管理办法》突出框架属性和管理属性，已预留了多种可能：例如 4 个加速通道相关的政策，包括“药品附条件批准程序”、“优先审评审批程序”。同时，新版《注册管理办法》对审评审批的流程不断优化，通过对 1) 药品审评、核查、检验由串联改并联开展；2) 明确药品注册核查、检验启动和结束时间点等等，明确审评时限，明确各类药品审评总时限，对优先审评的品种 130 天完成技术审评，境外已上市境内急需罕见病 70 天完成技术审评。后续我们期待“临床急需境外新药加快批准程序”能够与“药品附条件批准程序”、“优先审评审批程序”相结合，以全球临床研究数据为基础，根据 ICH E5 指导原则和 CDE《接受药品境外临床试验数据的技术指导原则》以及未来发布的《境外已上市境内未上市药品临床技术要求》（征求意见稿），对已获得的境内外临床试验数据，科学地评价该药品或新适应症在中国患者中的安全性和有效性，并针对数据的评估结果，加速批准或加速附条件批准。

临床急需境外新药政策分析

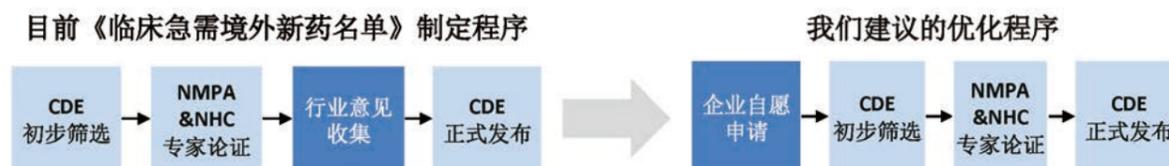
在深度访谈的过程中，还有专家反馈，部分现有目录中有一些非 RDPAC 会员公司的产品，它们一般隶属于一些规模或跨国运营经验有限的公司，不一定熟悉中国的药品监管政策和营销政策。针对这些产品，可以鼓励多种合作模式，例如鼓励企业之间的持证权益转让（License In）等，优化这类产品进入中国的途径。目前中国正在推进上市持有人制度（即 MAH 制度），可以鼓励中国本土企业或熟悉中国的企业持有这些产品的中国权益以将其引入中国。对这些产品而言，尤其是罕见病产品产量低，即便其生产厂地在境外，也不用强制要求其必须在中国境内生产，从而降低生产转移等成本，真正实现全球化发展，最终惠利中国的患者。目前新版《药品管理法》已经实施，后续我们期待“上市许可持有人”的具体政策能够助力这些商业合作得以实现。

（三）优化临床急需境外新药政策的建议

结合课题组的数据分析与调研结果，综合考虑行业专家意见，课题组建议以下三点：

第一、优化品种遴选工作流程

鼓励企业自行申报候选，经专家审评后决定。从而更好地将临床需求与企业新药战略相结合，鼓励企业积极申报目录上的新药。在遴选工作中，充分发挥制药企业的能动性。适当调整遴选程序，将遴选工作由专家筛选论证转换为由企业自主申报、专家审评资质的遴选模式，在遴选中纳入企业的新药规划，避免出现新药列入临床急需境外新药名单但企业无意愿上市的情况，从而提高临床急需境外新药名单的落地效率。



RDPAC 愿意与药监部门共同制定遴选认证流程，优化临床急需境外新药审评审批的政策。

第二、建立长效机制，持续推进加快境外新药上市进程

进一步推进境外新药政策的实施，扩大临床急需境外新药名单覆盖的新药数量、拓宽名单覆盖的适应症范围，将有助于更快、更好的满足中国患者健康需求，实现健康中国 2030。

增加用于防治严重影响生存质量的新药。目前临床急需境外新药名单主要覆盖了罕见病、抗肿瘤和免疫调节剂与皮肤用药等治疗领域，但境外已上市新药包括更多与中国患者死亡原因及死亡风险密切相关的心血管系统、消化道和代谢、呼吸系统和抗感染类等新药，这些产品不但能够满足患者的临床治疗需求，还能够减轻医疗负担和社会负担。

同时罕见病治疗的药品可及性有待提高。在本项目中，按照国家第一批罕见病目录的 121 个疾病分类，尚有 40 多个产品未能进入中国。伴随国家罕见病目录的更新，还会有更多的境外已上市新药可能纳入到中国罕见病药品的需求中。

此外，伴随新冠疫情的发生，临床需求的领域相应发生变化，包括抗新冠病毒感染、疫苗类、呼吸、甚至精神（如：抑郁）等治疗领域均受到影响。医疗需求是人类的生存需求之一，科技应该在全球范围内广泛的使用，这些满足医疗需求的技学术成果应当给予需要它的患者，包括中国患者。

我们建议在完善产品遴选流程后，结合新版《药品注册管理办法》切合到类似优先审评审批和附条件批准的程序中，根据 ICH 和 CDE 的指导原则充分评估全球研究数据，减免中国的临床要求，将加快境外新药上市。同时，持续建立国际融合的、科学化的法规体系，鼓励全球同步研发。

RDPAC 将全力支持国家药品监督管理局尽快启动后续临床急需境外新药名单的相关工

临床急需境外新药政策分析

作，早日惠及中国患者。随本报告，RDPAC 将欧美日近十年新药批准的数据库递交给中国药政部门，以供宏观决策使用。后续 RDPAC 还将继续开展其他研究，支持中国药监改革。

第三、鼓励创新，落实适合中国国情的知识产权保护体系

伴随中国的经济发展，这个具有众多人口的大国是国际上及其重要的医药市场之一，同时人类健康的重任不会是一个国家的独立任务，在全球化的时代趋势下，创新必然无国界。提升新药的营商环境，会更好的鼓励新药，包括境外新药进入中国市场。

国际上，试验数据保护制度、专利期补偿制度和药品专利链接制度是药品监管当局鼓励和保护药品创新的重要法宝：如前所述创新循环中，创新投入需要创新成果带来的创新回报。合理的专利和数据保护期限可以明确创新药市场独占期，鼓励创新并保护医药创新。同时，专利和数据保护期限截止后，药品可以通过引入仿制药品，促进市场竞争，降低药品价格等途径，使得其回归公益属性。面对不断产生的医疗需求和人类健康追求的美好愿望，促进创新的良性循环至关重要。

伴随新版《药品管理法》的出台，和后续《专利法》、《药管法实施条例》、《药品试验数据保护》等一系列政策的实施，期待中国将逐步建立起成熟的药品专利链接制度、专利期补偿制度和试验数据保护制度，鼓励创新，保护创新，促使境外新药的不断引入。

结语

综上所述，目前尚有大量的境外新药未能进入中国市场，现有的临床急需境外新药政策可以引入中国急需的境外产品。在继续推出覆盖适应症更广、数量更多的临床急需境外新药名单的同时，进一步完善临床急需境外新药名单遴选机制，充分考虑患者用药需求和企业进入意愿，结合新版《注册管理办法》，适时推行常态化、规范化管理的政策，将使得该政策更为完善。

消弭境内外新药缺口，使中国患者能够用上国际领先的创新好药，有赖于社会各界长期持续的努力。中国政府正着力建设短、中、长期的新药加速审评审批政策机制。现行的临床急需境外新药政策，已经为加速新药进入中国、缩小境内外新药缺口，打下了良好的基础。新版《药品注册管理办法》及其配套文件中四个加快通道等政策，为新药全球同步开发提供了政策支持。未来，在构建创新生态系统的研发、临床研究、市场准入、知识产权保护乃至创新投入的各个环节，政府可以视中国的具体情况及时的出台各项政策，实现新药的可及性。疾病是人类共同的威胁，实现健康是人类共同的目标，RDPAC 愿意于中国政府携手，更快、更好的满足中国患者健康需求，实现健康中国 2030。

研究组织及致谢

本研究由中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会 (RDPAC) 发起，联合中国药科大学国家药物政策与医药产业经济研究中心和艾昆纬管理咨询 (上海) 有限公司 (IQVIA) 共同开展。

本项目在开展过程中获得了行业组织与专家们的大力支持。项目的顺利进行离不开多位行业专家热心提供的知识和见解。特别鸣谢国家药品监督管理局和药品审评中心的专家老师们提供的专业性指导意见，行业专家们和 RDPAC 成员公司为本项目提供的深度行业洞察与专业政策解析，他们贡献的专业知识和深度见解有力地推动了项目研究工作。

在开展问卷调查与收集新药信息确认表的过程中，课题组得到了来自中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会会员公司的鼎力支持，为项目研究提供了丰富信息和可靠数据来源，在此对这些会员公司的大力支持表示感谢。他们是：雅培、艾伯维、艾尔建、安进、阿斯泰来、阿斯利康、拜耳医药保健、勃林格殷格翰、百时美施贵宝、新基医药、中外制药、第一三共、卫材、礼来、爱的发制药、辉凌、匈牙利吉瑞大药厂、吉利德、葛兰素史克、赫尔森、益普生、协和发酵麒麟、利奥制药、灵北、默克、默沙东、萌蒂制药、诺华、诺和诺德、辉瑞、罗氏、赛诺菲、施维雅、住友、武田、优时比制药和西安杨森。（依照企业英文名称的首字母顺序排名，排名不分先后）



中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会

地址：中国北京市朝阳区东三环北路 8 号 北京亮马河大厦 1 座 506 室

邮编：100004

电话：8610-6590 7696

传真：8610-6590 7697

网址：www.rdpac.org

