

# 构建中国医药创新生态系统 (2021-2025)



中国医药创新促进会 (PhIRDA)

中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会 (RDPAC)

2021年10月



# 前言

世界正经历百年未有之大变局，新一轮科技革命和产业变革深入发展，中国已进入“十四五”新发展阶段。创新在五大新发展理念中被置于首位，国家已明确将强化战略性科技能力列为2021年工作重点，“坚持创新驱动发展”将成为中国未来五年乃至中长期的核心战略。经过新冠疫情全球流行与防控的洗礼，医药创新水平在控制疫情、恢复经济中的重要作用更加凸显，医药创新能力更是国家综合实力的重要组成部分和不可或缺的强国要素。

2015-2020年是中国医药创新生态系统建设浓墨重彩的五年。2008年启动的“重大新药创制”科技重大专项展示了政府推动医药大国向医药强国转变的决心，激励大批科技人员投身药物创新研发，创新成果斐然；政府引导催化了社会资本投资，为创新源头注入活力。2015年《国务院关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见》和2017年中共中央办公厅和国务院办公厅《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》明确顶层设计，为理念转变和机制创新指明了方向：转化政府角色，坚持开放与国际接轨，鼓励社会力量参与，加强社会共治，明确知识产权的重要性。药品审评审批制度改革及医保药品目录调整等政策制定和落实，是两办文件精神的有效实践，切实改善了生态系统各要素的政策环境。2015-2020年中国医药创新生态系统初步形成，医药创新产业蓬勃发展并与全球创新产业链不断融合。

从全球格局来看，随着生命科学基础研究的突破性进展，医药产业发展和创新已成为战略制高点。在新冠疫情下医药产业在全球范围内承载着前所未有的重任，也让“健康”、“创新”、“合作”等关键词成为世界关注的焦点。世界正在以新的视角看待中国快速崛起的医药创新实力和对全球公共卫生的潜在贡献。这必将进一步提升中国在国际医药创新领域的话语权，推动中国与国际科技交流合作，并融入全球创新网络，使中国成为全球科技开放合作的舞台。

中国对科技发展的指导思想从2016年的“三个面向”到2020年“四个面向”的跨越，标志着“面向人民生命健康”已经上升到与“面向世界科技前沿”“面向经济主战场”“面向国家重大需求”同样高度。医药创新对提升人民生命健康水平至关重要。未来五到十年，癌症和心脑血管疾病、糖尿病、呼吸系统疾病等慢病的疾病负担将愈发沉重；而新冠疫情的爆发，再次提醒我们传染病的威胁仍将长期存在。因此，提高癌症、慢性病、传染病这三大类疾病的防治将切实改善全民健康水平，也是创新药行业助力实现“健康中国2030”目标的重要切入点。

中国正处于从医药制造大国向医药创新强国迈进的重要历史节点，需要登高望远、乘势而上，通过更深层次改革、更高水平开放及国际合作实现更高质量发展，从过去第三梯队的“跟跑”，到现今第二梯队“并跑”，向未来第一梯队的“领跑”进发，以医药创新强国的姿态，推进人类健康共同体的建立。

在这样的背景下，两家医药行业协会对中国医药创新发展开展调研，深入研究如何继续推进和完善中国医药创新生态系统。本报告首先对过去五年中国医药创新生态系统建设取得的卓越成就进行回顾，并针对生态系统的关键要素进行深入现状评估、挑战剖析、国际对标和未来展望，全面阐述未来五年中国医药创新生态系统的发展目标、提升方向和政策建议。

本报告得到了顾问委员会和三十多位专家的悉心指导和大力支持，对于各位专家在生态系统总体层面以及基础研究、同步研发、支付保障等各方面提出的深度见解和宝贵建议，在此表示衷心的感谢。

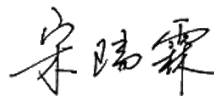
---

## 中国医药创新促进会 (PhIRDA)

2020-2021年度会长 任晋生



执行会长 宋瑞霖



## 中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会 (RDPAC)

执行委员会副主席 (代理主席) 罗杰仁



执行总裁 康韦



---

---

## 顾问委员会

### 陈凯先

中国科学院院士、中国科学院上海药物研究所研究员、上海中医药大学学术委员会主任

### 葛均波

中国科学院院士、复旦大学生物医学研究院院长、上海复旦大学附属中山医院心内科主任

### 蒋华良

中国科学院院士、中国科学院上海药物研究所研究员、学术委员会主任

### 王拥军

首都医科大学附属北京天坛医院院长

### 胡善联

复旦大学公共卫生学院卫生经济学教授

### 刘国恩

北京大学中国卫生经济研究中心主任、北京大学全球健康发展研究院院长

### 张宗久

清华大学医院管理研究院常务副院长

# 目录

<b>概要</b>	<b>1</b>
2015-2020年中国医药创新系统发展五年回顾	1
2021-2025年医药创新生态系统建设总体目标及各要素	2
针对中国医药创新生态系统各要素的展望和政策建议	8
<hr/>	
<b>第一章 2015-2020年发展回顾</b>	<b>11</b>
1 政策环境显著改善，推动创新	11
2 资本投入大幅增加，助力创新	14
3 创新主体能力升级，带动创新	15
4 医药创新产出跨越式提升	17
<hr/>	
<b>第二章 推动基础研究，激活创新源头</b>	<b>19</b>
1 过去五年的长足进展	19
2 与全球领先水平仍存差距	21
3 深层次挑战	24
4 未来展望	26
<hr/>	
<b>第三章 推进创新药同步研发、注册与审评</b>	<b>30</b>
1 推动同步研发、注册与审评的重要意义	30
2 注册监管科学性	38
3 临床研究高效性	44
4 监管与临床能力建设	47
<hr/>	
<b>第四章 构建多层次医疗保障体系</b>	<b>50</b>
1 构建多层次医疗保障体系的背景	51
2 商业健康险现状与挑战	53
3 多层次保障的政策建议	57
<hr/>	
<b>结语</b>	<b>62</b>
专家名单	63

# 概要

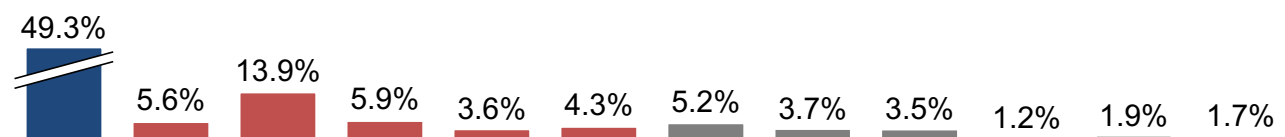
## 2015-2020年中国医药创新系统发展五年回顾

2015-2020年是中国医药创新生态系统建设经历重大历史转折的五年。2008年国家即启动了“重大新药创制”科技重大专项；2012年生物医药被列为国家七大战略性新兴产业之一。时至2015年，中国医药创新的发展仍然面临着一系列深层次挑战：创新产业链各环节能力薄弱，创新药上市数量少且上市后可及性低，市场回报有限，不足以激励资本投入；中国对全球研发管线产品数量的贡献处于医药创新的“第三梯队”。而2015-2020年的短短五年间，中国构建起了一个相对完整的医药创新生态系统。在国家战略的引领下，政策、资本、创新主体相互作用、良性循环：政府逐步转化角色和监管理念，通过明确生态顶层设计、健全法律保障体系、制定落实鼓励政策，建立起科学、开放、与国际接轨的监管体系和制度，政策环境显著改善；资本投入大幅增加，“重大新药创制”科技重大专项持续投入，同时政府投入催化社会资本投资热潮，助力了一批医药创新企业的涌现；创新主体能力升级加速研发上市新药，聚焦中国病患未满足的临床需求，形成了由本土药企构建自主研发体系、跨国药企升级中国研发中心组成的创新双引擎。

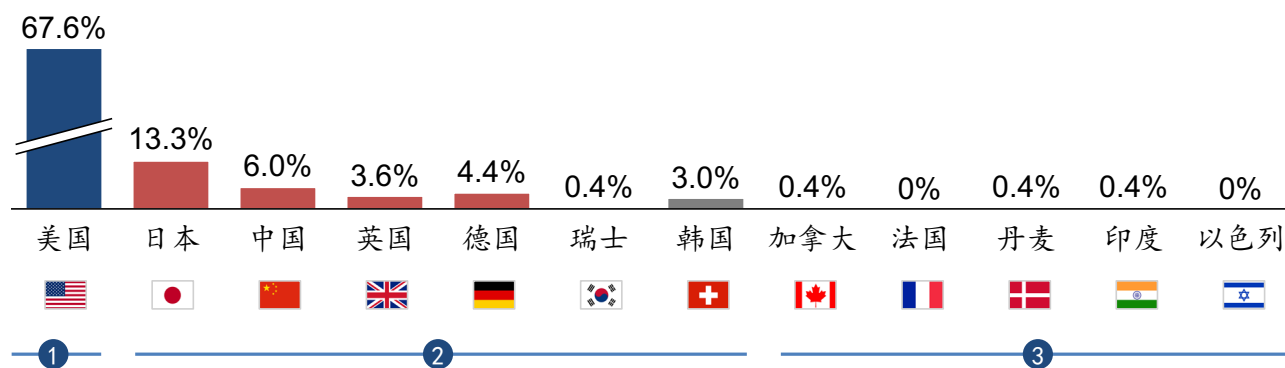
2020年，中国对全球医药研发的贡献实现了从第三梯队“跟跑”到第二梯队“并跑”的历史性跨越。以研发管线产品数量衡量为例，中国对全球贡献占比从2015年的约4%跃至约14%，稳居第二梯队之首，仅次于美国；以全球首发上市新药数量衡量为例，中国在全球排名前三，占比6%，对比2007-2015年的2.5%占比有显著提高（图1）。

图1: 中国医药创新在研发管线和上市新药的数量指标上位居全球“第二梯队”前列

### 研发管线产品数量<sup>1</sup>



### 首发上市新药数量<sup>2</sup>



1. 2020年2月处于临床前、临床一期至三期，及注册前的管线数量，以公司总部所处国家分类

2. 2015-2019全球首发市场占比，仅包括新分子实体

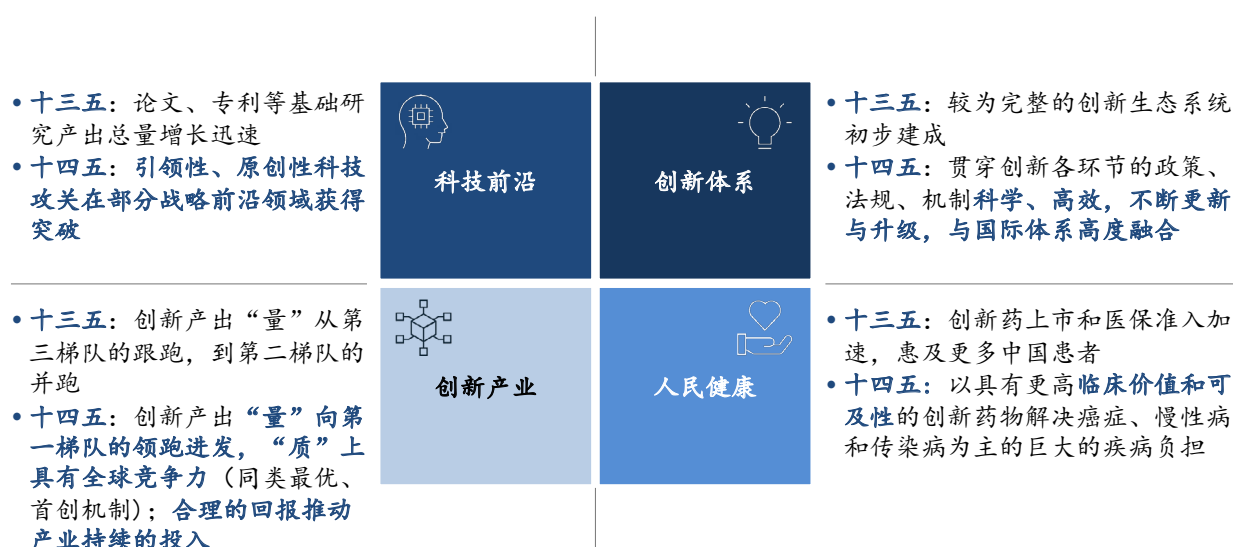
资料来源：Pharmaprojects

## 2021-2025年医药创新生态系统建设总体目标及各要素

展望2021-2025年，中国医药创新在社会经济发展中的战略性更加显著。**四大趋势将指引中国医药创新生态系统的建设完善**：“十四五”新发展理念中创新被置于首位，中国科技发展指导思想向“四个面向”跨越；新冠疫情再一次印证了健康问题对于社会和经济巨大的影响，健康对于一个国家体系而言不仅是一项成本和支出，更是一个重要的投资；随着全球生命科学研究的进展突破，医药产业发展与创新成为战略制高点；创新药满足中国患者需求同时惠及全球患者，国际国内双循环相互促进。

2021年是“十四五”开局之年，也是中国医药创新生态系统建设走向新发展阶段承上启下的一年。展望未来五年，中国医药创新生态系统的建设将在“十三五”的基础上，围绕**科技前沿、创新体系、创新产业、人民健康**等四个方面，实现总体目标的跨越式突破，引领创新生态系统的长期可持续性发展，真正实现从医药制造大国到医药创新强国的转变（图2）。

图2: 2021-2025年中国医药创新生态系统的总体目标



为实现未来五年目标，中国医药创新生态系统仍有一些关键问题亟待解决。提升这些薄弱环节对于实现医药创新产业从“量”的增长到“质”的突破的跨越，以及确保中国长期的领先优势至关重要。

### 1. 中国基础研究能力仍旧比较薄弱，而基础研究向产业转化的体系和能力仍待构建，如何激活突破性和原始性创新源头？

基础研究作为创新的源头，是保证一个国家医药创新长期处于世界领先地位的战略要地，因此世界各发达国家都纷纷制定相关国家战略，从资金和研究体系上引导国家创新方向。

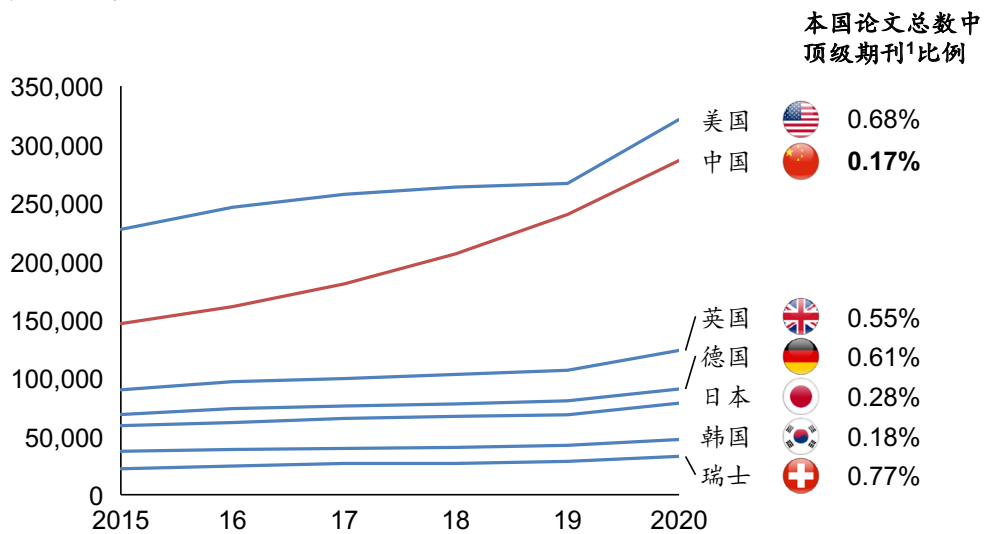
与发达国家相比，中国虽然近年来在基础研究中取得了非凡的成绩，但仍然存在优质、先驱性研究比例低，医药创新同质化严重，基础研究成果未能规模化转化等严峻挑战。例如，虽然2020年中国生物医学领域论文发表数量达到近29万篇，但其中在《自然》《科学》《细胞》三大顶级学术期刊发表的论文比例只有0.17%，远低于欧美



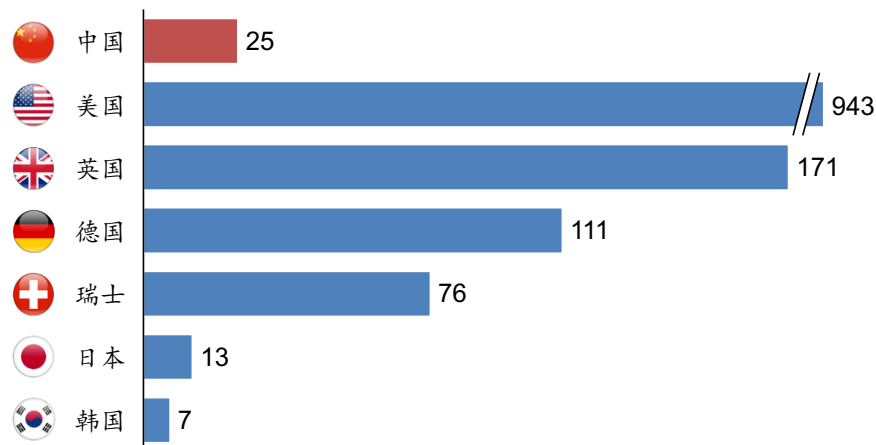
生物医药领先国家普遍高于0.6%的水平。而中国发表的29万篇论文又以跟进研究为主，大多是在已有技术基础上的渐进式创新，原创性较少。此外，中国在生物医学领军人才数量方面与欧美国家差距显著，2020年ESI全球前1%生物医学领域高被引学者数中国仅25人，相比美国有900余人（图3）。深究导致这些基础研究薄弱问题的原因，国家和社会基金对于创新源头投入偏少、科研经费缺乏国家级别的统筹规划、对于创新主体和研究人员的评价体系相对短视、复合型人才短缺以及转化研究协作不足为主要掣肘因素。

**图3: 基础研究差距反映在优质论文、领军人才等方面, 提供医药创新源头仍需突破**

**中国论文总量增长迅猛, 但优质研究有待提升**  
全球领先国家生物医学论文发表篇数



**中国在生物医学领军人才数量方面差距显著**  
2020年ESI全球前1%生物医学领域高被引学者数, 人次



1. 包括: Nature, Science, Cell  
2. 包括中科院JCR分区的综合性期刊一区 and 生物类期刊一区中影响因子超过10的51本杂志, 并涵盖了顶级期刊。具体包括综合性期刊一区影响因子超过10的5本: Nature, Science, National Science Review, Science Advances, Nature Communications; 生物类期刊一区影响因子超过10的46本: Nature Reviews Molecular cell biology, Nature reviews genetics, Cell, Nature biotechnology, Nature Reviews Microbiology, Nature methods, Nature genetics, Annual review of biochemistry, Cell stem cell等

资料来源: PubMed; Web of Science

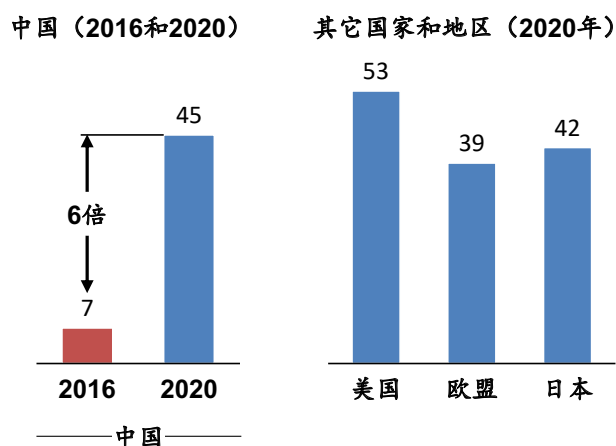
## 2. 如何进一步加速创新药研发、注册与审评，使本土和全球最新的创新成果能够快速惠及中国和全球患者？

在 2015 年之前，新药在中国获批时间平均比美国晚5-7年。过去五年中国药品审评审批制度的改革，深刻地改变了中国创新药物的发展轨迹，使得创新药中国和全球的同步研发和注册实现成为可能。2020年，中国有45个创新药<sup>1</sup>获批上市。

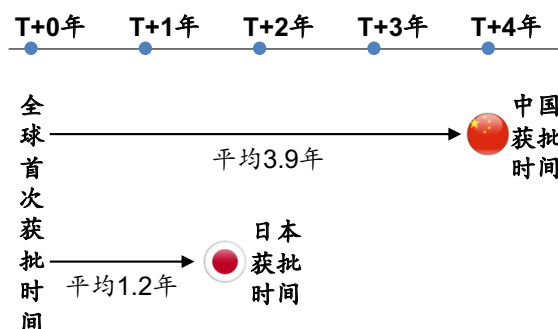
然而，与世界领先国家相比，中国的药品审批审评仍存在提升空间。对于2020年中国首次获批上市的近30个境外生产原研药<sup>2</sup>，同一产品中国获批时间与在全球其它市场首次获批时间相比平均晚了3.9年<sup>3</sup>；针对2020年在日本获批上市的跨国药企原研药分析显示，同一产品日本获批与全球其它市场首次获批的差距平均只有1.2年（图4）。中国获批时间的差距，一方面是由于中国审评审批改革注册提速的成果在2020年获批药物上还未完全显现，另一方面是由于中国尚未充分加入全球同步研发，导致在中国递交新药申请的时间较晚。

图4: 中国研发、注册与审批与全球尚存“时间差”

中国近年获批创新药数量增加显著，已接近发达国家和地区水平<sup>1</sup>



以2020年在中国和日本获批新药为例，同一产品中国和日本获批时间与全球市场首次获批的平均差距<sup>2</sup>



1. 美国：FDA认证的新分子实体（New Molecule Entity, NME）；欧盟：EMA认定含new active substance的新药；日本：PMDA认可含new active ingredient的新药；中国：药品注册分类中1.1类与5.1类化药，以及1类和3类预防用生物制品和治疗用生物制品，不包括中药、原研药品首次获批在2020年前或2020年为再注册，排除原研药品获批前国内已有仿制药上市、同一产品新增适应症
2. 中国和日本获批新药只包括在全球其它市场已经上市的产品；多适应症情况按首个适应症上市时间统计；平均差距为所有产品的中位数

资料来源：GBI；国家药监局《2020年度药品审评报告》；FDA；EMA；PMDA

<sup>1</sup> 药品注册分类中1.1类与5.1类化药，以及1类和3类预防用生物制品和治疗用生物制品，不包括中药、原研药品首次获批在2020年前或2020年为再注册，排除原研药品获批前国内已有仿制药上市、同一产品新增适应症

<sup>2</sup> 不包括再注册、原研药获批前中国已有仿制药上市以及同一产品新增适应症的情况

<sup>3</sup> 30个产品的中位数

中国实现创新药的同步研发、注册与审评，需要包括药监局、科技部、卫健委、知识产权局、医保局、海关等在内的各个监管部门、企业和研究者通力配合，在研发和注册各关键节点实现同步，单一环节的推迟都潜在影响整体研发注册进程。中国的监管政策环境在国际化、科学、透明和可预测性等方面，与国际相比仍存在差距，部分特殊的监管要求（如人类遗传资源行政审批）可能影响中国与其它国家的同步研发与创新。中国实现创新药同步研发、注册与审评的道路上主要存在着“注册监管科学性”和“临床研究高效性”两方面的挑战。在“注册监管科学性”上，真正实现监管理念和能力从仿制药到创新药的转变，优化各环节的沟通机制、透明度和可预测性，形成鼓励长期创新的管理制度，进一步优化包括遗传资源审批、上市许可人制度等政策实际落地的细节，在监管程序上与国际体系充分的接轨等方面都具备较大的改善空间。在“临床研究高效性”上，虽然中国临床试验机构数量在过去五年实现了迅速增长，但是多数机构缺乏经验，尤其是参与国际多中心试验的经验，在方案执行流程、伦理审查制度、临床研究能力和专业性等方面也都显现出较大的不足。

### 3. 如何加速完善多元化的筹资体系，进一步提高创新药的可及性并使创新产业获得合理回报以持续投入？

新药上市如果在临床上不能广泛惠及有需求的患者，便无法真正体现“人民至上、生命至上”的根本要求。在新药上市显著提速之后，确保创新药物更快地惠及更多患者、提高医疗效果是中国医药创新生态系统的当务之急、重中之重。

医保筹资从2015年的1.4万亿元增长到2020年的2.5万亿元，同时医保目录更新频次不断提高。根据测算，医保对于专利药<sup>4</sup>的支出从2017年的110亿元增长到2020年的370亿元。医保对于创新药报销的支持提高了创新药的可及性。

但是目前医保和商业健康险的保障仍有局限性。2020年中国卫生总费用约7.2万亿元，其中直接医疗支出约为4.4万亿元<sup>5</sup>。直接医疗支出中2.4万亿为医疗保障体系支出（包括医保支出和商业健康险赔付），约占直接医疗支出的55%。而个人支出约占直接医疗支出的45%，个人支出2015-2020年净增长高达8000亿元（图5）。

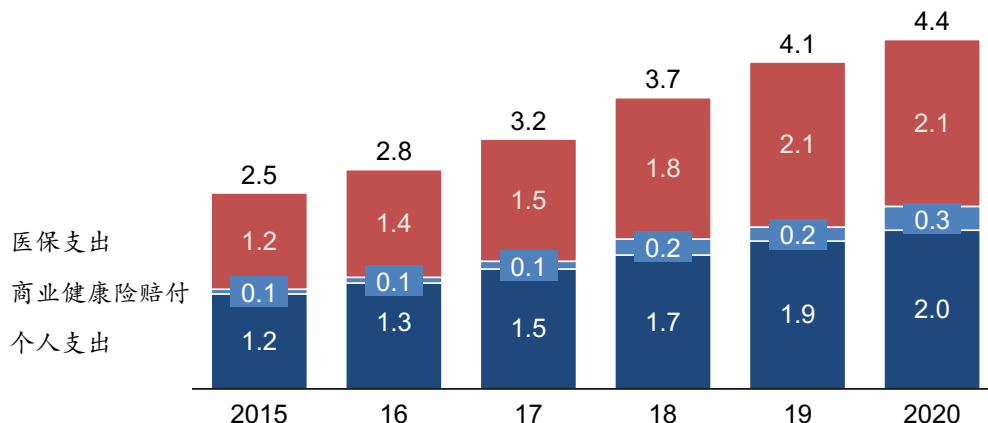
---

<sup>4</sup> 不包含中药

<sup>5</sup> 不包括非医疗直接支出，如政府对医院和基层机构的财政补助（基本建设、设备购置、重点学科建设、人才培养、政策性亏损）、行政管理事务支出，计生事务支出，医保和商保结余，社会办医支出，社会捐赠援助等

图5: 保障体系支出占比较低, 个人医疗支出过去五年增长近8000亿元

中国直接医疗支出<sup>1</sup>  
万亿元



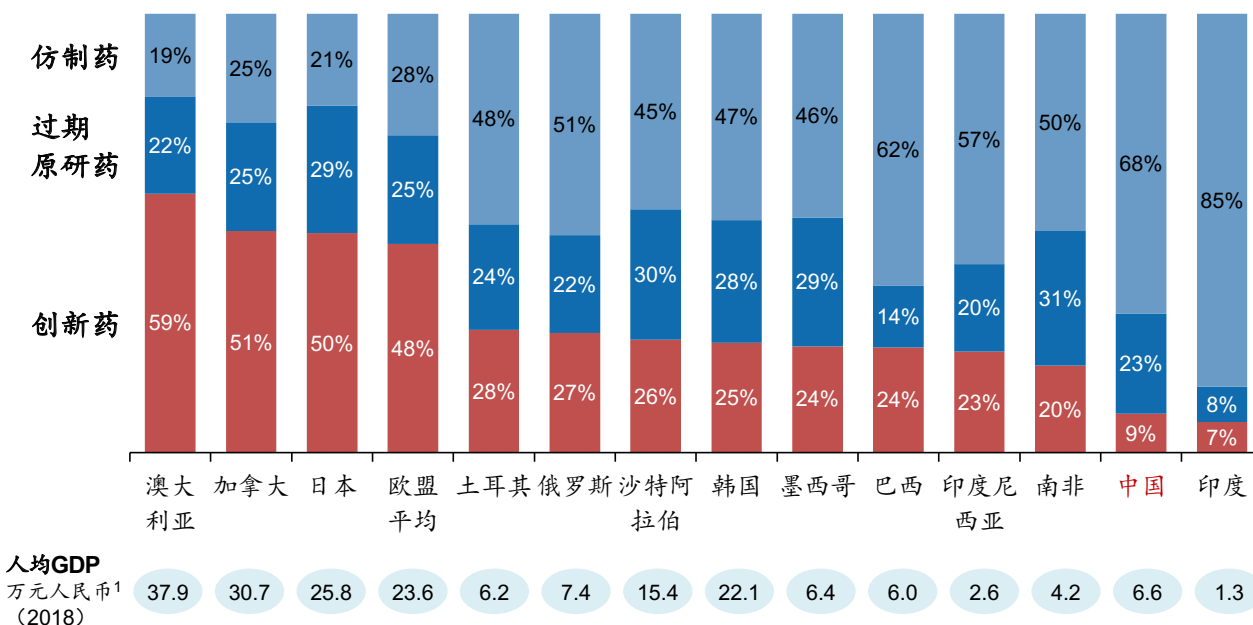
1. 直接医疗支出定义为用于支付药品、医疗产品与服务的直接支出, 不包括非医疗直接支出, 如政府对医院和基层机构的财政补助(基本建设、设备购置、重点学科建设、人才培养、政策性亏损)、行政管理事务支出, 计生事务支出, 医保和商保结余, 社会办医支出, 社会捐赠援助等

资料来源: 中国卫生健康统计年鉴; 全国医疗保障事业发展统计公报; 全国社会保险基金决算; 中国银行保险监督管理委员会《保险业经营情况表》

过去五年大量资本进入创新医药产业, 巨大的投入推动了创新药的研发上市。随着创新产品陆续获批上市, 获得医保和商业健康险的报销支付从而获取合理的创新回报的重要性正在凸显出来。目前中国创新药市场规模有限, 创新药占总体医药市场的份额与经济发展水平及创新药发展目标不匹配。2018年G20国家医药市场数据显示创新药(专利原研药)占处方药市场份额中国只有9%, 与中国的经济发展水平和创新药发展目标不匹配(图6)。

图6: 中国创新药市场份额与经济发展水平及创新药发展目标不匹配

处方药市场规模(金额)按产品种类划分(2018年)



1.按照2018年平均1美元=6.6人民币换算

资料来源: IQVIA, 世界银行

构建多层次医疗保障体系是保障持续卫生投入、提升人民健康水平的关键，同时创新药产业的发展对患者、医疗卫生系统及社会价值巨大且需要多层次医疗保障体系的支撑。因此，通过多层次保障解决创新药支付和创新药产业可持续性发展问题刻不容缓。

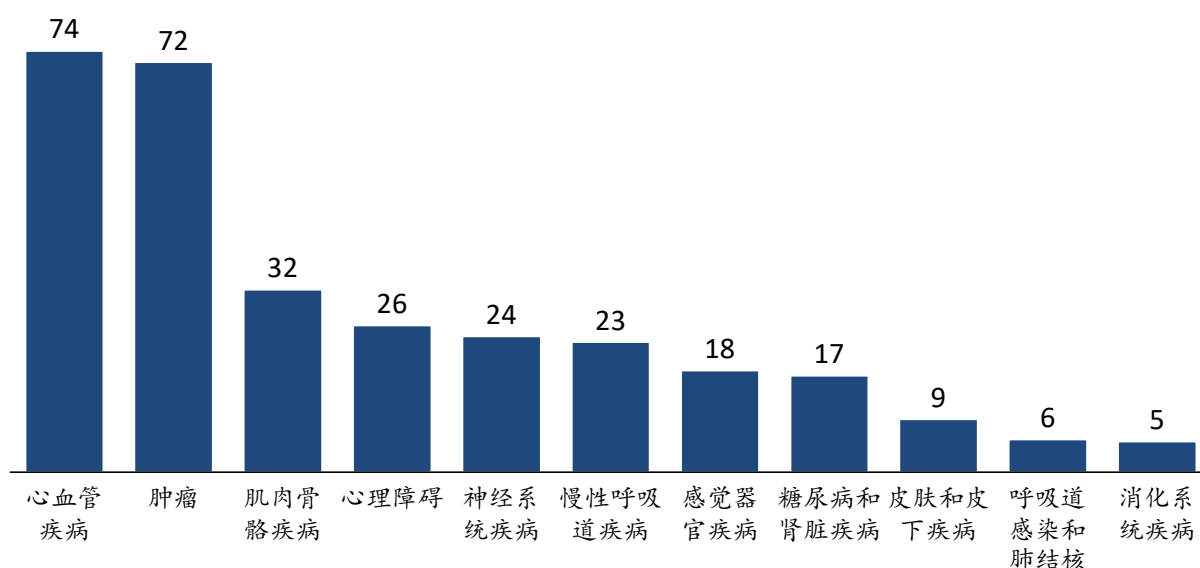
#### 4. 如何实现以临床价值为导向的药物研发生态，提升创新药患者可及可负担的同时，进而推进健康中国建设的最终目标？

临床价值是药物研发评价的核心，药物研发需要以临床价值为导向。创新药的临床价值可通过三大健康提升抓手降低总体疾病负担，包括：高临床价值的预防手段为大众提供更好的基础免疫、高临床价值的治疗方法为患者带来更优的治疗效果以及高临床价值的技术突破为患者提供更新的治疗路径。预计到2030年，与老龄化和生活方式相关的疾病负担将进一步加重（图7），进而推动实现“人民健康”的总体目标。

图7: 预计到2030年,中国与老龄化和生活方式相关的疾病负担将进一步加重

##### 中国2030年疾病负担

百万伤残调整生命年 (DALY<sup>1</sup>)



1. DALY = 失能调整生命年，仅包括疾病负担在500万伤残调整生命年以上的疾病

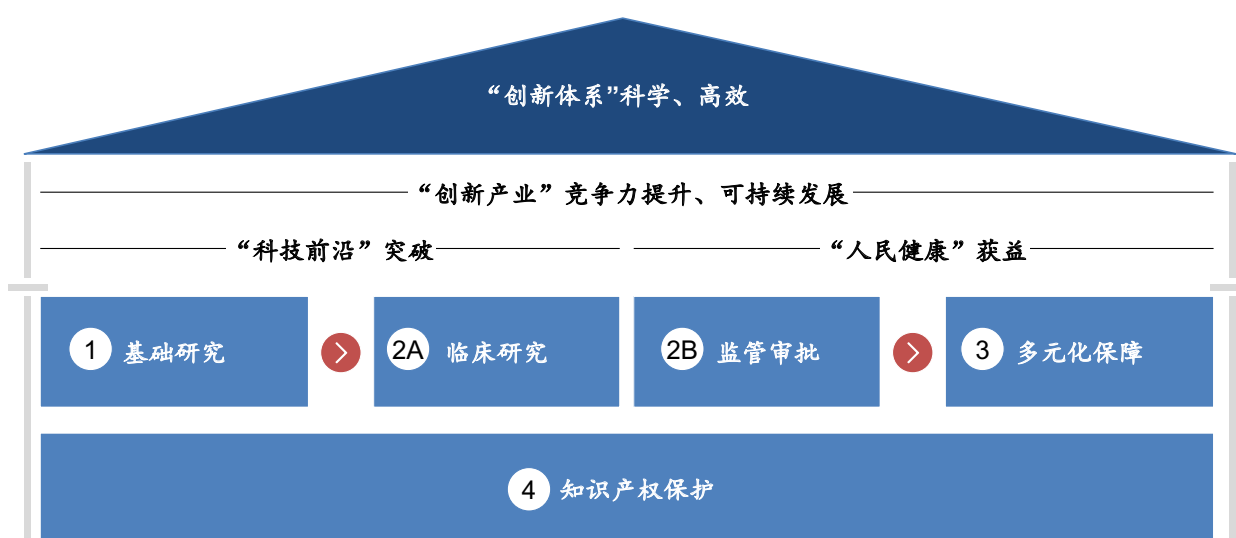
资料来源：华盛顿大学全球疾病负担数据库健康度量 and 评估研究所 (IHME)；麦肯锡全球研究院报告《健康第一：通往繁荣的处方》

除降低疾病负担实现“人民健康”外，以临床价值为导向的药物研发也可促进“创新产业发展”。临床价值为导向，要求创新企业转变思维，全面和动态关注各治疗领域的临床需求，建立基于临床价值的药物发现、探索和试验研发路径，通过高标准、高质量、高效率的临床研发为临床价值的评估提供全面、科学的证据，从而改善药物的安全性、有效性和治疗的便利性。临床价值为导向，要求监管部门与时俱进，持续加强与工业和学术界合作，通过沟通交流、快速通道等机制优化资源配置和审评程序流程，鼓励高临床价值的药物研发和注册；同时与国际对标，持续推进ICH的协调和转化实施，提高审评要求，建立完善研发和审评标准，加大对新工具、新方法和新标准的应用，推动中国的药物创新真正成为国际认可的“全球新”。

## 针对中国医药创新生态系统各要素的展望和政策建议

展望未来五年，为实现中国医药创新生态系统建设的总体目标，解决当前尚存的一系列深层次挑战，中国医药创新生态系统需要聚焦四个关键要素：基础研究、临床研究和监管审批、多元化保障和知识产权保护。各要素相互联动、相辅相成，构建起科学、高效的“创新体系”，共同推进“创新产业”可持续发展，并实现“科技前沿”突破和“人民健康”获益（图8）。

图8: 2021-2025年中国医药创新生态系统各要素



基于整体框架，本报告针对中国医药创新生态系统建设提出四个方面的政策建议：

## 1 推动基础研究，激活创新源头

**布局国家战略研究方向：**面向世界前沿，国家引导布局有前瞻性的战略研究方向，汇集前沿研究领域、技术、方法、理念，着眼长期发展、推进有颠覆性的原始创新。

**提升经费管理使用效率：**强化对于科研资金的统筹，着重引导具有战略性、长期性意义的研究领域和研究环节，填补社会资本在早期科研的空白，给予研究人员稳定的支持和充分的耐心。

**探索创新主体模式升级：**在创新主体的管理模式、评价体系和跨界协作进行创新，鼓励创新主体上下游联动，形成完整的创新链条。

**优化人才培养评价体系：**基于各学科的特点，优化人才认定、引进、培养和多元化评价体系，从注重研究数量到注重研究质量进行转变，着重培养本土科研团队，填补科研链条各环节转化的缺口。

## 2 推动同步研发、注册和审评

**解决当前瓶颈的“三大举措”：**提高遗传资源申请要求的合理性并优化流程效率；推动与国际接轨的上市许可持有人制度全面落地执行；推动伦理审批流程的简化并提升对区域伦理的认可度。

**确保体系完善的“五大抓手”：**提升中国受试入组要求的科学性并增强国际数据互认；优化审评相关流程并鼓励临床价值为导向的审评；提高审评审批资料要求的合理性，进一步与国际接轨；推动临床研究机构平台打造和专职临床研究团队建设，促进机构明确定位，积累探索性临床试验的管理经验；完善临床研究激励机制、资源投入。

**推动持续升级的“两大保障”：**培养临床研究专业人才，丰富监管人才来源，培训以创新为核心、与国际理念接轨的监管队伍；推进临床研究数字化工具平台建设，探索新技术在临床研究的应用。

## 3 构建多元化保障体系

**完善医保体系顶层设计：**通过立法，进一步厘清多层次保障中各层级的定位、分工与协作关系，一方面划清医保支付范围和边界，为商保明确发展空间，另一方面推动商保的多层次发展以覆盖人民群众多层次的需求；同时明确商业健康险的政府组织设置与职能分工，在推动“三医联动”的同时增强医药卫生系统与金融监督系统的沟通，推进商保的有序发展。

**出台激励政策和规章制度：**尽快制定并出台科学有效的激励政策和规章制度，有效调动市场和民众对商业健康险的参与热情。强化商业健康险“补充层”的功能定位，明确覆盖范围、规范并指导城市普惠险的发展，同时通过完善税优政策等鼓励民众参保，并对商业健康险的产品加强监督。

**提升医保基金使用效率：**夯实其作为“多层次医疗保障体系”压舱石的作用，建立价值导向、科学客观、公开透明的医保目录调整机制，营造科学、可预见、数据驱动的医保基金使用规范。

**促进商保医保的融合联动：**对于创新药支付，调整医保支付标准运行机制、并推动探索风险共担的支付模式与国际接轨，提高患者对创新药物的可及性和可获得感。

#### **4 加强知识产权保护**

**完善法律体系：**建立和完善药品知识产权保护行政和法律体系，确保新药的专利及药品试验数据在各部门、各环节得到切实的保护。

**建立具有临床价值区分度的保护措施：**充分利用数据保护和市场独占制度，区分创新药临床价值，引导研发创新的方向。

科技事业发展的“四个面向”指导思想为中国医药创新行业提出了更高的要求，“面向人民生命健康”已上升到与“面向世界科技前沿”“面向经济主战场”“面向国家重大需求”同样高度。医药创新对提升人民生命健康水平至关重要，需要全体行业同仁共同努力、密切配合，秉承“不忘初心、牢记使命”的理念，构建中国医药创新生态系统，实现人类生命共同体的宏伟目标。



# 第一章

## 2015-2020年发展回顾

2008年国家即启动了“重大新药创制”科技重大专项，投入数百亿人民币支持新药创新；2012年，生物医药被列为国家七大战略性新兴产业之一。但时至2015年，中国医药创新的发展却仍然面临一系列深层次挑战：创新产业链各环节能力薄弱，创新药上市数量少且上市后可及性低，市场回报有限，不足以激励资本投入；中国对全球研发管线产品数量的贡献约为4%<sup>6</sup>，处于医药创新的“第三梯队”。

中国医药创新在2015年面临着历史性的机遇、升级的全球竞争和相对薄弱的基础，问题复杂而艰巨。而医药研发本身具有周期长（从研发到上市平均需要10年）、风险高（只有不到8%的研发成果从临床I期可以转化成药品上市<sup>7</sup>）、投资大（考虑到风险，成功研发一个新药的平均投入约为170亿元<sup>8</sup>）的特点。大力发展医药创新需要的不仅是政府资金支持或单项政策出台，而是国家层面清晰的顶层设计，并在产业链各个环节（基础研究、临床研究、监管审批、支付）建立起科学的理念、完善的政策机制以及参与各方的强大的能力作为支撑。构建中国医药创新生态系统势在必行。

五年的时间对于一个创新药物而言，通常还不足以完成研发上市的全周期；而在2015-2020年间，中国建成了一个相对完整的医药创新生态系统。政策、资本、能力相互作用、良性循环；创新主体充满活力，吸引资本的持续投入；参与者多样化，本土与跨国药企、生物科技公司、投资者、学术界、监管方广泛协作，并紧密沟通共同推动体系的完善。

### 1 政策环境显著改善，推动创新

#### 明确生态顶层设计，推动理念机制变革

2015年《国务院关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见》和2017年中共中央办公厅和国务院办公厅《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》（以下称《两办文件》）对医药产业创新发展具有里程碑意义。文件明确了顶层战略，统筹考虑医药创新各环节所需要的支持，确保跨部委协作和法律法规的系统性和一致性。文件为一系列的理念转变和机制创新指明了方向。一是**转化政府角色**，减少行政审批，在保障安全性的前提下将更多责任赋予企业、机构和市场。如将临床试验申请由审批制改为到期默认制，临床试验机构资格认定实行备案制。二是**转变创新理念**，建立监管科学体系与能力，科学看待药品研发本身的风险。如不断优化流程加快审评审批，对临床急需药品可附带条件批准上市，完善技术审评制度。三是**坚持开放和与国际接轨**。原国家食品药

<sup>6</sup> 2016年10月《构建可持续发展的中国医药创新生态系统》报告

<sup>7</sup> BIO, Clinical Development Success Rates and Contributing Factors 2011-2020

<sup>8</sup> Tufts Center for the Study of Drug Development, Innovation in the pharmaceutical industry: New estimates of R&D costs, J Health Econ. 2016 May; 47:20-33.

品监督管理局2017年加入ICH<sup>9</sup>并于2018年成功当选管委会成员，逐步实施国际最高技术标准和指南，显示了中国提升制药产业创新能力和国际竞争力极大的决心。四是**鼓励社会力量参与和市场竞争**，通过鼓励社会力量投资，建设临床试验机构，拓展机构数量，满足快速增长的临床试验需求。五是**明确知识产权保护对鼓励医药创新的重要性**，提出探索建立药品专利链接制度和专利期延长保护，完善药品试验数据保护。六是**强化过程监控和全周期管理**。如明确药品上市许可持有人作为药品全生命周期的责任主体。七是**加强沟通机制和社会共治**。在政策制定过程中，加强政府和监管机构与行业协会及产业的沟通与交流，增强决策过程透明度；在政策执行中，及时收集行业反馈，将沟通机制常态化。

## 健全法律保障体系，鼓励保护创新成果

2019年新修订的《药品管理法》施行，总则中明确了鼓励创制新药的大方向，支持以临床价值为导向的药物创新。建立上市许可持有人制度，落实药品生命周期的主体责任，推动资源配置的优化。增加了多项条款以及制度举措加快新药上市。新法在药品安全的监管处罚方面加大了力度，强化了药品全生命周期管理。

2020年新修订的《专利法》通过，引入与国际接轨的药品专利期补偿制度，对创新药因审评审批占用的上市时间给予适当的专利期限补偿。同时对药品专利链接(申请上市的仿制药与其所仿原研药的链接)做出安排，规定了药监和专利部门共同制定药品上市审批与许可申请阶段解决专利权纠纷的衔接办法，建立起药品专利纠纷早期解决机制。

## 制定落实鼓励政策，持续改善创新要素

### 1 监管审批

审评审批制度改革的一系列举措和配套方案是《两办文件》精神的有效实践。依据2016-2017年出台的优先审评审批政策得以加快批准上市的品种由2016年的7个增加到2019年的82个品种。在2020年新版《药品注册管理办法》中明确规定四个新药上市注册加速通道，包括突破性治疗药物、附条件批准、优先审评审批和特别审批程序。在2015年前中国新药的批准时间普遍较美国晚5-7年，临床试验审批时间曾是严重制约新药审批速度的环节；2018年临床试验60天默许制和临床试验I至III期试验一次性审批制为提升临床试验效率带来了质的飞跃。一系列加快药品审评审批制度改革的政策“组合拳”，将新药审批时间大大缩短，使得新药实现境内外同步注册上市成为可能。2008年实施的国家新药创制重大专项和2015年开始的药品审评审批制度改革直接导致了过去五年中国上市获批新药数量的大幅提升，十三五期间获批上市的创新药总数达到了200个（包括境内外均未上市的创新药和生物制品，和境外已上市、境内未上市的原研药品和生物制品）。

**监管制度逐步与国际接轨。**2017年原国家食品药品监督管理局加入ICH并于2018年成功当选管委会成员。ICH发布的技术指南不仅在其成员国间运用，也被许多非成员国药品监管机构接受和转化，成为药品注册领域重要的国际规则制订机制。加入ICH并成为管委会成员，大力推动了中国药品注册标准的科学化发展，加快了药品注册技术要求与国际要求的协调和统一。对于提升药品监管能力和水平同时提升中国医药产业的国际竞争力具有重要意义。中国医药创新促进会和RDPAC作为国际制药商协会联合会

<sup>9</sup> 国际人用药品注册技术协调会; The International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use

(IFPMA) 的中国创新产业代表，积极参与了ICH技术指南的制定以及在中国的本土实施转化工作。截至2020年底，已有54名业内专家被推荐至18个ICH工作组参与ICH技术指南的制定工作，其中17位代表担任组长，10位担任候补组长，同时有149名业内专家被推荐至国家药监局数十个ICH工作组。

**加强审评能力，推进监管科学发展。**国家药审中心审评员2015年底只有150人左右，到2020年已增加至700人左右；同时搭建了由626名外聘专家组成的评审专家团（包括35名院士）。在监管审批上，紧密围绕药品审评审批“科学监管”、“公平公正”、“公开透明”的管理原则，基于科学和风险的评估理念，不断提高和完善审评审批的质量和效率。

## 2 临床研究

**支持医院、机构与人员开展临床试验：**将临床试验条件和能力评价纳入医疗机构等级评审，对开展临床试验的医疗机构建立单独评价考核体系，鼓励医疗机构设立专职临床试验部门，完善临床试验相关激励机制，从而提升参与临床试验的积极性，临床机构和研究者队伍的能力随经验积累而得到加强。

**临床试验机构资格认定实行备案管理：**长期以来资格定制对药物临床试验机构数量、试验能力等方面存在着制约。将临床试验机构从资格定制转变为备案制，极大释放了医疗机构参与临床试验的能力与热情，临床试验中心数量由2015年的375家增长到2020年的1078家。

## 3 支付保障

**改善基本医疗保险中的创新药支付报销机制。**城镇职工与城乡居民医保筹资从2015年的1.4万亿元增加到2020年的2.5万亿元。医保药品目录更新频次不断提升，从2017年前八年一次的目录更新，到2020年实现创新药每年一次调整；2020年国家医保局将参与谈判的新药准入时间放宽至医保目录调整政策公布之日，实现了创新药当年批当年谈的巨大进步；同时药品纳入机制持续优化，谈判药品对象由专家提名确定演变为企业自主申请，增加企业沟通交流渠道和申诉机制等。医保目录调整机制的优化使得创新药得到更广覆盖和更快纳入，患者可及性得以提升。对于2017年纳入医保目录的31个西药药品，从上市到纳入医保平均时间为7.8年；而对于2020年谈判纳入医保目录的66个西药药品，从上市到纳入医保平均时间降为3.7年，其中14个药品是在2020年当年在中国获批上市。

**构建多层次医疗保障体系。**商业健康险作为多层次保障体系的重要部分，过去五年得到快速发展。商业健康险的原保费收入从2015年的2410亿元增长为2020年的8173亿元，多种形态的报销型商业健康险产品对创新药的支付起到了补充作用。

## 4 基础研究

鼓励科技成果转化法律、政策和方案连续出台。首先，修订《促进科技成果转化法》，完善法律条款；其次，制定《实施〈促进科技成果转化法〉若干规定》，明确配套细则；第三，通过《促进科技成果转移转化行动方案》，部署具体任务。通过“三部曲”，明确政府、科研机构、研究人员的关系，把科技成果的使用权、处置权、收益权下放给科研机构。

## 5 药品知识产权保护

国家药品监管部门与国务院专利行政主管部门合作主动征求产业和学术界专家意见，落实专利链接制度和专利期延长保护工作，完成《专利法》相关条文修订。2021年7月4日经国务院同意，《药品专利纠纷早期解决机制实施办法（试行）》正式发布实施，标志着中国药品知识产权保护制度得到进一步完善与优化。

## 2 资本投入大幅增加，助力创新

“重大新药创制”科技重大专项对于推动中国研发跨越式发展、实现由医药大国向医药强国转变方面起到了重要的引领和催生作用。“重大新药创制”科技重大专项于2008年启动，通过十一五和十二五期间的“铺”和“梳”，初步建立起创新研发平台和共性技术平台；十三五期间以“培育重大产品、满足重点需求、解决重点问题”，实现“突”的跨越。专项三个阶段的实施到2020年收官，中央财政共投入233亿元，对3000多个课题提供了支持，针对10类重大疾病自主创新品种成果斐然。政府对于医药创新的持续投入，有助于激发医药科技工作者的创新积极性，紧跟新一代医药创新技术的全球步伐。

政府资金投入和政策环境改善极大地调动了社会资本投入创新药的积极性。中国医药医疗领域的风险投资和私募基金投资2015年仅有120亿，到2020年增长了15倍达到了1850亿（其中三分之一聚焦新药研发）<sup>10</sup>。自2016年起召开的“中国医药创新与投资大会”作为在亚太地区具有影响力的医药创新界与投资界的合作平台，展示了资本和创新力量结合的成果。

投资者对于中国创新药企业和市场潜力的认可也体现在中国医药创新企业的上市数量和市值的增长上。2020年共有超过20家中国生物科技公司上市，在科创板、港交所、纳斯达克上市的中国生物科技公司的总市值从2016年的不足百亿快速上升到2020年底的过万亿。

---

<sup>10</sup> ChinaBio, 2020 China Life Science Investment Hits New Records

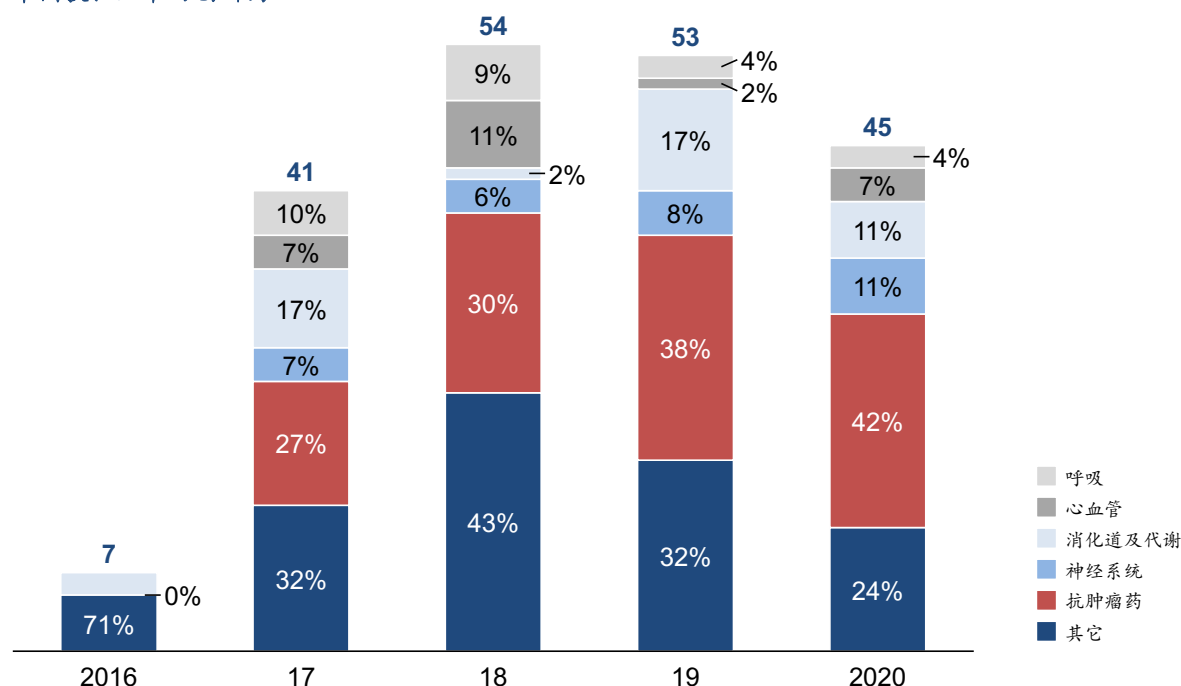
### 3 创新主体能力升级，带动创新

#### 本土与跨国药企研发上市新药，聚焦中国病患未满足的临床需求

过去五年来，中国共上市200个创新药产品，聚焦在中国疾病负担最大和增速最高的疾病领域，针对中国患者未满足的临床需求，包括肿瘤、消化道及代谢、呼吸、心脑血管等慢病（图9）。

图9：2016-2020年中国上市的创新药，聚焦疾病负担最大和增速最快的几大疾病领域

中国获批上市的创新药<sup>1</sup>



1. 包括药品注册分类中1.1类与5.1类化药，以及1类和3类预防用生物制品和治疗用生物制品，不包括中药、原研药品首次获批在2020年前或2020年为再注册，排除原研药品获批前国内已有仿制药上市、同一产品新增适应症

资料来源：GBI

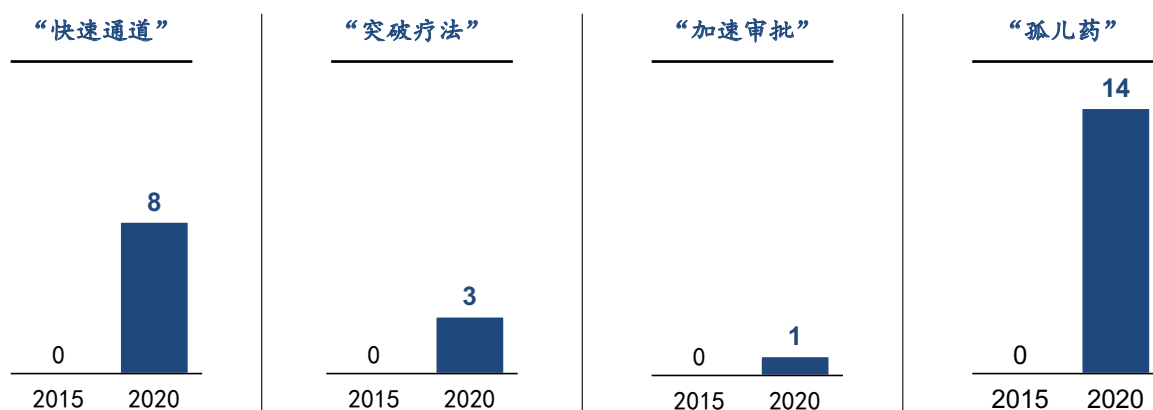
#### 本土药企构建自主研发体系，本土新药走向国际实现突破

多家大型本土药企每年研发费用达到10亿元以上，研发投入占营业收入比10%以上。领先本土药企在海内外建立多个研发中心，建立完整的自主创新体系。过去三年本土药企研发上市的I类新药逐步增加，分别达到了10个（2018年）、12个（2019年）和15个（2020年）。新冠疫苗研发也向世界展示了中国医药创新能力，中国疫苗研发5条技术路线并行推进，首款疫苗于2020年底获批。至2021年2月，7款进入III期临床，4款获批附条件上市；中国自主研发的新冠疫苗的海外订单已超过5亿剂，超过50个国家和地区提出购买需求，体现中国疫苗的有效性和安全性获得国际社会高度认可。

中国药企开展的国际多中心临床试验数量上从2016年的66项增加到2020年的147项<sup>11</sup>；覆盖地区上从2016年25个增加到2020年的51个国家。中国创新药企研发药物获得美国食品药品监督管理局（FDA）多项加速审批与孤儿药资质（图10）。此外，重磅授权合作也推动了中国创新药走向全球市场。

图10: 中国医药创新逐步获得海外监管机构认可, 迈出国际化步伐

获得美国FDA各项创新疗法认证的中国创新药数量



资料来源：文献检索

## 跨国药企升级中国研发中心为创新中心, 展开广泛本土合作

跨国药企中国研发从以注册新药实现上市销售为目的转变为与欧美同步开展研发的创新基地。跨国创新药企已在中国设立了25个研发中心，每年在华研发投资超过120亿元<sup>12</sup>，中国研发中心成为跨国药企全球创新药研发的重要组成部分，并在中国培养了大批本土研发人才。例如，投资8.63亿元的罗氏上海创新中心落成，成为罗氏全球第三大战略中心，未来将把基于中国的研发成果带向全世界；赛诺菲在苏州设立在中国的首个全球研究院，预计未来五年每年投资额达到1.6亿元；早在2005年就在上海设立的辉瑞研发中心，从以职能部门为主的支持性角色，到参与辉瑞全球创新药研发。

跨国药企中国研发中心与国际各研究机构、各领域专家紧密合作，有中国参与的创新药临床研究不断增加，通过参与全球同步开发引进新药的模式逐步实现。例如，抗纤维化治疗药物乙磺酸尼达尼布软胶囊三项新适应症，都在中国实现了全球同步递交，并基于有中国患者参加的III期国际多中心临床试验结果在中国获批。

跨国药企积极开展多元化的创新合作模式，与高校、科研机构以及生物科技公司等合作发现新技术和新疗法；通过授权许可交易，加大与本土药企在研发上的合作力度；通过投资基金，更早介入中国本土创新药物的研发前沿。例如，强生在上海落成JLABS，是强生第一个在北美以外建立的孵化器，提供高效灵活的创新平台；诺和诺德在北京建立INNOVO平台，与中国本土科研机构与初创企业协同创新；阿斯利康在无锡落位I-Campus，与政府合作共建生命科学产业园。2020可被称为中国创新国际化的历史元年，本土企业与跨国药企的合作数量（超过80多项）、规模和质量都达到了前所未有的高度。

<sup>11</sup> Clinicaltrials.gov

<sup>12</sup> RDPAC截至2020年6月数据

## 临床研究能力提升

**顶级临床期刊发表文章数增加：**中国专家在顶级医学期刊《柳叶刀》及《新英格兰医学杂志》发表文章数量呈增长趋势，从2015年的137篇增长为2020年的302篇。

**参与临床的主要研究者数量增加：**2017年至2020年，累计约1700名中国研究者参加了临床试验，10%的中国研究者参与过至少一个国际多中心临床试验。以肿瘤为例，中国主要研究者在美国临床肿瘤学会年会做口头报告的次数从2015年的1次增加到2020年的11次。

## 基础研究成果增加

**基础科研顶级刊物发文数量持续增长：**由中国研究团队主导或共同主导发表在《自然》《科学》《细胞》三大学术期刊上的研究性论文数量2020年达到150篇。

中国的医药创新相关专利申请数量位居世界前列。根据世界知识产权组织发布的《世界知识产权指标》统计，2019年中国生物技术专利授权数达8619件，药品专利授权数达7104件，均位列全球前三位<sup>13</sup>。

# 4 医药创新产出跨越式提升

## 量：创新管线贡献全球第二，首发上市新药全球第三

对医药创新数量及对全球的贡献衡量包括研发管线产品数量和全球首发上市新药数量两个指标。以研发管线产品数量衡量（根据2020年2月研发状态处于临床前、临床I至III期及上市注册前的分子数，按研发公司总部所在国分类），中国对全球贡献占比已达到13.9%，而这一贡献比例在2015年只有4.1%，2018年为7.8%。2020年中国已经稳居第二梯队之首，而且与第一梯队美国的差距有所缩小（美国2020年占比49.3%）。

以全球首发上市新药数量（2015-2019，只计入新分子实体）衡量，中国在12个主要对标国家中位列全球前三，占比6.0%，而这一贡献比例和历史水平比也有所提高（2007-2015年只有2.5%）。尽管在创新药数量贡献上中国呈现良好的势头，中国与排在首位的美国（占比67.6%）和第二名的日本（13.3%）还有明显差距。

## 质：快速跟进渐进创新为主，同质创新现状有待突破

中国目前主要处于快速跟进的渐进式创新阶段。中国本土创新落后国际首创新药的上市时间在逐渐缩短，2020年相较2015年的差距在代表性靶点上已缩短近一半时间（从8-10年缩短至4-6年）。但是全球首创新药数量仍然非常有限，2017-2020年中国上市的37个I类新药中，仅3个在作用机制上实现创新（目前尚未在美国上市）。

<sup>13</sup> WIPO, Intellectual Property Statistics

中国研发聚集于热门靶点现象明显，普遍存在同质化创新现象。以单抗药物为例，目前全球活跃在研单抗药物覆盖靶点共计约400个，中国药企研发管线覆盖仅为其中五分之一。围绕相对成熟“热门”靶点的研发在中国更加集中，如针对前十大靶点的在研单抗药物数量占比在全球为22%，在中国这一比例高达47%。究其原因，现阶段主要受到本土原创能力相对薄弱和资本投入风险偏好的制约；长期来看，随着中国本土研发创新能力的持续提升以及市场对于差异创新回报的显现，同质化创新的情况将会得到缓解。



## 第二章

# 推动基础研究，激活创新源头

为中国医药创新生态系统提供突破性和原始性创新源头，是基础研究无可取代的意义和作用。首先，基础研究通过先驱性的科学发现开拓、挑战未知领域，突破人类对于生命和疾病机理认知的边界；其次，基础研究通过颠覆性的技术发明实现工具效能的迭代更新，丰富并提升人类应对疾病威胁的手段；第三，基础研究是处于医药研发价值链最前端的创新源头，通过靶点鉴别和验证、药物筛选和优化等转化研究实现科技成果的产业转化、提供医药研发的创新引擎。

## 1 过去五年的长足进展

### 落实创新驱动战略，加强科研顶层规划

**落实创新驱动战略：**中共中央、国务院于2016年5月印发了《国家创新驱动发展战略纲要》，为中国生物医药产业步入创新发展快车道奠定了基调。国务院于2016年8月印发了《“十三五”国家科技创新规划》，首次将“科技创新”作为一个整体进行顶层规划。《“十三五”国家基础研究专项规划》和《“十三五”生物技术创新专项规划》随后于2017年5月出台，从纲要到规划层层拆解，细化战略落地方案。

**强化国家战略重点：**《“十四五”规划和2035远景目标纲要》于2021年3月发布，指明强化国家战略科技力量的发力重点和发展目标，“坚持创新驱动发展”将成为中国未来五年乃至中长期的核心战略，并明确提出基础研究经费投入占研发经费投入比重提高到8%以上。

### 优化科技计划体系，发力重大新药创制

**优化科技计划体系：**自2015年初开始实施的中央财政科技计划管理改革取得了显著进展。新的科技计划体系于2017年初步成型，建立公开统一的国家科技管理平台，整合形成新五类科技计划（专项、基金等），包括国家自然科学基金、国家科技重大专项、国家重点研发计划、技术创新引导专项、基地与人才专项。

**发力重大新药创制：**“重大新药创制”科技重大专项于2008年启动到2020年收官，中央财政共投入233亿元，对3000多个课题提供了支持。重大新药创制专项实施以来，中国初步建成了药物创新技术体系，包括以科研院所和高校为主的国家级综合技术平台、企业药物创新技术平台、为新药创制提供评价和支撑的单元平台等。

**加大经费投入力度：**2020年中国研发总投入达到了2.4万亿元，占GDP比重约2.4%。其中，基础研究投入为1504亿元，基础研究投入占研发总投入的比重从2015年的5.1%上升至2020年的6.1%，年复合增长率约为16.0%<sup>14</sup>，高于研发总投入增速。

<sup>14</sup> 全国科技经费投入统计公报

## 强化科研机构实力,探索新型研发模式

**强化科研机构实力:** 国内研究机构国际排名上升,全球领先生命科学科研机构数量继续增加。在Nature Index全球生命科学领域领先研究机构的排名中,2015年仅有4家中国研究机构入围前100强,2020年中国入围机构数目达到8家。

**健全国家学术机构:** 中国已建成学科布局较为完备的国家自然科学和医学研究体系。中国科学院是国家自然科学研究最高学术机构、科学技术最高咨询机构和自然科学与技术综合研究发展中心。中国医学科学院是集医、教、研、防、产为一体的国家医学科学中心和综合性医学科学研究机构。

## 引导人才发展方向,充实领军人才梯队

**引导人才发展方向:** 从2011颁布的《国家中长期生物技术人才发展规划》到2017年印发的《“十三五”国家科技人才发展规划》,在促进生物技术人才创新创业、鼓励跨领域跨地区流动、支持财税金融创新和国际合作、加强海外高层次人才引进力度等方面提出了建议。

**充实领军人才梯队:** 中国在生物医药领域实现了国际顶级奖项零的突破(屠呦呦2015年获拉斯克奖,2015年获诺贝尔奖)。论文被引频次位列全球前1%的生物医药领域从2015年的6人上升至2020年的22人;截止2020年,中国共有15名生物医学领域的人才获得国际知名青年科学家奖项,获奖人才占全球总获奖人数比例的15.6%<sup>15</sup>。

## 优化法规机制环境,鼓励科技成果转化

**鼓励科技成果转化:** 通过2015-2016年密集出台的科技成果转化“三部曲”,把科技成果的使用权、处置权、收益权下放给科研机构。为促进高校技术转移,2020年2月发布的《关于提升高等学校专利质量促进转化运用的若干意见》,进一步为全面提升高校专利质量,强化高价值专利的创造、运用和管理,更好地发挥高校服务经济社会发展的重要作用提出落地指导意见。2020年5月出台《关于进一步推进高等学校专业化技术转移机构建设发展的实施意见》,明确高校技术转移机构高质量建设和专业化发展相关的重点任务和实施保障。在科技成果转化配套资源上,2020年6月印发《加快推动国家科技成果转移转化示范区建设发展的通知》,积极开展科技成果转化先行先试,优化创新创业生态,打通产学研相结合的创新链、产业链和价值链,以科技成果转化引领示范区高质量发展。2021年2月在前期颁布的国家科技成果转化引导基金和子基金管理暂行办法基础上,进一步出台《国家科技成果转化引导基金创业投资子基金变更事项管理暂行办法》,以促进子基金健康有序发展,加快科技成果转化应用。

---

<sup>15</sup> 包括Science & SciLifeLab Prize for Young Scientists和World Economic Forum Young Scientists

## 提升优质论文产出, 增加专利数量贡献

**提升优质论文产出:** 由中国研究团队主导或共同主导发表在《自然》《科学》《细胞》三大顶级学术期刊上的研究性论文数量从2015年的61篇上升至2020年的150篇, 年复合增长率达到19.7%。中国研究团队在三大顶级学术期刊发表论文的总体被引频次由2015年的5.3万次, 上升至2020年的14.0万次<sup>16</sup>。在药物研发专业刊物方面, 中国研究团队发表在JMC<sup>17</sup>和EJMC<sup>18</sup>的论文数量由2015年的76篇和203篇增长至2020年的218篇和512篇, 年复合增长率分别为23%和20%。

**增加专利数量贡献:** 中国医药创新相关的专利数量位居世界前列。根据世界知识产权组织发布的《世界知识产权指标》统计, 2019年中国生物技术专利授权数达8619件, 药品专利授权数达7104件, 医疗技术专利申请数达7503件, 均名列全球前三位<sup>19</sup>。

**新兴领域高速发展:** 新兴生物技术领域的发展正值中国生物医药基础研究高速发展时期。中国在众多此类领域, 如干细胞、合成生物学、基因编辑等方面的论文数量和专利数量已进入全球第一梯队, 是中国与美国差距最小的基础研究领域。

## 2 与全球领先水平仍存差距

### 优质前沿研究有待提升

**优质论文占比偏低:** 以《自然》《科学》《细胞》三大顶级学术期刊论文发表数量占总体论文发表数量的比例衡量(图11), 中国0.17%的比例明显低于欧美生物医学领先国家普遍高于0.6%的水平。

**热点前沿跟进为主:** 基于ESI数据库中的研究前沿, 中国科学院科技战略咨询研究院、中国科学院文献情报中心和科睿唯安遴选出2020年生物科学领域的前10大热点前沿。以已经开始走向商业化道路的“小分子PROTACs对蛋白质的靶向降解”研究前沿为例(图12), 中国贡献的高被引核心论文为3篇, 占全部核心论文的7%, 远远低于美国、英国等领先国家。而从施引论文来看, 中国引用了核心论文的文献达215篇, 占全部施引论文的14%, 说明中国在该热点前沿中展开了较多的跟进研究。在中国较为领先的基础领域如干细胞、合成生物学、基因编辑等领域, 中国也仍然缺乏原创颠覆性的理论发现和技术创新。

<sup>16</sup> Web of Science

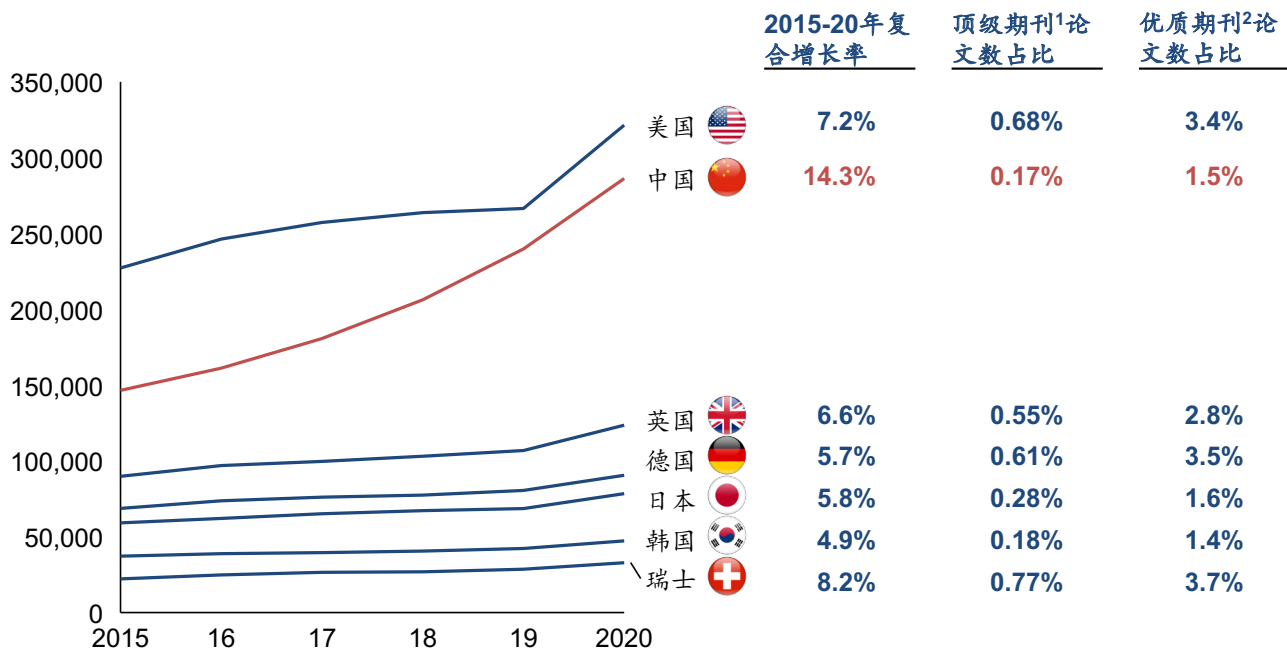
<sup>17</sup> Journal of Medicinal Chemistry

<sup>18</sup> European Journal of Medicinal Chemistry

<sup>19</sup> WIPO Statistics Database

图11: 中国生物医学论文发表数量高速增长, 但顶级和优质期刊论文数占比较低

2015-20年全球领先国家生物医学论文总发表数, 篇



1. 包括: Nature, Science, Cell

2. 包括中科院JCR分区的综合性期刊一区 and 生物类期刊一区中影响因子超过10的51本杂志, 并涵盖了顶级期刊。具体包括综合性期刊一区影响因子超过10的5本: Nature, Science, National Science Review, Science Advances, Nature Communications; 生物类期刊一区影响因子超过10的46本: Nature Reviews Molecular cell biology, Nature reviews genetics, Cell, Nature biotechnology, Nature Reviews Microbiology, Nature methods, Nature genetics, Annual review of biochemistry, Cell stem cell等

资料来源: PubMed

图12: ESI 数据库遴选的2020年生物科学热点前沿: “小分子PROTACs 对蛋白质的靶向降解”研究前沿举例

国家	开创研究: 核心论文 <sup>1</sup> 篇数	占全球比重	跟进研究: 施引论文 <sup>2</sup> 篇数	占全球比重
中国	3	7%	215	14%
美国	37	82%	838	55%
英国	10	22%	185	12%
德国	4	9%	153	10%
日本	2	4%	112	7%
瑞士	1	2%	55	4%
韩国	1	2%	0	0%

1. 通过持续跟踪全球最重要的科研和学术论文, 研究分析论文被引用的模式和聚类, 特别是成簇的高被引论文频繁地共同被引用的情况, 可以发现研究前沿。当一簇高被引论文共同被引用的情形达到一定的活跃度和连贯性时, 就形成一个研究前沿, 而这一簇高被引论文便是组成该研究前沿的“核心论文”

2. 引用核心论文的文獻

资料来源: 中国科学院科技战略咨询研究院、中国科学院文献情报中心、科睿唯安《2020研究前沿》

## 知识产权转化产出不足

**专利转化比例不足：**《2020年中国专利调查报告》显示在735所受访高校和381所受访科研单位中，有效发明专利的实施率分别为14.7%和28.9%，低于美国高水平高校约37%的专利转化率<sup>20</sup>。

**知识产权逆差可观：**近年来中国的知识产权出口快速增长，五年年复合增长率达57%，于2019年达到66.5亿美元<sup>21</sup>。但中国知识产权出口收入仍低于世界领先国家。反观知识产权进口，2019年中国知识产权进口额达到343亿美元，已位居世界第二。中国知识产权进口额为出口额的5倍，知识产权领域的贸易逆差十分可观。

## 经费阶段分布不尽合理

**基础研究占比偏低：**从资金来源来看，来自政府的研发投入占比与全球生物医药领先国家普遍高于20%的水平相仿。但从资金用途来看，2020年中国基础研究在研发总投入中的比例虽达到了6%，但同全球生物医药领先国家普遍在15%以上的水平还有差距；中国应用研究在研发总投入中11%的比例也远远落后于全球生物医药领先国家近20%的平均水平。

**孵化转化资金匮乏：**PitchBook数据库统计显示2016-2020年投资于中国各阶段医药和生物技术项目的风险投资累计金额已超过230亿美元，但其中99.5%的资金投资于A轮及以后轮次。用于支持基础研究成果产业转化和概念期项目孵化的种子和天使轮资金占比为0.5%，交易笔数占比为7.4%，远远低于欧美领先国家普遍超过4%的投资金额占比和超过35%的交易笔数占比。纵观欧美领先国家的风险投资基金阶段分布，基本呈现出孵化期和种子期交易最为活跃，项目数量随投资阶段逐步收窄的趋势。以美国为例，2016-2020年美国累计孵化、种子、天使轮交易笔数占全部风险投资交易笔数的43.7%，早期风险投资占比32.2%，晚期风险投资占比24.1%。充足的公共投入保障基础研究中原始创新的产生，成熟的社会资本从中发掘、孵化具备市场潜力的早期概念，承担初始投资的高风险，也从突破创新商业转化的市场回报中获得了丰厚收益，反哺未来的投资。

## 领军人才规模差距显著

**领军人才缺口显著：**2020年ESI全球前1%生物医药领域高被引学者共有1790人次上榜，其中美、英、德位列前三，上榜人次分别为943、171、111，合计占比近70%，而中国上榜人次为25<sup>22</sup>。

<sup>20</sup> The licensing and selling of inventions by US universities

<sup>21</sup> WTO数据库

<sup>22</sup> 因有三名学者分别在两个子学科上榜，实际上榜学者数量为22人

## 3 深层次挑战

### 经费投入阶段和分配效率掣肘创新源头

**创新源头投入相对不足：**中国研发总投入中超过80%用于试验开发，基础研究所获得的资助与其关键地位不成比例，创新链条源头端的资金投入相对不足制约了原始创新的涌现；从经费投入的来源类型来看，公共投入和早期VC都未能有效支持基础研究成果产业转化的起步阶段。由于缺乏高容忍度的耐心资本和种子基金，创新链条上存在资金断层，同样制约了科研成果发挥创新源头作用。

**政府投入有待统筹增效：**首先，公共投入的资源统筹程度不足。国家科技计划体系中的科技项目在具体管理上仍由科学技术部不同的司局分别开展。在生物医学领域，中国尚无专门的国家生物医学专项基金，也没有相应的生物医学领域专业管理机构。反观美、英、日等领先国家，均设立了资源高度统筹的国家生物医学专项基金和生物医学领域专业管理机构。其次，政府资金在基础研究端和产业转化端的资源分配效率也有待加强。在基础研究端，尚待形成公允、高效的科研基金分配、管理机制以鼓励长期、新颖、开创性的原始创新工作，并避免在大型设备上的过度投入和在热点领域上的盲目投入和资源浪费。在产业转化端，大量政府资金扎堆于短期可见回报的偏后期项目，耐心和容忍度不足，对优质基础研究成果早期产业转化的政策倾斜力度和遴选扶持效率仍待提升。

参考国际案例，多个领先国家都设立了保障政府医学健康研发投入科学使用和分配的专业机构。在美国，国立卫生研究院（NIH）统辖管理约87%的政府资金分配，2020年经费高达417亿美元。通过竞争性项目制科研经费，赋能全国研究机构，促进百花齐放的创新生态；通过建立多级制衡的评估机制，保障资源以公平合理的方式分配给最合适的承接主体。据统计，2010-2016年间共有210种新药获美国食品药品监督管理局（FDA）批准，所有新药的研发活动均曾获得NIH的资助<sup>23</sup>。其中，超过90%的资助用于药物作用的生物学靶点相关的基础研究，而非药物本身。由此可见NIH在美国医药创新研发中的关键地位和重点关注环节。在英国，国立医学研究理事会（MRC）和国家健康研究所（NIHR）作为最主要的生物医学研究资助机构，合计统辖管理约64%的政府资金分配，通过竞争性项目的机制支持各类生物医学研究项目以及基础设施建设<sup>24</sup>。

### 核心资源生产和供给存在“卡脖子”风险

**生物医学信息数据存储与标准：**近十年来生命科学的研究逐步向数据密集型转变。这一转变最主要的驱动力来自于基因组学、蛋白质组学、转录组学等多个“组学”研究深入并积累的大量数据，同时这些数据所体现的生命体复杂的关联也给科学新发现带来巨大挑战。存储在美国国立生物技术信息中心（NCBI）的高通量测序数据，多年来呈指数增长。而中国缺乏统一的生物医学大数据平台，科研人员需要通过访问NCBI的生物医学数据进行生命科学相关研究。

<sup>23</sup> Contribution of NIH funding to new drug approvals 2010–2016

<sup>24</sup> UK Health Research Analysis 2018

**基础研究所需高端实验设备：**从生物科技研究的关键设备来看，目前常用的核磁共振仪、高分辨质谱等大型分析仪器，以及大部分的生命科学仪器如磁共振成像仪、超分辨荧光成像仪、冷冻透射电镜等都大量依靠进口。

## 创新主体机制和评价导向制约创新活力

**高校科研评价体系偏倚：**受过往评价指标导向的影响，“唯论文、唯职称、唯学历、唯奖励”的“四唯”风气在高校体系中较为普遍。论文指标因简便易行而成为常见通用指标，容易造成评价手段简单粗放、评价标准片面失当，难以发挥“指挥棒”的正向引导作用。2020年2月，科技部会同财政部出台《关于破除科技评价中“唯论文”不良导向的若干措施（试行）》，意在破除科技评价中过度看重论文数量多少、影响因子高低，忽视成果质量、实际贡献等不良导向。然而建立多元、科学的评价体系仍需摸索。

**医疗机构转化研究不足：**具备科研能力的学术医疗机构往往同时肩负繁重的医疗服务任务，同时，医疗机构的人才评价体系同样存“唯论文”的导向，临床工作和论文发表的双重压力进一步降低了医生从事医药研发相关转化研究的动力。尽管转化医学研究中心建设也方兴未艾，但受制于能力、资源、机制等多方因素，许多转化医学中心尚有名无实，“从实验室到病床”和“从病床到实验室”的双向转化仍任重道远。

**产学研医跨界协作有限：**在医研联动方面，基础研究和临床实践发展不平衡，基础研究者与转化研究者联动不够充分和深入，临床导向的医学研究优势资源无法有效整合；在产学研医方面，学术界和产业界的早期协作还比较有限，许多企业囿于风险和自身研发重点而对围绕新机制、新靶点发现的基础和转化研究的关注和投入较少。

## 人才能力结构和评价机制限制创新供给

**顶尖人才竞争压力巨大：**中国顶尖高校人才引进对于海外高层次人才依赖较大。九校联盟近五年所聘教师多具有海外顶尖研究机构的经历，多数联盟成员引进人才中来自QS排名前20机构的比例超过了70%。

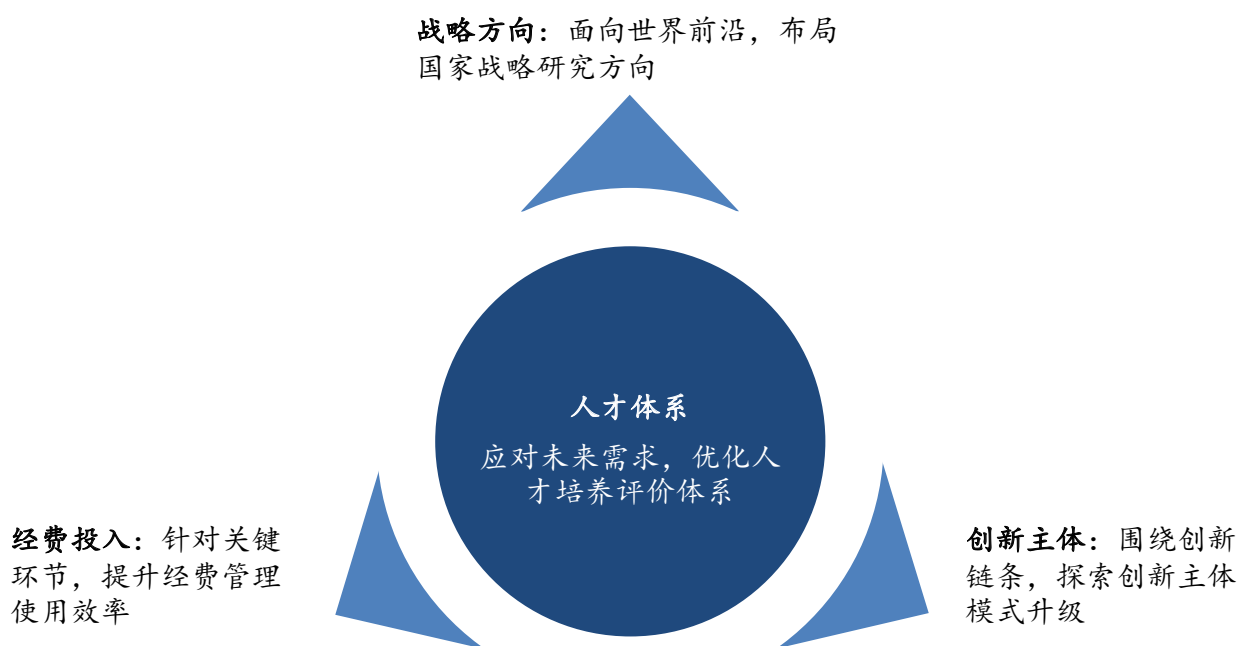
**人才评价机制有待完善：**越来越多的高校开始采用准聘长聘制度，根据教职人员的科研产出，在第3年和第6年分别设置中期和最终考核，决定是否长期聘用。准聘长聘制度对于某些研究领域的适用性也存在值得商榷之处。科学研究往往需要漫长的时间投入，以3-6年短期量化产出为主要评价指标的考核体系容易引导科研人员选择短期能够发表成果的研究课题，而无法投入需要长期潜心钻研的方向。

**复合人才难以满足需求：**在转化研究人才方面所面临的挑战尤为突出。首先，高校的基础研究人员往往不了解临床需求和过程，科研方案的设计理念也与药物早期研究的理念不同；其次，医疗机构的临床研究人员大多只具备医学背景但科学训练不足，难以推动基础研究的转化；第三，产业界具备转化研究能力的研发人才面临诸多高薪选择，较少投身于风险高而回报极不可控的产业转化环节。究其原因，与交叉型、复合型人才培养的源头环节起步较晚、供给不足高度相关。

## 4 未来展望

展望未来十年，提升中国的医药基础研究需以人才体系为核心，应对未来需求，优化人才培养评价体系；同时布局国家战略研究方向，提升经费管理使用效率，探索创新主体模式升级（图13）。

图13: 以人才体系为中心, 持续推动我国基础研究发挥医药创新源头作用



### 面向世界前沿, 布局国家战略研究方向

#### 1. 前沿研究技术与方法

**基因编辑技术**提升药物研发效率，在药物研发领域，基因编辑技术大幅提高了药物靶点筛选、细胞株改造和动物模型构建等过程的效率，降低了药物研发周期和成本。

**合成生物学**以人工设计的基因线路改造人体自身细胞，或改造细菌、病毒等人工生命体，再使其间接作用于人体。这些经人工设计生命体能够感知疾病特异信号或人工信号、特异性靶向异常细胞和病灶区域、表达报告分子或释放治疗药物，从而实现对人体生理状态的监测，以及对肿瘤、代谢疾病、耐药菌感染等典型疾病的诊断与治疗。

**干细胞与再生医学**将提供慢病治疗与器官移植的解决方案，再生医学的发展为一系列重大慢性疾病的治愈带来希望，也为器官移植中缺乏器官来源的问题找到潜在解决方案。

**治疗性疫苗技术**是最新出现的革命性新药。现代生物医药在经历细胞因子类基因工程药物、抗体药物两个浪潮之后，即将掀起以治疗性疫苗为代表的第三个浪潮。治疗性疫苗具有较其它生物药物更独特的优势：一是不存在耐药性，从而避免了“超级病菌”的出现；二是利用自身免疫使类风湿性关节炎及多发性硬化病等疾病治愈成为可能；三是肿瘤治疗疫苗使人类看到了新的希望。



**抗体药物**产业发展势头强劲，抗体药物的研究与开发已成为生物制药领域研究的热点，居近年来所有医药生物技术产品之首。特别是基于免疫疗法在肿瘤治疗领域已取得巨大成功。新一代的抗体药物的研发布局将集中在新适应症、新治疗靶点、新分子和新疗法。

## 2. 前沿研究领域与对象

**脑科学**研究成果可应用于脑疾病的诊断和治疗。未来通过分子、影像以及相关标记物，即可在大脑疾病的早期诊断和干预上发挥重要作用，通过大脑疾病的遗传、表观遗传以及病理性功能失调等方面的研究，掌握大脑疾病的发生机制，可能攻克目前常见的脑功能障碍疾病。通过对这些重大脑疾病的深入认识，可为这些重大脑疾病的防治提供新药研发靶点，为新药创制开辟新天地。

**人类微生物组**研发为健康保障提供新思路，人类微生物组研究推动基础学科和前沿技术的交叉创新，颠覆了人体组成、健康和疾病的传统认知，相关研究为应对人口老龄化挑战和重大慢性疾病以及癌症提供疾病检测、治疗和营养干预等新策略。

**免疫治疗**为肿瘤治疗带来希望，随着肿瘤新生抗原、新靶点的发现以及免疫细胞设计及改造、细胞大规模培养等关键技术的突破，免疫治疗产业将形成强劲的核心竞争力。

## 3. 前沿研究理念与方式

**精准医疗**促进疾病高效诊治。基于基因及其表观遗传修饰、组织细胞结构特征、组织细胞功能表征对疾病进行准确诊断与细致分型，基于细致全面的诊断结果进行个体差异性的精准医疗。

**转化医学**有效促进产业进程，未来随着多学科的交叉融合，各学科间的协作攻关能力及国际竞争能力的提升，从而带动相关学科的整体发展。

**生物技术和信息技术的交叉融合创新**，生物大数据与人工智能融合对产业发展有颠覆性影响，生物大数据的发展极大改变了生命科学，包括医疗健康及药物开发等行业和领域。近几年兴起的以深度机器学习为代表的人工智能浪潮，在各个方面对科学研究和产业发展均产生了极大的颠覆性影响。

## 针对关键环节，提升经费管理使用效率

**优化公共投入方式**。在投入力度上，持续加大在医药创新基础研究环节的公共投入规模，争取较“十四五”规划提前完成基础研究经费投入占研发经费投入超8%的目标。面向国家重大需求和战略发展方向，在投入力度上进行资源倾斜。在投入方式上，设立专门的国家生物医学专项基金，并交由专业的管理机构通过科学、公平的评价机制统筹管理，提高资源分配效率。加强在竞争性经费和稳定性经费之间的统筹协调，避免重复资助和过度资助。同时，根据研究机构和研究领域的性质，平衡竞争性经费和稳定性经费的比例。如对于基础科研机构、国家重大科技基础设施等研究机构，以及具备战略性、前沿性、长期性特点的研究领域，应保障稳定性经费的供给，促进构建和维持高水平研究平台、引进和留存高水平研究人才，使研究人才能够心无旁骛地开展开创性工作。同时，国家生物医学专项基金中也应包含支持产业转化的专门经费，在社会资本尚缺位的情况下，提供高容忍度的耐心资本，促进基础研究成果的孵化转化。

**提升经费使用效率。**在经费使用和研究实施端，高校和科研机构应进一步健全经费管理组织和制度建设，提升经费管理的精细化程度，促进科研的增长模式从投入推动型转向成果拉动型。对于稳定性经费的再分配力求去行政化，以学术为导向，规避管理机制僵化、流程效率低下、资助方向盲目等弊端。

## 围绕创新链条，探索创新主体模式升级

**新型科研管理模式。**可考虑将转化机制和转化成果纳入部分类别高校和科研机构的考核标准，通过自上而下的驱动和激励，提升创新主体的转化意愿，并提高科研成果的使用效率。在传统学科布局基础上，建立跨学科、跨领域交叉融合的新体制研发机构，促进资源共享和交流合作，建立基础研究原始创新和产业应用转移转化之间的桥梁。通过新型研发机构等创新体制和管理模式尝试，培育实现科研和产业化活动的组织能力，发展集成了科研、孵化等功能的微创新生态。

**跨界协作联动融合。**在医研联动方面，建立国家转化科学促进中心，作为协调机构和示范机构，整合利用现有的碎片化的技术、资源、设施，搭建基础医学到临床研究的转化桥梁。在产学协作方面，完善高校和研究机构的产业转化能力，鼓励和支持行业组织建立第三方交易平台，通过健全灵活的知识产权交易和市场化机制对科研人员的技术转移和成果产业化提供服务。

## 应对未来需求，优化人才培养评价体系

**完善多元评价体系。分类评价：**针对从事不同类型、不同领域工作的专业人才制定符合其业务本质的科学评价维度和评价方法，重点关注真实研究和转化价值。对于从事基础研究的人才，主要考察其是否为回答重要科学问题、开拓前瞻研究领域做出了新颖尝试和实质贡献，并且充分尊重基础研究的长期性，避免以一刀切的短期量化指标主导人才的评价。**小同行评议：**在人才评价方式上，由内外部小同行专家组成的委员会针对被评价人才的论文代表作或标志性成果进行评议，实现“内行评内行”。小同行评议的人才评价方式更易贴合学科领域的独特性，从而回归到对于研究质量和实际贡献的评价本身。

**吸引留住海外人才。**搭建用于招募海外科研人才的有效、精准信息渠道，优化引进人才的科研和生活条件，完善引进后的配套政策落实力度。在激烈的国际人才竞争中，吸引更多领军人才，并能使这些领军人才引得来、留得下、用得好，并且继续保持高效和顶尖科研产出。需在评价体系中摒弃“唯资历、唯学历、唯职称、唯论文、唯奖项”，应以研究领域的发展需求和人才自身的能力潜力作为重点考察方向。需重新衡量限定时期内的“非升即走”规定对于不同类型、不同领域人才的适用性，也应遵循分类评价原则，降低人才在国内启动、加速科研生涯的壁垒。除在科研方面给提供友好的起步期资助、帮扶措施，在生活方面也应为人才在落户、居留签证、子女入学、医疗等方面提供便捷高效的服务和保障。

**培养本土科研队伍。**本土人才的培养和留存对于充实基础研究队伍基数和体量，孵育未来领军人物发挥着不可替代的作用。中国现有生物医学教育模式亟待升级，通过学科布局、培养路径、教学理念等方面的综合优化，打造面向未来的本土科研队伍。

**优化人才队伍布局：**基础研究离不开庞大的人才队伍。为使基础科研人才能够满足中国生物医药发展的要求，应优化科研人员培养方式和培养路径，与时俱进地调整学科布局，及时补充新兴交叉学科设置，从而实现加强科研人员队伍建设，使人才队伍适应科技前沿和产业培养的培养目标。

**培育新型复合人才：**基础研究正在朝着智能化、自动化和数据化方向发展。与此同时，应加大对兼具科学、医学、药学、信息技术等背景的复合型研究和产业人才的培养力度，包括完善教育培养模式、明确职业发展计划、匹配政策倾斜措施等，以捕捉新兴技术领域机遇，并填补如转化研究、技术产业转化等医药创新链条上关键环节上的人才缺口。另一方面，打通机制体制壁垒，提供人才在学术界、医学界和产业界之间流动的通道也是促进复合人才培育和成长的重要途径。

## 第三章

# 推进创新药同步研发、注册与审评

## 1 推动同步研发、注册与审评的重要意义

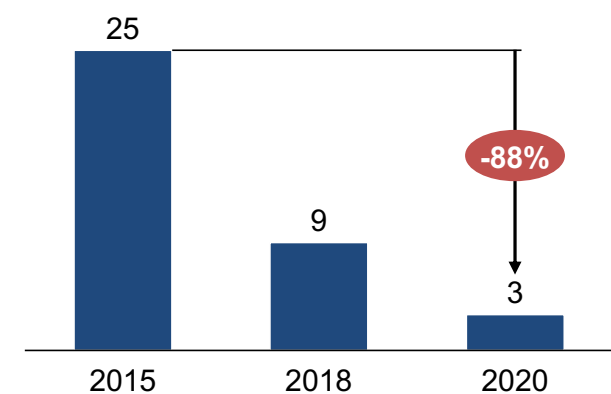
**背景：审评审批制度改革推动新药加速上市，使创新药全球同步上市成为可能**

自2015年以来，国家先后发布系列审评审批改革重要文件，为加速推动药品监管立法改革指明方向。2017年原国家食品药品监督管理总局加入ICH，于2018年成功当选管委会成员并于2021年连任管委会成员，大力推动了中国药品注册标准的科学化发展，加快了药品注册技术要求与国际要求的协调和统一，为中国同步研发创造了关键条件。

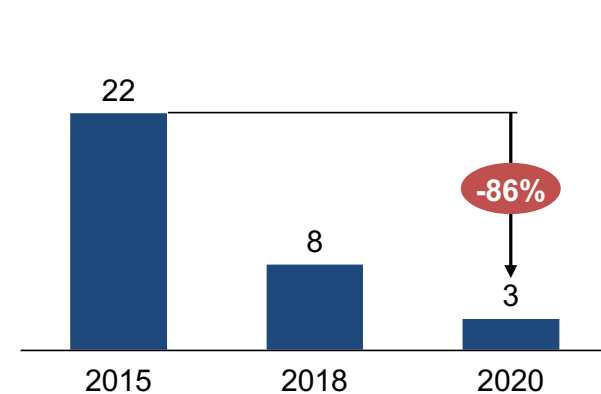
从结果上看，中国创新药临床研究和注册上市申请获批时间的大幅改善（图14），带来中国近年获批创新药品（包括1类创新药和境外原研药）数量增加显著，已接近发达国家和地区水平（图15）。

图14：创新药品审评审批显著加速

创新药品临床试验申请平均获批时间：化学药<sup>1</sup>  
月



创新药品临床试验申请平均获批时间：生物药<sup>2</sup>  
月



1. 包括1.1类创新药及5.1类原研药

2. 包括1类和3类预防用生物制品和治疗用生物制品，不包括中药、原研药品首次获批在2020年前或2020年为再注册，排除原研药品获批前国内已有仿制药上市、同一产品新增适应症

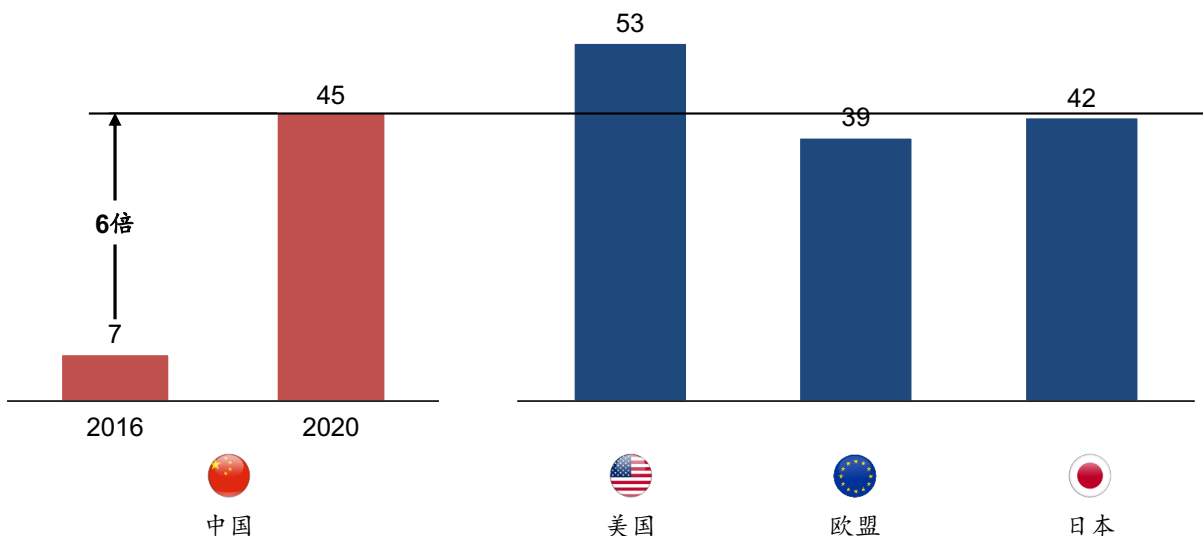
资料来源：GBI

图15: 中国近年创新药品<sup>1</sup>数量增加显著, 已接近发达国家和地区水平

每年获批数量

中国 (2016和2020)

其它国家和地区 (2020)



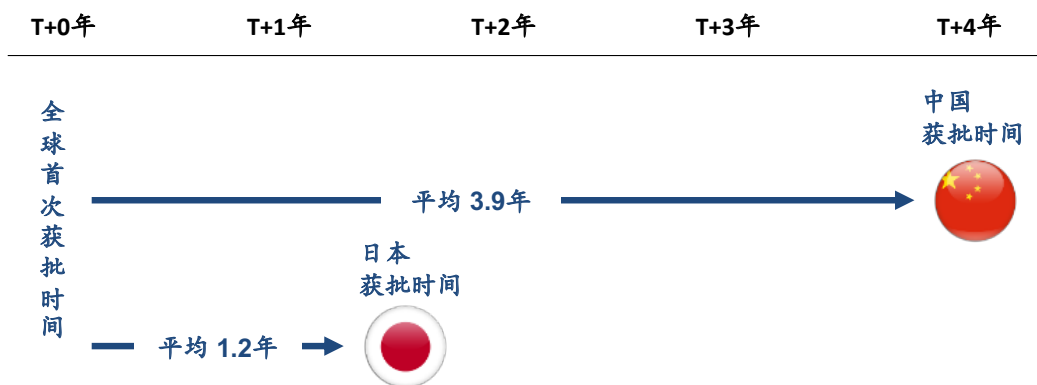
1. 美国: FDA认证的新分子实体 (New Molecule Entity, NME); 欧盟: EMA认定含new active substance的新药; 日本: PMDA认可含new active ingredient的新药; 中国: 药品注册分类中1.1类与5.1类化药, 以及1类和3类预防用生物制品和治疗用生物制品, 不包括中药、原研药品首次获批在2020年前或2020年为再注册, 排除原研药品获批前国内已有仿制药上市、同一产品新增适应症

资料来源: GBI; 《2020年度药品审评报告》; FDA; EMA; PMDA

### 当前差距: 中国研发、注册与审评与全球尚存的“时间差”

对于2020年中国首次获批上市近30个境外生产原研药 (不包括再注册、原研获批前中国已有仿制药上市以及同一产品新增适应症的情况), 同一产品中国获批时间与在全球其它市场首次获批时间相比平均晚了3.9年 (30个产品的中位数); 针对2020年在日本获批上市的跨国药企原研药分析显示, 同一产品日本获批与全球其它市场首次获批的差距平均只有1.2年 (图16)。中国获批时间的差距, 一方面是由于中国审评审批改革提速的成果在2020年获批药物上还未完全显现, 另一方面是由于中国尚未充分加入全球同步研发, 导致在中国递交新药注册申请的时间较晚。分析显示, 在2018年开展的全球多中心临床试验中, 有19.7%的试验纳入了日本, 而同时期仅有9.4%的试验纳入了中国 (图17)。

图16: 以2020年在中国和日本获批创新药品为例, 同一产品中国和日本获批时间与全球市场首次获批的平均差距<sup>1</sup>

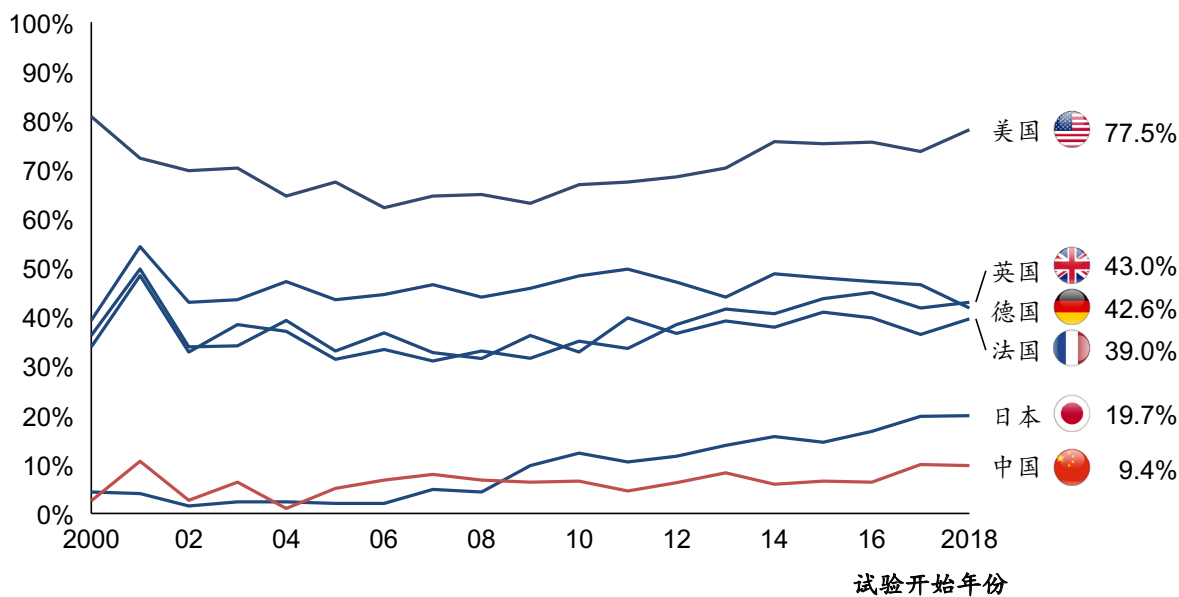


1. 中国和日本获批新药只包括在全球其它市场已经上市的产品; 多适应症情况按首个适应症上市时间统计; 平均差距为所有产品的中位数

资料来源: GBI; PMDA

图17: 中国参加全球多中心临床试验的比例仍有较大提升空间

国际多中心临床试验世界各主要国家参与比例



资料来源: 政策研究院新闻第58期, 2019年11月, 近期国际临床试验参与国分析

## 实现同步研发、注册与审评的重要意义

首先，实现同步研发、注册与审评有助于创新药在国内外加速上市造福全球患者。实现全球同步临床研究，有助于加速创新产品在中国的研发和注册，尽早让中国患者同步受益于全球创新成果。同时，中国本土创新成果尽快走向国门，可惠及更广泛的全球患者，推动构建人类卫生健康共同体。

其次，实现同步研发、注册与审评有助于中国医药创新体系能力提升，进一步融入全球创新系统。同步研发、注册与审评对监管政策的科学性、制度的完善性、审评能力和透明度、以及临床研究关键流程与环节的合理性等方面均提出了更高的要求。将中国纳入早期开发阶段，实现新药在中国的同步递交和同步上市，有利于发挥中国在全球研发体系中的重要作用。

最后，实现同步研发、注册与审评有助于提升整体研发能力，推动创新产业的可持续发展。考虑到创新药行业高投入、高风险的本质，同步研发、注册与审评将帮助中国本土创新药企在更短时间内与全球范围共享创新成果，并形成投资回报的良性循环，推动行业的可持续发展。对于跨国药企而言，将中国更好地整合到全球研发中，无需开展单独为中国监管注册而进行的临床研究，可以更高效地投入研发资源。

## 大力推动同步研发、注册与审评的关键维度

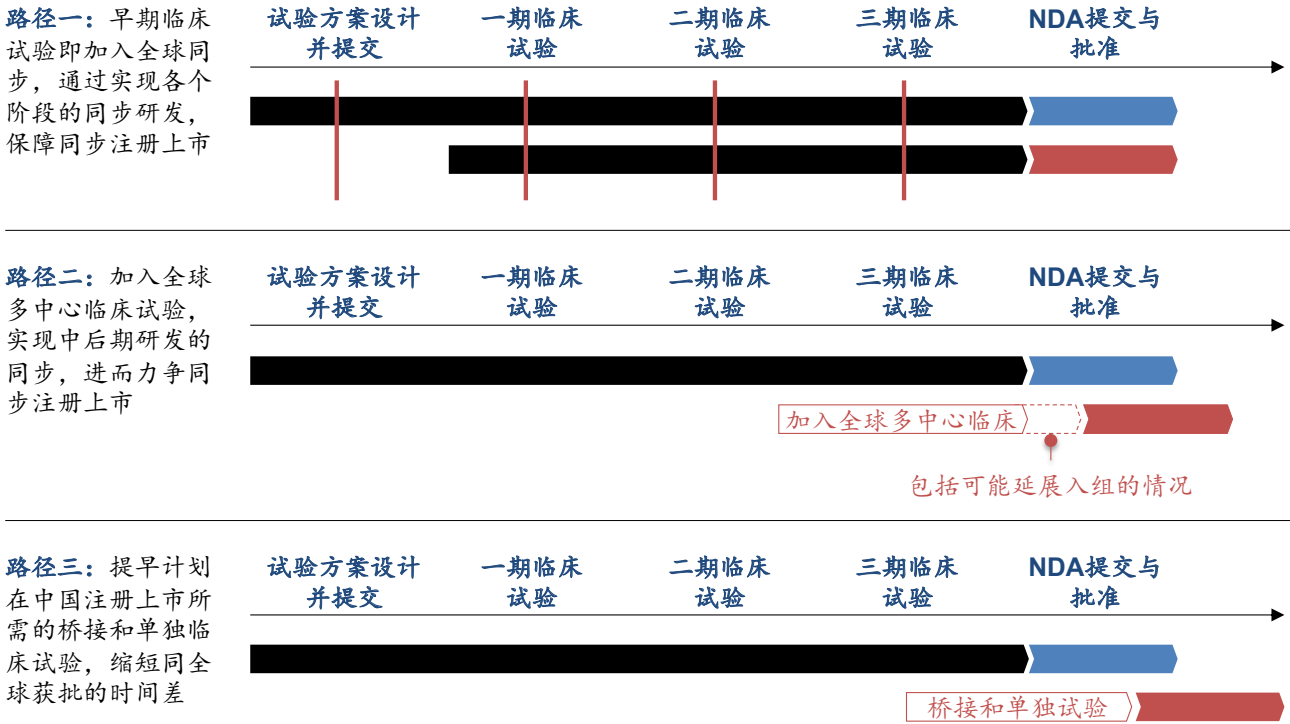
当前在中国实现创新药的全球同步研发、注册与审评主要有三条潜在路径（图18）。

路径一：基于ICH E17的理念，创新药研发企业在药物全球研发早期临床试验阶段就将中国纳入，并及早与中国药监部门就新药研发过程中的关键问题和环节进行沟通交流，通过实现临床研究各阶段的同步，实现在中国的同步注册上市；

路径二：基于ICH E17的理念，创新药研发企业在药物全球研发中后期确证性临床试验阶段将中国纳入，确保获得充分的数据（包括在必要时延长中国入组时间），支持在中国的同步注册上市；

路径三：在中国无法参与国际多中心临床试验的情况下，提早计划在中国同步注册上市所需的桥接试验和单独临床试验。需要注意的是，单独试验将带来药企研发费用的增加和研发周期的延长。

图18: 中国实现同步研发、注册与审评三条潜在路径

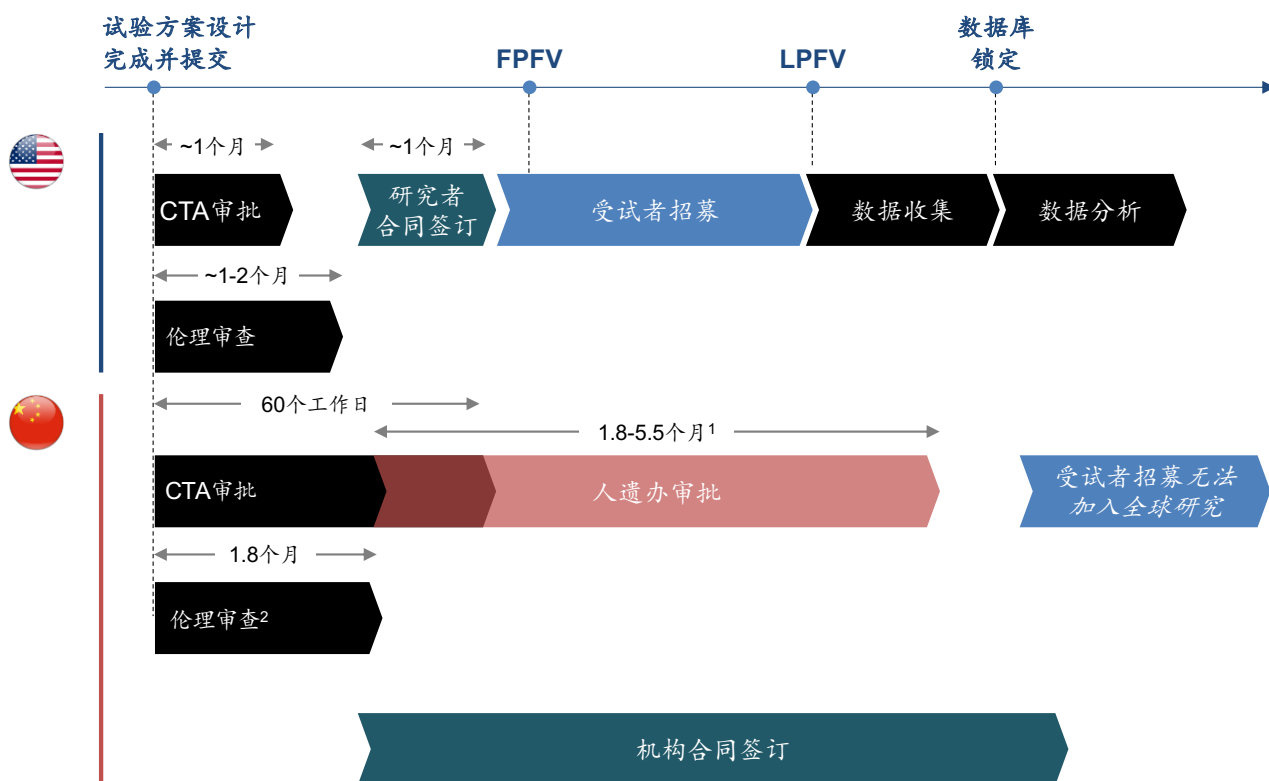


基于对三条潜在同步路径的梳理，**提升注册监管科学性和临床研究高效性是大力推动同步的关键**。中国和全球同步研发注册，要求各个监管部门、企业和研究者通力配合，在研发和注册各关键节点实现同步，单一环节的推迟都潜在影响整体研发注册进程。目前，对比全球医药研发第一梯队的美国，中国在临床试验启动阶段的时间线明显延长，整体流程优化有待提升。对于早期临床试验加入全球同步（路径一）而言，由于试验启动所需时间较长造成几乎没有招募时间窗口，中国往往因此错失加入机会（图19）；而对于同步加入全球确证性临床试验（路径二）而言，中国招募时间窗口通常较短且存在较大的不确定性，带来申办方对于是否能保证全球临床试验时间线产生顾虑，在一定程度上造成中国未能充分加入全球同步研发（图20）。**更加科学的监管要求和更加高效的临床研究流程，有助于保证时间线上中国和全球研发的协调同步。**



图19: 早期临床试验关键环节时间线中美对比

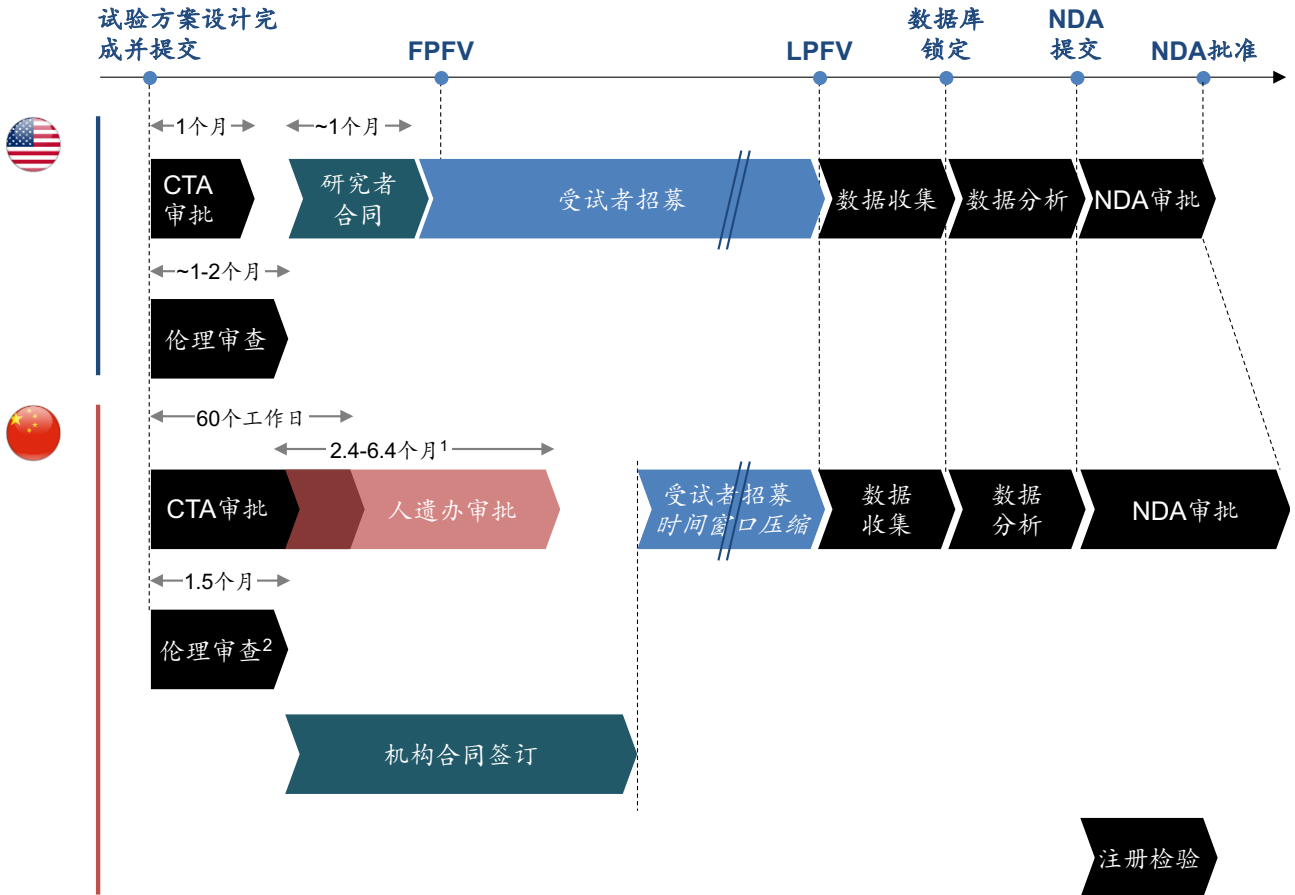
临床研究启动过程关键环节时间线示意：以一期和二期临床试验为例



1. 基于RDPAC会员公司2020年临床运营调研结果，前25分位为1.8个月，中位数为约4.1个月，后25分位为约5.5个月  
 2. 假设伦理审查和临床申请平行

图20: 注册性临床试验关键环节时间线中美对比

临床试验启动过程关键环节时间线示意: 以三期临床试验为例



1. 基于RDPAC会员公司2020年临床运营调研结果, 前25分位为约2.4个月, 中位数为约3.7个月, 后25分位为约6.4个月
2. 假设伦理审查和临床申请平行, 数据收集、分析和NDA审批时间线同美国一致

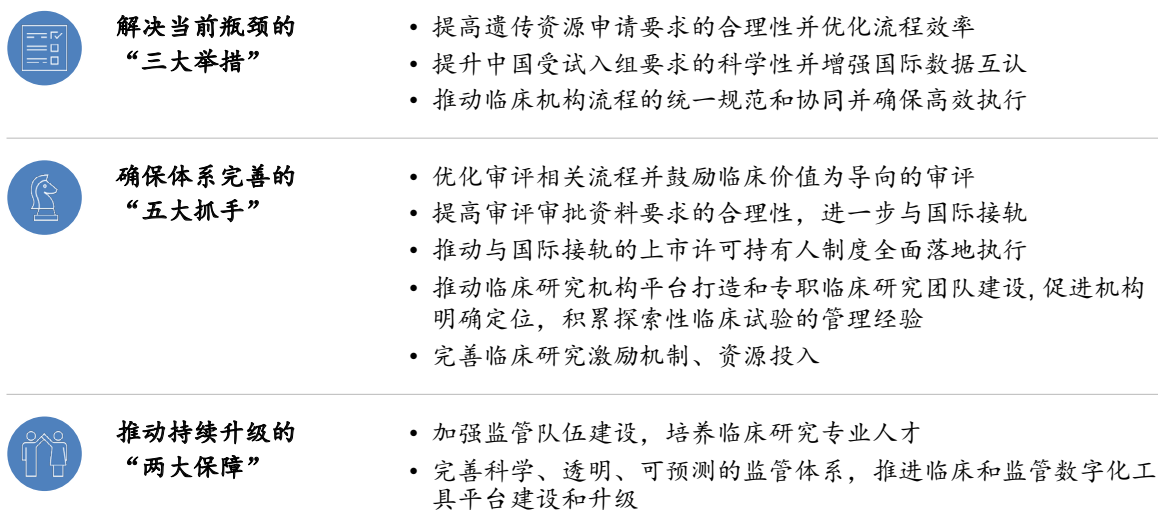
注册监管科学性体现在监管政策、监管标准和程序、监管体系三个方面; 临床研究高效性体现在临床研究执行、临床研究能力、临床研究体系保障三个方面。除此之外, 监管能力提升、临床人才培养、数字平台建设也是实现同步研发、注册与审评的有力保障(图21)。

图21: 实现全球同步研发、注册与审评的关键维度



## 推动同步研发、注册与审评的十条建议

图22: 推进创新药同步研发、注册与审评的建议总结



## 2 注册监管科学性

基于现状和当前挑战，提出对未来三大展望

### 展望1: 提升监管政策的科学性

#### 1 提高遗传资源申请要求的合理性并优化流程效率

监管要求方面，在发达国家及地区和ICH指南中，重视患者知情同意与标准流程的建立和落实，样本出境管控相对宽松，而中国对遗传资源监管的要求更为严格，特别是围绕样品出境环节的规定（图23）。人类遗传资源行政审批流程和要求的优化有助于进一步推动中国加入全球同步研发，建议建立完善的、基于科学的、合理管控风险的人类遗传资源管理体系，建立有效的多方（跨部委、产业）沟通与对话机制，提高监管政策的透明度和审批时限的可预测性，针对性出台《人类遗传资源管理条例》实施细则，具体建议包括：

##### 管理流程：

对比发达国家，人类遗传资源行政审批成为中国临床研究启动阶段的主要限速步骤。目前较为冗繁的审批流程使得中国难以匹配全球早期临床受试者招募窗口，并对中后期全球临床研究的中国招募窗口造成挤压。遗传办需要推行“放管服”的管理模式，简化现有的流程制度，使得各企业在贯彻落实人类遗传资源管理法规要求下，能够更快速地将创新药品带给中国乃至全球患者。

##### 数据资料：

目前遗传办针对数据备份备案的管理范围不清晰，要求繁琐且审核时间长。遗传办可以界定并落实不同风险级别数据的分层管理，对于一些不涉及中国患者基因或基因组的信息，可以降低其风险管理级别，简化数据备份备案的要求，增强数据管理的可操作性，体现高效便民的政务管理原则。

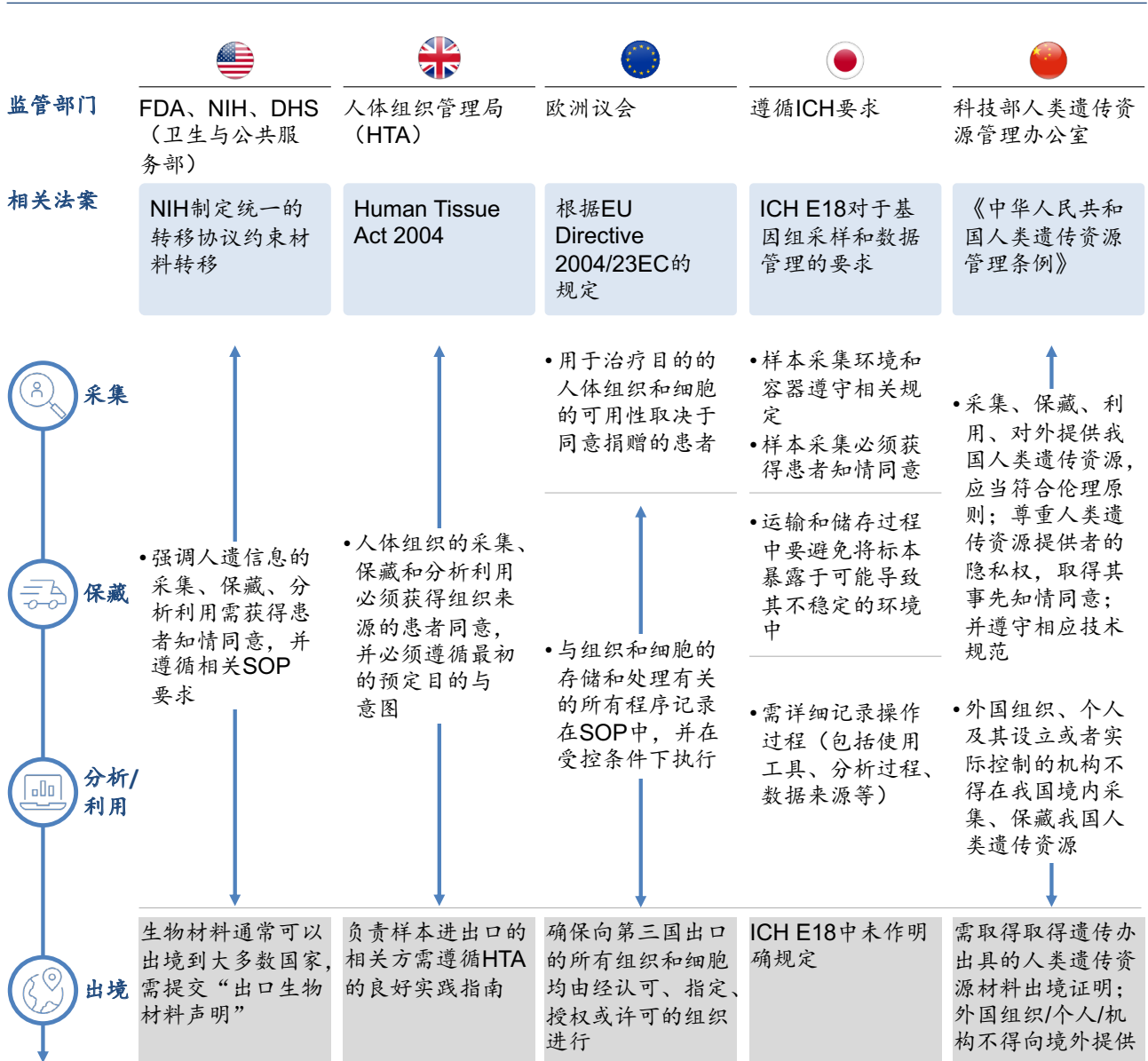
##### 样品出境：

目前对于需要生物样本出口的研究审批严苛，批准延迟或不予批准可能造成企业不得不剔除一些探索性检测指标，这样将降低获得患者数据的全面性，影响中国加入全球早期临床试验以及降低中国患者数据的价值。为了鼓励并促进中国能更多地参与全球早期临床研究中，在全球新药研发领域中获取完整、同等的中国患者诊疗数据和经验，遗传办需要考虑其它国家对于样品出境的情况，可以适当放宽在中国进行的早期临床研究的样品出境审批要求，体现中国对于人类遗传资源的先进以及现代化的治理能力。

##### 知识产权：

在全面促进国家安全管理及资源合理利用的前提下，在中国现有的法律法规的要求内，遗传办可以让合作双方遵循公平公正的原则，自行平等协商并明确其知识产权分配及数据所有权等合同条款。

图23: 中国同主要发达国家和地区人类遗传资源监管对标



资料来源: FDA; UK HTA; EMA; PMDA; NMPA

## 研究者发起的研究和真实世界研究：

对于研究者发起的临床研究，目前要求申办方应为中方单位研究机构，作为资金支持方的药企在研究中不承担任何角色，无权以任何方式参与研究活动或者获取结果或研究数据。应考虑在研究过程中企业获取数据类型的不同风险等级，进行分层管理。

## 2 建立灵活的MAH制度，全面释放MAH制度的红利<sup>25</sup>

**打通上市许可持有人跨境情形下的落地路径。**生产许可在国内，上市许可在国外：对于境外的企业，现阶段无法成为进口产品在中国的上市许可人，有些境外企业在中国境内拥有进口分包企业，但当前进口分包企业也不能成为中国境内的MAH。这在一定程度上使境外企业失去自主经营自产药品的权利，影响境外药企在中国的商业化决策，进而潜在影响中国患者的药品可及性。生产许可在国外，上市许可在国内：对于国内企业而言，若想成为境内MAH，需要取得生产许可，其生产场地需要在境内，这样可能导致国内企业未充分实现生产的资源优化配置，影响中国企业的全球竞争力。

**在充分考虑不同类型药物特殊性的实际情况下，明晰生产许可中对于分段、多场地、委托生产等的规定。**中国目前监管要求下，境内外生产的生物制品一般一个工序只能有一个生产场地；境内生物制品的委托生产，在实施层面的步骤路径尚不清晰；部分类型的生物制品原料药是否可以和化药的原料药一样通过原辅包和制剂关联审评（DMF）也尚不清晰。

## 展望2: 提升监管标准和程序的科学性

### 1 提升科学决策的理念，促进ICH E17等的进一步落地实施

中国药监局要求国际多中心药物临床试验数据用于支持在中国的药品注册申请时，中国受试者样本量需足够用于评价和推论该试验药物在中国患者中的安全性和有效性，满足统计学以及相关法规要求。在临床研究落地执行中，这一要求也常常反映在对中国受试者入组要求上，中国需要进一步落实ICH E17多地区临床试验指导原则的要求，基于综合多方因素的分析，对中国受试者的入组要求作出科学安排。

建议对于全球已经在研的药物，需整体考虑早期研究与种族敏感性分析，同时参考其它地区临床试验产生的证据，豁免或补充在中国的早期研究。此外，建议基于ICH E17指导原则，支持合理的人群汇集策略，确立以东亚人群作为主要研究人群的区域一致性评价，以及合理的中国患者人数。并且，在某些由于客观原因导致中国无法在全球入组期完成药监机构要求的中国患者数的项目中，可以考虑允许申请人使用延展策略，在当前的全球三期试验中完成中国入组。

---

<sup>25</sup> 《我国上市许可持有人制度的长期机遇》（上）

## 2 继续深化改革，优化审评审批的流程

- 注册检验流程要求：在实践中由于样品问题、方法验证、中国药典的执行问题、原料中的有关物质要求在制剂中检验以及标准复核的程序和流程问题，影响上市许可的整体时限。建议基于科学以及ICH相关指南的要求，优化注册检验流程以及技术要求，与国际接轨。
- 现场核查：建议优化临床试验研究机构现场核查的流程及技术要求，结合科学性和可操作性，明确现场核查的范围和要求，使监管程序更为科学、透明、可预测。

另外，建议给临床试验申请人更为充分的沟通渠道，确保申请人可以充分地理解并能执行这些监管建议。对于某些暂停的临床试验，优化其重启流程，可以不需要通过补充申请的途径，改善并提高中国同步研究的效率。

## 3 提高审批资料要求的合理性，进一步与国际接轨

中国额外要求的技术资料及证明性文件准备时间长，要求复杂，与国际惯例不统一，制约了临床试验申请及上市注册申请的速度，建议优化行政文件和药品信息相关资料，避免过多重复性的资料，提升中国临床申请的效率。

另外，对ICH指南的遵循性有待进一步加强，特别是Q（质量）系列的执行，中国药典与ICH要求有待进一步协调；需要进一步明确某些资料要求和递交规则，避免受理成为限速步骤。

## 4 充分利用四个加快通道，鼓励以临床价值为导向的新药研发





《药品管理法》和《药品注册管理办法》中明确，建立药品加快上市注册制度，支持以临床价值为导向的药物创新。目前，中国已建立突破性治疗药物、附条件批准、优先审评、特别审批四种加快通道（图24），监管和业界在实践中都积累相应经验的同时也发现了改善空间。

建议进一步完善加快审评审批制度，如动态调整适用范围以更好适应临床需求的发展和变化；尽快出台四个加速通道滚动提交的细则文件，明确滚动提交的批准流程、允许滚动提交材料的内容和格式要求；审评部门与受理部门确认滚动提交材料的受理流程。

对于获得突破性疗法认定的产品，美国FDA提供了针对性的政策和较大的资源倾斜，与有经验的监管人员与企业根据需要进行频繁有效的沟通交流。中国后续在完善相关细则的过程中，也可考虑建立这样的机制，以保证高效地实现CDE对加入该通道的药物审评过程的支持，鼓励以临床价值为导向的新药研发。

目前申请优先审评的资格需在提出NDA前的pre-NDA沟通交流中申请，申请人需等待pre-NDA会议的会议纪要来得到确认。这影响了NDA的递交，稀释了优先审评时间上加速的政策支持优惠。建议对于同步研发项目，申请人可以提前进行优先审评的资格确认，不必等到pre-NDA沟通交流时才提出，将时间管理尽可能地并联起来，凸显中国鼓励创新的监管战略。

图24: 中国新药上市加速通道种类与机制已经接近主要发达国家和地区

	优先审评	加速审评	快速通道	突破性治疗	孤儿药	其他类型通道
	针对具有显著提高医疗水平潜力的药物缩短审批时间	临床价值突出的药物可用“替代终点”加速上市，之后补充临床结果	药物具有治疗未满足医疗需求的潜力	初步临床证据表明可能明显优于现有治疗方案的创新药物	针对罕见病药物	
	<b>Priority review</b> 安全性或者有效性取得重大改善的药物 审批时间从10个月缩短到6个月之内	<b>Accelerated approval</b> 针对严重与致命疾病开发，效果优于现有治疗方案，存在未满足需求的药物	<b>Fast track</b> 效果超过现有药物的重症新药 加速药物研发与审批（例如增加与FDA沟通，允许CDER提前审查申请）	<b>Break-through therapy</b> 针对开创性治疗新药 在Fast track基础上进一步增加FDA指导力度，促进有效药物开发	<b>Orphan drug</b> 针对患者人群不超过20万人的疾病药物 享受资金援助、税收减免、协议咨询等优待	<b>Emergency Use Authorization</b> 在公共卫生紧急情况下授权使用，以抵御包括传染病在内的化学、生物、放射和核威胁。
	<b>Accelerated assessment</b> 针对公共卫生方面有望发挥较大作用的新药 150天之内获得CHPM的意见反馈	<b>Conditional approval</b> 针对重症疾病开发的医药品、在公共卫生上有较高紧急性的医药品、罕见病药物		<b>PRIME</b> 早期临床中显示积极效果的潜在新型疗法，或针对未满足患者需求的新药	<b>Orphan</b> 发病率小于0.05%，且不存在替代治疗的罕见病药物 享受多种优待（正常审查时间）	<b>Exceptional Circumstances</b> 临床数据收集困难，或伦理原因限制数据收集的 药物 允许数据不充分情况下上市，需提供追加信息并限制适用范围
	<b>优先审查</b> 针对重症以及罕见病用药，审批时间从12个月缩短到9个月之内		<b>快速审查</b> 监管机构预评估的公共申请药品自动列入快速审查药品清单。不接受申请人的申请		<b>罕见病用药</b> 日本国内患者人群不超过5万人的疾病用药资金援助，优先审查，税收减免等政策	<b>预先审查指定制度</b> 需满足:1.药物的划时代性,2.疾病严重性,3.极高有效性,4.日本早于其他国家开发、申请意愿,享受多种优待政策
	<b>优先审评审批</b> 具有明显临床价值的药品，例如短缺药品、创新药、儿童用药、创新疫苗等 评审时限为130日，其中临床急需罕见病药物为70日	<b>附条件批准上市</b> 临床试验已有数据显示出疗效并能预测其临床价值的重症或急需药物； 公共卫生应急疫苗或者卫健委认定急需的其他疫苗，经评估获益大于风险的		<b>突破性治疗药物</b> 防治严重危及生命或者严重影响生存质量的疾病且尚无有效防治手段，或与现有治疗手段相比，有足够证据证明明显临床优势的创新药或改良型新药 优先配置资源，优先处理		<b>特别审批</b> 公共卫生应急所需药物 国家药监局统一指挥加速药品注册受理审批等工作

资料来源：FDA; EMA; PMDA; NMPA



## 展望3: 提升监管体系的科学性

### 1 基于风险的理念转变和管理能力提升

建议参考国际监管能力提升的经验教训，逐步完成基于风险管理的理念转变及相应的管理能力的提升，优化管理效能。继续坚持改革开放方针，深度参与全球药品监管双边和多边合作机制，积极参加国际规范和标准的研究制定，开展药品审评审批专项合作交流，稳步推进ICH技术指南的实施和转化，促进监管信赖和互认。

大力推进药品监管科学研究，深化与高等院校、国家、地方以及民间研究机构的合作与协同，加快研究成果的转化和新工具、新方法和新标准在创新药品审评审批工作中的应用。

### 2 完善科学的、透明的、可预见的监管体系

建议进一步统筹管理立法计划，加强对法规标准统筹管理。在规范指南编纂机制的基础上，健全定期回顾机制，完善法规、规章和行政规范性文件的制定和管理工作，提高立法工作的透明度，可定期向公众披露法规指南制修订的内容和时间表，促进与行业的交流和互动。

推动建立高效顺畅的审评审批管理流程和决策路径。建立有效的沟通交流机制、及时的诉求反馈机制、公平的争议解决机制、定期的意见征集机制。制定实施《药品审批质量管理规范》(GRP)，保证工作质量，提高审批效率。

### 3 引导创新的有序发展

随着鼓励创新的政策出台，有些领域出现了大量无明显差异的产品“一窝蜂”式的开发情况，同质化现象严重。这不但占用了宝贵的临床资源，又限制了临床研发能力的提升。需积极倡导以患者为核心，引导开展以临床需求为核心的理念、以临床价值为导向的药物研发。这些制度的建立和落实，将促进良好的创新生态秩序的建立。随着创新生态系统的不断完善，将会鼓励更多的新药早期研发在中国开展，中国更好地融入全球创新体系，使中国成为全球医药创新研发高地。“引进来”，实现新药的全球同步研发和注册，将国际市场上的创新药尽早引进中国，惠及中国患者；“走出去”，通过国际合作，把中国的创新成果输出去，使中国创新产品惠及全球患者。

## 3 临床研究高效性

### 中国临床研究机构的整体现状

在鼓励医药创新的各项政策推动下，中国的临床试验数量快速上升：2019年，中国药物临床试验的数量超过1600个，相比十年前不足100个的临床试验数量增长超过20倍。过去五年中国临床研究机构数量也稳步增长，从2015年的不足400家增加到2020年的超过1000家。尽管机构数量近年来稳步上升，多数中国临床研究机构的过往经验仍普遍不足。在2019-2020年承担临床试验的1078家机构中，两年内承担超过20项临床研究的机构不到机构总数的30%。中国机构承担国际多中心临床试验的经验更为匮乏，仅有6%的机构在过去两年间承担超过20项国际多中心临床试验。

基于现状和当前挑战，提出对未来三大展望

### 展望1: 改进临床研究执行

#### 1 优化临床研究执行中的机构内流程和机构间协同一致

**临床研究机构的内部流程方面：**机构立项、伦理审批和合同签订方面都有一定程度制约，成为落实临床试验的一个限速步骤。在一些情况下，机构合同存在涉及不直接与临床试验机构相关的问题（如知识产权相关问题、试验数据相关问题等），带来更复杂性的复杂性，造成机构合同签署流程繁琐，时间线延误。可以鼓励申办方同机构签订主协议，进而减少参与审评的部门。在机构队伍方面，可通过建立强化内部临床试验助理团队的方式，促进同申办方及合同研究组织对接沟通的效率提升。对于同一申办方在机构有多个项目的情况，可通过定期推进会的方式，梳理临床研究执行过程中的挑战并一同寻求解决的办法。另外，还需要明确合同审批的时限以缩短时间线并提高预期的确定性。

**临床研究机构之间的流程统一方面：**各研究机构临床方案启动的流程程序和资料要求方面存在差异，导致申办方试验启动阶段准备工作的不确定性高，需针对不同研究机构开展定制化的准备工作，难以实现不同机构间临床方案启动的效率最优化，临床试验全面加速启动受到阻碍。对于临床研究项目的整体加速作用明显，可以通过卫健等政府部门推进流程的标准化，并在标准化的基础上进行质量管控，将关键临床研究执行指标纳入机构整体管理指标和定期评估。

#### 2 推动伦理审批流程的简化并提高区域或中心伦理的效率和水平

目前尚未进一步落实2017年两办《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》中关于“完善伦理委员会机制”和“提高伦理审查效率”的具体措施。

**伦理审批流程方面：**仍有部分机构在临床申请获批之后才开展伦理审评审批，大部分参与中心伦理的需要在牵头中心伦理获批后方可进行本中心伦理审评审批，未实现充分平行。需要进一步落实推进伦理审批和临床申请的同步；并通过自上而下的方式，统一各医院伦理委员会审批所需资料与流程，并在医院层面对伦理审批的效率设定相应指标（如反馈时间和伦理委员会的开会频率等）。

**伦理审批协同方面：**推进中心化的伦理批准认可体系建设，包括中心伦理或者区域伦理委员会的建设与临床试验机构对中心或者区域伦理委员会的认可度，以及同一系统内不同机构间的伦理互认，允许有条件的单位开展集团内临床试验机构统一伦理。落实组长单位通过伦理审批后，其它临床研究机构优先认可组长单位的审批，避免重复审查；领先医疗机构承担中心伦理审批职责，当地二级医院等可以考虑委托给区域或中心单位。此外可以考虑建立申诉渠道：考虑有二级伦理的设置，由区域中心伦理承担伦理仲裁的角色。

**伦理审批考核方面：**建立伦理审批效率的考核机制，推行伦理审批质量认证标准，促进审评能力和审评质量方面的提升。

## **展望2: 提升临床研究能力**

### **1 推动临床研究机构平台打造**

GCP平台在伦理委员会建设、信息化管理系统、临床评价实验室建设等方面近年来已取得了阶段性成就。但是，由于临床试验机构、研究者和申办方在人员能力和实施过程中质量把控中存在的不足，临床研究在方案设计水平和数据质量方面均有提升空间。

专业临床研究平台可以为临床研究设计、实施、质量控制、数据管理和分析等各方面提供技术支持，从而保障和提高临床研究的质量。当前，中国开展临床试验的研究平台极其匮乏，建立能够有效支撑临床研究的公共技术平台尤其重要。

与此同时，可以考虑由有丰富临床科研经验的一二线城市医院牵头，与低线城市缺乏临床研究经验的医院结成临床研究联盟，一方面扩大所能覆盖的潜在受试者群体，另一方面也可以提升更多机构的临床研究能力。

### **2 推动专职临床研究团队建设**

现阶段中国临床试验机构普遍缺乏专职的临床研究团队，在保证从事临床研究的时间及资源投入上存在挑战。研究者方面，主要由临床医生兼任临床研究者，考虑到所承担的繁重临床工作，可用于临床研究时间有限；另外，大部分医院缺乏专职临床研究护士和内部临床研究助理团队，尚未形成完备的临床研究机构内部团队。部分研究机构和研究者采用第三方提供的临床试验机构现场管理服务，监督管理的职责不明确，过多依赖第三方的研究协调员。

**在职业发展路径方面，**需要在职称评定、继续教育、资格认证等方面为专职研究医生和研究护士等提供机会，并打通相应晋升通道。

**在考核体系方面，**需要保证对于参与临床研究人员的考核维度设计同其工作内容强挂钩。

### 3 促进机构明确定位，积累探索性临床试验的管理经验

早期探索性研究的参与，有利于中国更好地融入全球创新，从而实现更广意义上的同步研发；与此同时，也对中国的临床研究能力和系统提出更高要求。考虑到早期研究周期较短并常常需要围绕生物标志物开展探索性研究，进而受到审批时间和人类遗传资源监管的影响，使得全球首创新药和首次人体试验的承担比例较少，目前中国的临床试验机构和研究者在探索性临床试验方面经验普遍不足，研究中的科学管理和执行能力还有待提升。研究机构在能力建设应基于明确自身的定位，找准率先突破的领域和解决的问题，进而制定相应目标和计划。

## 展望3: 加强临床研究体系保障

### 1 临床研究激励机制

#### 医院层面

**优化考核体系：**三级综合医院评审现行标准和医院绩效考核现行政策尽管纳入临床研究相关指标，但权重不高，对医院科室排名贡献有限。从而造成在监管改革极大提升企业积极性的情况下，作为临床试验实施主体的医院积极性提升有限。**提升重视程度：**尽管临床医生对于临床研究的重视程度逐年提高，但医院管理层的积极性还没有被充分调动，其所关心的重点还多在于承担国家级项目和发表科研论文的数量，而承担新药研发相当于国家自然科学基金的类似政策还未上升到国家层面。

#### 医生层面

**职称评定方面：**一方面临床研究在医生职业晋升评定中的比重较低（特别是专职临床研究医生的职称晋升方面未落地）；另一方面职称评审权也有存在复杂性（不同地区分属在卫健委、医院、大学等），应推动充分考虑临床研究实际的考核标准优化。**绩效考核方面：**可更多将临床研究纳入所在医院科室和个人的绩效考评（如采取研究患者和普通患者的绩效权重差异化等）。

### 2 临床研究资源投入

2019年度国家自然科学基金批准资助的医学科学部项目中，临床医学研究相关项目只有94个，占比不到1.0%；获批资助的总基金为4733万元，占当年国家自然科学基金总额的0.2%，每项平均仅50万元左右，同产业临床研究费用存在数量级的差距。

可考虑调整增加临床医学研究在医学科学研究基金中所占比例，并推动卫健委、科技部、医疗机构、高等院校等设立临床试验专项科研计划或科研基金，支持鼓励临床医生进行对口的临床医学研究。

# 4 监管与临床能力建设

## 监管能力提升

强大的监管能力是支撑医药行业的快速健康发展的基础。国务院第16号文《关于全面加强药品监督管理能力建设的实施意见》，要求继续加强监管队伍建设。

### 1 监管队伍建设

#### 监管人员规模

尽管药品审评中心的人员数量近五年有了较大幅度增长，但随着一些资深审评员的到龄退休、调动、辞职等因素影响，高水平的审评人员十分稀缺，目前仍不能充分满足不断增长的申请需求，尤其生物药审评专家、临床审评专家供不应求；审评工作之外的行政工作（如协调质量处和合规处、起草注册证等），也在一定程度上提升了对工作量的要求，加剧了审评员的缺口。

按照美国的审评队伍全时工作量来测算（图25），中国药监实际需要审评人员规模在3000人左右，但实际仅有约700人。因此必须大力加强人力资源配置，合理划分国家、国家区域分中心以及省级局之间的事权，加快高端人才引进，切实实施激励人才、留住人才、鼓励人才成长政策，不断提升审评能力和水平，提高审评质量和效率。另外目前药监人员引进方面受到编制的制约，应探索更加灵活的人才流动机制，在控制好潜在利益冲突的前提下，参考其它国家经验，允许监管体系和医药行业的人才互通。

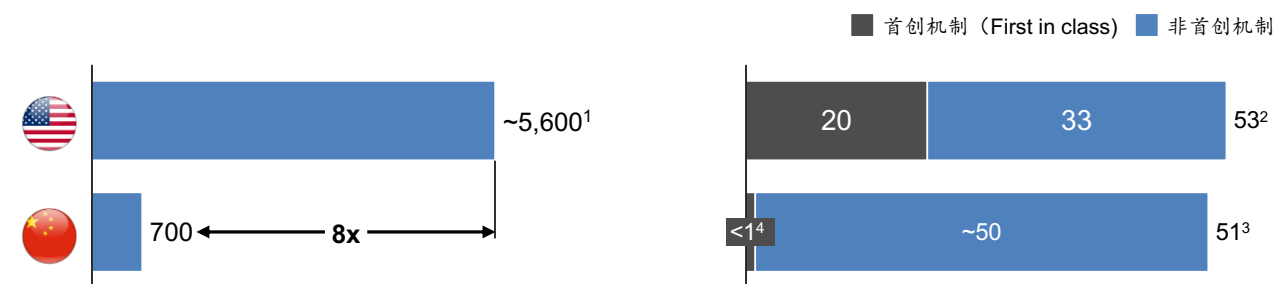
图25: 中国在药品审评审批人员队伍及首创机制新药的审评审批方面仍有较大提升空间

中国对比美国药审评人员队伍规模

2020年药品审评审批全职员工数量

中国对比美国创新药获批数量

2018-2020平均每年获批数量



1. 美国药品审评审批人员数量仅包括药物评价与研究中心（Center for Drug Evaluation and Research - CDER）人员。美国食品药品监督管理局（FDA）总员工数量18,062名，除CDER外，还包括生物制品评价与研究中心（1,191名员工）、监管事务办公室（4,997名员工）等其他超过10个部门
2. 仅包括新分子实体与新生物疗法产品（new molecular entities and new therapeutic biological products），不包括由生物制品评价与研究中心（Center for Biologics Evaluation and Research - CBER）批准的疫苗、血液制品等生物制品
3. 化学药包括1.1类创新药及5.1类原研药，生物药包括1类创新型治疗用生物制品及3类原研治疗用生物制品
4. 不包括中国上市前已经在美国获批的First-in-class创新药

资料来源：CDE；FDA；GBI

## 监管专业能力

随着行业的飞速发展，审评机构人员队伍原有知识体系无法覆盖新的科学机制和先进技术突破，就会存在中美双报的企业，选择在美国先申报，再进行中国申报的情况。对于新技术，尽管监管机构陆续出台指导原则，但需要更深理解技术才能更好地管控风险。审评部门应当通过开展双边或多边的国际合作，积极探索联合审评路径，充分利用国际审评资源，借鉴国际先进经验，共享监管科学成果，努力缩短新药上市与制药发达国家相比的延迟期，满足病患者未被满足的临床治疗需求。

## 监管队伍的可持续发展

在监管队伍的持续建设过程中，对于监管队伍的培训力度亟需加强，以提升监管审评团队疾病领域的专业性。目前存在部分审评员缺乏足够培训直接上岗的情况，对整体提升监管能力及长期监管队伍建设造成影响。从整体来看，审评员供不应求，需更高力度的培训保证高质量审评员的人才供给。

## 2 审评审批的部门协同

新药研发、注册和审评上市的全过程中涉及包括科技部、知识产权局、卫健委、医保局、海关在内的多个政府部门参与管理，临床试验中还涉及大量的临床试验机构、伦理委员会、药物临床试验机构办公室等，需要各方统一协调和科学管理。药监局是新药审评审批的主要监管部门，药监局及其下属的药审中心、中检院、核查中心、药典委，以及各省级药监部门都会参与不同环节的监管工作。在现有政府组织机构设置下，跨部门之间的沟通、中央与地方的协调联动、信息传递的透明度、责权的分配都尚待优化，效率提升潜力仍未完全释放。需要提高各部门之间的协同与合作，提供给申办方综合一致的反馈意见。项目管理员的专业能力也有待提升，以确保充分理解申请人的问题和准确反馈审评员回复。

建议各部委应积极形成对新药全球同步研发和注册上市比较一致的理解和认知，尽快落实监管事权划分，加强跨区域跨层级药品监管协同指导。可由药监部门牵头，跨部委合作简化和统一流程，尽量降低企业满足不同部委程序和要求成本。促进例如跨部门和机构的联席工作机制等，来提升监管效率，获得政府监管资源的高效协同。

## 3 监管现代化实践的国际交流能力

美国FDA一直致力于革新监管理念和监管机制，开创了一系列加速新药审批的机制，包括快速评审通道、优先评审权、突破性认证等，以优化药物审批流程、鼓励创新研究。过去三年，FDA又陆续推出新举措，旨在进一步推动新药审批的全球化进程和评审效率。中国监管机构需通过同欧美监管机构的直接交流，更好地了解审评政策背后的原因和考量，确保执行中的因地制宜，进而实现审评审批的国际化。

## 临床人才培养

### 1 学校教育

中国教育体系中对于临床研究人才的培养相对缺乏，尽管学校教育课程设置方面已有一些突破，包括新学科的设立（如临床研究方法学）和新课程的开设（如北京大学医学院2020年春季学期首次开设的《临床研究项目管理》课程），未来可考虑拓展到其它课程和更多院校。另外，临床人才培养的学校教育扩展可考虑临床研究护士课程。

除学校课程设置外，临床研究护士的职业发展路径与考核体系也需全面配套。包括在职称评定、继续教育、资格认证等方面提供机会，并打通相应晋升通道；并保证对于临床研究护士的考核维度同其临床研究工作内容强挂钩。

### 2 职业教育

可考虑在行业协会的牵头下，整合监管机构、高校、药企申办方、合同研究组织的能力，基于护理学院或者职业学校，通过融入实际案例的中高端职业教育和资质认定等方式培养临床研究专才。另外，可以通过行业中经验丰富专业性强的专家所组成的讲师队伍，开设相关专业课程，作为监管或临床人才培养的推荐途径。并用课程结业证书作为承担任务和职业晋升的考虑因素，提升监管和临床队伍的专业水平。

## 数字化管理和平台建设

临床研究数字化工具平台的建设需推动完善药物临床试验项目及其机构备案信息系统建设，加强临床研究全过程的数据追踪和临床数据的全面数字化监督管理，围绕流程、模板、节点的指标管理形成评价体系，促进持续的质量改进。

临床研究数字化工具平台的建设同时可助力探索新技术在临床研究点选择、受试者入组、去中心化临床研究中心、远程监查等维度的无限潜力，最终有效实现在整个临床研究过程中提高效率、最小化风险、优化结果。

此外，还需要通过平台化建设提升数据的连通性，以提高数据收集的效率（如考虑利用医院现有的电子病例系统来收集受试者基本信息，而非在临床研究中重复采集）。

## 第四章

# 构建多层次医疗保障体系

随着经济水平提升和老龄化加速，需要加大卫生健康事业的持续投入来实现健康目标，而医疗保障支出是卫生支出的关键组成部分，也是深化医药卫生体制改革的主要任务之一。国务院《关于深化医疗保障制度改革的意见》明确：“到2030年，全面建成以基本医疗保险为主体，医疗救助为托底，补充医疗保险、商业健康险、慈善捐赠、医疗互助共同发展的医疗保障制度体系”。多层次对应着多需求、多联动，也呼唤多部门、多维度的分工与协作。

纵观全球，商业健康保险在美国、德国、法国、澳大利亚等国均经历了较长（50-100年）的发展周期，并均通过法律和政策的不断迭代，逐渐优化制度规则，最终形成了现行的管理模式。商业健康险在中国的发展很难完全参照某个国家的模式，但不同国家的发展经验中存在的共性特征和规律，值得参考和借鉴。

第一，作为医保之外的重要筹资手段，商业健康险的保障范围也应是多层次的：包括补充层（对医保自付部分的补充和医保外部分的补充）、互补保障（提供高端服务等）与替代保障（作为医保的替代）。而补充层的覆盖和建设是实现“商业健康险”与“基本医保”有效衔接的关键，也是满足广大人民群众基本生命安全或生活水平的重要基础。目前中国商业健康险整体的保障水平不高，对补充层（医保外部分）保障较少且产品保短期不保长期。2020年开始，140余个城市推出的“惠民保”可谓是“补充型商业健康险”的有益探索，但结合“保费标准、参保条件、赔付标准”等多维度指标来看，快速扩张的“惠民保”在可持续性发展方面存在不确定性，距离建设多层次医疗保障体系的目标要求，仍有一定的优化和改进空间。

第二，基于商业健康险的“多层次”定位，成熟市场的经验显示，政府需要通过有效的鼓励和“强制”政策（如个人税优政策、对保险公司的优惠政策和风险补偿等），保障商业健康险对高风险人群（包括老年人、有既往病史的人群等）的覆盖，从而通过“看得见的手”和“看不见的手”有机协同，实现民生福祉和产业经济利益的平衡。而中国现阶段商业健康险产品，缺少对“高风险人群”的覆盖和保护，且在民众保险意识薄弱、商业健康险公司发展成熟度有待提高的大环境下，政策的出台很难直接对参保行为产生影响，产生“赔付风险”的管理偏差。

第三，各国政府对商业健康险的规范均以“立法”为前提基础，并在具体工作中采取“管办分开”模式提高管理效率。由于商业健康险的制度建立涉及跨行业、跨部门的联动，因此“立法”过程通常由国家高级决策机构牵头完成，并历经多轮修订逐渐完善，以明确商业健康险的保障范围、与基本医保的协作、鼓励政策、刺激或强制规范等；另一方面，在具体管理和监督过程中，通过多个行政部门（如卫生管理部门、医保管理部门、财政和金融管理部门等）的积极参与，在职责范畴内落实并监督具体法律条款执行。2021年6月，由国家医保局颁布的《医疗保障法（征求意见稿）》是中国在构建多层次医疗保障体系过程中的重要举措，尽管“征求意见稿”的内容仍需细化并完善，但“立法”探索的本身，是构建“面向国际”、“面向未来”、“面向人民健康”的多层次医疗保障体系建设的重要一步。



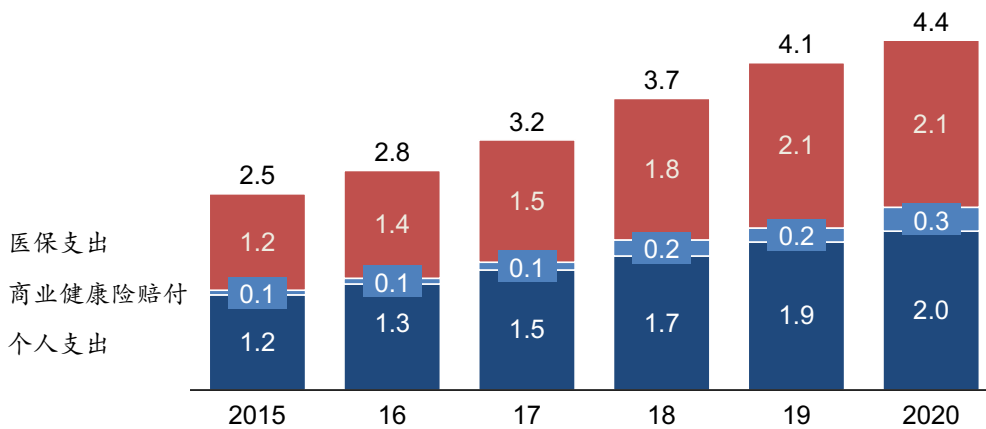
# 1 构建多层次医疗保障体系的背景

## 构建多层次医疗保障体系的重要性

2020年中国卫生总费用约7.2万亿元，其中直接医疗支出约为4.3万亿元<sup>26</sup>。针对直接医疗支出进一步的分析显示（图26），直接医疗支出中约2.3万亿为医疗保障体系支出（包括基本医保和商业健康险），占直接医疗支出的55%。2020年个人支出占直接医疗支出的45%，个人支出2015-2020年增长高达8000亿元。医疗保障作为深化医药卫生体

图26: 保障体系支出占比较低, 个人医疗支出过去五年增长近8000亿元

中国直接医疗支出<sup>1</sup>  
万亿元



1. 直接医疗支出定义为用于支付药品、医疗产品与服务的直接支出，不包括非医疗直接支出，如政府对医院和基层机构的财政补助（基本建设、设备购置、重点学科建设、人才培养、政策性亏损）、行政管理事务支出，计生事务支出，医保和商保结余，社会办医支出，社会捐赠援助等

资料来源：中国卫生健康统计年鉴；全国医疗保障事业发展统计公报；全国社会保险基金决算；中国银行保险监督管理委员会《保险业经营情况表》

制改革的主要任务之一，在保障人民群众健康方面发挥着重要的基础性作用，其中，构建多层次医疗保障体系是重要目标。《健康中国2030规划纲要》明确提出，要健全以基本医保为主体、其它多种形式补充保险和商业保险为补充的多层次医疗保障体系。2021年6月，医疗保障局公布《医疗保障法（征求意见稿）》，进一步从立法上明确“国家建立以基本医疗保险为主体，医疗救助为托底，补充医疗保险、商业健康保险、慈善医疗救助等相互衔接、共同发展的医疗保障制度体系”，从法律角度形成了构建多层次医疗保障体系的基石。

<sup>26</sup> 不包括非医疗直接支出，如政府对医院和基层机构的财政补助（基本建设、设备购置、重点学科建设、人才培养、政策性亏损）、行政管理事务支出，计生事务支出，医保和商保结余，社会办医支出，社会捐赠援助等

## 多层次医疗保障对于创新药产业持续发展的重要性

医药创新及产业发展的基础是长期、持续的药物研发投入。从药物研发的根本逻辑上看，一个创新药的完整生命周期可以分为开发期、市场导入期、成长期以及衰退期，这是创新医药产业发展的客观规律。由于创新药研发投入大，在典型的药品成熟市场中，成长期之前创新药的利润为负，随着创新药的销售额逐渐上升，直至成长期中段一款创新药才能达盈亏平衡点。因此，创新药需要在上市后的相当长时间内维持一个合理的价格水平，才能收回研发成本。

为了保证创新药物的合理价格水平，绝大多数发达国家在医保谈判中，以药品临床价值为导向进行支付定价，在药品生命周期的不同阶段采用不同的支付原则。其中在专利期采用多维度综合价值评估为主，而在仿制药上市后采用阶段性降价和竞争性比较。同时，对于社会医保覆盖不足的部分，商业医疗保险对于创新药的支付还会进行一定程度的“补充”。这使得创新药在国际市场能够在专利期内较长一段时间维持较高的价格水平，创新药企业实现了前期研发投入的回报，会持续有动力投入进行新一轮的创新研发。但在中国，随着创新药审批加速和医保目录动态调整，国家医保目录谈判产品中，市场上流通已久的“老药”逐渐被新上市的“创新药”取代，而这些创新药不仅对于中国市场是“全新”的，在国际市场上也是上市周期在3年以内的“新药”，正处在产业的“导入期”和“成长期”初期，需要合理的价格水平加以保护和激励。然而，由于医保谈判降价显著，同时中国的药品专利维持时间较短，创新药的成长期往往较短，经常过早地出现微利甚至亏损现象，药企难以有效弥补前期投入的高昂的研发成本；创新药“支付体系”无法形成有效的创新激励，无法对可持续的创新药物研发产生良性闭环。现有的医保体系在基金筹措方面上升空间受限，其支付能力受到多方掣肘；同时，考虑到商业健康险市场成熟度与主要发达国家市场仍有较大差距，支持创新药产业研发的生态闭环亟需得到“多层次医疗保障体系”和“多元医疗保障支付方”的支撑。

## 基本医保保障水平有限，需要商保进行补充

基本医疗保障制度的改革与发展为推动国民健康做出了卓越贡献，具体体现在四个方面：覆盖人口快速增加、筹资水平大幅度提高、保障范围逐步扩大、调整制度常规化。

过去数年，医保的人均筹资水平与经济发展速度高度相关。同时筹资水平也面临诸多挑战，如城镇职工医保的退休人员不缴纳费用，及城乡居民中个人缴纳部分较低，主要依靠财政补贴等问题。这意味着基本医疗保障水平不够充分的矛盾将长期存在，急需其它的筹资来源进行补充。

在中国构建多层次医疗保障体系的大背景下，商业健康险预计将成为推动“多层次医疗保障体系”的主要增长动力。在过去的5年间，商业健康险保费（包括企业补充医疗保险）收入从2015年的2411亿元，增长到了2020年的8173亿元，年增长速度达到28%，与基本医保筹资的比例从1:4.6上升至1:3.0，成为支持医疗保障体系建设的中坚力量。其主要驱动力量是消费者保险意识的显著提升，以及产品的多样化、规模化。

在2020年初，中国银保监会等13个部门联合发布的《关于促进社会服务领域商业保险发展的意见》中提出到2025年商业健康险保费规模力争超过2万亿元的目标。2021年9月国务院办公厅印发《“十四五”全民医疗保障规划》，规划强调建立更加完善的多层

次医疗保障体系，鼓励商业健康保险发展。未来中国经济发展持续增长将带来保险消费意识的持续提升，加上政府对商业健康险的高度重视，若保持约20%的年均增速，则在2025年就可以达到保费2万亿的目标。

以创新药为例可以看出医保保障水平的局限性。从2017年到2020年，国家医保覆盖的专利西药的数量从69个品种提升到90个品种（包括化药与生物药），国家医保对于专利西药的年支出从110亿元提高到370亿元，专利西药支出占国家医保药品总支出的比例也提升到了5%的水平，国家医保对于创新药支付的支持进一步提高了创新药的可及性。但总体来看，中国药品市场中创新药占比并不高。2018年按产品种类划分的处方药市场销售数据显示，专利药占中国药品市场金额的9%。目前欧美国家专利药占药品市场金额的比例已经达到了40%以上，土耳其、俄罗斯、墨西哥、巴西、印度尼西亚、南非等人均GDP与中国近似或低于中国的国家，其专利药占比也超过了20%。

## 2 商业健康险现状与挑战

过去十年中国商业健康保险行业高速发展，2019年实现保费收入8173亿元，2015-2020年复合年增长率达到28%。不同于早期经营寿险和财险的粗放经营理念，商业保险机构对健康险的经营管理也开始跳出传统经营思维，开始出现专业健康险公司。同时，产品也日益丰富，近年来积极探索百万医疗险、城市惠民保、长期医疗险等险种，提高商业保险的可选择性和保障力度。

从银保监会对商业健康险的险种分类来看，商业健康险主要包括疾病险、大病保险、医疗险、护理险和失能险。不同险种之间的保障内容、给付特点和保费水平皆有不同。

险种定义	给付特点	参保人规模 (2019年)	保费水平
<b>疾病险</b> 保险责任内被保险人发生特定重大疾病，由保险公司对所花医疗费用给予适当补偿的商业保险行为	一次性定额现金给付	约1.2亿人（60岁以下的健康群体为主）	约3500-4500元/年
<b>大病保险</b> 基本医疗保障制度的拓展和延伸，对大病患者发生的高额医疗费用给予进一步保障	非现金给付	大于10亿	约80元/年
<b>医疗险</b> 单位和个人自愿参加，保险公司对于责任内被保险人的医疗费给予补偿	只对实际产生的医疗费用提供一定比例报销	约2亿人（60岁以下的健康群体为主）	约50-2000元/年
<b>护理险</b> 对个体由于年老、疾病或伤残导致生活不能自理，需要在家中或疗养院治病医疗，并由专人陪护所产生的费用进行支付的保险	分多次定额现金给付	约4500万人（40-60岁群体为主）	约120-160元/年
<b>失能险</b> 以因保险合同约定的疾病或者意外伤害导致工作能力丧失为给付保险金条件，为被保险人在一定时期内收入减少或者中断提供保障的保险	据被保险人薪酬决定保额，分多次定额现金给付	/	据被保险人薪酬而不同

从目前各险种对医疗保障的程度来看，医疗保险是对被保人实际产生的医疗费用进行报销，且赔付率较重疾险更高，具有较为重要的医疗补偿作用。目前医疗保险的产品类别较多，包括政策型的大病医疗保险，由政府出资向商业保险机构购买，具有一定有强制

性；以及商业医疗保险部分，企业补充医疗保险、个人医疗险以及城市险为目前主要产品类别，以自愿投保为原则。

商业医疗险			
类别	企业补充医疗险	个人医疗险	城市险（惠民保）
总保费 (2019年)	~1000亿	~580亿	~10亿
覆盖人数	约1.4亿人	约1亿人	约2400万人
产品价格	~800-2000元/年少量万元以上产品	300~20,000元/年其中400元~2000元左右的百万医疗险是主要产品	~70-200元/年
赔付率	~70-85%	~35%	~20-100%（各地差异较大）
购买方	企业团体购买	个人购买为主	个人购买为主

注：由于存在部分人群拥有多个医疗险保障情况，因此三类医疗保险参保人数相加大于商业医疗险参保人数

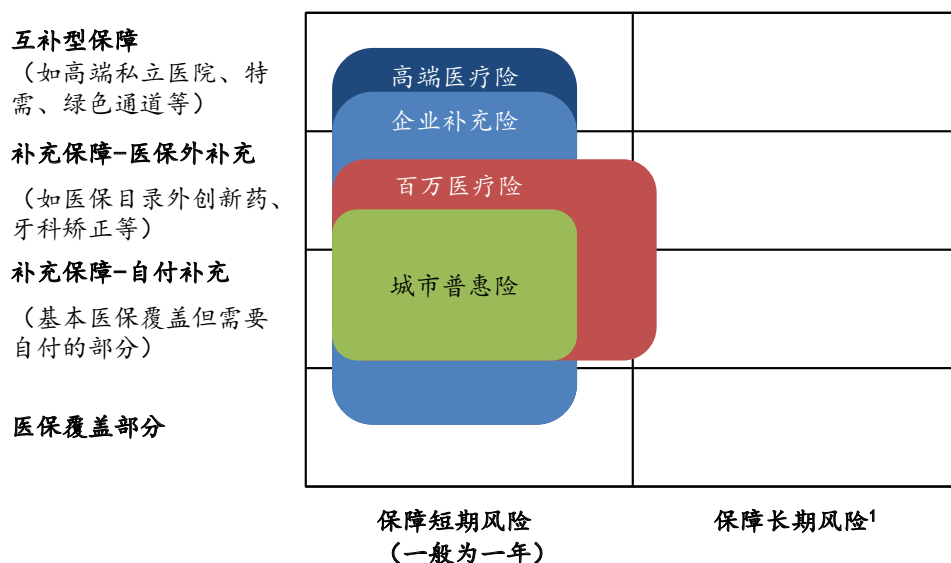
资料来源：中国百万医疗险行业发展白皮书，保险行业专家访谈

在高速发展的同时，中国商业健康险对比发达国家的政府管理机制、完备的产品体系和成熟的市场参与程度，还存在诸多挑战，具体表现在如下三大方面。

### 挑战1: 保障需求层次: 保障水平不高, 且责任边界不清晰

目前商业健康险总体保障水平和保障范围仍有不足，尤其在补充医疗层存在保障重叠、保短期不保长期、且与医保的划分边界不清等问题(图27)。

图27: 商业医疗险各险种与社保的覆盖范围对比



1. 近年来政府积极倡导长期商业医疗险发展，部分商业健康险企业推出长期保障型商业医疗险，但整体保费规模仍然较小  
资料来源：公开信息整理

## 商业健康保险保障水平和保障范围不足体现在：

**对补充医疗层的保障不足。**大多数商业健康险仅保医保内的药品，不保医保外药品。目前仅部分个人健康险、高端企业团险、及城市普惠险可支付医保外的药品，但这部分产品加在一起的赔付水平也仅占总健康险赔付额的5%左右，对补充医疗层的保障不足。

**保短期，不保长期。**目前商业医疗险以百万医疗险为代表的一年期保障产品为主，缺乏能够保长期、甚至保终身的医疗险。而对于大部分消费者，普遍担心的“大病负担”通常发生在远期，这使得消费者更倾向购买有储蓄属性的一次性给付疾病险产品。虽然2020年4月，中国银保监会发布《关于长期医疗保险产品费率调整有关问题的通知》，保险公司可以开发经营长期医疗保险产品，但从市场反馈来看，2020年全年的长期医疗险整体保费规模仅约28亿元，仍处于市场教育和探索阶段。

**对高端服务的保障不足。**目前大部分商业医疗险以保障医保范围内的个人自付部分为主，对私立医院、特需服务等高端服务保障不足，这使得医疗资源压力集中于公立系统，且多样化服务需求难以被满足。

**保障重叠，与医保边界不清。**大部分保险针对个人自付部分，高度重叠，如城市普惠险、百万医疗险均主要针对一定免赔额以上的个人自付部分。企业团险在门、急诊的报销上与城镇职工医保个人账户支付部分重叠，甚至产生因个人账户套现导致医疗服务滥用的“道德风险”。以百万医疗险产品为例，大多价格在300-700元，免赔额1-2万元，且产品间保障限额和保障范围大致相同，也因此造成产品无差异化，保险公司营销费用高企，客户难以理性选择等问题<sup>27</sup>。





---

<sup>27</sup> 李煜, 商业健康险发展的国际经验及启示, 改革与战略, NO.5,2018 VOL.34

## 挑战2: 保障人群覆盖: 高风险和带病人群参保困难

市场机制失灵问题初显，理赔高风险人群如广大老年人、患病人群、或亚健康人群（如肥胖、体检检出无症状结节等）很难参保商业健康险。而这部分人群恰恰是最需要得到保障的人群（图28）。

图28: 中国与部分国家对补充型商业健康险的覆盖与政策

		 中国商业医疗险	 德国医保外补充型商业健康险	 澳大利亚医保外补充型商业健康险	 法国自付保障型商业健康险
覆盖率		15%	21%	54%	96%
赔付率		58%	~70-80%	86%	76%
政策	保险公司	不排除既往症	仅惠民保、税优险等少量既往症可保	是	是
		保证续保	仅长期商业医疗险等少量承诺保证续保	否	否
	投保人	对提供“共济性”产品的保险公司给与优惠		否	是
		强制（半强制）投保	否		否
		对带病体/健康体投保的补贴/优惠		是	是

资料来源：中国银行保险监督管理委员会公开信息整理；欧洲保险业专家访谈；文献整理

目前绝大多数个人购买的商业健康险广泛使用“风险选择”措施对高风险人群拒保，降低未来的赔付负担，或者收取高额的保费使得该人群无法购买商保产品。最终，个人参保人群主体为健康人及年轻人，赔付率较低，仅为约33%，对整个医疗保障体系的贡献有限。而对于市场主体的一年期保险而言，一旦参保人在保障期内患病，就很难在第二年续保，更是无法产生持续的保障作用。大部分的企业补充险仅针对在职员工，员工退休后无法享受保障，而退休后又很难再次购买个人健康险产品，使得年轻人在退休之后的保障水平降低。大部分的城市普惠险允许患病人群参保，但对既往症的报销水平普遍更低。因此同样会存在新发患者在患病当年保障充分，但第二年保障水平降低的问题。

纵观国际经验，在自由市场中，商业健康险容易出现“市场机制失灵”的问题，保险公司主观筛选健康人群作为投保人，而忽略对最需要医疗保障的非健康和老年弱势群体的保障。在这样的情况下，政府通常在对商业健康险的规范中起到重要作用，确保人群的广覆盖和商业健康险机构的可持续发展。例如法国、德国和美国通过立法和政策倾斜对高风险人群进行补贴，澳大利亚通过保费折扣和对高收入人群半强制参保等鼓励健康人群参保，美国和德国规定保证续保等措施鼓励长期健康险的发展等。

### 挑战3: 城市普惠险发展的可持续性仍待时间检验

城市险由于“价格低”、“投保限制少”、“保目录外药品”等特点，受到地方政府、保险公司、制药企业以及民众的广泛瞩目。截止2021年7月底，城市险共推出140余款产品，覆盖26个省份。据测算，目前城市普惠险的参保人口已经达到约6000万人。相比既有的个人参保医疗保险产品（主要是百万医疗险），城市普惠险是在高风险、带病患者保障以及“基础补充层”保障的有益尝试。基本所有项目都允许带病人群参保，许多对既往症可以赔付，同时覆盖了人民群众最迫切需求的医保支付限额外报销和医保目录外报销，这两项花费的覆盖可以有效防止因病致贫情况发生，是对“基础补充层”的有效覆盖。

与此同时，城市普惠险的可持续发展也面临挑战：

**逆向选择问题：**城市普惠险因为保障的主要是大额支付的风险，因此通常设置较高免赔额（通常为1-2万元）。年轻的健康人在参保后很可能因没有得到赔付而降低续保的动力；反而是具有疾病和明确花费的带病人群会积极续保，使得城市普惠险也面临“死亡螺旋”的风险，赔付率不断攀升。

**保险公司经营积极性的问题：**部分城市政府对赔付率要求高，对保障责任要求高，而宣传力度不足，或缺失对保险公司超赔的风险补偿，使得部分保险公司面临亏损风险，长期经营的积极性下降。

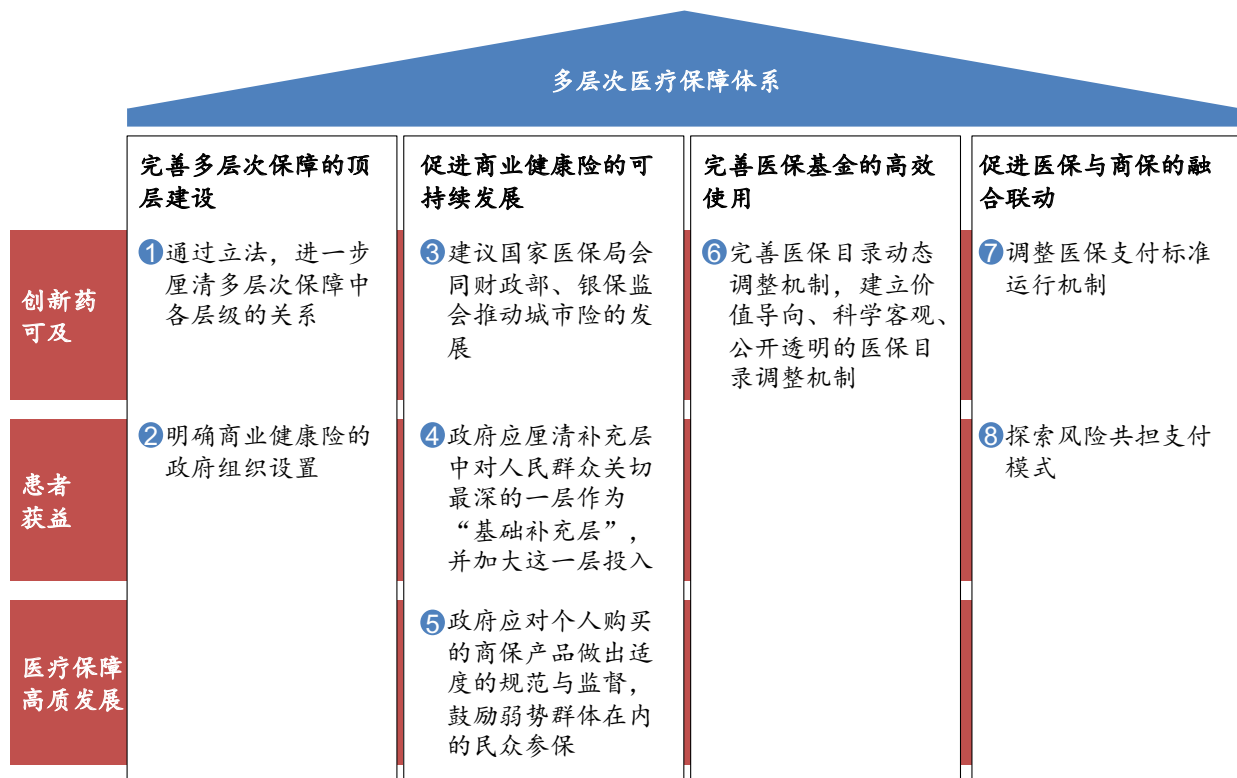
**保费规模有限：**目前城市普惠险的平均保费约70元/人（部分地方对老年人的保费有所提升）。这样的保费水平产生了对城市普惠险在的必要性的质疑，即是否可以直接通过医保多支出来解决。

政府应积极参与提升人民群众的风险互助和保险意识，鼓励健康人群持续参加城市普惠险，应对保险产品和赔付情况作出合理规范。同时，考虑到基本存在的地区间不均衡及整体保障不充分的情况，整体提升保障支出水平挑战较大，城市普惠险可以有效起到补充和铺路的作用。

## 3 多层次保障的政策建议

未来的多层次保障体系要能实现需要保障的人被保障、迫切需要的医疗内容可保障，真正解决目前医疗保障体系不够充分、平衡的矛盾。这需要政府完善多层次保障体系顶层设计、促进商业健康险的可持续发展、完善医保基金高效使用以及促进医保商保融合联动。同时，这样的多层次保障体系也将促进创新医药的可及性，支持创新医药产业的可持续发展，为居民的创新药需求提供保障（图29）。

图29: 多层次医疗保障体系政策建议



## 完善多层次保障的顶层建设

### 1. 通过立法，进一步厘清多层次保障中各层级的关系

划清医保的支付范围和支付水平边界，为商保明确发展空间。2020年发布的《深化医疗保障制度改革的意见》指出了多层次保障发展的大方向：到2030年，全面建成以基本医疗保险为主体，医疗救助为托底，补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助共同发展的医疗保障制度体系。医保应明确支付范围和支付水平，为商业健康险的发展划定清晰的空间。从具体实施上，建议加快出台《基本医疗保障待遇清单》等相关内容文件，规范医保支付范围和支付水平，以及未来调整的指导原则。以基本医保对创新药的覆盖为例，目前的动态医保目录调整机制还有待完善，建议建立价值导向的、规则透明的动态医保目录调整评审机制，使得未来基本医保可以准入的创新药范围更加清晰，商业健康险对未来所需覆盖的创新药产品更有可预测性。

商业健康险本身应覆盖多层次需求，应对各层次需求有明确界定。群众在基本医保覆盖的基础上，有着较为广泛的需求，包括对医保覆盖费用高的自付部分（起付线内部分、限额内自付部分、限额以上部分）、医保未覆盖费用，以及非医保定点医疗机构的费用。因此，商业健康险也应从需求出发，实现多元发展。考虑到消费者难以理解复杂的医疗保险条款，出现消费者与承保方“信息不对称”的问题。政府可以对不同层次的产品划清边界，对不同层次产品的保障内容进行一定的定义，增强产品的规范性和保障内容的可读性，提高百姓对商业健康险的认知和参与度。



将推动高风险人群和患病人群纳入商业健康险保障范围作为发展多层次保障体系的重要目标之一。纵观国际经验，众多国家的商业健康险允许高风险人群（如老年人）或带病参保人参保。正因为将这些高赔付风险的人群纳入到商业健康险保障范围，这些国家的商业健康险赔付率维持在70-85%左右，高于中国整体商业健康险赔付率，也高于个人医疗险赔付率。不仅将健康人纳入商业健康险覆盖范围，也将高风险人群和患病人群纳入，才能使得商业健康险真正为多层次医疗保障体系做出重要贡献。国际经验也显示，单靠自由市场商业健康险容易出现“市场机制失灵”的问题，使得高风险和带病人群难以得到覆盖，政府在推动这部分人群参与商业健康险的过程中起到关键的作用。

## 2. 明确商业健康险的政府组织设置

2021年6月15日，《医疗保障法（征求意见稿）》由国家医保局公布。“征求意见稿”首次以立法的形式对中国医疗保障体系进行了明确。对于商业健康保险，意见稿明确“国务院医疗保障行政部门会同有关部门规范商业健康保险管理，推进商业健康保险有序发展”。这也意味着从立法的角度，国家医保局和银保监会等有关部门将共同推动商业健康保险在多层次医疗保障框架之下的有序发展。未来双方对“数据交互”、“产品设计”、“产品推广”和“风险防范”等方面的职责和合作机制，应进一步得到明确。建议进一步明确不同国家行政部门在商业健康险市场中的职责。

- 国家医保局：明确医保支付范围和支付水平，为商业健康险留出空间。承担商业健康险边界制定的指导职责，对产品设计进行规范，尤其是推动“基础补充层”保障的扩大。同时应共享医保数据，帮助商业健康险提升精算能力。
- 银保监会：控制金融风险，保证商业健康险的可持续经营。规范经营行为，保障消费者权益。
- 财政部：会同国家医保局和银保监会制定针对商业健康险的各项优惠政策。
- 地方政府：承担推动当地商业健康险发展的职责。

## 促进商业健康险的可持续发展

### 3. 建议国家医保局会同财政部、银保监会积极推动城市普惠险的发展；地方政府发挥推动当地城市普惠险落地的作用

- 由国家医保局和银保监会共同对城市普惠险产品设计、赔付率提供指导意见
- 国家医保局出台政策，鼓励使用职工基本医保个人账户余额为个人或家人购买城市普惠险
- 地方政府将城市普惠险的发展规模纳入政府工作计划当中，将参保率等指标纳入各级官员目标中
- 地方政府承担对地方惠民保的推广职责，加大在公共宣传渠道的推广力度
- 地方政府对保险公司进行公开选择，对赔付率进行规范，同时对超赔风险进行补偿，保证合理盈利水平，保证保险企业积极性和城市普惠险的持续健康发展

### 4. 政府应厘清补充层中对群众关切最深的一层作为“基础补充层”，并加大投入提升这一层级的覆盖，使覆盖这一层级商业健康险的参保率达到至少30%。建议将临床价值高但未纳入国家医保目录的创新药作为“基础补充层”

建议政府在推动整个多层次医疗保障体系发展的过程中，首要着力推动这一“基础补充层”层级的覆盖。具体可有以下措施：

- 由国家医保局会同银保监会、卫生行政部门和相关社会团体开展课题研究，对补充层中具有迫切需求的层级覆盖范围进行界定，或提供界定的原则。
- 对于覆盖补充层的商业健康险，将这一覆盖人民群众迫切需求的“基础补充层”层级作为最低保障水平。
- 适度增加这一层级的财政支持，可以探索由财政、商业健康险共同出资的方式实施保障或对低收入人群进行补贴参与这类商业健康险，防止因病返贫。

#### **5. 在保证行业有序竞争、可持续发展的前提下，政府应对个人购买的商保产品做出适度的规范与监督，鼓励民众参保，扩大商业健康险风险池，使得高风险人群和带病参保人参保成为可能**

- 鼓励企业补充险的发展。加大对企业为员工购买补充医疗险的税收优惠力度，对目前企业补充险税前列支比例进行合理提升。鼓励企业补充险的保障范围扩充到医保外目录补充，尤其是针对需求较为迫切的“基础补充层”中的医保目录外需求。鼓励企业补充险覆盖员工家属的医疗保障。
- 完善税优型健康险的优惠政策。加大税收优惠力度，提高税优型产品的保障覆盖面。简化税优申报操作流程，降低投保人享受税优权益门槛。
- 鼓励长期健康险的发展。2020年的《中国银保监会办公厅关于长期医疗保险产品费率调整有关问题的通知》规定健康险保费可调，随后出台各项法规规范短期险的经营宣传，旨在划清长期险和短期限的边界，促进长期险的发展。建议对个人购买长期健康险实施税收优惠，促进参保人购买。同时，目前长期医疗险的保障期最高为20年，尚不能满足人民群众对长期风险的保障。建议银保监会会同国家医保局，利用国家医保局的赔付数据开展课题研究，对长期健康险的风险管控做出指导，实现长期健康险的终身化，鼓励更多年轻健康人参保。
- 探索对高收入人群购买商业健康险的半强制政策。参考国际经验，建议对个人未购买、或企业未为其提供补充医疗险的高收入人群征收额外的税收，鼓励高收入人群和其企业购买商业健康险。规定一定收入水平的人群必须购买健康险，其购买额度健康险的支出给予免缴个人所得税。
- 对低收入人群参保“基础补充层”商业健康险的提供补贴。参考国际经验，当商业健康险产品已经达到较大数量的参保人时，且其覆盖的主要是“基础补充层”产品，则政府可以为低收入人群提供补贴，鼓励这部分人群参保，获得较为基本的保障，此举一则提升整个社会获得感，二则扩大保险池，增强其抗风险能力。
- 对个人商业健康险产品的赔付率提出要求。出台相应政策配套对保险产品的背书和宣传，切实降低保险公司的营销成本。
- 鼓励建立保险数据共享平台，鼓励数据共享。对商业健康险覆盖的基础责任提出要求时，应提供数据共享，帮助保险公司提升精算能力，控制风险。

## 完善医保基金的高效使用

### 6. 完善医保目录动态调整机制，建立价值导向、科学客观、公开透明的医保目录调整机制

医保部门可基于创新药品的生命周期，建立更加公开透明、价值导向的医保目录调整评审机制。同时，对已在医保目录内产品及新纳入医保的产品要建立完善长效的综合价值评价体系，持续关注药品的安全性、有效性和经济性，并制定相应的目录调整方法。配合国家药监局收集副作用大、不良事件多甚至批文被撤销的药品信息并及时调出相应药品；针对有效性，会同国家卫健委与药监局要求进入医保谈判药物在续约谈判时必须提交不低于一定病例数的上市后临床试验证据或者真实世界证据，开展药品综合价值评估；对临床价值较低或不明确、易不合理用药的药品实行审评退出；针对经济性，医保局可组织后续评估创新药品进入医保目录后的使用情况，对高性价比的创新产品，制定政策，引导鼓励临床优先使用，替代临床低价值的产品，实现临床层面的“腾笼换鸟”，进一步提升基金使用效率。

## 促进医保与商保的融合联动

创新药具有较大的临床与社会价值，是人民群众较为迫切的医疗需求。同时，创新药的支付也是目前多层次保障面临的主要挑战之一。因此，医保与商保的融合可从创新药的支付方面进行探索与突破。

### 7. 调整医保支付标准运行机制

在目前的国家医保目录动态调整后，要求各级医院采购准入创新药的价格不得高于医保支付标准。此举使得创新药的医保谈判后市场价格基本等于医保支付标准，而过低的价格可能对产品的国际市场价格产生影响。这种影响不仅作用于跨国药企产品，也可能影响本土创新药企业的产品出海打开国际市场。因此，建议国家医保目录调整后，在保持医保支付标准保密的同时，允许实际市场价格高于医保支付标准，并鼓励将高于支付标准的部分纳入个人支付和商业健康险保障的范围。

### 8. 探索风险共担支付模式

在促进多层次医疗保障体系发展的背景下，在国家医保目录谈判中设立商保共付的风险分担机制，医保部门可在规范谈判测算流程与路径的基础上，探索“量价分担”以及“疗效对赌”等新模式，协同商业健康保险进行支付。引入商业保险分担风险需要患者、门诊及药房、药企、医保和商保五方协同共建，由医保和商保实施支付风险共担，由国家医保监测中心收集来自医院和药房的医保基金支出数据，在医保基金累计支出未达到风险点时，由医保进行支付；在医保基金累计支出超过风险点后，医保停止结算，由商保进行理赔，商保进行理赔实际上是由药企承担保费，在患者端，不影响患者报销行为。

总之，商业健康保险是国家社会保障体系中重要组成部分，对提升全民健康保障水平，满足不同层次的健康需求，推动社会经济和谐发展具有非常重要的积极意义。做好这一项工作，需要秉承“解放思想、实事求是”和“不忘初心、牢记使命”的理念，破除固有思维，不断适应中国经济发展和老龄化社会的演变规律以及人民群众对健康的需求变化，及时调整相关政策；在政府引领下，充分发挥市场的调节作用，使社会得和谐、人民获实惠、创新可持续，使商业健康保险真正发挥社会稳定发展的助推器的作用。

# 结语

在过去五年里，中国凭借创新生态系统的先进理念、自上而下大力推动的顶层设计、公平竞争且高度融合的创新企业，建立起了一个充满生命力的医药创新产业。展望未来五年，通过加强基础研究投入和能力，提升转化能力，可释放出更持久和更具有突破性的创新潜力，可帮助更多的中国创新惠及患者；通过优化完善监管审批、临床研究的政策机制，可进一步提升研发的效率和质量及与国际标准的融合；通过加强医药创新和支付报销、临床使用的三医联动，真正提高人民的健康福祉，同时确保创新药产业获得合理回报，可以对创新持续投入。更具全球竞争力的医药创新产业将推动中国经济的可持续发展，并助力实现构建“人类卫生健康共同体”的宏伟目标。

---

## 专家名单

### 毕井泉

全国政协经济委员会副主任、中国国际经济交流中心常务副理事长

### 郑秉文

中国社会科学院世界社保研究中心主任

### 李剑阁

孙冶方经济科学基金会理事长

### 熊先军

原国家医保局医药服务管理司司长

### 陈文玲

中国国际经济交流中心总经济师、研究员

### 顾雪非

国家卫生健康委医疗保障研究室主任

### Ke Liu

Former Associate Director of US Food and Drug Administration, Oncology Center of Excellence, Cell and Gene Therapy

### 李佳

中国科学院上海药物研究所所长

### 李宁

中国医学科学院肿瘤医院院长助理

### 沈琳

北京大学肿瘤医院副院长

### 吴一龙

广东省人民医院终身主任

### 纪立农

北京大学人民医院内分泌科主任

### 陆舜

上海交通大学附属胸科医院肿瘤科主任

---

**武阳丰**

北京大学临床研究所常务副所长

**李海燕**

北京大学第三医院药物临床试验机构主任

**王美霞**

北京大学第四临床医学院北京积水潭医院临床试验机构管理办公室主任、I期临床试验研究室主任

**张象麟**

沈阳药科大学亦弘商学院名誉院长

**邵蓉**

中国药科大学教授、国家药物政策与医药产业经济研究中心执行副主任

**肖瑞平**

北京大学未来技术学院院长、和其瑞医药联合创始人

**张翱**

上海交通大学药学院院长

**杨悦**

清华大学药学院研究员

**陈震**

郑州大学药学院教授

**朱铭来**

南开大学金融学院保险学系教授

**张伟**

中国药品监督管理研究会会长

**商敬国**

中国保险行业协会秘书长

**许重远**

中国药学会药物临床评价研究专委会主委



