

我国儿童药研制的制约因素分析及政策建议

——基于医药企业的视角

丁瑞琳* 白铭钰 付佳男 李新宇 邵 蓉

中国药科大学药品监管科学研究院/国家药品监督管理局药品监管创新与评价重点实验室 江苏南京 211198

【摘要】目的:为完善我国儿童药供应保障政策提供依据。方法:基于医药企业视角通过文献综述、问卷调研梳理药品全生命周期中儿童药研制的制约因素,分析其集中和迫切程度。结果:儿童药的主要制约因素包括:儿童临床试验开展难度大;注册审批规则中缺乏对儿童药特殊性的考虑和专门的材料要求;生产激励政策落地缺乏实施细则和措施;市场利益机制尚不完善等。其中,研发和使用支付是问题相对集中的环节。讨论及建议:建议我国开拓并合理使用儿童临床试验资源,多举措增加儿童药研发投入;制定儿童药申报的专项指南,鼓励成人药品注册时提交儿童研究计划;基于典型案例探索儿童药生产供应优化路径;在药品使用与支付规则中给予儿童药更多空间。

【关键词】医药企业;儿童药;研制;制约因素;政策

中图分类号:R197 文献标识码:A doi:10.3969/j.issn.1674-2982.2024.02.009

Analysis of constraints and policy recommendations for the development of pediatric drugs in China: Based on the perspective of pharmaceutical enterprises

DING Rui-lin, BAI Ming-yu, FU Jia-nan, LI Xin-yu, SHAO Rong

Institute of Drug Regulatory Science, China Pharmaceutical University/NMPA Key Laboratory for Drug Regulatory Innovation and Evaluation, Nanjing Jiangsu 211198, China

【Abstract】 Objective: To provide a basis for improving the design and implementation of policies for ensuring the supply of pediatric drugs in China. Method: Based on the perspective of pharmaceutical enterprises, reviewed literature and conducts questionnaire surveys to identify the constraints in the development of pediatric drugs throughout the entire drug lifecycle, and analyzes the constraints' concentration and urgency. Result: The main constraints include: difficulty in conducting clinical trials for children; the current registration and approval rules lack consideration for the specificity of pediatric drugs and specific requirements for application materials; lack of implementation rules and measures in the implementation process of incentive policies for pediatric drug production; The market interest mechanism of pediatric drugs is not yet perfect. Among them, research and development and payment for use are currently relatively concentrated issues. Discussion and suggestions: It is recommended that China fully utilize existing clinical trial data of pediatric and broaden sources, take multiple measures to increase investment in pediatric drug R&D; Develop special guidelines for pediatric drug application and encourage adult drug registration to submit pediatric research plans; Explore the optimization path of pediatric drug production and supply based on typical cases; Provide more space for pediatric drugs in the rules of drug use and payment.

【Key words】 Pharmaceutical enterprises; Pediatric drugs; Research and development; Constraints; Policy

近年来,党中央、国务院和相关监管部门始终高度重视保障儿童用药工作,围绕儿童药的研发、注册审批、生产流通、使用及支付等环节出台了一系列激

励、保障的政策措施,对加快我国儿童药审批上市、及时满足儿童用药需求发挥了积极作用。^[1-4]然而,目前我国的儿童药供应保障水平仍与理想目标存在

* 基金项目:国家社会科学基金重大项目(15ZDB167)

作者简介:丁瑞琳(1998年—),女,博士研究生,主要研究方向为医药政策与法规。E-mail:dingrl375@163.com

通讯作者:邵蓉。E-mail:shaorong118@163.com

一定差距,相关政策对激励医药企业研发供应儿童药的作用有限,临床仍然存在大量未满足的儿童用药需求。^[5,6]

为探究我国儿童药研制生产激励政策未能发挥理想效果的原因,本文拟通过文献研究、问卷调研等方法剖析当前政策背景下我国医药企业供应儿童药的意愿究竟受制于何种因素,分析不同因素对医药企业供应儿童药意愿的影响程度,为完善我国儿童药供应保障政策的设计和 implement 建言献策。

1 研究背景

1.1 我国激励儿童药供应保障的政策现状

2016 年至今是我国儿童药相关政策发布的高峰阶段,也是我国儿童药供应保障政策体系框架逐步形成和发展的阶段。^[1] 本文拟从药品的全生命周期不同阶段出发,对这一阶段我国颁布的儿童药相关政策文件进行梳理,总结我国激励儿童药研制的主要举措(表 1)。

表 1 近年我国出台的激励儿童药研制的主要举措和典型政策文件

主要举措	典型政策文件	发布年份	发布机构
研发环节			
发布鼓励研发申报儿童药品清单,靶向引导儿童药研发。	首批《鼓励研发申报儿童药品清单》	2016	原国家卫计委、工信部、原食药监总局
	第二批《鼓励研发申报儿童药品清单》	2017	原国家卫计委、工信部、原食药监总局
	第三批《鼓励研发申报儿童药品清单》	2019	国家卫健委、工信部、国家药监局
	第四批《鼓励研发申报儿童药品清单》	2023	国家卫健委、科技部、工信部、国家药监局
发布儿童用药研发指导原则,为儿童药研发提供技术指导。	《儿童用药(化学药品)药学开发指导原则(试行)》	2020	国家药监局药审中心
	《儿科人群药物临床试验技术指导原则》	2016	国家食药监总局药审中心
	《儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则(试行)》	2021	国家药监局药审中心
	《儿童用药口感设计与评价的技术指导原则(试行)》	2022	国家药监局药审中心
指导真实世界数据、成人用药数据外推至儿童,缓解儿童临床试验压力。	《成人用药数据外推至儿科人群的技术指导原则》	2017	国家食药监总局药审中心
	《真实世界研究支持儿童药物研发与审评的技术指导原则(试行)》	2020	国家药监局药审中心
对抗癌药、罕见病用药提供税收优惠,覆盖部分儿童药。	《关于抗癌药品增值税政策的通知》	2018	财政部、海关总署、税务总局、国家药监局
	《关于罕见病药品增值税政策的通知》	2019	财政部、海关总署、税务总局、国家药监局
	《抗癌药品和罕见病药品清单(第二批)》	2020	财政部、海关总署、税务总局、国家药监局
	《抗癌药品和罕见病药品清单(第三批)》	2022	财政部、海关总署、税务总局、国家药监局
注册审批环节			
对具有明显临床价值的儿童药进行优先审评审批,加快审批。	《关于深化药品审评审批改革进一步鼓励药物创新的意见》	2013	原国家食药监局
	《药品注册管理办法》	2020	国家市场监督管理总局
成立儿童用药专项领导和工作小组,建立专门沟通交流机制。	《儿童用药沟通交流中 I 类会议申请及管理工作细则(试行)》	2023	国家药监局药审中心
推动已上市药品说明书增加儿童用药信息。	《已上市药品说明书增加儿童用药信息工作程序(试行)》	2023	国家药监局
生产环节			
优先支持儿童用药生产企业产品升级、技术改造。 加强儿童用药供应使用情况监测,采取多种方式保障供应。	《关于保障儿童用药的若干意见》	2014	原国家卫计委、国家发改委、工信部、人力资源社会保障部、原国家食药监总局、国家中医药局
	《关于加强儿童医疗卫生服务改革与发展的意见》	2016	原国家卫计委、国家发改委、教育部、财政部、人力资源社会保障部、国家中医药局
	《关于切实做好临床短缺药品短缺采购配送工作的通知》	2017	原国家卫计委、国家发改委、教育部、财政部、人力资源社会保障部、国家中医药局
使用支付环节			
完善儿童用药遴选和配备管理,推动儿童药进院。	《关于进一步加强儿童临床用药管理工作的通知》	2023	国家卫健委
在基本药物目录中增设儿科用药分类,拟建立儿童基本药物目录。	《关于印发国家基本药物目录(2018 年版)的通知》	2018	国家卫健委、国家中医药局
	《国家基本药物目录管理办法(修订草案)》征求意见稿	2021	国家卫健委
鼓励研发申报儿童药品清单中的药品优先纳入医保目录。	《国家医保药品目录调整工作方案》	2019— 2023(每年更新一版)	国家医保局

1.2 我国儿童药的供应保障现状

在上述政策的实施下,近年来我国儿童药的供应保障水平有了长足的提升。近 5 年我国已有超过 200 种儿童药上市,获批的儿童药数量逐年增加:2022 年,我国共有 66 种儿童药获批上市,较 2019 年(19 个)增长 3 倍^[7];而 2023 年仅 1—5 月就有 34 种儿童药获批上市,速度超过去年同期。^[8]同时,医保目录和基药目录对儿童药品的保障力度也逐步加大。据统计,2019 年至今医保目录通过常规准入和谈判共纳入儿童药超过 60 种。^[9-11]现行 2018 年版基药目录增设儿科用药分类,涵盖 22 种儿童专用药、203 种儿童共用药,占目录总品种的 32.9%。^[12]

2 研究方法

本文通过文献综述梳理药品全生命周期的各个环节中可能制约儿童药研制的相关因素,包括药品研发、注册审评、生产、使用支付等环节,并据此设计、完善调研问卷。^[13-18]问卷主要包括基本信息、制约因素、制约因素集中度和迫切度、对提高儿童用药可及性的意见及建议等四部分。于 2022 年 8—9 月通过问卷星向多家医药企业发放电子问卷,邀请企业药品研发、生产的负责人或管理者填写,最终回收问卷 71 份,其中有效问卷 70 份。本研究回收问卷 Cronbach α 系数为 0.914,信度较高。

使用 Microsoft Excel 和 SPSS 软件对问卷结果进行描述性分析。其中,制约因素迫切度分析部分要求调研对象对药品全生命周期中各环节制约因素进行选择并按照紧迫程度排序,然后根据相关因素被选择的顺序和频次计算迫切度得分,迫切度得分计算方式如下:

$$\text{迫切度得分} = \frac{\sum \text{频数} \times \text{权值}}{\text{本题填写人数}}$$

权值由各环节被排列的位置决定,排列顺序越靠前,权值越大。例如,某题中共有 3 个选项用于排序,则排序第一的选项权值为 3,排序第二的选项权值为 2,排序第三的选项权值为 1,以此类推。

3 研究结果

3.1 儿童药研制的制约因素分析

3.1.1 研发环节

研发环节中临床试验相关问题对医药企业研制儿童药的制约作用突出,具体表现包括儿童人群临

床试验伦理学要求高、受试者招募难(77.14%);儿童药的临床研究周期长、安全性风险高(60.00%);专业的儿童临床试验机构数量较少(52.86%)。其次,高昂的研发资金门槛也是影响企业研制儿童药意愿的重要因素,68.57%的被调研者认为儿童药研发资金耗费大,现有资金支持和税收优惠等激励政策力度不足。再次,61.43%的被调研者认为我国儿童病理、药学方面的研究基础较为薄弱,一定程度限制了儿童药的创新。其他研发环节的制约因素详见表 2。

3.1.2 注册审评环节

“现行注册审批规则对儿童药特殊性考虑不足,缺乏儿童药专门申报材料要求”是儿童药注册审批环节最主要的制约因素(75.71%)。近年来,我国药品监督管理局药品审评中心(Center for Drug Evaluation, CDE)发布了《真实世界研究支持儿童药物研发与审评的技术指导原则(试行)》《儿童用药(化学药品)药学开发指导原则(试行)》等十余项儿童药研发的专项指导原则,但专门针对儿童药注册申报的指导性文件较少。

其次,有 71.43%的被调研者认为目前儿童药的研发和审批过程中仍然缺少专业人员指导,药品注册申请人与审批部门沟通交流机制需进一步健全。截至本调研开展时我国仅发布《儿童用药沟通交流申请及管理工作程序(征求意见稿)》,尚未出台正式性文件。2023 年 4 月,CDE 发布《儿童用药沟通交流中 I 类会议申请及管理工作细则(试行)》,目前正在探索进一步完善我国儿童药研发过程中的沟通交流机制。此外,约 60%的被调研者认为儿童药的审批速度和注册流程仍然存在优化的空间。

3.1.3 生产环节

生产环节中,80.00%的被调研者认为目前我国的儿童药生产激励、供应保障政策落地过程中缺乏实施细则,没能发挥其预期效果。其次,儿童药生产工艺复杂,制剂技术要求较高,其高生产成本投入与收益不匹配也一定程度上影响了医药企业供应儿童药的积极性(65.71%)。再次,部分地区药品生产相关政策更新较慢、落地效果不佳,对企业引导和督促作用不足(57.14%),以及制药企业自身生产条件达不到生产儿童适宜剂型所需辅料的安全性等合格规范要求(57.14%)也是影响企业供应儿童药意愿的因素。

3.1.4 使用支付环节

使用支付环节中制约医药企业研制儿童药主要的因素为儿童药的市场利益机制不完善(72.86%)。

由于儿童疾病谱与成人存在明显差异,儿童药细分市场市场份额较小且分散,前端研发生产投入较高,后端安全性风险较大,在尚未建立儿童药价格倾斜机制的情况下,制药企业难以获得预期利润,严重抑制了其供应儿童药的意愿。

其次,被调研者认为基本药物和国家医疗保险相关政策对儿童药倾斜力度不足也是影响企业研发、生产儿童药的重要因素。一方面国家基本药物目录对临床合理使用儿童药的引导力度不足,尚未建立儿童分册,纳入的儿童药数量有限、结构合理性不足(65.71%)^①。另一方面,自2019年举行国家医保谈判以来,明确鼓励研发申报儿童药品清单中的药品优先纳入医保目录,但儿童药优先纳入医保目录的路径、程序、规则尚不完善,部分儿童药进入医保目录仍有障碍,儿童药的可负担性尚未得到充分保障(52.86%)。此外,超过50%的被调研者认为儿童药数据保护和市场独占等知识产权类政策力度不足也是抑制企业研制儿童药动力的重要因素。

3.2 制约因素的集中度、迫切度分析

3.2.1 制约因素集中度分析

通过对药品全生命周期各环节制约因素被选择的频次分析,发现研发(266次)和使用支付(238次)环节是目前儿童药供应的制约因素最为集中的环节,注册审评(178次)和生产(138次)环节次之。

3.2.2 制约因素迫切度分析

从各环节制约因素的迫切度得分来看,短期内医药企业认为最急需解决的问题(迫切度评分>5.0)包括:儿童药的市场利益机制问题(5.43)、临床试验受试者缺乏问题(5.21)和研发资金耗费大、缺乏资金支持和税收优惠等激励政策问题(5.01),其他制约因素的迫切度评分详见表2。

4 讨论及建议

本文基于医药企业视角探究我国儿童药研制的核心制约因素及其集中和迫切程度,丰富了现有儿童药政策研究的视角。研究结果与现有其他视角的研究结果存在相似性,譬如陈哲等人从医药企业和医疗机构的视角出发,发现儿童临床试验困难是阻碍第一类儿童用药品研发的主要因素^[19];儿童用药品被《国家基本药物目录》收录少也一定程度制约了

儿童药的供应保障。肖月等人基于监管和医疗机构的视角,发现我国儿童药供应短缺的核心问题在于不能有效利用采购和定价机制满足儿童药需求,研发生产供应和临床使用未形成联动机制。^[20]由此可知,一些制约因素是各相关利益主体所面临的共性问题,应受到监管部门的重点关注。此外,本文还梳理了若干医药企业认为对儿童药研制存在影响的其他因素,可能对促进政策完善、呼吁各方主体协同促进儿童药创新供应发挥积极作用。

本文的局限性在于研究视角相对单一,未能囊括需求端(医疗机构、患者等)和监管端(药监部门、医保部门等)的所有观点;创新点在于从药品全生命周期的各环节出发,系统分析儿童药研发生产的制约因素,并探究其集中和迫切程度。因此,以下围绕研究发现的各环节主要制约因素展开讨论并提出政策建议。

4.1 研发环节:科学开拓并合理使用儿童临床试验资源,多举措提升儿童药研发投入

4.1.1 统筹布局并合理使用儿童临床试验资源,开拓儿童临床试验数据来源

本研究发现临床试验开展困难是儿童药研发环节的主要制约因素。儿童的生理机能、药理反应与成人存在差异,伦理学要求较高,患者招募和管理难度大,投入成本高,是世界共同的难题,需遵循“开源节流”的思路,协同多部门共同解决。

对于临床急需、确有必要开展临床试验的儿童药品种,在国家层面对儿童药临床试验需求进行统一梳理并统筹布局,加强监管部门与研发企业的沟通交流,避免部分热门领域的重复研究和对临床试验资源的浪费。另一方面,拓宽儿童临床试验数据获取渠道,推动成人数据外推、真实世界数据和外国人群数据在儿童药研发、注册过程中的应用,鼓励人工智能在儿童药研发中的合理应用,积极探索计算机虚拟临床试验等先进技术^[21],在解决数据短缺问题的同时尽可能减小数据不足所带来的风险。

此外,鉴于儿童临床试验数据的取得难度大、应用价值高,建议建立健全儿童临床试验数据保护制度,将儿童临床试验数据纳入《药品管理法实施条例》第三十四条保护的范畴,对儿童临床试验数据设置专有限期的保护。

^① 2021年国家卫生健康委药政司发布《国家基本药物目录管理办法(修订草案)》征求意见稿首次提出建立儿童基药目录,但该办法尚未正式通过,现行仍为2018年版《国家基本药物目录》,其中纳入的儿童专科药品共16种,多为中成药。

表 2 我国医药企业研发、生产儿童药制约因素分析及迫切度评分

制约因素	占比(%) [*]	迫切度评分
研发环节		
临床试验受试者缺乏。	77.14	5.21
研发资金耗费大、缺乏资金支持和税收优惠等激励政策。	68.57	5.01
临床试验周期长、安全性风险高。	60.00	3.79
儿童病理研究、药学研究等研究基础较为薄弱。	61.43	3.56
针对儿童的临床试验机构较少。	52.86	3.60
儿童药研发的技术指南较少。	37.14	1.91
符合儿童使用标准的辅料、添加剂国内难以获得。	22.86	1.20
注册审评环节		
现行注册审批规则对儿童药特殊性考虑不足,缺乏儿童药专门申报材料要求。	75.71	4.43
儿童药的研发与审批缺少专业人员指导,申请人与审批部门沟通交流机制不畅通。	71.43	4.37
儿童药加速审评审批制度落地效果不显著,审评周期依然较长。	62.86	3.66
缺乏针对儿童用改良型新药、儿童药进口的简化申请流程。	61.43	3.51
进行儿童仿制药一致性评价时,部分参比制剂难以获得。	44.29	2.36
药品审评审批费用较高。	14.29	0.57
生产环节		
落地政策缺少具体措施和规定,不能有效激发生产能力。	80.00	4.74
生产工艺的复杂性导致生产成本较高,与收益不匹配。	65.71	3.73
落地政策更新较慢,部分地区政策出台时间较长,仅停留在支持企业 GMP 改造和换证上。	57.14	3.51
生产条件达不到生产儿童适宜剂型所需辅料的安全性等合格规范要求。	57.14	3.16
儿童药生产季节性闲置,产能效率低,企业负担成本高昂。	48.57	2.54
生产微丸、微片等制剂对生产技术和生产设备的要求较高。	34.29	1.84
使用支付环节		
儿童药市场份额较小、疾病类型多,市场比较分散,经营风险较大。	72.86	5.43
国家基本药物目录对临床合理使用儿童药的引导力度不足,不合理用药现象突出。	65.71	4.44
部分儿童药进入医保目录仍有障碍,儿童药的可负担性尚未得到充分保障。	52.86	3.10
儿童药的数据保护期、市场独占期等知识产权类政策力度不足。	51.43	3.06
实践中儿童药采购受到药品集中采购、医院绩效考核等政策影响,促进儿童药进院的政策未良好落地,儿童药进院困难。	48.57	2.71
患儿在儿科医院、综合医院间分布不平衡,部分综合医院因对儿童药需求量少而拒绝其进院。	48.57	2.51
儿童药有效成分含量低于成人药,按照现行定价规则无法实现理想定价。	44.29	3.13

注: * 由于所有制约因素都是多项选择,故每个环节占比总和超过 100%。

4.1.2 加强资金支持政策力度,科学引入市场资本对儿童药研发的投入

高昂的研发资金门槛也是影响企业研发、生产儿童药的重要因素。研究显示我国近十年有关儿童药研发生产基地、平台建设以及资金支持等方面的供给型政策在所有儿童药相关政策中占比不超过 8%。^[3] 故建议我国财政部门通过专项资金、定向补助加大财政对于儿童药研发项目的投入,出台并落实儿童药品研发、生产的税收优惠政策。

仅政府资金不足以支持儿童药创新研制,还需引入市场资本的投入。因此,可以借鉴美国“优先审评券”相关制度经验,灵活实现引入市场资本对儿童药的投入。“优先审评券”是用于鼓励企业研发特定疾病新治疗方法的激励措施,此类疾病通常市场小且研发成本高昂而鲜有企业感兴趣。企业获得“优先审评券”后,可以自用或出售以要求药品监督管理

部门对任一药物优先审评。在某些竞争激烈的赛道中,优先审评意味着更早上市并占有市场,从而获得更多利润,因而不少企业会花费高价收购“优先审评券”。这样的机制使得无法在小疾病市场获得回报激励的企业在其他药品市场中获得补偿,能够弥补儿童药研发投入积极性不足的缺陷。^[22]

4.2 注册审评环节:制定儿童药申报注册的专项指南,鼓励成人药品注册时提交儿童研究计划

注册审批环节的主要制约因素是现行注册审批规则中缺乏对儿童药特殊性的考虑和专门的申报材料要求。目前,我国已针对儿童药的研发出台了若干技术指导原则,有力推动了许多儿童药的研发与上市,但针对儿童药申报、注册的程序、资料的指导性文件较少。我国多数医药企业对儿童药注册经验不足,对申报材料、流程的要求和标准较为陌生,难以准确把握儿童药注册申报的关键点。建议国家药品监督

管理部门参考美国 FDA 做法^[23], 出台比较详实的儿童药申报、注册程序、资料 and 注意事项的专项指南。

此外, 借鉴欧美药品审批管理经验, 我国 2022 年发布的《中华人民共和国药品管理法实施条例(修订草案征求意见稿)》提出“鼓励申请人在提交药品上市许可申请时提交儿童剂型、规格和用法用量等的研发计划”。^[24] 此措施能够有效提升医药企业研发、注册儿童药的动力, 使更多医药企业关注到儿童用药需求并积累儿童药注册申报的经验。建议积极推进该条款的出台和落地, 并尽快制定配套工作文件, 如儿童药研发计划工作程序, 明确研发计划的申报要求、实施部门、审核要求及工作时限等。

4.3 生产环节: 从典型案例出发探索儿童药生产供应优化路径, 落实儿童药生产激励措施

本文发现儿童药的生产主要受制于成本和技术。儿童药的特殊性导致其生产所需投入更高、技术更高, 要鼓励企业生产、供应儿童药需切实解决其生产环节所遇到的实际问题。建议国家药品监督管理部门委托相关研究机构对国内外具有代表性的优秀儿童药生产企业进行考察, 以典型案例的方式探索总结不同类型、情形下提升儿童药生产能力的具体路径和举措, 为医药企业解决儿童药生产难题提供范本。例如怎样实现生产体系改造以满足某些特殊儿童药、剂型生产要求; 如何整合资源解决儿童药多规格、多剂型和生产成本高的矛盾问题。

4.4 使用支付环节: 考虑儿童药的特殊性, 在常规药品的使用与支付规则中给予儿童药更多空间

使用支付环节的主要制约因素是儿童药的市场利益机制尚不完善。除麻醉药品、精神药品等国家定价的药品品种以外, 我国主要依靠市场机制对药品价格进行调节。而医保谈判、药品集中采购等政策因与药品的市场准入关系密切而对药品价格形成具有相当重要的引导作用。^[25]

考虑到在自由市场中儿童药投入高且市场分散, 企业难以通过一般市场回报实现经营价值, 建议我国的药品价格形成体系中考虑儿童药的特殊性, 适当减少医保、集采对其定价的影响。例如, 给与儿童药更加宽裕的定价空间, 在医保准入时可考虑对其适当加价、设立特殊的价值评估体系或制定特殊的价格阈值; 允许儿童药拥有适宜集采的“豁免权”, 对于临床急需、原本价格较为合理、市场份额不大的品种可不纳入药品集中采购的范围, 避免因集

中采购而导致成人儿童共用药中的儿童药规格消失。此外, 积极推进儿童基本药物目录的制定和发布, 并考虑儿童药的使用情况合理设置儿童医院或综合医院儿科药品使用相关的考核指标, 引导儿童药的合理使用。

4.5 整体策略: 辨别问题的重要和迫切程度, 制定长短期计划

不断完善儿童药供应保障体系, 持续提升儿童药供应保障水平是我国“十四五”及更长远时间阶段中深化医改的重要目标。因而相关主体在探究解决路径时应辨别问题的重要和迫切程度。譬如, 本文发现研发和使用支付是目前问题相对集中的环节, 儿童药的市场利益机制、临床试验困难和成本投入是被调研企业认为当前最急需解决的问题, 可供监管部门参考。建议综合不同相关利益主体的观点, 辩证甄别短期内需解决的重点问题和需要长期逐渐改善的问题, 围绕短期重点问题出台专项政策文件, 围绕长期问题制定儿童药供应保障战略目标, 逐渐提升我国儿童药供应保障水平。

作者声明本文无实际或潜在的利益冲突。

参 考 文 献

- [1] 颜建周, 邵蓉. 为儿童药供应保障政策现状“画像”[J]. 中国卫生, 2022(6): 80-83.
- [2] 王轩, 董凌云, 钱莉苹, 等. 我国相关法规建设对促进儿童用药研发的探究[J]. 中国药事, 2023, 37(2): 134-141.
- [3] 李新宇, 邵蓉, 白铭钰, 等. 我国儿童药保障政策文本量化分析: 基于政策工具、政策目标的二维框架[J]. 中国卫生政策研究, 2022, 15(8): 68-73.
- [4] 张花香, 王晓玲, 华雪蔚, 等. 中国儿童用药的政策文本研究[J]. 中国医药工业杂志, 2023, 54(2): 283-288.
- [5] 丁瑞琳, 李新宇, 白铭钰, 等. 我国医药企业研发生产儿童药的意愿分析[J]. 中国新药与临床杂志, 2023, 42(6): 343-348.
- [6] 王欣, 薛佳怡, 李小芬. 鼓励政策支持下我国儿童药上市批准情况分析[J]. 中国新药与临床杂志, 2023, 42(6): 337-342.
- [7] 人民日报. 2019 年至今, 中国已获批儿科药数量超 200 个 [EB/OL]. (2023-08-29) [2023-12-11]. <https://www.hubpd.com/hubpd/rss/toutiao/index.html?contentId=2882303761519495767>
- [8] 光明日报. 今年已有 34 个儿童用药获批上市, 获批速度不

- 断加快[EB/OL]. (2023-06-01) [2023-12-11]. <https://baijiahao.baidu.com/s?id=1767489660159013895&wfr=spider&for=pc>
- [9] 人民网. 更好保障儿童用药(人民时评)[EB/OL]. (2021-06-02) [2023-12-11]. <http://m.people.cn/n4/2021/0602/c1188-15026387.html>
- [10] 中国新闻网. 多管齐下施策,儿童用药“量”“质”齐升[EB/OL]. (2023-02-08) [2023-12-11]. <https://www.chinanews.com/sh/2023/02-08/9949366.shtml>
- [11] 制药网. 7种儿科用药进入新版医保![EB/OL]. (2021-01-22) [2023-12-11]. <https://baijiahao.baidu.com/s?id=1689556878731340853&wfr=spider&for=pc>
- [12] 本报研究策划中心. 基药目录调整儿科品种机遇前瞻[N]. 医药经济报, 2023-08-03 (06).
- [13] 汤少梁, 朱亚, 冯莉钧, 等. 基于供给侧改革的我国儿童用药安全性与可及性优化路径研究[J]. 中国医药导报, 2017, 14(35): 125-129.
- [14] 宁艳阳. 政策加持儿童药保障能力仍待提高[J]. 中国卫生, 2022(6): 92-93
- [15] 武瑛港. 给予罕见病和儿童用药新药市场独占期[N]. 21世纪经济报道,
- [16] 顾莹. 医保目录占比不足6% 儿童药研发难题待解[N]. 第一财经日报.
- [17] 吴佳佳. 儿童要用儿童药[J]. 决策探索(上半月), 2017(9): 32-33.
- [18] 冯娟娟, 张竞超. 我国儿童用药药政法规的规范化探讨[J]. 中国药房, 2014, 25(17): 1550-1553.
- [19] 陈哲, 李思雨, 李海龙, 等. 四川省儿童用药品研发生产和使用现状调查[J]. 中国循证医学杂志, 2023, 23(5): 497-503.
- [20] 肖月, 孙潭霖, 赵琨, 等. 我国儿童药品供应保障体系核心问题及对策[J]. 卫生经济研究, 2021, 38(6): 6-9.
- [21] 任相阁, 任相颖, 李绪辉, 等. 医疗领域人工智能应用的研究进展[J]. 世界科学技术-中医药现代化, 2022, 24(2): 762-770.
- [22] 潘家梅, 张象麟. 美国激励研制罕见儿科疾病药品的“优先审评券计划”制度概述[J]. 中国药事, 2019, 33(1): 50-55.
- [23] 袁利佳, 王丽卿, 汪小燕, 等. 药品加快上市程序在儿童用药注册体系中的作用与思考[J]. 中国医药工业杂志, 2022, 53(11): 1529-1538.
- [24] 崔晶, 张宁. 浅析欧美儿科研究计划及对完善我国儿童用药相关政策的考虑[J]. 中国医药工业杂志, 2022, 53(11): 1558-1564.
- [25] 钱雨昕, 王艳翠, 姚峥嵘, 等. 政府在药品价格形成机制中的价值选择及路径优化研究[J]. 卫生经济研究, 2023, 40(11): 30-34.

[收稿日期:2023-11-20 修回日期:2024-02-01]

(编辑 刘博)