

国际医药动态汇编

2025年9月份

目 录

WHO	2
世卫组织更新基本药物清单和儿童基本药物清单	2
FEDERAL REGISTER	2
2026财年使用优先审评券的费率	2
FDA	2
指南：E6（R3） 良好临床规范（GCP）	2
FDA 推出《罕见病证据原则（RDEP）》	3
替代工具：评估待处理申请中确定的药品生产设施	3
指南草案：CGT产品的上市后安全性和疗效数据采集方法	3
指南草案：针对严重疾病的再生医学疗法的快速计划	3
指南草案：针对小规模人群的细胞和基因疗法产品临床试验的创新设计	4
EMA	4
2022 - 2025年CTR过渡期临床试验报告	4
2021-2023 跨境医疗趋势报告	5
从EMA的经验中学习：过去十年上市许可申请中常见的CMC缺陷	5
MHRA	5
《国际认可程序》	5
ICH	6
ICH M14：使用真实世界数据进行药物安全评估的非介入性研究的规划、设计、 分析和报告的一般原则	6
CIRS	6
简报—跟踪全球六大主要市场获批药品在中国的供应情况	6
EFPIA	6
报告：癌症药物的变革价值	6
PhMRA	7
340B 医院加价计划正在给纳税人和雇主带来数十亿美元的损失	7
ITIF	7
报告：削减联邦研发如何降低GDP增长	7

WHO

世卫组织更新基本药物清单和儿童基本药物清单

世界卫生组织（WHO）发布了其基本药物（EML）和儿童基本药物（EMLc）模型清单的更新版本，增加了针对各种类型癌症和糖尿病以及肥胖等相关合并症的新疗法。治疗囊性纤维化、牛皮癣、血友病和血液相关疾病的药物是其他补充。EML 中增加了 20 种新药，EMLc 中增加了 15 种新药，以及 7 种已上市产品的新使用适应症。更新后的清单现在包括总共 523 种成人基本药物和 374 种儿童基本药物，反映了最紧迫的公共卫生需求。

原文链接：<https://www.who.int/news/item/05-09-2025-who-updates-list-of-essential-medicines-to-include-key-cancer--diabetes-treatments>

FEDERAL REGISTER

2026财年使用优先审评券的费率

9月18日，FDA通过联邦公告发布通知，正式确定2026财年使用优先审评券（Priority Review Voucher, PRV）的费率为1,962,472美元。该费率自2025年10月1日起生效，有效期至2026年9月30日。

原文链接：<https://www.federalregister.gov/documents/2025/09/18/2025-18075/fee-rate-for-using-a-priority-review-voucher-in-fiscal-year-2026>

FDA

指南：E6（R3） 良好临床规范（GCP）

美国食品和药物管理局宣布推出题为“E6（R3） 良好临床实践”的行业最终指南。此次修订采用了灵活的、基于风险的方法，并采用了试验设计、实施和技术方面的创新。ICH E6（R3）的主要更新包括：提高灵活性，以支持广泛的现代试验设计、数据源和技术；在试验实施和监督中推进质量源于设计和基于风险的质量管理；明确申办者和研究者的责任；在整个临床试验生命周期中促进相称性、相关性和批判性思维。

原文链接：<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/e6r3-good-clinical-practice-gcp>

FDA 推出《罕见病证据原则（RDEP）》

该原则提出是为了促进罕见病药物审评审批，尤其针对患者群体极小、存在重大未满足医疗需求以及已知基因缺陷为主要病理生理驱动因素的罕见病。符合一定条件的药物申办方可以在关键试验启动前的任何时间点申请RDEP流程，但值得注意的是，RDEP独立于孤儿药资格认定。

原文链接：<https://www.fda.gov/industry/fda-rare-disease-innovation-hub/cdercber-rare-disease-evidence-principles-rdep>

替代工具：评估待处理申请中确定的药品生产设施

本指南向申请人提供了有关 FDA 打算如何使用替代工具来评估上市申请中确定的药品生产设施的信息（新药申请（NDA）、简略新药申请（ANDA）、生物制剂许可申请（BLA）或任何这些类型申请的补充）。指南中提到的替代工具包括比较系统的远程监管评估，也包括索要记录和远程互动评估，以及通过互认协议向外国监管合作伙伴索要信息。

原文链接：<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/alternative-tools-assessing-drug-manufacturing-facilities-identified-pending-applications>

指南草案：CGT产品的上市后安全性和疗效数据采集方法

鉴于CGT产品具有持久效果的潜力，以及为支持CGT产品批准而进行的临床试验中接受治疗的受试者数量普遍有限，因此批准后监测对于收集有关产品安全性和有效性的数据非常重要。指南阐述的4种方法：使用RWD和RWE、电子健康记录、使用患者登记数据库、去中心化数据收集。

原文链接：<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/postapproval-methods-capture-safety-and-efficacy-data-cell-and-gene-therapy-products>

指南草案：针对严重疾病的再生医学疗法的快速计划

该指南提供了有关《21世纪治愈法案》中有关对已被指定为 RMAT 的再生医学疗法使用加速批准途径的规定的信息。最后，该指南描述了再生医学疗法临床开发

中的考虑因素，以及此类产品的申办者与生物制品评估和研究中心（CBER）审查人员互动的机会。

原文链接：<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/expedited-programs-regenerative-medicine-therapies-serious-conditions-0>

指南草案：针对小规模人群的细胞和基因疗法产品临床试验的创新设计

本指南为计划对细胞和基因治疗（CGT）产品进行临床试验的申办者提供了建议，这些产品旨在用于影响少数人群的疾病或病症，通常是符合 FD&C 法案第 526（a）（2）条（21 U.S.C. 360bb（a）（2）中罕见疾病或病症定义的疾病或病症）。在该指南中，FDA给出申办方可以考虑的六种创新临床试验方法（并非穷尽）：1）单臂试验，利用受试者自身作为对照；2）疾病进展模型；3）外部对照研究；4）适应性临床试验设计；5）贝叶斯试验设计；6）主方案设计。

原文链接：<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/innovative-designs-clinical-trials-cellular-and-gene-therapy-products-small-populations>

EMA

2022 - 2025年CTR过渡期临床试验报告

2022至2025年三年过渡期内，欧盟临床试验法规（CTR）取代原指令（CTD），依托统一信息平台CTIS，共接收10,608项申请，整体授权率达98.4%；其中约六成单国、四成全球多中心，月度新申请约200个，肿瘤、神经及免疫疾病为热门领域，罕见病试验占近三成，ATMP、器械及低干预试验同步增长，各成员国参与度显著提升，系统高效透明，2025年1月底顺利完成过渡，CTIS成为欧盟临床试验唯一入口，奠定了未来一体化、高效率的临床研究基础。

原文链接：<https://www.ema.europa.eu/en/news/new-targets-clinical-trials-europe>

2021-2023 跨境医疗趋势报告

该报告汇总 27 国数据：疫情后跨境就医申请迅速回升，无需事先授权的报销占 96% 且花费 4.47 亿欧元；法国、德国、西班牙是主要目的地；整体支出不足各国卫生总费用的 0.02%，显示跨境医疗规模仍小但持续复苏。

报告链接：https://health.ec.europa.eu/document/download/22520255-bb91-4896-8266-b150d749b900_en?filename=cbhc_2021-2023_trend-report_en.pdf

从EMA的经验中学习：过去十年上市许可申请中常见的CMC缺陷

本文系统回顾了2013、2018与2023三年间EMA通过集中程序审评的240件上市许可申请（MAA）中，质量部分（CMC）引发的主要异议（MOs），发现2023年平均每品种MO升至2.3条，缺陷热点随监管科学演进从“化学药起始物料”转向“制剂控制（溶出、亚硝酸胺）”和“药-械组合NBOp”，而生物药异议集中于工艺与相似性论证；作者指出及时跟进ICH/EMA指南可显著降低异议数量、缩短审评时间并加速患者获得安全优质药品。

原文链接：<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1359644625001576?via%3Dihub>

MHRA

《国际认可程序》

英国MHRA更新《国际认可程序》（International Recognition Procedure, IRP）指南。该程序取代了之前的欧盟委员会决策信赖程序，并将互认/分散信赖程序纳入IRP的范畴。

官网链接：<https://www.gov.uk/government/publications/international-recognition-procedure>

ICH

ICH M14: 使用真实世界数据进行药物安全评估的非介入性研究的规划、设计、分析和报告的一般原则

指南明确适用范围是针对药品上市后安全性评价的非干预性研究，不涵盖仅依赖国家或地区常规自发报告的药物警戒研究、任何涉及治疗分配的研究（无论是随机对照、单臂、实用性还是外部对照）、主要涉及用户生成健康数据（user-generated health data）的研究以及评估风险最小化计划（RMP）有效性的研究等。

原文链接：[https://database.ich.org/sites/default/files/ICH Step 4 Presentation Final 2025 0903 0.pdf](https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_Step_4_Presentation_Final_2025_0903_0.pdf)

CIRS

简报—跟踪全球六大主要市场获批药品在中国的供应情况

简报的主要结论：中国的NMPA批准时间与其他机构相当（中位数为390天，见下图）；提交策略各不相同：FDA 通常是第一位，而中国通常是最后——尽管一些公司现在优先考虑较早的中国提交；25 个国际化 NAS 中有 11 个在两到三年内提交给所有七个机构，而 6 个 NAS 在一年内实现了全面全球提交；25家国际化NAS中有12家获得NMPA优先审评；四项获得有条件批准，两项被指定为突破性疗法；四种 1 类 NAS（定义为尚未在全球任何地方获批的创新化工新药）已提交给 NMPA，比首次全球获批早了 151 天。

原文链接：<https://cirsci.org/publications/cirs-rd-briefing-102-tracking-availability-in-china-of-medicines-approved-in-six-key-global-markets/>

EFPIA

报告：癌症药物的变革价值

该报告强调，付款人、卫生系统和财政部之间的孤立思维导致欧洲政府大大低估了新肿瘤治疗的真正影响。报告显示，癌症护理的进步显著改善了多种癌症的预后，减轻了医疗保健系统的经济压力，推动了经济增长，并创造了超出其直接成本的价值：为额外的100万质量调整生命年（QALY）做出贡献，这代表了从癌症护理、

诊断和治疗的进步中获得的健康寿命；药物创新推动的健康收益总价值达292亿欧元，凸显了投资癌症进步带来的巨大社会回报；为欧洲经济带来 537亿欧元的总增加值（GVA）；通过对肿瘤学的投资，在欧洲的研发领域创造了 49,400个就业机会。

报告链接：https://dolon.com/wp-content/uploads/2025/09/EOP_Investment-Value-of-Oncology-Medicines-White-Paper_2025-09-19-vF.pdf?x47745

PhMRA

340B 医院加价计划正在给纳税人和雇主带来数十亿美元的损失

原本专为安全网医院减负的340B计划已膨胀为年获利650亿美元的加价机器，参保医院以2倍于非340B医院的药价销售，导致联邦政府2023年损失140亿美元、各州医保多支65亿美元、雇主药费年增66亿美元，并促使医生为Medicare患者多用贵药；若按现行扩张速度，340B将在2027年超越Medicare Part D成为最大联邦药物项目，进一步挤占教育等公共预算。

原文链接：<https://phrma.org/resources/the-340b-hospital-markup-program-is-costing-taxpayers-employers-billions>

ITIF

报告：削减联邦研发如何降低GDP增长

邦对研发的投资推动了美国的创新、生产力和经济增长。虽然削减研究经费可能会在短期内节省纳税人的钱，但从长远来看，它会产生更大的成本。将联邦研发削减20%，而不是保持投资占GDP的比例不变，将在10年内减少 6200 亿美元的支出，但这将使经济萎缩近1万亿美元，税收收入减少近2500亿美元。中国正在迅速扩大研发投入，在研究投入总额上可能已经超过了美国。削减美国对研究的公共投资将增强中国在先进技术方面的竞争力。研发投资增加了申请的专利数量、初创企业的成立以及进入出口市场的公司数量，所有这些都对美国的竞争力至关重要。

报告链接：<https://itif.org/publications/2025/09/15/how-reducing-federal-rd-reduces-gdp-growth/>

2025年9月30日

中国药促会研究部整理