

## 全力做好应急审评工作

### （一）加强统一领导，制定工作程序

按照国家药监局党组关于疫情防控应急审评审批工作部署，药审中心闻令而动，一是充分发挥集体决策作用，迅速成立抗新型冠状病毒药物特别审评领导小组，抽调 16 个部门 148 名骨干力量为工作小组成员，先后召开特别审评领导小组会议 6 次和领导小组专题会 18 次，明晰工作原则，优化工作流程，及时研究解决应急审评过程中遇到的问题，保证工作顺利推进、有序开展。二是制定工作程序，形成 1 个方案、2 个程序、1 个规范，即《药审中心抗新型冠状病毒药物特别审评工作方案》《关于新型冠状病毒（2019-nCoV）药物立项申请评议工作程序》《关于新型冠状病毒（2019-nCoV）药物特别专家组评估和审核工作程序》《国家药监局抗新型冠状病毒药物专家会议管理规范》。三是严格落实“安全守底线、疗效有证据、质量能保证、审评超常规”的工作要求，按照工作程序，依法依规、科学规范审评，标准不降，加速审批。

### （二）发挥专家作用，解决技术难题

一是组建特别专家组。按照《国家食品药品监督管理局药品特别审批程序》（原国家食品药品监督管理局令第 21 号）规定和国家药监局新型冠状病毒感染肺炎疫情应对工作组药品组的决定，药审中心先后遴选出多位院士和知名专家组成了特别专家组，经国家药监局批准后开展工作。遇到新的技术难点问题，听取专家意见建议后，由专家投票表决。二是注重发挥专家技术支撑作用。通过专家研讨会和专家咨询会解决特定技术问题，例如针对 mRNA 新冠病毒疫苗在研发上存在的难点和潜在的风险，药审中心组织专家形成技术指导原则，以指导相关企业的研发。

### （三）实时高效沟通，提高研发进度

一是遵循“早期介入、持续跟进、主动服务”的工作要求，第一时间组织审评力量对咨询品种或注册申请立项的科学性和可行性进行评议，并在 24 小时内与申请人进行沟通交流，保证申请人尽快提交特别审批注册申请。二是加强国际合作。积极参加世界卫生组织（WHO）、国际药品监管机构联盟（ICMRA）等组织召开的视频会议，共同探讨研发审评标准，了解新冠病毒疫苗研发信息，指导推动研发企业赴国外开展Ⅲ期临床试验。

#### （四）探索研审联动，坚持科学审评

一是探索建立研发审评联动工作机制。边研发、边提交、边审评，为新冠病毒疫苗研发争取到了宝贵时间，确保新冠病毒疫苗等研发走在世界前列。通过这种工作机制，大大缩短了审评时间。二是建立技术标准体系。针对新冠病毒的特点，及时制定新冠病毒疫苗、新冠肺炎治疗药物研发技术指导原则等 28 个技术文件，指导企业高标准研发，少走弯路，科学开展审评。

#### 五、鼓励中药传承创新发展

贯彻落实习近平总书记关于中医药的重要指示精神、《中共中央 国务院关于促进中医药传承创新发展的意见》及国家药监局要求，药审中心从改革中药注册分类、健全中药技术指导原则等各方面积极鼓励中药守正创新。一是推动中药的传承发展。起草并由国家药监局发布《中药注册分类及申报资料要求》，丰富古代经典名方复方制剂的范围，促进古代经典名方中药复方制剂研发，推动其向新药转化。二是建立完善符合中药特点的质量控制体系。遵循中药特点和研发规律，将中药独特的理论体系和实践特点、中药制剂质量控制特点与药品质量控制的一般要求有机结合，研究构建完善符合中药制剂特点的质量控制方法和策略，制定《中药新药用饮片炮制研究指导原则（试行）》《中药新药质量标准研究技术指导原则（试行）》《中药复方制剂生产工艺研究技术指导原则（试行）》《中药生物效应检测研究技术指导原则（试行）》等 8 个技术指导原则。三是健全符合中药特点的审评体系。引入新工具、新方法、新标准用于中药疗效评价，细化申报资料要求，制定《中药新药用于慢性便秘临床研究技术指导原则》《中药新药用于糖尿病肾病临床研究技术指导原则》等技术指导原则，探索构建中医药理论、人用经验和临床试验相结合的审评证据体系。四是全力做好中药特别审评工作。充分发扬抗疫精神，制定了《用于新冠肺炎中药注册申请特别审批申报资料要求（试行）》《用于新冠肺炎中药注册申请特别审批技术指导原则（试行）》等，指导应急状态下的中药审评。截至 2020 年 12 月 31 日，“三方”中的清肺排毒颗粒、化湿败毒颗粒的 IND 申请已获批准，“三药”连花清瘟颗粒/胶囊、金花清感颗粒、血必净注射液获批增加用于治疗新冠肺炎的适应症。五是赴武汉开展实地调研和座谈，持续推进中药监管科学“以临床价值为导向的中药安全性评价研究”课题研究。六是开展援疆援藏工作，赴西藏开展实地调研、与新疆维

吾尔自治区药品监督管理局召开线上座谈交流会，支持民族药发展。

## 六、加强《药品注册管理办法》配套文件制修订

新修订的《药品注册管理办法》是贯彻党中央、国务院审评审批制度改革精神和落实新修订《药品管理法》的重要规章，考虑到药品注册管理中的具体技术要求，需要跟随技术发展的脚步不断调整完善，在规章中不适宜作出具体规定，因此这些具体技术要求在《药品注册管理办法》发布后，以配套文件、技术指导原则等形式发布，既能更好地顺应药品研发的科学规律，也能确保新旧《药品注册管理办法》的平稳过渡和新《药品注册管理办法》的顺利实施。

根据国家局部署，药审中心统筹协调，加大配套文件的制修订力度，成立课题组，对重点难点问题开展调研攻关，充分听取专家、业界意见，力求达成共识，共参与了 48 个配套文件制修订工作，其中牵头起草配套文件 30 个。自开展工作以来，已基本完成配套文件公开征求意见工作，部分文件已经国家局审核同意后发布实施，有效确保了各项审评任务不断、不散、不乱，新旧注册相关规定的顺利过渡和实施。

## 七、加快审评技术标准体系建设

在药品审评和研发过程中，指导原则兼具监管依据和技术要求的双重职能。《药品注册管理办法》明确从事药物研制和药品注册活动，应当遵守有关法律、法规、规章、标准和规范；药审中心等专业技术机构，应当根据科学进展、行业发展实际和药品监督管理工作需要制定技术指导原则和程序，并向社会公布。

药品技术指导原则体系的建立与完善，是落实“四个最严”要求的最好实践，是药审中心推进审评体系和审评能力现代化的重要举措。药审中心通过“定标准、定程序、定计划”三步走的方式，统筹规划以指导原则为核心的审评标准体系建设，围绕药品研发需求和鼓励创新的原则，对标国际先进监管机构技术标准，加大指导原则制定和公开力度。2020 年共开展了 119 个技术指导原则制修订工作，根据《国家药监局综合司关于印发药品技术指导原则发布程序的通知》（药监综药管〔2020〕9 号）要求，截至 2020 年 12 月 31 日，药审中心已经国家药监局审查同意发布了 71 个指导原则，详见附件 6。

在应对新型冠状病毒肺炎、促进新冠病毒疫苗和新冠肺炎治疗药物的研发和审评质量、速度方面，药审中心发布了《新型冠状病毒预防用疫苗研发技术指导

原则（试行）》等 7 个指导原则；在着力提升中药材质量研究，鼓励中药研发与创新方面，发布了《中药新药用药材质量控制研究技术指导原则（试行）》《中药复方制剂生产工艺研究技术指导原则（试行）》《中药新药用于慢性便秘临床研究技术指导原则》等 10 个指导原则；在鼓励儿童药物研发方面，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）》等 3 个指导原则；在支持抗肿瘤药物研发，进一步满足申请人对具体抗肿瘤药物的个药指导原则需求方面，发布了《抗肿瘤药联合治疗临床试验技术指导原则》《注射用曲妥珠单抗生物类似药临床试验指导原则》等 22 个指导原则；在提高仿制药质量，推进仿制药一致性评价方面，规范审评标准和尺度，发布了《化学药品注射剂仿制药质量和疗效一致性评价技术要求》《化学药品注射剂（特殊注射剂）仿制药质量和疗效一致性评价技术要求》等 9 个指导原则。这些指导原则覆盖新冠应急审评标准、儿童用药、中药民族药技术标准体系、抗肿瘤药物研发及仿制药研发等热点难点问题，持续完善药品技术指导原则体系，有效推动药物研发创新，不断优化统一审评尺度，大力提升审评质量和效率，显著减少审评自由裁量权。