

中国年度药品审评报告解读（2015-2021）——回顾我国药品审评审批制度改革成果（下篇）

作者：顾泱 | 郑杜之韵 | 尤鹏飞¹

我们在《[中国年度药品审评报告解读（2015-2021）——回顾中国药品审评审批制度改革成果（上篇）](#)》中，对历年年度药品审评报告中提及的药品审评审批制度改革重点内容进行了概括性提炼，并在《[中国年度药品审评报告解读（2015-2021）——回顾中国药品审评审批制度改革成果（中篇）](#)》中，围绕审评审批时限管理、化学药品注册分类变化与申请变化和仿制药一致性评价三大主题进行深入探讨。本文作为下篇，将继续对生物制品注册发展和儿童用药与罕见病药物审评审批工作这两大主题出发，深入解读近七年药品审评审批制度的发展。

主题四：生物制药产业蓬勃发展

随着生物技术的不断发展，全球生物药步入快速发展阶段，单克隆抗体、多肽、反义寡核苷酸、融合蛋白等新型产品类型不断获批，有力地推动了生物药市场的快速发展。虽然我国生物制药行业起步较晚，发展相对滞后于全球市场，但近年来我国生物制药产业呈现蓬勃发展态势，市场规模不断扩大。从年度药品审评报告出发，可以看到我国在生物制药领域的发展取得的可喜成就，主要表现在生物制品注册申请数量和审评审批完成数量不断增长、生物类似药的研发十分活跃、以生物制品为主营业务的生物科技公司发展强劲等方面。

（一）历年生物制品的注册申请及审评审批情况

2015年至2021年间，我国生物制品注册申请量呈逐年增长的趋势，并从2019年开始超过了一千。目前，我国生物制品注册申请数量非常可观。并且，在2015年至2021年间，我国生物制品审评完成情况也在逐年增长，且批准/建议批准数量也总体呈增长趋势。

¹ 实习生王乐怡、孙舒闻对本文的写作亦有贡献。

年份	接收申请数量	完成审评数量	批准/建议批准数量			
			生物制品 IND	创新生物制品 IND	生物制品 NDA	创新生物制品 NDA
2015	567	543	150	-	19	-
2016	410	646	271	-	17	-
2017	632	678	227	50	29	2
2018	944	971	349	103	41	4
2019	1179	1104	312	120	74	5
2020	1867	1410	500	225	89	7
2021	2113	1920	764	537	149	23

此外，在历年的药品审评报告中，均可以看到有若干生物制品被列为审评通过的重要治疗领域品种：如 13 价肺炎球菌结合疫苗、重组埃博拉病毒病疫苗（腺病毒载体）、九价人乳头瘤病毒疫苗（酿酒酵母）、13 价肺炎球菌多糖结合疫苗、重组带状疱疹（CHO 细胞）疫苗、双价人乳头瘤病毒疫苗（大肠杆菌）、鼻喷冻干流感减毒活疫苗、新冠病毒疫苗等。

（二）生物类似药迎来发展期

生物类似药是指在质量、安全性和有效性方面与已获准注册的参照药具有相似性的治疗用生物制品。生物类似药的上市有助于提高生物药的可及性和降低价格，可以更好地满足公众对生物治疗产品的需求。为了促进生物类似药的发展，我国自 2015 年起颁布了一系列政策及指导原则，来规范生物类似药的注册管理、支持生物类似药的研发。

1. 我国生物类似药相关的注册管理及配套政策的发展

发布时间	发布部门	政策名称	重点内容
2015.02.28	国家食品药品监督管理总局	《生物类似药研发与评价技术指导原则（试行）》	首次明确了生物类似药的定义，对生物类似药研发和评价的基本原则、药学、非临床、临床研究和评价、说明书、药物警戒等内容进行了具体规定。
2017.07.19	药审中心	《关于“贝伐珠单抗注射液生物类似药临床研究设计及审评的考虑”征求意见通知》	首次基于单品种研发制定审评要点，是在《生物类似药研发与评价技术指导原则（试行）》的基础上，结合品种特点，制定了该品种的临床研究策略和评价要点，以期为该品种的研发者提供参考。
2017.10.08	中共中央办公厅、国务院办公厅	《中共中央办公厅、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》	明确提出支持生物类似药的发展。

发布时间	发布部门	政策名称	重点内容
2017.12.13	国家发展和改革委员会	《增强制造业核心竞争力三年行动计划（2018-2020年）》	鼓励市场潜力大、临床价值高的专利到期首家化学仿制药和生物类似药的开发及产业化；明确首家生物类似药为高端药品。
2020.01.22 (2020.07.01 实施)	国家市场监督管理总局	《药品注册管理办法（2020）》	进一步规范生物类似药的注册分类。
2020.06.29 (2020.07.01 实施)	国家药品监督管理局	《国家药监局关于发布生物制品注册分类及申报资料要求的通告》	在《药品注册管理办法（2020）》的基础上，对生物类似药的注册分类和申报资料要求进行具体规定。
2021.02.10	药审中心	《生物类似药相似性评价和适应症外推技术指导原则》	在《生物类似药研发与评价技术指导原则（试行）》的基础上，进一步增补生物类似药相似性评价和适应症外推的指导性建议，旨在为工业界、研发者及监管机构提供技术参考。
2022.01.20- 2022.04.01	药审中心	《生物类似药临床药理学研究技术指导原则》	为生物类似药的研发和评价提供进一步的规范和指导。

除前列生物类似药相关的注册管理及配套政策外，2021年1月的国务院政策例行吹风会上，国家医疗保障局副局长陈金甫就《关于推动药品集中带量采购工作常态化制度化开展的意见》进行政策解读，明确表示计划下一步将生物类似药纳入集采。目前，已有省份打响生物药集采“第一枪”，如2022年年初，广东省药品交易中心宣布开展联盟集采，其中生物类似药利妥昔单抗被纳入。根据广东省的规划，该集采联盟包括：广东、山西、江西、河南、广西、海南、贵州、青海、宁夏、新疆、新疆生产建设兵团11个省份²。

此外，在生物类似药指导原则的基础上，结合特定产品的特点，CDE先后发布了《利拉鲁肽注射液生物类似药临床试验设计指导原则》《利妥昔单抗注射液生物类似药临床试验指导原则》《注射用曲妥珠单抗生物类似药临床试验指导原则》《阿达木单抗注射液生物类似药临床试验指导原则》与《贝伐珠单抗注射液生物类似药临床试验指导原则》等具体指导原则，为推进相关产品生物类似药的研发工作提供了重要指导。

2. 生物类似药注册申请和获批情况

2019年2月22日，国家药监局批准上海复宏汉霖生物制药有限公司研制的利妥昔单抗注射液（商品名：汉利康）的上市注册申请。该药是国内获批的首个生物类似药，主要用于非霍奇金淋巴瘤的治疗。据不完全统计，截止2020年底，国家药监局已批准上市14个生物类似药，涉及7个参比生物药。而自2021年以来，国内市场更是迎来生物类似药的密集上市，多个重磅品种贝伐珠单抗、阿达木单抗、曲妥珠单抗等的生物类似药在国内获批上市，行业竞争逐渐激烈。

² <https://www.gdmede.com.cn/announcement/announcement/detail?id=1496341402903121920>。

3. 生物类似药注册申请程序

值得注意的是，生物类似药的注册申请程序是按照新药申请的程序申报的。2007年版《药品注册管理办法》便曾规定，不同于仿制药申请，生物制品全部按照新药申请的程序申报。2015年，《国家食品药品监督管理总局关于发布〈生物类似药研发与评价技术指导原则〉的通告》明确规定并再次强调生物类似药按照新药申请的程序申报。生物制品按照新药申请的程序申报注册的要求是由生物制品的特殊性质决定的，不同于小分子化学药品，生物制品具有结构复杂、生产工艺复杂、微小异质性常见等特点，难以实现真正的复制。

（三）以生物制品为主营业务的生物科技公司发展强劲

近年来，有不少以生物制品为主营业务的生物科技公司发展迅速，并已完成上市。例如复宏汉霖（HK.02696）、科济药业（HK.2171）、药明巨诺（HK. 2126）、永泰生物（HK.6978）在香港上市；亘喜生物（GRCL0）、传奇生物（LEGN.O）在美国纳斯达克上市；智飞生物（300122.SZ）、科兴制药（688136.SH）、康希诺（688185.SH）、三生国健（68833.SH）等公司在深交所或上交所上市。

主题五：儿童用药与罕见病药物审评审批工作进展

（一）儿童用药与罕见病药物审评审批工作成果

近年来，我国儿童用药与罕见病药物的审评审批工作取得重要进展，得益于儿童用药与罕见病药物相关优先审评审批制度的建设发展与其他诸多制度改革亮点，相关药物在纳入优先审评程序与通过审评审批方面呈现出较为喜人的数据表现。

1. 2016年-2021年儿童用药审评审批工作数据

（1）纳入优先审评程序的注册申请情况

年份	对象	任务	占纳入优先审评程序的注册申请比重	
2016	儿童用药	17	9.0%	
2017		30	13.0%	
2018		35	11.2%	
2019		24	9.5%	
2020 ³		符合儿童生理特征的儿童用药品新品种、剂型和规格	14	9.7%
			7	9.3%
2021		34	29.6%	

（2）优先审评通过的品种情况

年份	对象	品种	占优先审评通过品种的比重
2016		4	57.1%

³ 2020年7月1日期实施的《药品注册管理办法》更改了纳入优先审评程序的药品种类表述，此表统计了“儿童用药”（2020年7月1日前）及“符合儿童生理特征的儿童用药品新品种、剂型和规格”（2020年7月1日后）的相关数据。

年份	对象	品种	占优先审评通过品种的比重
2017	儿童用药	1	2.0%
2018		9	10.8%
2019		7	8.5%
2020		8	7%
	符合儿童生理特征儿童用药品新品种、剂型和规格	9	6.92%
2021		9	10.11%

2. 2016年-2021年罕见病药物审评审批工作数据

(1) 纳入优先审评程序的注册申请情况

年份	对象	任务	占纳入优先审评程序的注册申请比重
2016	罕见病	8	4.1%
2017		11	5.0%
2018		28	8.9%
2019		28	11.1%
2020 ⁴		21	14.6%
	临床急需的短缺药品、防治重大传染病和罕见病等疾病的创新药和改良型新药	14	18.7%
2021		5	4.35%

(2) 优先审评通过的品种情况

年份	对象	品种	占优先审评通过品种的比重
2016	罕见病	—	—
2017		—	—
2018		3	3.6%
2019		6	7.3%
2020		11	9.0%
	临床急需的短缺药品、防治重大传染病和罕见病等疾病的创新药和改良型新药	13	10.0%
2021		9	10.11%

⁴ 2020年7月1日期实施的《药品注册管理办法》更改了纳入优先审评程序的药品种类表述，此表统计了“罕见病”（2020年7月1日前）及“临床急需的短缺药品、防治重大传染病和罕见病等疾病的创新药和改良型新药”（2020年7月1日后）的相关数据。

（二）儿童用药和罕见病药物适用优先审评审批制度的政策发展

儿童用药和罕见病药物通常具有研发难度大、周期长、成本高的特点，因而导致企业研发动力不足、儿童用药和罕见病药物出现短缺等问题。为了鼓励儿童用药和罕见病药物的研发与生产，我国近年来出台了一系列政策，不断完善儿童用药和罕见病药物的优先审评审批制度。

发布及实施时间	发布部门	政策名称	重点内容
2015.11.11	国家食品药品监督管理总局	《国家食品药品监督管理总局关于药品注册审评审批若干政策的公告》	对防治罕见病的创新药注册申请、儿童用药注册申请实行 单独排队，加快审评审批 。
2016.01.29	国家食品药品监督管理总局	《临床急需儿童用药申请优先审评审批品种评定基本原则》	对临床急需儿童专用药品的优先审评审批品种评定提供了 基本原则 的指引。
2016.02.26	国家食品药品监督管理总局	《国家食品药品监督管理总局关于解决药品注册申请积压实行优先审评审批的意见》	将儿童用药品和防治罕见病且具有明显临床优势的药品注册申请纳入 优先审评审批 的范围。
2017.12.21	国家食品药品监督管理总局	《国家食品药品监督管理总局关于鼓励药品创新实行优先审评审批的意见》	同上。
2020.01.22 发布 (2020.07.01 实施)	国家市场监督管理总局	《药品注册管理办法（2020）》	第四章第三节专门规定了优先审评审批程序，其中第68条规定“临床急需的短缺药品、防治重大传染病和罕见病等疾病的创新药和改良型新药”和“符合儿童生理特征的儿童用药品新品种、剂型和规格”可以申请适用优先审评审批程序。
2020.07.07	国家药品监督管理局	《药品上市许可优先审评审批工作程序（试行）》	在《药品注册管理办法》的基础上，对优先审评审批程序的适用条件、工作程序、工作要求等进行了更为具体详细的规定。

（三）近年来儿童用药与罕见病药物审评审批制度的其他改革亮点

1. 儿童用药审评审批制度改革亮点

在《2021年度药品审评报告》中，CDE对于其在满足儿童用药临床急需、促进儿童用药研发创新方面所采取的工作举措进行了列举，包括但不限于：创新儿童用药审评管理工作机制，成立儿童用药专项领导小组和工作小组；落实儿童用药优先审评审批政策，借鉴新冠病毒治疗药物等应急审评审批经验，在审评系统中设立“儿童用药”特殊标识，优化审评资源配置，专人对接，加快儿童用药上市速度；完善儿童用药审评标准体系，建立包含真实世界数据支持等指导原则在内的儿童用药研发审评证据体

系，发布多项儿童用药专项指导原则，鼓励药物研发者研发适宜儿童使用的剂型和规格，同时通过完善药品说明书中儿童用药信息以指导临床合理用药，持续解决临床儿童用药紧缺问题。

2. 罕见病药物审评审批制度改革亮点

2020 年修订的《药品注册管理办法》中对纳入优先审评审批程序的临床急需的境外已上市境内未上市的罕见病药品的审评时限规定为 70 日。《2020 年度药品审评报告》显示，CDE 完成的 13 个用于治疗罕见病的、临床急需的药品技术审评均在规定期限内完成，其中罕见病药品的审评工作在 3 个月之内完成。

CDE 在《2021 年度药品审评报告》中提到，在罕见病治疗方面，其发布了《罕见疾病药物临床研发技术指导原则》，意在促进更多以低发病率疾病为对象的药物研发，展现出 CDE 推动我国罕见疾病药物研发的信心和决心，力争将更多原先被市场冷落的罕见疾病药物拉入研发快车道，为边缘化的罕见病患者带来更多希望的曙光。同时针对罕见病药物企业研发积极性较低的突出问题，促使医药企业围绕尚未满足的临床需求，将罕见病作为创新产品研发的重要方向之一。

结语

本文上中下三篇对 2015 年至 2021 年间年度药品审评报告的解读分析，直观梳理了我国各类药品注册申请与审评审批情况与发展趋势，也可以从中一览 CDE 近年来在推进药品审评审批制度改革中取得的可喜成就。当前，我国的制药产业正处于快速发展时期，推进药品审评审批制度改革能够更好地支撑我国药品创新、满足公众用药需求，从而早日使我国的药品研发与监管达到国际先进水平。随着中国药品注册制度的不断完善以及行业的共同努力，相信未来我国的药品研发将会拥抱更加优质、高效的审评环境。

特别声明

汉坤律师事务所编写《汉坤法律评述》的目的仅为帮助客户及时了解中国或其他相关司法管辖区法律及实务的最新动态和发展，仅供参考，不应被视为任何意义上的法律意见或法律依据。

如您对本期《汉坤法律评述》内容有任何问题或建议，请与汉坤律师事务所以下人员联系：

顾泱

电话： +86 21 6080 0505

Email: aaron.gu@hankunlaw.com