

国际医药动态汇编

2025年12月份

目录

WHO	3
澳大利亚和印度尼西亚获得世卫组织列名监管机构资格	3
临床研究中的人类基因组学技术研究全景：1990-2024年报告	3
已获批生物制品变更的程序与数据要求指南（征求意见稿）	3
全民健康覆盖追踪：2025年全球监测报告	4
通过私营卫生部门参与推进全民健康覆盖和健康安全：会议报告	4
世卫组织发布全球GLP-1药物治疗肥胖指南	5
ICH	5
ICH细胞与基因治疗讨论组（CGTDG）战略建议报告	5
美国	5
《2026财年国防授权法案》签署生效	5
FDA	6
PDUFA拟收紧早期临床、孤儿药费用豁免等政策	6
FDA探索新的合同方式以推动公共卫生创新	6
FDA通过智能人工智能部署扩展人工智能能力	7
2025财年缺陷统计	7
SOPP 8404：立卷审查拒收程序	7
FDA认证首个AI药物开发工具，将用于“MASH”临床试验	7
FDA将减少药物及其他医疗产品批准所需的试验数量	8
欧盟理事会	8
“制药方案”：理事会与议会就欧盟制药行业实现更公平、更具竞争力的新规则达成协议	8
EMA	8
2024年儿科药品监管年度报告	8
合成肽的开发与制造指南	9
BIA	9
从创新到影响：解锁患者获得创新罕见病药物的途径	9

EFPIA	10
药物生命周期中的人工智能：初步案例研究与政策考量的洞见	10
欧盟高效SPC框架原则：迈向单一制SPC和集中SPC框架	10
FIERCE Pharma	10
特朗普政府将免除英国药品关税并增加制药投资	10
ITIF	11
《在全球市场捍卫美国科技》	11
PHARMABOARDROOM	11
2025年塑造制药与医疗保健的10个改变游戏规则的事件	11
医药魔方	12
全球创新药临床试验十年趋势洞察	12

WHO

澳大利亚和印度尼西亚获得世卫组织列名监管机构资格

世界卫生组织（WHO）正式承认澳大利亚和印度尼西亚的医疗产品监管机构为世卫组织列名监管机构（WLAs）。目前，全球WLA网络已涵盖来自39个国家的41个监管机构。WLA框架是世卫组织在全球加强监管体系和促进监管依赖的核心工作，包括通过世卫组织资格预审计划。通过使其他监管机构、国际机构和采购机构能够依赖WLA的决策，该框架有助于减少监管工作的重复，缓解供应瓶颈，加快基本药品和疫苗的获取。

原文链接：

<https://www.who.int/news/item/21-12-2025-australia-and-indonesia-achieve-who-listed-authority-status-in-medical-products-regulation>

临床研究中的人类基因组学技术研究全景：1990-2024年报告

根据报告，人类基因组技术在临床研究中的应用快速增长（注册研究超6500项），但存在严重的分布失衡：研究高度集中于高收入国家（占68%）和非传染性疾病领域（癌症与罕见病占75%以上），而低收入国家研究不足0.5%，传染病研究仅占3%。同时，儿童（4.6%）和老年人（3.3%）等特定人群代表性严重不足，性别多样性研究几乎缺失。这种不平等格局限制了基因组学在全球健康公平中的潜力，亟需加强中低收入国家基础设施投入、扩大研究覆盖的疾病谱和人群范围，并推动更具包容性的全球协作策略，以确保精准医疗的进步能惠及所有人群和地区。

报告链接：<https://iris.who.int/server/api/core/bitstreams/583f2eaa-cfde-465c-922c-fdd5a63c2a7f/content>

已获批生物制品变更的程序与数据要求指南（征求意见稿）

征求意见稿于12月24日发布，征求意见截至2026年1月30日。意见稿整合2013年与2017年分别发布的疫苗及治疗性生物制品变更指南，形成了一份统一的技术指导文件，为各国家监管机构建立或更新本国对生物制品上市后变更的监管要求提供全球性参考。因此，除了在WHO注册生物制品（尤其是疫苗）的企业，我国其他药企可参考其变更情形，也可对我国变更监管体系未来的动向有所

预期。本次修订显著加强了对监管协作的倡导，并引入了“信赖”（Reliance）与“认可”（Recognition）的定义。

原文链接：https://cdn.who.int/media/docs/default-source/biologicals/call-for-comments/guidelines.post-approval-changes.for-web-site.pdf?sfvrsn=88515e55_1

全民健康覆盖追踪：2025年全球监测报告

报告指出，全球服务覆盖指数从54升至71，因医疗支出陷入财务困难的人口比例从34%降至26%，但2015年后进展明显放缓，按当前速度，2030年目标无法实现——届时46亿人仍无法获得基本卫生服务，近1/4人口面临财务困难。传染病控制是服务覆盖改善的主要驱动力，而减贫是减少财务困难的核心因素。不平等现象依然突出：低收入国家进展最快但差距最大；农村地区财务困难率比城市高14%；最贫困五分之一人口中76%面临财务困难，而最富裕群体仅3.7%；药品支出占自付医疗费用的55%以上，是主要负担来源。报告呼吁加强初级卫生保健、扩大非传染性疾病服务覆盖、确保贫困人口免费医疗、强化预付费覆盖机制，并采取跨部门政策以应对财政紧缩、疾病负担加重和人口老龄化等挑战。

原文链接：<https://www.who.int/publications/i/item/9789240117815>

通过私营卫生部门参与推进全民健康覆盖和健康安全：会议报告

报告指出私营部门在全球卫生服务中占比高达40%-62%，但面临治理框架薄弱、数据缺失、公私部门缺乏互信等挑战。会议推出了WHO“进展路径”工具，包含战略制定、利益相关方赋能、数据建设、关系协调等六项治理行为，旨在帮助各国评估和强化对混合卫生系统的治理能力。来自加纳、埃及等国的案例展示了公私合作（PPP）在改善服务可及性、优化卫生人力和供应链方面的实践经验。会议强调政府需发挥主导作用，通过监管、购买机制和创新政策引导私营部门，同时呼吁WHO、多边开发银行及私营部门共同参与，特别是在脆弱和冲突环境中加强合作，最终形成《开罗声明》，提出具体行动框架以加速实现2030年UHC目标。

原文链接：<https://www.who.int/publications/i/item/B09454>

世卫组织发布全球GLP-1药物治疗肥胖指南

世卫组织的新指导包含两项关键的有条件的建议：① GLP-1疗法可被成年人使用，但不包括孕妇，用于长期肥胖治疗。尽管这些疗法在治疗肥胖及改善代谢及其他结局方面的疗效已显而易见，但由于其长期疗效和安全性、维持与停用、当前成本、医疗系统准备不足以及潜在的公平影响，建议具有条件性。② 针对肥胖患者，可能会提供强化行为干预，包括包含健康饮食和体育活动的结构化干预，并可接受开具GLP-1治疗的处方。这一结论基于低确定性证据，表明它可能提升治疗效果。

原文链接：<https://www.who.int/news/item/01-12-2025-who-issues-global-guideline-on-the-use-of-glp-1-medicines-in-treating-obesity>

ICH

ICH细胞与基因治疗讨论组（CGTDG）战略建议报告

CGTDG聚焦CAR-T细胞和AAV载体等相对成熟的ATMP类型，评估了现有ICH质量（Q）、安全性（S）、有效性（E）和多学科（M）指南的适用性，并基于风险方法提出了优先议题的战略路线图，包括：制定ATMP长期随访新指南、在Q5E中增加可比性附录、在Q11中增加开发与制造附录、制定新的非临床评价S指南、在E8中增加早期临床试验附录，以及为Q5A(R2)增加病毒安全性附录等。这些建议旨在建立协调统一的全球标准，同时承认ATMP的复杂性、多样性和快速技术演进需要灵活替代方案，以支持这一变革性疗法的开发、监管和可及性。

原文链接：https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_CGTDG_RecommendationPaper_2025_1201_MCEndorsed_2025_1117.pdf

美国

《2026财年国防授权法案》签署生效

12月18日，美国总统特朗普签署《2026财年国防授权法案》（National Defense Authorization Act for Fiscal Year 2026，“NDAA 2026”），该法案正式生效。NDAA 2026在生物技术和人工智能领域设定了多项限制性条款，意在技术发展的源头构建“防火墙”。生物技术领域，将中国在美国及全球获取生物数

据的行为定义为国家安全威胁；人工智能领域，要求美国国防部及其承包商从系统和设备中移除特定中国公司开发的人工智能模型；供应链方面，要求美国国防部在2026至2029财年分阶段实施对中国实体所有或控制的计算机、打印机的100%采购禁令。

新闻链接：<https://www.lexology.com/library/detail.aspx?g=ef0d86d7-0dfe-4a94-a184-50fa1d58e208>

FDA

PDUFA拟收紧早期临床、孤儿药费用豁免等政策

FDA公布了多份《PDUFA VIII》授权谈判会议纪要，讨论的事项包括：①避免孤儿药将适应症扩大到非孤儿药适应症领域却依然保留豁免年度项目费的资质，FDA提出后续适应症扩大的补充申请必须缴纳申请费，且取消豁免年度项目费用的资格；②将未在美国开展Ⅰ期临床试验的申办方征收年度费用的节点前移，由上市申请阶段收费提前至IND阶段收费，为了促进美国本土药物研发和生产；③收紧小企业费用豁免的资格门槛，限制为“位于美国本土的企业”；④行业谈判代表建议剔除或限制多项历史上导致费用自动上涨的机制，尤其是“能力规划调整”（根据预测的工作量自动增加FDA人员配置资金）。

参考链接：<https://www.fda.gov/industry/prescription-drug-user-fee-amendments/pdufa-viii-fiscal-years-2028-2032>

FDA探索新的合同方式以推动公共卫生创新

FDA发布了信息征求请求（RFI），征求风险投资公司就开发一种新的合同方式以加强该机构与美国最具创新力企业之间的合作提供意见。该模式与合格的风险投资公司建立直接关系，使拥有经批准公司投资组合的公司能够竞争并获得任务订单。这些合作可支持FDA的广泛活动，包括研究、技术部署和监管创新。今天的RFI要求就参与企业的资格标准、财务和行政考虑、知识产权保护以及监管合规框架等主题提供反馈。

原文链接：<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-explores-new-contracting-approach-advance-public-health-innovation>

FDA通过智能人工智能部署扩展人工智能能力

FDA宣布，已为所有机构员工部署代理型人工智能能力。智能人工智能能力将使创建更复杂的人工智能工作流成为可能——利用各种人工智能模型——协助多步骤任务。

原文链接：<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-expands-artificial-intelligence-capabilities-agentic-ai-deployment>

2025财年缺陷统计

2025财年药品、生物制品、医疗器械的483缺陷相比于前几个财年均有所增加。设备、实验室控制、记录和报告、生产及工艺控制仍然是历年占比较高的缺陷类别，其中设备相关缺陷呈现明显上升趋势，从2013年的约10.5%逐步增长至2025年的16.9%。此外，机构人员相关缺陷近年来也有上升趋势，体现了药监部门对质量部门职责的关注，而厂房设施、原辅料等类别占比相对较低且波动不大。

参考链接：<https://mp.weixin.qq.com/s/fTQ9LsDzvkXFU9O4DBXSxw>

SOPP 8404：立卷审查拒收程序

该程序明确了生物制品审评与研究中心（CBER）对生物制品许可申请（BLA）、新药申请（NDA）及相关补充申请进行立卷审查拒收（RTF）的标准操作，以避免因审查不完整申请而造成审评资源浪费。政策部分明确了RTF的三大判定依据：行政信息不完整、科学不完整及信息组织缺陷。指南特别提及，FDA允许PDUFA项目申请人在申请前会议中约定次要部分于30天内补交，但补交部分逾期也可能面临RTF。

原文链接：<https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/guidance-compliance-regulatory-information-biologics/biologics-procedures-sopps>

FDA认证首个AI药物开发工具，将用于“MASH”临床试验

FDA已对首个AI药物开发工具（DDT），基于AI的NASH组织学测量工具（AIM-NASH）授予资格认定。该工具帮助病理学家在临床试验中评估代谢功能障碍相关脂肪性肝炎（MASH）的疾病活动度。这是一款基于云端的工具，可辅

助病理学家对肝活检样本的各项指标进行评分，包括脂肪浸润（脂肪变性）、炎症（肝细胞气球样变和小叶炎症）以及瘢痕（纤维化）分期。

原文链接：<https://www.fda.gov/drugs/drug-safety-and-availability/fda-qualifies-first-ai-drug-development-tool-will-be-used-mash-clinical-trials>

FDA将减少药物及其他医疗产品批准所需的试验数量

2025年12月，FDA局长 Marty Makary 宣布了一项酝酿中的足以改变美国药品审批体系的政策调整：将过去沿用60多年的“新药审批必须至少由两项充分且良好对照试验支持”的标准，改为默认情况下，一项关键性临床试验即可作为审批依据，是否需要第二项试验，将由审评部门根据个案另行决定。

原文链接：<https://friendsofcancerresearch.org/news/stat-fda-to-lower-number-of-trials-required-for-approval-of-drugs-other-medical-products/>

欧盟理事会

“制药方案”：理事会与议会就欧盟制药行业实现更公平、更具竞争力的新规则达成协议

主要内容包括：新药享有8年数据保护期以及1年的市场保护；引入可转让独家券激励开发抗生素对抗耐药性+1年市场保护；上市许可持有人须制定并定期更新短缺预防计划，提前至少6个月通知潜在短缺情况；简化EMA现有监管结构和程序。

原文链接：<https://www.consilium.europa.eu/en/press/press-releases/2025/12/11/pharma-package-council-and-parliament-reach-a-deal-on-new-rules-for-a-fairer-and-more-competitive-eu-pharmaceutical-sector/>

其他参考：<https://mp.weixin.qq.com/s/V785p3o6L8dfDBdMZIKyWg>

EMA

2024年儿科药品监管年度报告

本文是欧洲药品管理局（EMA）向欧盟委员会提交的2024年度儿科药物法规执行报告，主要内容包括：（1）奖励与激励措施受益情况 —— 2024年共有71种活性物质（包括固定剂量复方）获得6个月补充保护证书（SPC）延期，7

种孤儿药获得2年市场独占期延长，1个儿科专用药（Neoatricon）获批上市；（2）违规行为——当年存在47项儿科研究计划（PIP）和37项豁免申请提交延迟超6个月且无正当理由，26项PIP未在约定日期（2024年6月30日）前完成且无有效延期说明，5家公司未按时提交PIP延期研究进展的年度报告，相关违规企业名单均已列入报告附件。

报告链接：https://health.ec.europa.eu/latest-updates/2024-annual-report-paediatric-medicines-regulation-2025-12-18_en

合成肽的开发与制造指南

本指南作为补充，专门针对合成多肽的生产工艺（如固相肽合成、片段缩合）、表征、质量标准和分析控制提出了具体要求。指南明确不适用于通过重组技术生产的生物制品、放射性药品以及含有肽的放射性标记产品。但对于用于放射性药品或其前体的合成多肽，其合成和起始物料的相关要求应参照本指南。

原文链接：<https://www.ema.europa.eu/en/development-manufacture-synthetic-peptides-scientific-guideline>

BIA

从创新到影响：解锁患者获得创新罕见病药物的途径

英国罕见病患者获取创新药物的途径严重滞后：尽管科研实力领先，但监管审批到临床应用的系统碎片化、效率低下，导致英国罕见药可及性从欧洲第二降至第十，仅50%的欧盟批准药物能在英国上市。核心问题在于诊断延迟、卫生技术评估（HTA）方法僵化、证据标准不统一及NHS采纳缓慢。为此，报告提出四大改革方向：建立MHRA与NICE的早期联合对话机制并改革早期准入计划；优化NICE评估框架以反映罕见病的长期和社会价值，同时设立卫生部主导的替代审批路径；任命国家罕见病临床总监并建立NHS诊疗中心网络；设立政府罕见病倡导者并更新国家战略框架。

原文链接：<https://www.bioindustry.org/resource-report/uk-cell-and-gene-therapy-driving-efficiencies-and-innovation.html>

EFPIA

药物生命周期中的人工智能：初步案例研究与政策考量的洞见

这份报告通过深度访谈多家主要制药公司，系统分析了AI在药品全生命周期（从研发到上市后监测）的应用现状与治理实践。基于四个真实案例研究——病理图像生物标志物分析、合成数据生成、研发质量监管和药物警戒文献筛选——识别了行业已实施的关键治理措施：早期跨职能规划、数据质量与偏差控制、模型可解释性与透明度平衡、部署前验证及持续监控等。研究发现，多数AI应用可通过现有GxP框架有效监管，无需全新路径，但需强化AI特定控制。报告向EMA和欧盟委员会提出五项核心政策建议：明确AI法案研发豁免范围、鼓励行业-监管迭代对话、采用动态指导文件、促进国际监管协调、将AI监督整合进现有审评流程。

原文链接：<https://www.efpia.eu/media/ra4j2vll/ai-across-the-medicines-life-cycle.pdf>

欧盟高效SPC框架原则：迈向单一制SPC和集中SPC框架

EFPIA呼吁欧盟建立统一高效的补充保护证书（SPC）框架以提升欧洲制药领域竞争力。文件提出四大核心原则：一是设立中央审查机构（CEB），建议由欧洲专利局（EPO）统一负责单一SPC（uSPC）和国家SPC的审查与授予；二是由统一专利法院（UPC）集中处理无效请求和上诉，确保司法统一性；三是采用高效、可预测的授权程序，反对增设授权前异议环节；四是推动uSPC体系与国家SPC程序改革协调同步。EFPIA强调，该框架必须在法律上确保绝对确定性，并与现有统一专利制度保持一致，方可充分发挥欧洲统一专利体系的潜力，促进创新药研发投入。

原文链接：<https://www.efpia.eu/media/cqpmf0tg/principles-for-an-effective-spc-framework-in-the-eu.pdf>

FIERCE Pharma

特朗普政府将免除英国药品关税并增加制药投资

美国政府公布了与英国达成的一项原则性协议，该协议将「豁免英国原产药品、药品成分和医疗技术」免受美国政府针对特定行业的关税征收。根据英国政

府发布的另一份声明，药品及相关产品的关税豁免将至少持续三年。此外，美国贸易代表办公室、商务部和卫生与公众服务部（HHS）在12月1日的联合新闻稿中表示，美国已同意“在特朗普总统任期内，未来任何第301条款调查中避免针对英国的药品定价行为”。作为交换，英国将将其国民医疗服务体系（NHS）为新疗法支付的净价提高25%。

原文链接：<https://www.fiercepharma.com/pharma/trump-administration-looks-trade-deal-setting-uk-drug-tariffs-zero>

ITIF

《在全球市场捍卫美国科技》

该报告主要指出：欧盟等国通过“非关税攻击”(NTAs)系统性地打击美国科技公司；NTA不是合法的税收和监管，而是针对美国领先科技公司的歧视性运营约束和收入提取工具；美国的战略创新由大型私营企业推动。对它们的歧视性攻击侵蚀了美国的工业基础，削弱了其技术领导地位和全球竞争力，因为资金被转移出研发领域；随着美国企业受到这些攻击的阻碍，中国的国家支持的主力在全球市场无人挑战地扩张，抓住了美国正在失去的竞争优势；因此，华盛顿必须将NTA视为对美国技术领导地位的紧迫威胁；这需要系统追踪其影响，将其提升为贸易谈判的最高优先事项，并通过协调外交、贸易执法和报复来应对。

原文链接：<https://itif.org/publications/2025/12/01/defending-american-tech-in-global-markets/>

PHARMABOARDROOM

2025年塑造制药与医疗保健的10个改变游戏规则的事件

① “最惠国待遇”定价加速；② “在美国建成”：制药业跟风；③FDA领导层陷入混乱；④首个万亿美元制药公司；⑤GLP-1硬币的另一面；⑥法国—全民医疗的全球领导者，终于通过预算案，但体系依然承受压力；⑦欧盟联合临床评估将于一月启动；⑧沙特阿拉伯聚焦细胞与基因疗法；⑨ 非洲药品管理局终于有了主任：非洲的获取接下来该怎么办；⑩香港生物科技上市反弹，中国生物科技公司居前列。

原文链接：<https://pharmaboardroom.com/articles/10-game-changing-events-that-shaped-pharma-healthcare-in-2025/>

医药魔方

全球创新药临床试验十年趋势洞察

本报告聚焦创新药临床试验，以系统梳理全球临床试验趋势为起点，呈现全球创新药临床试验的结构性变迁，并对比观察中外企业研究布局差异。同时，通过量化分析中国临床试验的效率指标、能力资源、全球参与度，解析中国在新药临床开发中的能力演进、结构分化与战略机遇。

报告链接：<https://bydrug.pharmcube.com/report/detail/8c7d8b2debc64daf91c72997e345fdc2>

中国医药创新促进会研究部整理

2026.1.4