

对标“专精特新”

CDE 杨志敏、谢松梅：药审多渠道促儿药研发 产品过评逐步放量

文 本报记者 胡睿 发自北京

儿童用药问题是党和国家高度重视的民生问题,习近平总书记多次就此作出重要指示批示。近日,《医药经济报》记者从国家药品监督管理局了解到,近年来为了解决儿童用药研发难的问题,药品审评审批机构推出了一系列鼓励研发创新、提升审评效率、改进工作作风、保障药品安全的“组合拳”措施。

采访中,记者了解到,用于罕见病治疗的药物利司扑兰口服溶液用散于2021年上半年上市,获批用于治疗2月龄及以上患者的脊髓性肌萎缩症(SMA)。据药审中心化药临床二部副部长谢松梅介绍,为了推动利司扑兰口服溶液用散尽早在中国上市,给中国患者提供疗效明确、且较现有唯一脊髓鞘内注射给药更为安全方便的新机制口服治疗选择,药审中心与申报企业进行了多轮沟通交流。

她表示:“通过临床研发早期沟通交流,我们建议原研企业尽早在中国开展临床试验,为药品审评科学决策提供数据支撑。企业采纳我们的建议,在全球范围内开展的两项关键Ⅱ期临床试验中均纳入了一定比例的中国受试者。最终,我们基于全球和中国患者

临床试验数据情况,在确保患者用药获益大于风险的基础上,给出了批准在中国上市的建议。这是一个基于监管鼓励倡导,中国加入全球早期同步研发,进而推动新机制药品在中国与全球同步注册上市,让中国罕见病患者第一时间获得有价值新药的案例。”

发布鼓励研发清单

儿童用药的研发和生产是世界性技术难题,这与儿童自身的病理生理特征和对用药安全性风险的承受能力有密切关系。

药审中心化药临床一部部长杨志敏指出:“推动解决儿童用药问题,需要监管部门、临床机构和药品生产企业同向发力。”

近年来,在国家科技重大专项的支持下,我国已有多家儿童医疗机构建立起了较为完善的儿童用药研发技术平台,为我国儿童用药的创新研发提供了有力保障。杨志敏解释说,企业作为研发主体,是解决我国儿童用药难题的主体力量,药品审评部门与研发企业保持良好沟通,对于企业研发过程中的实际困难给予具体指导,对加快儿童用药研发进程至关重要。

为贯彻落实国务院44号文和新

修订的《药品管理法》,药审中心对临床急需、具有明显临床优势的儿童用药予以优先审评审批。

“儿童优先、急需品种的审评有其特殊性,需要专业审评、业务管理、核查、检验、科学综合决策等各环节默契配合、高效互动。”谢松梅介绍,目前药审中心开通了儿童用药审评的绿色通道,坚持以患者为中心,做到基于临床迫切需求和研究数据具体品种具体分析,不断理顺优先处理的流程和要求,做到高标准、严要求、强服务。

为提高品种审评效率,最大限度缩短审评时间,加速儿童药上市,药审中心还设立了“儿童用药”特殊标识,由项目管理人专人对接,督导审评进度,确保按时限推进。同时,加强早期介入,在企业的沟通、受理、审评等环节主动服务。

数据显示,国家卫健委发布的三批临床急需境外新药品种目录中,已有16个适用于儿童的临床急需境外新药批准上市。从2016年开始,药审中心还会同国家卫健委、国家工信部发布了三批鼓励研发申报儿童药品清单,第一批清单涉及32个品种、第二批清单涉及39个品种、第三批清单涉及34个品种,促进儿童适宜品种、剂型、规格的研发创新和申报审评。

截至2021年6月30日,已有14

个清单中品种完成技术审评获批上市,9个清单中品种的上市申请正在审评中,另有5个清单中品种已批准开展临床试验。

完善审评标准体系

“儿童药研发不同于一般药物,当下可以从几个方面着手。”杨志敏建议,第一,儿童药研发需要依据临床急需情况而定,主要集中在常见病和多发病领域,要严格明确药物的给药计量标准;第二,儿童药研发可以结合临床的实际情况,很多药物在临床已经应用很多年,也被临床指南和专家共识收纳,这些药物可以通过探索真实世界研究数据增补儿童适应症;第三,最难当属罕见病药物研发,这部分药物的研发工作要多参与国际合作。

制定技术指导原则是规范药品研发、提高药品研究质量和效率的重要监管方式。加快完善儿童用药审评标准体系及评价方法建设,可以有效支持和引导科学有序研发,提高申报质量,提升儿童用药的研发活力,也为规范我国儿童用药研发及审评提供重要技术支持与评价依据。

据了解,2020年以前,药审中心仅发布了3项儿童用药专项指导原则。2020年以后,药审中心加大了对儿童

用药技术指导原则建设能力,按照急用先行的原则,陆续发布了《儿童用药(化学药品)药学开发指导原则(试行)》《儿科用药临床药理学研究技术指导原则》《真实世界研究支持儿童用药物研发与审评的技术指导原则(试行)》等4项技术指导原则。同时,为推进儿童用药指导原则的国际化接轨水平,药审中心充分实施了《S11:支持儿科用药开发的非临床安全性评价》以及《E11(R1):用于儿科人群的医学产品的药物临床研究》共2个ICH指导原则。

今年,药审中心又将《儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则》《化学药品和治疗用生物制品说明书中儿童用药相关信息撰写的技术指导原则》《注意缺陷多动障碍药物临床试验技术指导原则》和《罕见病药物临床研究技术指导原则》共4项技术指导原则纳入年度计划。预计今年年底,儿童用药相关指导原则将累计发布13项。另外,为规范已上市药品说明书中儿童用药信息规范化增补工作,药审中心充分利用儿童医疗机构数据资源,采用真实世界研究方法,遵循审评技术标准,通过组织专家论证、对外公开征求意见,先后审评筛选出两批建议修订说明书的品种清单和具体修订内容。目前,第一批修订名单已经发布,第二批、第三批也将陆续对外发布。

扩容！广东发布第二批“三重”名单

文 本报记者 齐欣

8月24日,广东省药品监管局召开专题新闻发布会。广东省药品监管局党组成员、副局长严振通报了广东省药监局开展药品监管综合改革以来第一批“三重”创新服务工作进展情况、第二批“三重”创新服务名单以及广东省2021年1-7月药品、医疗器械和化妆品注册审批情况。

第一批重点项目已有5项获重大进展

据了解,今年4月6日,广东省药品监管局组织遴选并对外发布了2021年生物医药产业创新服务重点项目名单,共有11个项目,其中包括3个生物制品项目、5个创新药品项目、3个创新医疗器械项目;同时也将广东省药监局接受企业申报的条件和联系方式向社会公布,受到了行业的高度关注,形成了良好的社会反响。

严振表示,“自发布首批重点项目名单以来,广东省药品监管局坚持以创新发展需求为导向,创新监管与服务方式,选派政治可靠、业务熟悉、协调能力较强、勤政廉洁的人员作为重点项目联系人,提前介入做好对接。通过提供政策法规咨询、指导申报材料报送、协调检验检测资源、对接审评审批环节等方式,全程做好项目服务工作,助推创新产品上市、企业做大做强、产业创新发展。同时,广东省药品监管局内部不断规范服务流程,优化办事程序,提高审批效率,提升服务质量,力争每个重点项目均达到预期目标。”

截至目前,第一批共11项创新服务重点项目已有5项获得重大进展,其中有1项疫苗产品已经获得国家批准紧急使用并上市接种,实现了粤产新冠疫苗零的突破;有1项疫苗产品已完成Ⅱ期药物临床试验,并筹备开展Ⅲ期临床试验;有2项创新药品已获批准投入上市生产;有1项创新医疗器械已完成注册核查,已报国家

药监局器械审评中心审查。

第二批名单扩容

发布会上还公布了广东省药品监管局第二批“三重”创新服务名单。涉及广州、肇庆、潮州、东莞等地的7家企业共8个创新药品和创新医疗器械产品项目被列入重点项目名单;涉及深圳、珠海、广州、中山、佛山、汕头等地共15家药品、医疗器械和化妆品企业被列入重点企业名单;韶关市、广州市白云区、广州市黄埔区、深圳前海合作区、珠海横琴新区等5个区域被列入重点地区名单。

严振指出,“下一步,广东省药品监管局将持续深化药品、医疗器械、化妆品‘放管服’改革,落实《粤港澳大湾区药品医疗器械监管创新发展工作方案》,不断优化营商环境,以服务生物医药产业重点项目、重点企业、重点地区创新发展为契机,继续助力广东省生物医药产业全面高质量发展。”

表1 广东省药监局第二批“三重”创新服务名单之重点项目(排名不分先后)				
序号	项目类别	项目编号	所属企业名称	所在地区
1	创新药品项目	Y202108240101	兆科(广州)肿瘤药物有限公司	广州
2		Y202108240102	广州顺健生物医药科技有限公司	广州
3		Y202108240103	一力制药股份有限公司	肇庆
4		Y202108240104	广州一品红制药有限公司	广州
5	创新医疗器械项目	X202108240101	潮州凯普生物化学有限公司	潮州
6		X202108240102	广州达安基因股份有限公司	广州
7		X202108240103	华为终端有限公司	东莞
8		X202108240104		

表2 广东省药监局第二批“三重”创新服务名单之重点企业(排名不分先后)		
序号	重点企业名称	所在地区
1	深圳康泰生物制品股份有限公司	深圳
2	丽珠医药集团股份有限公司	珠海
3	广州百济神州生物制药有限公司	广州
4	中山康方生物医药有限公司	中山
5	广东一方制药有限公司	佛山
6	广州医药股份有限公司	广州
7	广东通用医药有限公司	广州
8	康泽药业股份有限公司	汕头
9	广州创尔生物技术股份有限公司	广州
10	广州康盛生物科技股份有限公司	广州
11	深圳安科高技术股份有限公司	深圳
12	深圳市安宝科技有限公司	深圳
13	广州卡迪莲化妆品科技有限公司	广州
14	中山中研化妆品有限公司	中山
15	广东丹姿集团有限公司	广州

严打十种网络涉药行为 浙江萧山规范药品网销在行动

本报讯 为进一步规范药品网络销售秩序、严厉查处网络销售药品违法违规行为,浙江省萧山区市场监管局在全区范围内部署开展了药品网络销售违法违规行为专项整治行动。

该局对萧山辖区内的药品生产经营企业进行全面普查,对企业是否通过自建网站(平台)或第三方平台开展药品网络销售业务等具体经营情况进行梳理并建立台账,共计554家药品生产经营单位开展自查。

自查结果显示,自建网站(包括移动终端APP程序)销售药品30家,其中药品批发企业10家、连锁总部3家;通过其他网站(包括移动终端APP程序)销售药品118家,其中药品批发企业7家、连锁总部4家。

本次行动重点整治和打击未取得药品生产经营使用资质的单位或资质超出有效期非法从事药品网络

采购、销售活动;非法销售假药、劣药,以及已要求召回或监管部门要求停止销售使用的药品;超范围、超方式经营药品;未严格执行处方药与非处方药分类管理有关规定,无处方或未经执业药师审核而销售处方药等十种网络涉药违法违规行为。

采取“线上”收集线索和“线下”实地检查相结合的方式,对照专项治理重点,线上共梳理300多种网络禁售药品,对辖区网店进行网络监测,共监测网店49754个,监测商品信息1169030个,发现疑似线索55个。

线下根据自查结果、投诉举报、网络监测等线索,开展药品网络销售集中治理,规范互联网药品交易活动,净化药品网络销售市场。截至目前,共摸排药品网络销售企业92家,检查药品零售企业药品网络销售企业65家,责令整改5家,行政处罚1家。

(萧山市场监管)



新动态 News

云南督促药企“两手抓两手硬”

本报讯 近日,云南省药品监督管理局发布《关于“两品一械”生产经营企业做好疫情防控期间安全生产的通知》(以下简称《通知》)。

《通知》要求,各企业要把防范化解重大安全风险作为防灾减灾救灾的“牛鼻子”,全面开展安全风险隐患排查整改。

一是强化灾害防范应对,做好防震防汛等自然灾害的各项应急准备工作和应急值班。二是严格遵守安全生产的法律法规,落实安全生产主体责任,严查、严防、严控重大安全生产事故苗头性问题。三是修订完善企业安全生产、自然灾害应急预案并组织演练,提高预案的针对性、可操作性和实用性。四是做好防灾减灾宣传教育,提高安全意识。五是加强信息报告工作。在疫情防控期间,各企业要及时向省药监局药化生产处报告防震减灾各项应急准备及应急处置情况。

(许晓锐)