

科学监管与价值导向 医药创新的关键成功因素

武田制药

摘要

在过去的二十年中，中国医改取得了举世瞩目的成绩，使众多国民享有更长寿、更健康的生活。随着中国加快融入世界医药创新体系，中国政府和政策制定者更应顺应创新发展的潮流，加大改革创新力度，确保中国始终处于创新药物和创新疗法研发的前沿。

中国始终把创新摆在国家发展全局的核心位置，在医疗卫生领域也是同样的。中国政府正通过深化医改来确保国民获得更优质的医疗健康保障。目前，中国已成为全球第二大医药市场，并保持高速增长。医药创新是应对医疗需求快速释放、人口结构变化、生活方式改变、慢性病高发等综合挑战的最有效途径。包容性经济增长，诊疗手段的重大进步以及医疗服务的可及性，使全球范围内的人民拥有更加长寿和积极的生活。

如今我们正在目睹前所未有的医药创新趋势的开始，有望在未来几年中惠及患者。例如免疫疗法以及细胞和基因疗法可以为罹患罕见或复杂性疾病的患者提供希望。我们必须持续努力为上述患者寻找解决方法，但是这也面临巨大挑战。因为目前大约存在 8000 种罕见病，但仅有一小部分能够得到有效治疗，近年来中国医药产业创新在短时间内取得巨大进展，新药研发从跟随仿制（me-too）到跟随创新（me-better），再到全球首创（first-in-class），大踏步迈向全球。但受限于起步较晚和底子较薄，中国与国际顶尖医药创新强国仍有一定差距。

自 2015 年以来，中国政府在药品监管和市场准入方面加快制度改革，出台了系列措施。一方面，药品上市许可持有人制度（MAH）、审评沟通交流机制、审评审批加速机制、加入国际人用药品注册技术协调会（ICH）等一系列举措的持续推进，提升了监管效率，缩短了与国际的差距。另一方面，国家医保局的成立和医保目录动态调整机制的实施结束了医保碎片化管理，推动药品带量采购改革，进一步规范了市场价格，促进创新药物加速落地。受益于政策环境的改善，特别是药品审批制度改革，中国医药产业呈现出良好的创新势头。在未来的十到二十年，提升医药创新水平的关键是构建可持续发展的医药创新生态系统。利好的政策环境也将进一步吸引更多的资金投入中国。具有开阔视野和丰富经验的药物研究人员也愿意来中国开展突破性疗法的研究。此外，提高与高度创新疗法相关的各个领域标准，将支持中国在医药创新领域发挥国际领导作用的目标。

为了让中国患者能够获得更前沿和安全的先进疗法，武田制药建议中国政府在如下两个方面进一步加快改革进程：**一是继续推动科学和开放的监管体系建设，加快临床急需的创新药上市；二是以价值为导向继续推动创新药价格、报销和采购改革，加强创新药物可及性，鼓励产业创新。**结合自身专业领域的经验，武田制药提出以下具体建议：

在监管方面：一是完善配套措施，保障快速通道制度的有效实施，特别是针对国内率先推出、临床急需的同类最优药物（best-in-class）以及国内尚无有效治疗方案的创新药物。加快推动快速通道制度有关规范文件出台，完善配套一揽子改革措施，形成规范指导在前、沟通交流（监管部门与医药企业之间）在中、审评决策在后的科学审评审批模式。

二是加快推进真实世界证据（RWE）支持审批决策，进一步考虑利用境外真实世界证据支持国内上市审评。扩大以博鳌乐城为代表的真实世界研究试点，考虑在部分条件成熟的健康医疗大数据试点地区进行推广；研究建立真实世界证据的数据标准、技术规范和管理制度，搭建区域性真实世界健康医疗大数据平台。

三是加快细胞和基因治疗产品技术评价与监管体系研究，从法规层面全方位加速国内外先进细胞治疗药物和基因治疗的临床转化及上市，加速前沿技术的发展，逐步开放细胞类产品的进出口限制，明确监管主体，确保临床实验和上市后的高质量标准，并研究制订相关进出口程序以服务于跨境研发和生产。

四是在技术发展显著但监管法规滞后的领域，应着手政策的更新和修订。例如在可治疗多种罕见病的血浆来源创新药领域，建议加快相关法规政策的更新和调整，结合国内临床和研发迫切需求，探索有条件放开部分血液制品的进口限制。武田制药建议成立联合工作组，从部分临床急需的先进疗法开始入手并有序扩大范围，推动血液制品安全、有序发展。

在准入方面：一是推动建立以价值为中心、以证据为基础，兼顾产品特性的医保定价和准入规则；特别是要定期回顾价值评估方法的适用性，以确保该方法适用于创新药或临床急需的新疗法（例如罕见疾病疗法以及细胞和基因疗法）。事实上，新疗法的临床数据在早期可能不够全面，其卫生经济回报可能在中长期才能体现，但这些特点不应构成对创新疗法进行投资的障碍。二是优化准入流程，促进创新药品上市审评审批和医保准入衔接，以提高药物可及性，缩短创新药品上市后进入国家医保目录的等待期，特别是那些患者急需的创新药。三是探索对创新药品多层次的保障体系，尤其是探索以基本医保为核心的多渠道筹资和创新支付模式，加快商业保险有序发展，从而减轻基本医疗保险的负担。

结论：鼓励不同利益相关方对话和参与改革进程，将为中国塑造国内和国际政策环境以及成为引领者提供巨大的机会。武田制药致力于与中国政府，医疗保健提供者、监管机

构和患者团体合作，协力构建最优的监管框架和多层次创新支付模式，从而为患者提供及时且可负担的医疗服务。此类框架的实施和执行，将支持中国正在进行的医改目标的实现，并最终使患者受益。