

国际药品注册呈现三大趋势

●梁毅

在药品监管的历史长河中,“反应停事件”无疑是一座沉重的里程碑,深刻改变了全球药品监管格局。

自1963年“反应停事件”后,美国食品药品监督管理局(FDA)一举成名,逐渐构建起一整套科学、严谨、全面的药品监管体系。

从药品研发、临床试验、到上市后监管,各个环节都设有严格的标准和规范,确保药品在上市前经过充分的安全性和有效性验证。

这套体系不仅为美国本土的药品安全提供了坚实保障,也成为全球药品注册的重要参考标准,被许多国家和地区所借鉴和沿用。

从美国FDA在“反应停事件”后的崛起,到中美欧日等国家和地区不断完善药品监管体系的历程可以看出,药品监管关乎公众的生命健康和安

全。一个完善的药品监管体系需要科学合理的制度设计以及严格有效的执行。

随着全球化进程加速、技术创新迭代及监管体系变革,国际药品注册呈现三大趋势:真实世界证据(RWE)的应用、全球化与区域协作以及患者参与。

趋势一: 真实世界证据的应用

真实世界数据(RWD)是指从日常临床实践中收集的数据,而RWE则是指通过对RWD的分析所得到的、与患者健康状况或者医疗服务提供相关的证据。

近年来,RWD和RWE越来越多地为世界各地的监管决策提供信息,其价值在药品全生命周期中日益凸显,特别是药品注册阶段。

美国FDA为加速新药上市,多次明确表态推动监管范式改革,将RWE纳入审评审批依据,并在真实世界研究(RWS)的应用上处于国际领先地位。

通过加强立法、制定指南文件和框架、提供RWE项目资助、开展利益相关者合作等方式,鼓励和推动开发

RWE用于药品审批。

目前,美国FDA是唯一在立法中明确提到RWE并授权建立正式RWE计划的机构。2022—2024年间FDA批准的77项新分子实体(NME)新药上市申请中,47%的申请包含RWE研究。

在我国,真实世界数据收集尚处于起步阶段,但发展迅速。

我国国家药品监督管理局(NMPA)和国家药品监督管理局药品审评中心(CDE)起草和发布了《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》等9项技术指导原则,建立起以RWE、RWD、RWS以及

与监管方的沟通交流4个指导原则为核心,不同应用领域为延展的基本体系,并在国际化协调过程中发挥积极作用。

然而,真实世界数据的应用也面临着诸多挑战,其中数据质量考评至关重要。由于真实世界数据来源广泛、数据格式和标准不一致、数据完整性和准确性难以保证等,导致数据质量参差不齐。

为了确保RWD在药品注册中的可靠性和有效性,建立严格的数据质量评估体系和标准化的数据收集流程必不可少。

趋势二: 全球化与区域协作

在全球化的背景下,药品注册和质量认证过程中的高昂成本成为了制约医药产业发展的重要因素。为了解决这一问题,全球协作互认成为必然趋势。

从全球主要药品监管协同与合作方式上看,药品监管协同已经成为全球主要国家和主要区域经济体的惯常做法。

通用标准的建立和落实则是推动药品监管全球化的基础,以国际药品注册协调组织(ICH)和全球药品检查协定(PIC/S)为全球监管标准代表。

ICH致力于药品整个生命周期



梁毅

的质量标准化,从药品研发到上市后的各个环节,都制定了严格的国际标准。

通过ICH的努力,各国在药品研发、临床试验、质量控制等方面的标准逐渐趋于一致,为药品的全球注册提供了便利。PIC/S由欧洲发起,旨在促进全球药品监管机构之间的合作与互认。

随着美国在2011年加入PIC/S,其影响力进一步扩大,逐渐形成了全球化的协作格局。

通过加入PIC/S,各国监管机构可以相互认可对方的检查结果,从而减少重复检查和审批,降低企业成本,加快药品上市进程。这也有助于提高药品质量标准的一致性,保障全球患者的用药安全。

中国积极加入国际标准互认和协作,基本实现了从全球规则的执行者向制定者的角色转变。自2017年加入ICH之后,我国医药创新研发标准逐步与国际实现全面接轨,ICH指导原则落地转化率提升至100%。

同时,中国积极推动加入PIC/S,目前已经完成预申请阶段工作,2023年提出正式加入申请,以促进实现对标国际的药品质量管理水平

和能力。

中国已经在为充分融入全球药品监管体系做准备,未来仍要继续深化全球合作形式与内容,推动中国药品监管结果尽早被海外监管机构认可,助力本土企业出海。

因此,全球协作互认是降低药品注册和质量认证成本的关键路径。随着全球协作互认机制的不断完善和深化,将为全球医药产业的发展注入

新的活力,推动医药创新成果在全球范围内的共享。

趋势三: 不断提高患者参与度

患者参与药品上市后评价,逐渐成为国际药品注册领域的重要趋势,为药品评价提供了全新视角。2016年,美国通过《21世纪治愈法案》,首次在立法层面确立“以患者为中心”的新药研发理念,强调收集患者体验数据、提升患者参与度,并将患者声音纳入研发和审评过程。为此,美国FDA制订了五年指导原则发布计划,明确如何获取和衡量患者体验与偏好,以及如何将患者数据整合至产品开发。

然而,在实际操作中,由于医疗机构规模庞大、内部关系复杂以及协调难度大,患者参与药品评价面临挑战。为了充分发挥患者资源的优势,业内建议以社会药房为切入点。社会药房直接面向患者,与患者的接触频繁。通过在社会药房开展患者参与项目,建立患者信息数据库,收集患者在用药过程中的反馈信息,如药品疗效、不良反应等,为药品评价提供数据支持。

在国际药品注册中不断提高患者参与度将是一个重大趋势,重视患者体验、倾听患者的声音显得越发重要,必将成为今后药品注册过程中不可或缺的一环。

随着人工智能时代的到来,数据和人工智能技术的融合为药品监管带来了前所未有的机遇,智慧化监管已成为国际药品注册领域的重要发展方向。未来,有望实现药品注册全流程的智能化审评,进一步提升审评效率与准确性。同时,先进疗法的申报审批也将朝着更加科学、规范和高效的方向发展,这将有力推动更多创新疗法上市,为患者带来更多有效的治疗选择。此外,各国之间在先进疗法监管方面的协作与交流也将不断加强,部分技术标准和审评要求有望逐步实现统一,促进全球医药产业的协同发展。

(作者系中国药科大学国际医药商学院药事管理系主任)