

国际医药动态汇编

(2025年1-6月)

中国医药创新促进会

目 录

FDA.....	8
FDA 推出全机构人工智能工具以优化为美国人民服务	8
FDA 将向支持美国国家利益的制药公司发行“局长国家优先审评券” ..	8
FDA 停止将美国人细胞出口至敌对国家的国外实验室进行基因工程的 新临床试验	8
FDA发布《2024财年GDUFA科学与研究报告》	9
FDA宣布扩大对国外制造设施进行突击检查	9
HHS、FDA 发布关于放松管制计划以降低成本和增强提供商能力的	
RFI.....	9
美国食品和药物管理局宣布计划逐步取消单克隆抗体和其他药物的动 物试验要求	10
FDA发布罕见病创新中心战略2025	10
2024年FDA新药审批总结报告	10
美国公布第二轮医保价格谈判清单	11
美卫生部审查FDA加速审批计划	11
HHS.....	11
联邦机构发布医疗保健整合报告	11
削减医疗补助的潜在目标将终止对 2000 万人的覆盖	11
各州起诉特朗普政府削减 NIH 拨款	12
EMA.....	12
2024 年度报告发布	12
欧洲药品管理局(EMA)网络数据指导小组(NDSG)发布了《2025-2028 年工作计划 药品监管中的数据与 AI》	13
关键药物联盟战略报告	13
战略：抓住不断变化的药品领域的机遇：欧洲药品机构网络战略 2028	13
欧盟推出新的临床试验地图	14
临床试验信息系统（CTIS）被指定为 WHO 主要注册库	14
反思文件草案：关于生物仿制药开发中量身定制的临床方法，简化生物 仿制药的开发和评估	14

临床试验法规全面适用	14
2024年EMA批准药物	15
欧盟卫生技术评估新规则生效	15
欧洲委员会	15
《COMBINE》项目启动临床试验和性能研究的协调评估试点	15
MFDS	16
韩国食品药品安全部发布《2024 年医疗器械批准报告》	16
PMDA	16
通知：促进儿童药物研发的举措	16
CIRS	16
西非国家经济共同体良好审查实践比较	16
CIRS 研发简报 98 - 欧洲 HTA 趋势：2019-2023 年七个市场的	
HTA 结果和时间表	17
赞比亚药品监管局审核流程评估	17
ABPI	17
如何改进区域安全数据环境网络	17
英国将于 2025 年下半年要求制药公司收入的三分之一	18
报告：实施促进健康和增长的自愿计划	18
政府和英国制药工业协会（ABPI）同意加快对 VPAG 的审查计划	18
WHO	19
法规与预认证部门2025-2028 战略行动计划	19
WHO发布《世界卫生组织2024年结果报告》	19
世卫组织成员国批准增加 20% 的资金和 2026-27 年预算，此举具有	
历史意义	20
2025年世界卫生组织统计：监测健康以实现可持续发展目标和可持续	
发展目标	20
改变儿科药物生态系统：2025-2030 年战略路线图	20
东南亚区域的最高零售价政策	20
WHO汇总全球150个国家地区基本药物目录	21
WHO拟修订药品预认证程序	21

MHRA.....	22
关于药品和保健品监管局（MHRA）药品上市许可申请国家评估程序的指南	22
临床试验法规已签署成为法律	22
PhRMA.....	22
《Medicare Part D 计划与 PBM 最初拒绝超过 70%的患者四种慢性病的处方药》	22
PhRMA 对外国国家搭便车利用美国资助的创新发表评论	23
PhRMA 对《医疗保险药品价格谈判计划草案指南：IPAY 2028》的评论	23
外国参考定价对美国人不利	24
报告：生物制药创新的新时代-药物如何预防疾病、改变生活并创造更健康的美国	24
PhRMA就利用人工智能支持药品和生物制品监管决策的考虑因素致食品药品监督管理局的评论	25
强有力的美国贸易政策推动美国生物制药创新	25
EFPIA.....	25
欧盟理事会关于药品立法的决策：错失欧洲创新的机会	25
EFPIA 对欧盟委员会关于欧盟生物技术法案的征求意见的回应	26
EFPIA 关于逐步淘汰化学安全评估中动物测试的建议	26
报告：2025：医药行业数据	26
2024年度报告：GMP/GDP检查调查	27
临床试验:为了加强研究生态系统，欧洲需要作为一个统一的区域发挥作用	27
报告：2025年欧洲癌症比较报告-疾病负担、成本和药品及分子诊断的可及性	27
欧洲生命科学战略	28
EFPIA 临床试验策略 2030+	28
EFPIA 关于改善欧盟临床试验生态系统的提案清单	28
EFPIA观点：利用 RWE 改变欧洲的医疗保健决策	29

提高欧洲医药领域竞争力以应对中美挑战	29
药品短期：EFPIA行动方案	30
IFPMA	30
制药行业呼吁 G7 将创新作为健康、增长和安全战略支柱优先考虑	30
《国际健康伦理合作共识框架》	30
IFPMA 在第 25 届 WHO 基本药物选择和使用专家委员会会议开放 会上发表声明	31
创新药物无法获得和获得延迟的根本原因	31
较小市场创新药物难以获得和延迟获得的根本原因	32
IQVIA	32
《LMICs 药品的关键获取途径和瓶颈》	32
报告：全球研发趋势 2025	32
ITIF	33
联邦技术转让法为研究型大学推动区域经济发展带来巨大收益；新报告 详述《拜杜法案》的影响	33
国会应全额资助 NSF 的技术创新合作局，以提升美国在中国的竞争力	33
美国贸易伙伴如何应对美国关税	34
外国参考定价：一条快速丧失美国生物医药优势给中国的道路	34
关于工业安全局对药品进口进行第 232 项调查的评论	34
NSCEB	35
报告：规划生物技术的未来：美国安全与繁荣的行动计划	35
PHARMABOARDROOM	35
以 HEOR 实现可负担性与可及性	35
欧盟联合临床评估：释放欧洲准入潜力还是更多繁琐程序？	35
香港 CGT 制造：迈向自给自足	36
BioNTech：押注中国肿瘤创新	36
美国白宫（White house）	37
促进国内关键药品生产监管减负	37
为美国患者提供最惠国处方药定价	37

修改互惠税率以反映与中华人民共和国的讨论情况	37
MHRA	38
2024 年《医疗器械（上市后监督要求）（修订）（英国）法规》实施后报告表格更新指南	38
BIA	38
BIA 发布英国生命科学行业愿景	38
英国生物技术融资报告	39
BIO	39
2025 年新兴生物技术公司状态：投资、交易和管线趋势	39
众议院推进关于 PBM 改革、孤儿药支持、研发扣除的立法	40
BIO 对关税的评论：有更好的方法可以加强美国生物技术	40
BIO 对重新提出两项旨在专利改革的法案表示赞赏	40
美国在罕见病药物方面的领导地位面临风险	41
BIO 小组提出监管细胞和基因疗法的全球指南	41
引入 EPIC 法案以纠正 IRA 的“药丸罚款”	41
新调查：美国生物技术公司警告关税可能阻碍治愈途径，抑制创新	42
BIO 就新兴生物技术国家安全委员会报告发表声明：需要立即采取大胆行动以确保美国作为全球生物技术领导者的地位	42
JPMA	42
关于医疗保健专业人员在罕见病方面面临的挑战的调查	42
BCG	43
2025年生物制药趋势	43
PHARMA	43
10 年临床试验排名前 2025 位的欧洲国家	43
Illumina 禁令：生物制药公司中美贸易困境只是开始？	44
2025年5大仿制药公司	44
ICMRA	44
ICMRA协同评估总结报告	44
Pharmaz	45
全球药品监管的未来	45
ICH	45

《ICH Q1稳定性试验指南》（草案）	45
TGA.....	45
指南：医疗器械唯一设备标识（UDI）要求指南	45

FDA

FDA 推出全机构人工智能工具以优化为美国人民服务

FDA推出生成式人工智能（AI）工具——Elsa旨在帮助科学审查员到调查员更高效地工作。这款创新工具现代化了机构职能，并利用 AI 能力更好地服务美国人民，Elsa 为 FDA 员工提供了一个安全平台，以便访问内部文件，确保所有信息都保持在机构内部，保护所有敏感的研究和数据，同时，能够提高FDA员工的工作效率。

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-launches-agency-wide-ai-tool-optimize-performance-american-people>

FDA 将向支持美国国家利益的制药公司发行“局长国家优先审评券”

FDA推出“局长国家优先审评券”（Commissioner’s National Priority Voucher, CNPV）计划。该计划的核心在于将药品审评时间从常规的10到12个月大幅缩短至1到2个月。对于符合：（1）解决美国的健康危机；（2）为美国人民提供更所创新疗法；（3）解决未满足的公共卫生需求；（4）将国内药品制造提升为国家安全问题的生物制药公司，将获得审评券，从而在药品审评的过程中获得优先权。

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-issue-new-commissioners-national-priority-vouchers-companies-supporting-us-national-interests>

FDA 停止将美国人细胞出口至敌对国家的国外实验室进行基因工程的新临床试验

FDA宣布将对涉及将美国公民的活细胞送往中国及其他敌对国家进行基因工程，并随后将细胞输回美国患者体内的新临床试验（有时甚至在不告知或未获得患者知情同意的情况下进行）进行紧急审查。FDA声称越来越多的证据表明，部分此类试验未能告知参与者其生物材料的国际转移和操作，并可能使美国人的敏感遗传数据面临外国政府，包括敌对国家的滥用风险。

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-halts-new-clinical-trials-export-americans-cells-foreign-labs-hostile-countries-genetic>

FDA发布《2024财年GDUFA科学与研究报告》

该报告分为九个章节，前八个章节描述了2024财年杂质、复杂API、复杂制剂和配方、复杂的交付路线、药械组合产品、口服和肠外产品、定量方法和模型等八个优先科学领域的研究项目和成果。第九章报告了其他仿制药科学和研究。

<https://www.fda.gov/drugs/generic-drugs/fy-2024-gdufa-science-and-research-report>

报告链接: <https://www.fda.gov/media/186225/download?attachment>

FDA宣布扩大对国外制造设施进行突击检查

继特朗普签署“促进国内关键药品生产监管减负”的行政令后，FDA宣布计划扩大对国外生产设施的突击检查范围，这些设施生产食品、药品和其他医疗产品，产品面向美国消费者和患者。这一变化是“在印度和中国开展的FDA检查与调查办公室（OII）国外突击检查试点项目”的基础上进行的，旨在确保外国公司能够接受与美国国内公司相同水平的监管监督和审查。

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-announces-expanded-use-unannounced-inspections-foreign-manufacturing-facilities>

HHS、FDA 发布关于放松管制计划以降低成本和增强提供商能力的 RFI

为回应特朗普政府发布的第14192号行政令，美国FDA和HHS启动公开信息请求（RFI），将采取10比1的规则，即对于每出台一项新法规，必须至少取消 10 项现有法规，旨在识别和消除过时或不必要的法规，进而减轻监管负担，提高监管透明度。

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/hhs-fda-issue-rfi-deregulatory-plan-lower-costs-and-empower-providers>

美国食品和药物管理局宣布计划逐步取消单克隆抗体和其他药物的动物试验要求

美国FDA宣布了一项具有里程碑意义的监管改革计划即将采用更为高效、与人体相关性更强的方法（包括基于人工智能的计算毒性模型、实验室环境中的细胞系和类器官毒性测试等多种方法）减少、改进或可能替代单克隆抗体疗法及其他药物研发过程中的动物试验。这一决定旨在提高药品安全性评估效率，同时减少动物实验、降低研发成本与药品格，从而推动公共健康事业的发展。为了确定疗效，该机构还将开始使用其他国家现有的、真实世界的安全性数据，这些国家具有可比的监管标准，并且该药物已经在人类中进行了研究。

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-announces-plan-phase-out-animal-testing-requirement-monoclonal-antibodies-and-other-drugs>

FDA发布罕见病创新中心战略2025

该议程围绕三大核心目标展开：一是推进罕见病治疗的监管科学，包括创新终点和生物标志物开发；二是加强FDA各中心之间的协调和对齐，确保罕见病药物审查的一致性；三是为外部合作伙伴创建一个集中联系点，促进与罕见病社区的互动和信息共享。文件提出了具体的行动计划，包括举办多合作伙伴研讨会、促进患者参与、建立跨中心信息共享机制以及评估罕见病教育资源的缺口，以期在2025年实现罕见病药物开发的创新和效率提升。

<https://www.fda.gov/media/185144/download>

2024年FDA新药审批总结报告

2024年CDER共批准了50个新药，其中24个（48%）首创新药，26个（52%）罕见病用药。50个获批新药中，22个（44%）被认定为快速通道，18个（36%）被认定为突破性治疗药物，28个（56%）被认定为优先审评，7个（14%）获得加速审批。CDER对2024年批准的所有新药中的33个（66%）使用了一项或多项加快开发和审评方法。另外，批准的50个新药中，37个（74%）首轮获批，34个（68%）先于任何其它国家在美国获批。

<https://www.fda.gov/news-events/fda-voices/cder-brings-many-safe-and-effective-therapies-patients-and-consumers-2024>

美国公布第二轮医保价格谈判清单

美国卫生部于1月17日根据《通胀削减法》（IRA）选定了第二批进入美国联邦医疗保险（Medicare）价格谈判的 15 种药，包括诺和诺德、辉瑞、百时美施贵宝、阿斯利康、葛兰素史克等公司的重磅药物。诺和诺德用于治疗糖尿病和肥胖的明星药司美格鲁肽成为今年名单中的焦点。

<https://www.medicarerights.org/medicare-watch/2025/01/23/second-set-of-part-d-drugs-for-medicare-negotiation-includes-blockbuster-diabetes-and-weight-loss-drugs>

美卫生部审查FDA加速审批计划

美国卫生部（HHS）监察长办公室审查了FDA对24个药的加速审批情况，最终发现其中三个药的审批流程存在问题：aducanumab（渤健的阿尔茨海默病药物）、eteplirsen（Sarepta 的杜氏肌营养不良症药物）和 HPC（Covis Pharma Group 的降低早产风险药物）。

<https://www.medpagetoday.com/washington-watch/fdageneral/113802>

HHS

联邦机构发布医疗保健整合报告

本文是由美国卫生与公众服务部（HHS）发布的关于美国医疗保健市场整合情况的报告，主要探讨了医疗保健市场的集中化趋势、私募股权投资（PE）的涌入以及这些现象对患者、医疗服务提供者和保险市场的影响。报告基于HHS与司法部和联邦贸易委员会（FTC）的跨部门合作，旨在评估医疗保健市场的竞争状况，并提出相应的政策建议。

<https://www.hhs.gov/sites/default/files/hhs-consolidation-health-care-markets-rfi-response-report.pdf>

削减医疗补助的潜在目标将终止对 2000 万人的覆盖

共和党控制的国会正在考虑对Medicaid进行重大削减,特别是针对ACA下的Medicaid扩展计划。本文指出,这些削减将对Medicare(医疗保险)及其受益人产生连锁反应,尤其是针对《平价医疗法案》(ACA) Medicaid扩展计划的削减。

<https://www.medicarerights.org/medicare-watch/2025/02/20/potential-target-for-medicaid-cuts-would-end-coverage-for-20-million-people>

各州起诉特朗普政府削减 NIH 拨款

2025年2月10日,22位州总检察长对特朗普政府提起诉讼,反对其削减美国国立卫生研究院(NIH)研究拨款间接成本资金的决定。特朗普政府宣布将间接成本资金比例从平均27%至28%降至15%,这一举措引发了广泛担忧,被认为将严重破坏美国大学和研究机构的关键公共卫生研究,导致“尖端疾病研究停滞”。间接成本资金用于支付建筑维护、水电费和其他行政开销,通常由各机构与NIH单独协商确定。此次一刀切的削减被认为忽视了研究机构的实际成本和依赖关系。

<https://www.medpagetoday.com/publichealthpolicy/generalprofessionalissues/114163>

EMA

2024 年度报告发布

EMA发布2024年度报告,阐述了该机构在欧盟(EU)对公共和动物健康的战略重点和贡献。2024年,EMA推荐了114种药品上市许可。其中46种含有在欧盟之前从未获准的新活性成分。除了新药,EMA在2024年还推荐了90项药品适应症的扩展,其中包括40项儿童用药。报告还介绍该局为投资更优流程和基于证据的监管决策所做的努力,利用加速欧盟临床试验和数据分析与现实世界交互网络等举措,促进先进制造方法的应用,并利用人工智能造福患者和公共卫生;以及欧洲药品管理局为加强欧洲药品监管网络和国际合作所做的工作。

https://www.ema.europa.eu/en/documents/annual-report/2024-annual-report-european-medicines-agency_en.pdf

欧洲药品管理局（EMA）网络数据指导小组（NDSG）发布了 《2025-2028年工作计划 药品监管中的数据与 AI》

该文件旨在通过解锁数据价值，确保药品可信可及，进一步推动欧盟在药品监管数字化转型。文件共计32页，涉及战略、治理、指南和合作，涵盖药品全生命周期尤其是临床数据价值，详尽具体。概述了欧洲药品监管网络计划如何利用大量监管和健康数据以及新工具，以鼓励研究、创新，并支持监管决策，从而更快地将更好的药物送达患者手中。

<https://www.nsf.org/life-science-news/ema-hma-data-and-ai-work-plan-2025-2028>

文件链接：

https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/network-data-steering-group-workplan-2025-2028_en.pdf

关键药物联盟战略报告

本报告由关键药品联盟（Critical Medicines Alliance）发布，该报告概述了提高欧盟关键药物供应链安全性和弹性的主要发现和建议。它强调了欧洲药品供应链中的关键脆弱性，并提议对战略项目进行大量投资，解决采购政策问题，同时倡导建立一个协调和平衡的库存要求框架，以确保供应安全。认识到药品供应链的相互关联性，该联盟还建议加强与第三国的伙伴关系，以增强供应弹性。

https://health.ec.europa.eu/document/download/3da9dfc0-c5e0-4583-a0f1-1652c7c18c3c_en?filename=hera_cma_strat-report_en.pdf

战略：抓住不断变化的药品领域的机遇：欧洲药品机构网络战略 2028

EMA发布了到2028年欧洲药品机构网络战略，在这份战略文件中，EMA和HMA共同确定共同面临的挑战、目标和优先事项，该战略建立在2025年战略的基础上，重点关注可及性、利用数据、数字化和人工智能、药品监管科学、创新与竞争力、可获得性和供应以及欧洲药品监管机构网络可持续性六个方向。

<https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/european-medicines-regulatory-network/european-medicines-agencies-network-strategy>

欧盟推出新的临床试验地图

欧洲药品管理局（EMA）现已在其公共网站上推出新的临床试验地图。该地图旨在为患者和医疗保健专业人员提供在其所在地区开展的临床试验的全面、实时信息，从而增加参与欧盟（EU）临床研究的机会。该地图以 CTIS 中包含的公共信息为基础，改进了人们使用系统和查找临床试验信息的方式。用户可以按地理区域和医疗条件查找正在进行的试验，支持外行语言的查询。

<https://www.ema.europa.eu/en/news/new-clinical-trial-map-launched-eu>

临床试验信息系统（CTIS）被指定为 WHO 主要注册库

临床试验信息系统（CTIS）已被世界卫生组织（WHO）指定为国际临床试验注册平台（ICTRP）内的主要注册库，成为主要注册管理机构意味着CTIS在内容、数据质量和有效性、可访问性、唯一标识、技术能力和管理方面遵守特定标准。这确保了全球的医疗保健决策者能够获得全面的研究信息。

<https://www.ema.europa.eu/en/news/clinical-trials-information-system-designated-who-primary-registry>

反思文件草案：关于生物仿制药开发中量身定制的临床方法，简化生物仿制药的开发和评估

欧洲药品管理局（EMA）正在探索改进生物类似药的开发和评估方法，同时坚持严格的欧盟（EU）安全标准。目的是减少欧盟开发和批准生物类似药所需的临床数据量。文件中表示，如果生物类似药在结构和功能上被证明与其参考药物相似，并有药代动力学数据支持，则可能不需要进行额外的临床试验。

<https://www.ema.europa.eu/en/reflection-paper-tailored-clinical-approach-biosimilar-development>

临床试验法规全面适用

欧盟（EU）的所有临床试验，包括根据先前法律框架临床试验指令（CTD）批准的正在进行的试验，均受临床试验法规CTR的约束。这标志着为期三年的过渡期的结束，在此期间，超过5,000项临床试验通过提交临床试验信息系统（CTIS）

过渡到CTR，CTIS是申办方和监管机构提交和评估欧盟临床试验申请的单一入口点。

<https://www.ema.europa.eu/en/news/clinical-trials-regulation-becomes-fully-applicable>

2024年EMA批准药物

2024年，EMA推荐了114种药物获得上市许可。其中，46种含有一种以前从未在欧盟（EU）获得授权的新活性物质。其中包括第一种治疗早期阿尔茨海默病的药物，第一种用于治疗过敏反应的无针和更小形式的肾上腺素，第一种治疗与von Hippel-Lindau病相关的肿瘤的药物，以及两种用于治疗某些严重感染的新型抗生素药物，28种抗癌药物。

<https://www.ema.europa.eu/en/news/human-medicines-2024>

欧盟卫生技术评估新规则生效

在欧盟（EU），集中授权的药物首先经过EMA的监管评估并被授权用于患者，然后由卫生技术评估（HTA）机构进行评估，以帮助会员国就新卫生技术的使用、价格和报销水平做出决定。新规则最初将适用于治疗癌症的新活性物质和所有先进疗法药品（ATMP）。它们将于2028年1月扩展到孤儿药，并从2030年起扩展到所有中央授权的医药商品。自2026年起，选定的高风险医疗器械也将进行评估。

<https://www.ema.europa.eu/en/news/new-eu-rules-health-technology-assessments-become-effective>

欧洲委员会

《COMBINE》项目启动临床试验和性能研究的协调评估试点

欧盟委员会及成员国在COMBINE计划下启动试点项目，旨在通过"单一申请"简化药品与医疗器械联合研究的审批流程，减轻申办方行政负担，提升评估透明度和一致性。试点将限定数量的同时测试药品与伴随诊断的研究案例以验证流程效果。

<https://ec.europa.eu/newsroom/sante/newsletter-archives/64447>

MFDS

韩国食品药品安全部发布《2024 年医疗器械批准报告》

《2024年医疗器械审批报告（英文版）》，汇总了2024年韩国医疗器械的审批、认证及通报（统称审批）情况。全年审批总量为7,116件，主要呈现三大趋势：一是人工智能医疗软件（SaMD）审批持续增长，国内开发的AI产品占比达87%，且2024年获批的41项创新医疗器械中33项为SaMD（占80.5%）；二是医美整形器械稳步上升，生物材料移植物/假体审批量达108件（较2023年增38%），面部固定线材增长40%；三是老年护理器械持续热门，牙科种植体上部结构（135件）和种植器械（98件）分别位列年度审批量第三和第六名。

https://www.mfds.go.kr/eng/brd/m_61/view.do?seq=174&srchFr=&srchTo=&srchWord=&srchTp=&itm_seq_1=0&itm_seq_2=0&multi_itm_seq=0&comp_any_cd=&company_nm=&page=1

PMDA

通知：促进儿童药物研发的举措

为推进日本儿童药物研发不落后于其他国家，PMDA发布了关于促进儿科药物开发的举措。本文件概述了 PMDA 关于儿童药物开发的基本原则以及在成人药物开发临床试验咨询期间应考虑的重要事项。

<https://www.pmda.go.jp/files/000274940.pdf>

CIRS

西非国家经济共同体良好审查实践比较

本文评估和比较西非国家经济共同体(ECOWAS)药品监管协调倡议(MRH)中七个国家（布基纳法索、科特迪瓦、加纳、尼日利亚、塞内加尔、塞拉利昂和多哥）的国家药品监管机构（NMRAs）的良好审评实践。研究结果显示，所有NMRAs均已实施措施以确保审评过程的质量，但在透明度、沟通、持续改进以及培训和教育方面仍有待进一步实施的倡议。

<https://cirsci.org/publications/comparison-of-good-review-practices-in-eo-was-owusu-asante-2025/>

CIRS 研发简报 98 - 欧洲 HTA 趋势：2019-2023 年七个市场的 HTA 结果和时间表

该研发简报展示了 HTADock 的数据，HTADock 是一项持续进行的 CIRS 指标研究，该研究收集了关键国际 HTA 机构评估的新活性物质（NAS）的公开数据，分析侧重于第一次 HTA 建议和推出时间表，包括肿瘤产品、ATMP、使用 EMA 加速评估的产品和 PRIME 优先药品。同时，分别评估了法国和爱尔兰的早期准入和快速审查机制的影响。

<https://cirsci.org/publications/cirs-rd-briefing-98-european-hta-trends-hta-outcomes-and-timelines-across-seven-markets-2019-2023/>

赞比亚药品监管局审核流程评估

赞比亚药品监管局（ZAMRA）采用三种审评模式来审评新活性物质（NASs）和仿制药产品：验证模式，适用于已通过世界卫生组织预认证或由严格监管机构（SRA）批准的产品；简化模式，适用于已广泛使用的分子或SRA批准的产品；完整模式，适用于未通过预认证的产品。审评过程中遵循了良好的审评实践和质量决策流程，但仍存在改进空间。

<https://cirsci.org/publications/evaluation-of-zambian-medicines-regulatory-authority-review-process-chisha-2024/>

ABPI

如何改进区域安全数据环境网络

本报告旨在探讨如何通过改善NHS的区域安全数据环境（SDE）网络，释放健康数据用于研究的潜力，以支持生命科学行业的发展。报告指出，目前的数据基础设施分散且复杂，限制了其在药物开发、监管审批和健康技术评估中的应用。报告提出了五项关键建议，包括优先提供高价值数据集和服务、明确不同层级数据支持的研究类型、建立统一的服务入口点、统一信息治理和合同流程，以及成立外部咨询小组以确保用户需求被纳入战略决策。

<https://www.abpi.org.uk/publications/unlocking-nhs-data-for-research-how-to-improve-the-regional-secure-data-environment-network/>

英国将于 2025 年下半年要求制药公司收入的三分之一

英国政府提议在 2025 年下半年将新品牌药物的法定计划支付率从目标公司 NHS 销售额的 15.5% 提高到 32.2%。“支付率”是指公司在其向 NHS 销售品牌药品时需退还给政府的收入金额。这是对公司已缴纳的税款的额外收费。ABPI 警告表示,法定计划和相关的“品牌药品定价、获取和增长自愿计划”(VPAG)下不断飙升的支付率正在破坏政府将生命科学作为其产业战略关键支柱的努力。

<https://www.abpi.org.uk/media/news/2025/march/uk-set-to-demand-a-third-of-pharmaceutical-company-revenue-in-second-half-of-2025/>

报告：实施促进健康和增长的自愿计划

英国药品行业协会 (ABPI) 发布报告, 揭示当前自愿药品定价与增长计划 (VPAG) 的危机及其对生命科学产业与国民健康服务体系 (NHS) 的深远影响。VPAG旨在通过限制NHS品牌药支出增长以控制成本, 但2025年支付率意外飙升至23.5% (含0.6%研发基金), 远超法国 (5.7%)、德国 (7%) 等欧洲国家, 使英国沦为国际投资“洼地”。ABPI强调, VPAG危机已动摇全球企业对英信心, 威胁政府《NHS十年计划》与《生命科学产业战略》的实施。呼吁政府立即启动谈判, 在2025年秋季审查前调整政策, 避免企业大规模退出自愿计划, 重振英国作为全球生命科学中心的竞争力, 最终实现患者可及性、产业增长与公共健康的共赢。

<https://www.abpi.org.uk/publications/delivering-a-voluntary-scheme-for-health-and-growth/>

政府和英国制药工业协会 (ABPI) 同意加快对 VPAG 的审查计划

VPAG: 品牌药定价、可及性和增长自愿计划

2023 年，政府与制药行业达成一项新协议，以支持品牌药品对 NHS 的负担能力,其中包括了在 2025 年秋季对计划条款进行审查的计划，鉴于政府打算在今年夏天同时发布国家医疗服务体系十年计划和生命科学行业计划(作为更广泛的行业战略的一部分)，政府和行业已同意将此次审查提前，以便在 6 月份完成。该审查将着重解决政府和行业对方案中较新药品的“总支付率”显著高于预期的共同担忧，以恢复其可预测性和可持续性。

<https://www.abpi.org.uk/media/news/2025/april/the-government-and-abpi-agree-to-accelerate-a-planned-review-of-vpag/>

WHO

法规与预认证部门2025-2028 战略行动计划

世界卫生组织（WHO）法规与预认证部门（RPQ）发布了2025-2028年战略行动计划，核心目标是通过强化全球监管体系和预认证流程，确保所有人公平获得安全、有效且质量保证的医疗产品。计划围绕五大战略优先事项展开：**一是，加强国家与地区监管体系：**推动监管趋同与协作，通过WHO标准、能力建设及网络（如WHO-Listed Authorities）提升监管成熟度，应对伪劣药品威胁。**二是，提升突发公共卫生事件应对准备：**优化紧急使用清单（EUL）流程，支持区域网络加速产品评估。**三是，拓展预认证与风险评估：**扩大产品覆盖范围，提高评估效率，发展协作路径（如专家评审小组）。**四是，扩大监管支持活动影响力：**完善质量管理体系（QMS），加强资源协调与成效监测（如关键绩效指标KPI）。**五是，优化运营与问责机制：**制定知识管理框架、电子追踪系统，优化预认证收费结构，并强化与利益相关方的沟通。

<https://www.who.int/publications/i/item/B09421>

WHO发布《世界卫生组织2024年结果报告》

报告重点介绍了世卫组织在 150 多个国家和地区的工作，并提供了第十三个工作总规划实施情况的最新情况，展示了迄今为止取得的成就和未来的挑战。在医药方面，2024 年，WHO 为药品分配了 481 个国际非专利名称，185 个国家访问了 WHO 医疗器械命名数据库。

<https://www.who.int/news/item/12-05-2025-who-results-report-2024-show-s-health-progress-across-regions-overcoming-critical-challenges>

世卫组织成员国批准增加 20% 的资金和 2026-27 年预算，此举具有历史意义

世界卫生组织成员国批准将分摊会费增加20%，此次会费增加是继2024-25年增加20%后，再次增加分摊会费。同时根据世卫组织未来四年全球卫生战略《第十四个工作共规划》（GPW14）批准了该组织42亿美元的2026-2027年预算。

<https://www.who.int/news/item/20-05-2025-in-historic-move--who-member-states-approve-20--funding-increase-and-2026-27-budget>

2025年世界卫生组织统计：监测健康以实现可持续发展目标和可持续发展目标

该报告主要包含以下4部分内容：健康寿命的变化和不平等及其原因、与健康相关的可持续发展目标、实现“三个十亿”目标的进展、免疫中的不平等。该报告揭示了COVID-19大流行对生命损失、寿命以及总体健康和福祉造成的更深层次的健康影响，并描述了未来几年的主要挑战。

<https://www.who.int/publications/i/item/9789240110496>、

报告链接：[9789240110496-eng.pdf](https://www.who.int/publications/i/item/9789240110496-eng.pdf)

改变儿科药物生态系统：2025-2030 年战略路线图

GAP-f旨在提供一种可持续的机制来加速更安全、更有效的儿童配方的开发和供应。该战略的第三阶段（2025-2030年）侧重于加强全球儿科药物生态系统，通过简化的方法和更深入的跨部门合作，旨在加速儿童友好型配方的开发、批准和采用——优先考虑需求最强烈的地方。GAP-f 以公平和影响为基础，将与国家、监管机构、行业、民间社会和社区、医疗保健专业人员和资助者合作，确保不让任何儿童掉队。

<https://www.who.int/publications/i/item/9789240110632>

东南亚区域的最高零售价政策

对东南亚各国的药品定价政策、监管机构、法规、实施方法及面临的挑战等进行了详细分析，主要包括以下内容：药品定价政策的重要性、各国药品定价政策概述、实施挑战、最佳实践和建议。

<https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/381105/9789290220572-eng.pdf?sequence=1>

WHO汇总全球150个国家地区基本药物目录

2025年4月8日，世界卫生组织宣布正式上线国家基本药物清单（National Essential Medicines Lists, NEMLs）汇总页面，这是一个集中化的数字平台，基于广泛的研究、在线搜索以及与各方的合作开发而成，汇集了来自全球六大区域共150个国家地区、从2005年到2024年的基本药物清单，且提供下载。该页面不仅是一个静态的数据库，更是一个协作工具，邀请成员国、WHO区域办事处以及研究人员共同参与，以确保其内容的完整性和相关性。从数据来看，页面包含来自WHO非洲区域的47个国家清单、东地中海区域的18个、欧洲区域的31个、美洲区域的22个、东南亚区域的11个以及西太平洋区域的21个（我国的2018年版基药目录处于这个区域）。每个清单都体现了该国独特的医疗需求、优先事项和面临的挑战。

[https://www.who.int/news/item/08-04-2025-who-unveils-global-repository-for-national-essential-medicines-lists-\(nemls\)](https://www.who.int/news/item/08-04-2025-who-unveils-global-repository-for-national-essential-medicines-lists-(nemls))

WHO拟修订药品预认证程序

世界卫生组织于2025年4月3日发布了《药品预认证程序》的征求意见稿，进一步优化和规范药品预认证流程。预认证流程包括多个步骤：WHO定期发布邀请函，邀请相关方自愿参与药品预认证程序；申请人提交产品文件（包括产品数据、生产信息等）；WHO对提交的文件进行评估，并对生产场所和临床试验场所进行检查；最终，符合WHO标准的药品将被列入预认证药品清单，供联合国机构采购参考。

这份文件是WHO药品预认证工作的重要指导性文件，与2011年4月的现行版本相比，本次征求意见稿在流程方面没有显著变化，其重点在于对列名当局（WLA）和成熟度为3和4（ML3/ML4）的国家监管机构（NRA）的政策变化。

https://cdn.who.int/media/docs/default-source/medicines/norms-and-standards/current-projects/2025-04-02_pq-procedure-revised_01.pdf?sfvrsn=bf98c4033

MHRA

关于药品和保健品监管局 (MHRA) 药品上市许可申请国家评估程序的指南

MHRA发布国家药品评估程序,为全英范围内的上市许可 (MA) 申请提供国家评估程序,包含创新药和已上市的药品,并对创新药和已上市药品的整个评估流程即:提交前、提交、评估阶段和响应阶段、决策阶段的要求和时限进行了说明。对于考虑提交新活性物质活生物类似物的申请,MHRA建议通过联盟工作共享程序进行提交。

<https://www.gov.uk/guidance/national-assessment-procedure-for-medicines>

临床试验法规已签署成为法律

英国开展临床试验法规的新规定已正式签署成为法律,并于4月11日开始进行为其12个月的推广,并在2026年4月10日起全面生效,这是英国临床试验法规20年来最重大的更新——旨在加强患者安全、加快审批流程、促进创新,并帮助更多人从参与关键研究中受益。新框架支持了将从申请到首次参与治疗的时间从250 天缩短到 150 天的目标。

<https://www.gov.uk/government/news/clinical-trials-regulations-signed-into-law>

PhRMA

《Medicare Part D 计划与 PBM 最初拒绝超过 70%的患者四种慢性病的处方药》

文章内容指出:根据2024年IQVIA研究显示,美国Medicare Part D计划及药品福利管理机构(PBMs)对五种慢性病处方药的初始拒绝率极高:骨质疏松

患者54%、免疫疾病患者74%、多发性硬化（MS）患者70%、偏头痛患者86%、肺动脉高压（PAH）患者71%被拒。约18%-42%的患者在一年后仍无法获得药物，其中70%未接受任何替代治疗。患者需多次申诉（平均2-3次，部分达11次以上）并经历漫长等待（14-24天）才能获药。文件指出，CMS需加强数据透明度及处方集监管以解决患者获取障碍。

<https://phrma.org/resources/medicare-part-d-plans-and-pbms-initially-denied-more-than-70-of-patients-their-prescribed-medicines-for-four-chronic-conditions>

PhRMA 对外国国家搭便车利用美国资助的创新发表评论

PhRMA向美国贸易代表办公室提交评论文件，指出美国在创新药物研发领域居世界领先地位，生物制药行业支持超490万个就业岗位，年经济产出超1.65万亿美元，2023年出口额超1010亿美元。但诸多外国政府通过价格管制、强制降价、国际参考定价等不公平贸易措施，将创新药价格压至公平市场价值以下，且报销流程冗长，致使其未公平分担研发成本。澳大利亚、加拿大等9个高收入国家及欧盟的相关政策尤为突出，其创新药支出占 GDP 人均比例远低于美国，报销延迟普遍数月甚至数年。PhRMA呼吁美国贸易代表办公室借助贸易谈判，推动这些国家取消不公平政策，履行研发成本分担义务，同时避免对进口创新药加征关税

<https://phrma.org/resources/phrma-comments-on-foreign-nations-free-loading-on-american-financed-innovation>

PhRMA 对《医疗保险药品价格谈判计划草案指南：IPAY 2028》的评论

PhRMA致信美国医疗保险和医疗补助服务中心（CMS），就 2028 年初始价格适用年的草案指导发表评论。PhRMA 指出，美国生物制药行业过去十年投资超 8000 亿美元，支持近 500 万就业岗位，在创新领域居世界领先地位。但《通胀削减法案》（IRA）的药品价格谈判计划存在严重缺陷，政府定价破坏市场机制，威胁创新激励，导致小分子药物研发投入投资暴跌近 70%，孤儿药开发受阻。该计划还导致药房和医疗机构不愿储备谈判药物，患者自付费用增加，医保

计划选择减少、保费上涨。PhRMA 认为，CMS 在合格单一来源药物定义、生物类似药暂停条款及数据收集等方面的做法缺乏法律依据，加重企业负担，呼吁 CMS 修改指导意见，避免对生物制药创新和患者用药可及性造成进一步损害。

<https://phrma.org/resources/phrma-comments-on-draft-guidance-of-medicare-drug-price-negotiation-program>

外国参考定价对美国人不利

PhRMA认为对于美国患者来说，任何形式的政府定价都对美国患者不利，外国参考定价（FRP）政策是政府价格控制的一种形式，FRP没有解决处方药成本的真正驱动因素，并未修复海外的不公平做法即允许外国搭美国研发列车，同时此举会威胁美国在生物制药研发方面的竞争优势。

<https://phrma.org/resources/foreign-reference-pricing-is-bad-for-americans>

文件链接：<https://cdn.aglty.io/phrma/global/resources/import/pdfs/One-pager%20Foreign%20Reference%20Pricing%20is%20Bad%20for%20Americans%20-%20May%202025.pdf>

报告：生物制药创新的新时代-药物如何预防疾病、改变生活并创造更健康的美国

该报告回顾了过去25年生物制药行业的创新成就，包括癌症治疗、心血管疾病、精神健康、糖尿病与肥胖症、免疫疗法、基因疗法。报告强调，美国的生物制药领导地位得益于可预测的监管环境、强大的知识产权保护以及基于市场的药品定价体系。然而，美国仍面临慢性疾病、阿尔茨海默病、癌症、肥胖症和罕见疾病等重大健康挑战。未来，生物制药行业将通过预防和早期干预、利用人工智能等新技术提高研发效率，并倡导支持创新和患者获取的政策，继续推动创新，以应对未来的健康挑战，为患者和医疗系统带来更多价值。

<https://innovation.org/wp-content/uploads/2025/02/PhRMA-InnovationReport.pdf>

PhRMA就利用人工智能支持药品和生物制品监管决策的考虑因素致食品药品监督管理局的评论

PhRMA针对FDA关于“人工智能（AI）在药物及生物制品监管决策中的应用”的指南草案提出了详细反馈。PhRMA总体支持FDA通过基于风险的可信度评估框架（Credibility Framework）推动AI在药物开发中的创新应用，认为其有助于加速安全有效疗法的开发并提高监管透明度，但也呼吁进一步澄清与完善以下关键点：监管范围与术语定义、可信度评估框架的细化、第三方技术与基础模型、全球协调与透明度。PhRMA强调，FDA需在鼓励创新与确保安全性之间平衡，通过持续对话、明确沟通渠道（如定量医学卓越中心）及灵活调整指南，为AI在药物监管中的合规应用提供可操作的路径。

<https://phrma.org/resources/phrmas-comments-to-the-food-and-drug-administration-on-the-considerations-for-the-use-of-artificial-intelligence-to-support-regulatory-decision-making-for-drug-and-biological-products>

强有力的美国贸易政策推动美国生物制药创新

报告强调了美国生物制药行业的经济重要性，并主张通过积极的贸易政策来维护美国在生物制药创新和制造领域的全球领导地位。2022年，美国生物制药公司在新药研发上投资了1410亿美元。2023年，美国生物制药产品出口额超过1010亿美元，是研发密集型行业中最大的商品出口部门。

<https://cdn.aglty.io/phrma/global/resources/import/pdfs/Report%20-%20Strong%20US%20Trade%20Policy%20Fuels%20American%20Biopharmaceutical%20Innovation%20-%20February%202025.pdf>

EFPIA

欧盟理事会关于药品立法的决策：错失欧洲创新的机会

欧盟理事会今日宣布修订通用药品立法，被指错失提升欧洲生命科学全球竞争力的机会。面对当前的高度颠覆性和不可预测的全球环境，尽管多数成员国已认识到强化欧洲竞争优势的紧迫性，但是决策中未能采取欧洲所需的果断行动。行业组织EFPIA呼吁决策者在立法最终阶段重视长期影响，强调需构建稳定、有竞争力的研发环境以维持欧洲医疗创新优势。

<https://www.efpia.eu/news-events/the-efpia-view/statements-press-releases/eu-council-s-decision-on-pharmaceutical-legislation-a-missed-opportunity-for-european-innovation/>

EFPIA 对欧盟委员会关于欧盟生物技术法案的征求意见的回应

EFPIA强烈支持培养世界一流的生物技术环境的雄心，对于欧盟生物技术法案，EFPIA强调要在以下多个领域采取协调和紧急行动：一是，加强具有国际竞争力的知识产权（IP）保护规则。二是，简化、加快并协调欧盟临床试验框架。三是，建立制造创新的卓越中心。四是，现代化欧盟监管生态系统。五是，释放更广泛私人投资的使用。六是，推动生物技术发展的数字化转型。

<https://www.efpia.eu/news-events/the-efpia-view/efpia-news/efpia-response-to-the-european-commission-call-for-evidence-on-the-eu-biotech-act/>

EFPIA 关于逐步淘汰化学安全评估中动物测试的建议

该报告旨在响应欧盟委员会计划2026年出台的全面路线图，响应拯救无残忍化妆品"公民倡议及药品法规修订，推动化学安全评估中动物试验的逐步淘汰。EFPIA提出"三篮子方法"分类动物试验：篮子1-可立即淘汰的试验，建议删除法规要求并推动全球认可。篮子2-需中期创新的试验，建议加强合作研发与验证。篮子3-尚无替代方案的复杂试验，建议投资突破性技术并优化现有方法。《建议》指出在此过程中的关键性挑战，并提出8项核心建议，强调需跨部门协作、强化资金支持及全球标准统一，确保患者安全与科学可靠性并存。

<https://www.efpia.eu/media/meef32ki/efpia-recommendations-on-phasing-out-animal-testing-for-chemical-safety-assessments.pdf>

报告：2025：医药行业数据

《报告》显示欧洲制药行业在医学进步与经济发展中具有关键地位，但中国在全球制药市场的影响力显著上升。在2019-2024年期间，中国市场的增长率为9.5%，高于欧盟前5大市场的平均增长率7.9%和美国市场的9.8%。2024年，在全球首次上市的新分子中，有28个来自中国（包括香港）总部的公司，而美国和欧洲总部的公司分别有25个和18个。但在全球市场份额方面，2024 年中国占世

界药品市场的 4.0%，而北美和欧洲分别占 54.8% 和 22.7%。此外，中国是欧盟主要制药贸易伙伴之一，不过欧洲行业仍面临新兴市场竞争、监管压力等挑战，2019-2023 年新上市药物 66.9% 销往美国，欧洲前五市场仅占 15.8%。

<https://www.efpia.eu/media/uj0popel/the-pharmaceutical-industry-in-figures.pdf>

2024年度报告：GMP/GDP检查调查

报告显示，全球药品生产监管检查正逐步从疫情期间的远程模式回归传统现场检查，实时远程检查在疫情后逐年减少，但整体检查数量较疫情前下降约20%。2024年，FDA的外国检查数量较2023年减少50%，日本、土耳其等国的检查频率则恢复或超过疫情前水平。值得注意的是，“有因检查”（如投诉或召回触发）在2023至2024年间翻倍增长，但未导致供应链中断。

<https://www.efpia.eu/media/fq4p0zxy/efpia-2024-reg-inspection-survey-v1-public-version.pdf>

临床试验:为了加强研究生态系统，欧洲需要作为一个统一的区域发挥作用

文件指出目前全球逾万种在研药物依赖临床合作开发，临床试验不仅为患者（尤其是罕见病和晚期患者）提供早期治疗机会，还为欧盟医疗系统年创10亿欧元效益，降低医院死亡率，并推动产业创新。然而，近十年全球临床试验增长38%的背景下，欧洲份额却从22%骤降至12%，尖端疗法领域份额更从25%跌至10%，主因是监管碎片化。文件强调，若美中持续吸引研发转移，欧洲将加速衰落。为此呼吁欧盟紧急行动：统一实施临床试验法规、允许跨境参与、简化多国伦理审查流程、优化临床试验信息系统(CTIS)，并借助即将出台的《欧盟生物技术法案》重获全球竞争力。

<https://www.efpia.eu/media/q53n2ypr/efpia-clinical-trials.pdf>

报告：2025年欧洲癌症比较报告-疾病负担、成本和药品及分子诊断的可及性

该报告全面分析了欧洲癌症的流行病学、经济负担以及癌症治疗和诊断技术的发展现状与趋势。报告指出，尽管癌症治疗取得进展，但欧洲的癌症发病率仍在上升，癌症的经济负担持续增长，且各国在癌症药品和分子诊断的可及性方面存在显著差异。

<https://www.efpia.eu/media/nbbbsbhp/ihe-comparator-report-on-cancer-in-europe-2025.pdf>

欧洲生命科学战略

EFPIA欢迎欧盟委员会制定强有力的欧盟生命科学战略的倡议，以增强欧洲竞争力并缩小与全球同行的创新差距。EFPIA认为在面临地缘政治、社会和气候挑战之际，需要大胆且协调一致的欧盟方法，需要制定欧盟生命科学战略，该战略应将创新转化为影响力、恢复临床研究、加强制造基础以及及时且公平地获得创新，并围绕这个4个方面提出了17条建议。

<https://www.efpia.eu/news-events/the-efpia-view/statements-press-releases/a-strategy-for-european-life-sciences/>

EFPIA 临床试验策略 2030+

EFPIA发布的《临床试验战略概览》提出2030及未来愿景，旨在通过“更快、更智能、更以患者为中心”三大战略方向，重塑欧洲在全球临床试验中的竞争力，推动医疗创新。为实现“更快”，EFPIA计划优化欧盟临床试验法规、简化流程、加强利益相关方协作（如伦理委员会、监管机构），并通过多边对话平台解决行政负担与标准化问题；“更智能”聚焦技术赋能，加速去中心化试验、人工智能、区块链等新方法与技术的应用，促进真实世界数据（RWD/RWE）共享，并确保技术与法规（如CTR/IVDR/MDR）兼容；而“更以患者为中心”强调患者深度参与，包括提升临床试验信息透明度、加强患者组织合作、优化跨境参与渠道，并将患者需求融入研究设计与执行，以增强多样性与包容性。

<https://www.efpia.eu/media/y2njed53/clinical-trial-strategy-in-a-snapshot.pdf>

EFPIA 关于改善欧盟临床试验生态系统的提案清单

欧盟临床试验改革提案旨在解决监管碎片化、审批低效及创新滞后等关键挑战，以重塑全球竞争力。核心措施包括：**简化监管流程**（允许并行提交试验修改、强化成员国协调机制、整合多领域审批路径）；**缩短审批时间至60天**，引入风险分级管理及已有评估引用机制；**支持创新设计**（纳入平台/去中心化试验、数字健康技术，建立监管沙盒试点）；**加速试验启动**（标准化合同流程、构建跨境“卓越中心”网络）；**提升患者参与**（加强公众教育、简化跨境参与立法，目标将试验参与率从4%提至10%）。EFPIA通过“临床试验战略2030+”联合多方推动改革，预期实现患者更快获得创新疗法、强化产学研协作、吸引全球投资并提升欧盟研发领导地位，最终需欧盟统一行动以协调法规、数字化升级及跨领域协作。

<https://www.efpia.eu/media/pl0nag0s/efpias-list-of-proposals-clinical-trials-15-apr-2025.pdf>

EFPIA观点：利用 RWE 改变欧洲的医疗保健决策

该文件阐述了RWE在医疗决策中的关键作用及实现路径。RWE其优势包括增强决策、推动患者中心化护理及促进研发创新。然而，挑战涉及数据信任、基础设施不足、法律障碍以及监管机构对RWE的接受度。为实现RWE，EFPIA提出四项关键行动：通过标准化指南提升数据质量、加强多方协作、明确RWE应用规范并建立透明化信任机制和推动国际协调。文件强调，成功整合RWE需持续投资数据基础设施、灵活的监管框架及利益相关方合作，以确保欧洲医疗创新领先地位，最终实现以全面证据驱动的医疗决策，惠及患者健康。

<https://www.efpia.eu/news-events/the-efpia-view/efpia-news/harnessing-rwe-to-transform-healthcare-decision-making-in-europe/>

文件链接：

<https://www.efpia.eu/media/tkgdxj25/harnessing-rwe-to-transform-healthcare-decision-making-in-europe.pdf>

提高欧洲医药领域竞争力以应对中美挑战

欧洲在研发投资和新药发现方面落后于中美，需通过政策改革吸引研发和制造回流，确保患者更快获得创新治疗。具体建议包括设立生命科学办公室、加强知识产权保护、优化临床试验审批流程和加快新药审批。

<https://www.efpia.eu/media/npxb1vx0/delivering-a-healthier-more-competitive-and-secure-europe.pdf>

药品短期：EFPIA行动方案

EFPIA提出应对药品短缺的行动建议，呼吁建立统一的欧盟短缺预防和缓解系统，加强供应链透明度，优化监管灵活性，并通过欧盟战略储备和全球供应链合作提升药品供应安全性。建议强调风险导向的政策措施，减少行政负担，确保患者及时获得所需药物。

<https://www.efpia.eu/media/adnjlfjd/medicine-shortages-efpia-proposal-for-action.pdf>

IFPMA

制药行业呼吁 G7 将创新作为健康、增长和安全战略支柱优先考虑

由IFPMA和创新药物加拿大（IMC）代表的全球制药行业呼吁G7各国政府将健康和创新置于即将到来的领导人峰会议程的首位。信中呼吁G7领导人通过聚焦三个关键领域来认识创新制药行业的战略价值：一是将医疗健康作为战略优先事项；二是，加强全球健康安全；三是，利用制药业推动经济增长与韧性。并强调将健康作为长期战略优先事项必须是议程中的核心部分。

<https://www.ifpma.org/news/pharmaceutical-industry-calls-on-g7-to-prioritize-innovation-as-strategic-pillar-for-health-growth-and-security/>

《国际健康伦理合作共识框架》

《框架》旨在为不同健康利益相关者之间的伦理协作提供工具，支持高质量患者护理。该框架由国际患者组织联盟、国际护士理事会等多个国际组织支持，其核心包括五项原则：将患者置于首位，确保患者和护理人员能做出最佳治疗决策并获得以人为本的护理；支持伦理研究与创新，倡导临床研究需有合法科学目的并伦理开展；确保独立与伦理行为，禁止不当影响的礼品、赞助等，活动需以科学教育为目的；促进透明度与问责制，如服务费用需有书面合同，临床研究结果需透明披露；维护健康数据与技术的负责任使用，尊重隐私并持续验证技术。

框架鼓励各伙伴制定自我监管准则，建立监测和报告机制，以支持伦理实践并确保问责，且作为活文件欢迎其他关键合作伙伴认可与评论。

<https://www.ifpma.org/publications/consensus-framework-for-ethical-collaboration/>

IFPMA 在第 25 届 WHO 基本药物选择和使用专家委员会会议开放会上发表声明

IFPMA 强调必须认识到纳入基本药物清单中的一些创新药产品可能带来的复杂基础设施需求，特别是在卫生系统水平和法律框架各异的医疗环境中，尤其是在低收入和中等收入国家（LMICs）。为确保这些药物能够得到有效和可持续的使用，需要加强 WHO 与各国政府之间的合作，以强化卫生系统，包括对诊断工具、专业人员和实验室能力的投资。文章指出，为更有效和有影响力的 WHO EML 提供支持的创新制药行业应考虑的关键因素有：支持国家加强卫生系统、确保包容性和循证决策过程、改进数据收集和关键绩效指标。

<https://www.ifpma.org/news/statement-at-the-open-session-of-the-meeting-of-the-25th-who-expert-committee-on-selection-and-use-of-essential-medicines/>

创新药物无法获得和获得延迟的根本原因

欧洲制药工业协会发布的该报告分析了欧盟创新药物无法及时上市和患者可及性延迟的根本原因。报告指出，尽管药物创新速度加快，但欧盟患者平均需等待 578 天才能获得已获 EMA 批准的新药，且药物可及率在欧盟内部存在显著不平等。影响创新药物无法获得和获得延迟的根本原因主要有：上市许可前流程缓慢、定价与报销（P&R）流程问题、价值评估过程障碍、卫生系统资源限制、地方审批层级复杂。报告强调这些多因素问题需利益相关方产业界、成员国、欧盟委员会等协作解决，并概述了 EFPIA 的承诺与政策建议，包括：产业界承诺在获批后两年内提交所有欧盟国家 P&R 申请、建立欧洲访问障碍门户提高透明度、推动基于公平的分级定价（EBTP）、支持新型支付模式、促进欧盟 HTA 条例下的联合临床评估效率等，旨在缩短等待时间，确保患者基于临床需求而非地域获得治疗。

<https://www.efpia.eu/media/er5dshuq/cra-efpia-root-causes-of-unavailability-and-delay-final-2025-report-29-apr-2025-stc.pdf>

较小市场创新药物难以获得和延迟获得的根本原因

该报告聚焦欧盟小市场人口<400万，如克罗地亚、塞浦路斯、爱沙尼亚等9国创新药物可及性延迟与不可用的根本原因。研究发现，小市场除面临全欧共性问题如HTA证据要求错位、预算不足、多层审批外，还存在独特挑战：如马耳他监管流程透明度低、北马其顿报销清单更新滞后等。报告对此提出针对性方案：在EFPIA五大政策框架（如联合HTA评估、分级定价）基础上，强化替代准入计划、跨国协作共享HTA评估减轻行政负担，并呼吁增加医疗预算占比。强调需通过透明化流程与区域合作，缩小小市场与大国的可及性差距。

<https://www.efpia.eu/media/olabqd20/cra-efpia-root-causes-of-unavailability-and-delay-in-smaller-markets-2025-report-final-8-may-2025-stc.pdf>

IQVIA

《LMICs 药品的关键获取途径和瓶颈》

《报告》评估了 18 个低中等收入国家（LMICs）中两种类型药物的部分获取途径。第一，"近期上市"分析聚焦于 2013 年至 2022 年间全球首次上市的药物。第二，"已建立"分析聚焦于 2023 年版世界卫生组织基本药物清单（EML）中的部分药物，排除其他因素外，包括"近期上市"条目。该分析考察了影响药物可及性和可负担性的多个因素：这些药物是否在当地注册、是否被纳入国家基本药物清单、是否由医疗体系报销，或是否在国内销售。识别这些领域的差距，突出了药物获取过程中可能加剧国内和国际间不平等性的潜在瓶颈。

<https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports-and-publications/reports/key-access-pathways-and-bottlenecks-for-medicines-in-lmics>

报告：全球研发趋势 2025

该报告评估了研发资金、临床试验活动以及新药批准和发布的趋势。它还使用更新的临床项目生产力指数检查了临床开发的效率和生产力，同时还提供了有关影响因素和推动因素的见解。通过在典型药物开发计划的更广泛背景下检查临

床试验时间表来研究作上可寻址的周期时间组成部分,展示可以针对加速开发的试验内和试验之间的关键组成部分。

<https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports-and-publications/reports/global-trends-in-r-and-d-2025>

ITIF

联邦技术转让法为研究型大学推动区域经济发展带来巨大收益; 新报告详述《拜杜法案》的影响

ITIF指出《拜杜法案》在美国学术技术转移生态系统中发挥了关键作用,尤其是在生命科学领域。然而,由于研究经费削减和对该法案的削弱呼吁,技术转移管道现在正面临压力。因此,ITIF提出了一系列建议旨在要扭转研发放缓的趋势,需要大学和政策制定者的共同努力,于大学而言,要寻求与产业合作加速技术转移、加强内部商业化基础设施并将创业精神融入教师和研究生培养中。于政策制定而言,应增加对大学研发的公共投资、扩大并现代化研发税收见面政策、恢复企业研发的首次费用化政策。

<https://itif.org/publications/2025/06/16/federal-tech-transfer-law-pays-tremendous-dividends-as-research-universities-spark-regional-economies-new-report-details-impact-of-bayh-dole-act/>

国会应全额资助 NSF 的技术创新合作局,以提升美国在中国的竞争力

文章指出国会授权五年内为美国国家科学基金会的技术创新合作项目拨款 200 亿美元,但立法者仅拨款 4.1 亿美元。为了在与中国的技术经济战争中取得胜利,美国需要技术创新合作局得到全额资助。文章建议将技术、创新与伙伴关系局(TIP)拨款提高到下一财年 100 亿美元、扩大国际研究合作、频繁审查 TIP 的表现、产业-大学合作研究中心(IUCRC)和 ERC 项目移至TIP下。

<https://itif.org/publications/2025/06/30/congress-should-fully-fund-nsf-tip-directorate/>

美国贸易伙伴如何应对美国关税

全球贸易与创新政策联盟 (GTIPA) 的17个国家成员分析了其经济体对美国关税的反应，结果显示，美国推行关税政策，致使全球贸易体系重塑，WTO作用被削弱，中国影响力上升。各国采取多种策略应对，如与美谈判、diversify出口市场、实施经济弹性措施，像加拿大推动能源出口亚洲，澳大利亚启动五点计划。同时，各国寻求替代贸易路线，如墨西哥加强与CPTPP合作，巴基斯坦深化与东盟等的区域融合。中国通过“一带一路”扩大投资，在多国基建和贸易中角色更重要，但也引发部分国家对其低价产品冲击本地产业的担忧。短期内全球经济增长预期下调，长期各国面临贸易体系走向保护主义或规则化的不确定性。

<https://itif.org/publications/2025/06/30/how-americas-trading-partners-reacting-to-us-tariffs/>

外国参考定价：一条快速丧失美国生物医药优势给中国的道路

文章指出，IRA 药品定价已经造成了重大损害，在中国竞争对手日益成为全球重要竞争者的时刻，美国最不应该做的就是引入新的药品价格管制，而是可以通过坚持要求其他国家为药品支付公平份额，从而提高底线而非竞相降低；通过投资公私合作来开发能够帮助公司在美国（包括通用药品和创新药品）以成本竞争力生产药品的技术创新。

<https://itif.org/publications/2025/05/13/foreign-reference-pricing-a-fast-track-to-losing-americas-biopharma-edge-to-china/>

关于工业安全局对药品进口进行第 232 项调查的评论

根据ITIF向商务部提交的意见书，该文件针对美国药品供应链国家安全调查指出：美国严重依赖外国药品及原料药供应（72% API依赖进口，印度占仿制药供应40%，中国主导布洛芬等常用药90%产能），2024年药物短缺达历史性323种，凸显供应链脆弱性。中国通过补贴、强制技术转让、知识产权窃取及价格管制等手段扩张生物医药产业，威胁美国竞争力。ITIF反对特朗普政府拟议的25%全面药品关税，认为将推高药价、加剧贸易逆差，且无法短期重建产能。建议转向技术驱动战略：投资新型生物制造技术、提供定向税收抵免、设立150亿美元

生物技术基金，并通过贸易谈判要求盟国公平分担新药研发成本，而非依赖关税壁垒。

<https://itif.org/publications/2025/05/07/comments-regarding-section-232-investigation-of-pharmaceutical-imports/>

NSCEB

报告：规划生物技术的未来：美国安全与繁荣的行动计划

自20世纪70年代以来，美国一直在生物技术领域处于领先地位。报告指出，中国正在迅速崛起，试图超越美国。美国现在认为在新兴生物技术的领域正逐渐落后于中国。主要内容：第一章：在国家层面优先考虑生物技术、第二章：动员私营部门扩大美国产品的规模、第三章：最大限度地发挥生物技术和国防优势、第四章：超越我们的战略竞争对手进行创新、第五章：培养未来的生物技术劳动力。

<https://www.biotech.senate.gov/final-report/chapters/chapter-3/>

PHARMABOARDROOM

以 HEOR 实现可负担性与可及性

该文章围绕全球医疗服务的可及性与可负担性展开讨论，指出在高收入国家也存在过度医疗和费用分担问题，而中低收入国家则面临药物获取困难和报销机制不足等挑战。文中强调全民医保的重要性，建议通过成本效益研究（HEOR）优化资源分配，并探讨了美国的价格透明度措施及制药企业在提升发展中国家医疗可及性方面的作用。最后呼吁加强国际合作，履行对中低收入国家提供基本医疗服务的道德责任。

<https://pharmaboardroom.com/articles/unlocking-affordability-and-access-with-heor/>

欧盟联合临床评估：释放欧洲准入潜力还是更多繁琐程序？

欧盟联合临床评估（JCA）是一项由欧洲委员会提出的战略性倡议，旨在协调成员国之间的HTA，拓宽和加速欧洲创新疗法的可及性，解决W.A.I.T.（等待获得创新疗法）指标所凸显的可及性和上市时间差异问题。文章指出JAC对制药

行业的影响在于增加了企业的工作量和资源、JCA的请求和响应流程将与监管事务流程同步进行、需适应新的提交环境。对于成员国而言，需要提升自身监管能力建设、相关监管要求的更新且需对并行流程进行管理。此外，文章也对JCA能否加速、扩大创新疗法的可及性以及是否会引入其他障碍提出疑惑。

<https://pharmaboardroom.com/articles/eu-jca-unlocking-europes-access-potential-or-just-more-red-tape/>

香港 CGT 制造：迈向自给自足

2024年3月，香港中文大学生物技术研究所下属的先进治疗产品良好生产规范中心成为香港首个获药品及毒药管理局认证的细胞和基因治疗制造中心，并取得临床试验制造商许可证，标志着香港在先进治疗领域迈出关键一步，使其能够参与国际多中心临床试验。文章指出该中心旨在解决商业化细胞和基因治疗成本高昂、物流复杂的问题。通过本地化生产，大幅缩短了治疗周期，降低了患者经济负担，并提升了治疗可及性。未来计划扩展至实体瘤治疗，并探索医院豁免模式等可持续路径，同时加强专业人才培养，以巩固香港在先进治疗领域的竞争力。

<https://pharmaboardroom.com/articles/cgt-manufacturing-in-hong-kong-towards-self-sufficiency/>

BioNTech：押注中国肿瘤创新

文章指出BioNTech凭借新冠疫苗与辉瑞合作获得巨额收益后，正将战略重心转向肿瘤学领域，而中国成为其创新布局的核心。公司利用疫苗收入积极收购和合作中国生物技术资产，包括从上海双迪生物制药和苏州美迪林医药获取ADC项目，以及全资收购Biotheus。BioNTech的战略凸显中国正从单纯市场转变为全球生物技术创新的重要源头。

<https://pharmaboardroom.com/articles/biontech-betting-big-on-chinese-oncology-innovation/>

美国白宫 (White house)

促进国内关键药品生产监管减负

美国总统特朗普签署了名为“促进国内关键药品生产的监管减负”的行政令，旨在通过简化监管流程，消除阻碍美国国内药品生产的监管障碍，加速药品制造“回流”。文件指出要简化FDA对国内药品生产的审查、加强对外国制造设施的检查、集中协调环境许可扩大国内制药能力、简化美国陆军工程兵部队对国内制药厂的审查。强调FDA局长要采取举措推进相关工作。

<https://www.whitehouse.gov/presidential-actions/2025/05/regulatory-relief-to-promote-domestic-production-of-critical-medicines/>

为美国患者提供最惠国处方药定价

美国总统特朗普签署“为美国患者提供最惠国处方药定价”行政令，强调通过建立最惠国定价，部长应与总统国内政策助理、医疗保险和医疗补助服务中心管理员以及其他相关行政部门和机构官员协调，向制药商传达最惠国价格目标，以使美国患者的药品价格与同等发达国家保持一致。

<https://www.whitehouse.gov/presidential-actions/2025/05/delivering-most-favored-nation-prescription-drug-pricing-to-american-patients/>

修改互惠税率以反映与中华人民共和国的讨论情况

该行政令中明确撤销第14259号行政令和第14266号行政令对中国商品（包括香港特别行政区和澳门特别行政区商品）加征的共计91%的关税，修改第14257号行政令对中国商品（包括香港特别行政区和澳门特别行政区商品）加征的34%的对等关税措施，其中24%的关税暂停加征90天，保留剩余10%的关税。同时，美方还下调或撤销对中国小额包裹加征的关税，将国际邮件从价税率由120%下调至54%，撤销原定于2025年6月1日起将从量税由每件100美元调增为200美元的措施。

<https://www.whitehouse.gov/presidential-actions/2025/05/modifying-reciprocal-tariff-rates-to-reflect-discussions-with-the-peoples-republic-of-china/>

MHRA

2024 年《医疗器械（上市后监督要求）（修订）（英国）法规》 实施后报告表格更新指南

根据 2024 年《医疗器械（上市后监测要求）（修订）（英国）条例》，MHRA 更新了其流程和程序，以确保更有效地识别可能揭示新风险或安全问题的趋势、模式或信号，从而使 MHRA 和整个医疗保健系统能够更好地保护患者。主要变更包括移除所有制造商事件报告（MIR）和现场安全纠正措施报告（FSCA）中与欧盟 EUDAMED 相关的字段，同时新增英国专属字段。医学术语体系限制为仅允许使用 GMDN 编码，并强化 IMDRF 附件要求。此外，联系人类型增加“UKRP”选项，FSCA 的公告机构 ID 字段限制为纯数字。实施过渡期内允许使用欧盟或 GB 模式，过渡期后强制使用 GB 模式提交，北爱尔兰报告仍沿用欧盟标准；更新后的 XSD 文件名均添加“GB”标识。

<https://www.gov.uk/government/publications/more-implementation>

BIA

BIA 发布英国生命科学行业愿景

为实现 2035 年愿景即：英国的生物技术行业将拥有更强大的长期资本基础，为早期和后期公司提供支持。它将包括更多规模较大的公司、更热情好客的公共市场、更深入的人才库，以及在研究、健康/基因组学数据、临床基础设施和专业制造方面的领导地位的持续全球认可。提出了生态系统必须实现的四个关键目标：一是，后期资本必须解锁。包括英国养老基金，BIA 呼吁授权这些基金投资于该行业。二是，必须通过提高行业意识和更有针对性的教育计划，以及吸引海外专家到英国来培养本土人才。三是，必须进一步推广英国的现有优势，例如健康数据、充满活力的科技和生物技术创业中心、监管和法律专业知识以及专业制造业。四是，促进国内外利益相关者之间加强合作。

<https://www.bioindustry.org/resource-report/a-vision-for-the-uk-life-sciences-sector.html>

英国生物技术融资报告

股权融资：英国生物技术公司在2024年筹集了35亿英镑，比2023年增长了94%。

风险投资：风险投资获得20.6亿英镑，比2023年增长64.8%，所有季度均表现强劲。北美投资者增加了他们的资金份额，尤其是在后期交易中，而种子阶段投资的英国参与度有所下降。

公共市场：由于市场不确定性，2024年没有IPO，延续了2023年的趋势，尽管对未来复苏的乐观情绪仍然存在。通过后续融资筹集了15亿英镑，比2023年增长了170%，纳斯达克是英国生物技术融资的主要来源。

拨款：赠款资金降至3300万英镑，平均赠款规模下降了30%，这表明在英国政府变革的一年中，用于生物技术的非稀释性资金有所减少。

<https://biotechfinance.org/>

BIO

2025 年新兴生物技术公司状态：投资、交易和管线趋势

报告指出2025年全球生物制药研发管线规模达23875种药物，较2010年增长145%，但2024年增速放缓至4.6%。肿瘤领域占据临床项目的45%，罕见病（15%）和心血管（增速11%）增长显著。新兴生物科技公司主导创新，贡献55%的临床项目，并占2024年FDA新药批准的66%（36/54），其中59%为罕见病药物。大型药企管线占比持续下降（TOP10仅占5%），主要通过外部合作获取创新（约50%项目源于授权或并购）。

投融资方面：2024年全球生物制药研发投入达2890亿美元，风险投资289亿美元（美国占220亿），IPO及增发融资回升但仍低于峰值。并购交易在2024年放缓后2025年反弹，联盟合作成为主要模式（潜在价值2500亿美元），集中于肿瘤、神经和代谢领域。人才市场承压，2025年Q1行业裁员2526人。地域上，中美韩主导创新（占新药研发83%），但美国仍占首创新药资产的50%。

<https://www.bio.org/sites/default/files/2025-06/The%20State%20of%20Emerging%20Biotech%20Companies%20-%20Investment%2C%20Deal%2C%20and%20Pipeline%20Trends.pdf>

众议院推进关于 PBM 改革、孤儿药支持、研发扣除的立法

在PBM和孤儿药方面，其中BIO支持的几项支持生物技术的条款：一是，《孤儿治愈法案》中的措辞，通过允许保护罕见病治疗免受价格控制，即使这些药物治疗不止一种罕见病，从而解决《降低通货膨胀法案》对孤儿药研究的抑制作用。二是，通过增加运营透明度、规范其费用和其他收入来源以及确保药店销售的药物获得公平补偿，来防止 PBM 推高药品价格。三是，支持《加速儿童获得护理法案》。此外，众议院筹款委员会批准了研发和 SAF 的税收减免，参议院司法部讨论了进一步立法 PBM 的可能性。

<https://bio.news/latest-news/reconciliation-bill-with-health-measures-on-pbm-reform-orphan-drugs-and-rd-deductions-advances/>

BIO 对关税的评论：有更好的方法可以加强美国生物技术

生物技术创新组织（BIO）在给商务部的评论中强调，对药品征收关税将损害确保我们拥有足够药品的供应链，同时威胁到美国的安全、经济和生物技术领导地位。BIO 提出如下几点建议：一是，支持国内制造业和服务业生态系统；二是，加强和扩大全球贸易合作；三是，培养员工队伍；四是，加快监管和许可途径；五是，改善获得资本的渠道；六是，发展区域制造中心；七是，鼓励战略技术领导。

<https://bio.news/latest-news/bios-comments-on-tariffs-there-are-better-ways-to-strengthen-u-s-biotech/>

BIO 对重新提出两项旨在专利改革的法案表示赞赏

BIO对重新提出的：《专利资格恢复法案》(PERA 法案)、《促进和尊重具有经济重要性的美国创新领导法案》(PREVAIL 法案) 两项法案表示赞同，认为这两项法案都是对美国知识产权体系的改进，只在加强美国专利的确定性，对生物技术创新至关重要。

<https://bio.news/federal-policy/bio-applauds-reintroduction-of-two-bills-aimed-at-patent-reform/>

美国在罕见病药物方面的领导地位面临风险

BIO专家在孤儿药大会上指出，长期以来，美国一直是罕见病药物开发的全球领导者，但除非国会保护关键的激励措施，否则这种领导地位将面临风险。由于罕见儿科疾病优先审查券（PPRV）计划等关键激励措施的到期以及包括《通货膨胀削减法案》（IRA）在内的法律中的有害条款，美国的领导地位正处于危险之中。直至2025年2月重新提出了《ORPHAN Cures Act》修订了IRA的孤儿药排除规定，并激励对罕见病药物开发的关键后续投资，为数百万患有罕见病的美国人保留了希望。

<https://bio.news/health/u-s-leadership-in-rare-disease-drugs-at-risk-bio-expert-tells-orphan-drug-congress/>

BIO 小组提出监管细胞和基因疗法的全球指南

ICH在5月于马德里举行的ICH大会上批准了ICH细胞和基因治疗讨论组（CGT DG）提交的一项提案，以制定CGT生产变更指南。由BIO领导的CGT小组的具体提案是制定关于“受制造工艺变化影响的先进疗法医药产品（ATMP）的可比性”的全球标准。CGT制造问题对BIO很重要，该协会的成员包括许多尖端的生物技术创新者。

https://bio.news/latest-news/bio-group-to-suggest-global-guidelines-for-regulating-cell-and-gene-therapies/?_gl=1*1nrsyvo*_gcl_au*MjAwMjcwMTc0MC4xNzQ4OTE3ODAw

引入 EPIC 法案以纠正 IRA 的“药丸罚款”

美国众议院于2月21日重新引入了两党共同支持的EPIC法案（H.R. 1492），旨在纠正《通胀削减法案》（IRA）中对小分子药物的“药丸惩罚”。IRA规定小分子药物（通常是口服药物）仅享有9年的价格控制保护期，而生物制剂享有13年。这种差异被认为阻碍了小分子药物的开发。BIO总裁John F. Crowley表示，IRA的这种规定阻碍了科学在药物开发中的引领作用。EPIC法案的引入旨在鼓励开发更易于患者服用且广泛可及的小分子药物。

<https://bio.news/health/epic-act-introduced-to-correct-iras-pill-penalty/>

新调查：美国生物技术公司警告关税可能阻碍治愈途径，抑制创新

生物技术创新组织（BIO）发布了一项会员调查结果，强调了生物医学供应链的全球重要整合。根据调查结果，近 90% 的美国生物技术公司至少有一半的 FDA 批准产品依赖进口组件，关税将会降低可负担药物的获取、延缓医疗创新并且增加了繁琐的程序，这使得美国患者和家庭的药品供应特别容易受到对欧盟、中国和加拿大拟议的关税的影响。BIO 认为有必要加快监管途径，以加速救命治疗的批准；加强资本形成，以推动下一代生物技术突破；保护并推进强大的知识产权，进而促进生物技术的创新。

<https://www.bio.org/press-release/new-survey-us-biotechs-warn-tariffs-could-impede-access-cures-stifle-innovation>

BIO 就新兴生物技术国家安全委员会报告发表声明：需要立即采取大胆行动以确保美国作为全球生物技术领导者的地位

新兴生物技术国家安全委员会（NSCEB）发布的报告明确指出，如果不立即采取大胆行动，美国将在未来几年内失去其在生物技术领域的领先地位。BIO 总裁兼首席执行官约翰·F·克劳利表示，该报告为我们提供了路线图，以解锁对生物技术的私人投资，并保护美国人民数代人的健康和安全。美国政府、学术界和私营部门携手合作，有能力确保美国生物技术超越竞争，推动经济增长，并加快将科学发现转化为现实世界的产品和解决方案的进程。Bio 期待与国会和行政部门合作，推进和实施保护并提升美国生物技术领导地位的政策。

<https://www.bio.org/press-release/bio-statement-national-security-commission-emerging-biotechnology-report-need>

JPMA

关于医疗保健专业人员在罕见病方面面临的挑战的调查

通过定量网络调查和定性访谈，识别罕见病领域的五个关键领域的挑战（基础和应用研究、开发和临床试验、诊断、治疗和预后管理、疾病意识），并概述各利益相关方对这些挑战的看法及解决方向。

https://www.jpma.or.jp/english/reports/industrial_policy_committee/survey_healthcare.html

BCG

2025年生物制药趋势

数字化转型、个性化医疗、基因疗法和细胞疗法快速发展，人工智能和大数据在药物研发中的应用不断增强。当前新疗法的例子包括针对脊髓性肌萎缩症、血友病A、镰状细胞病和针对多发性骨髓瘤的CAR-T 疗法，同类首创产品的市场份额已经从2000年的20%上升到今天的50%。

AI可以将临床前发现时间缩短30%到50%，并将成本降低25%到50%。然而，尽管有这一承诺，传统的制药和生物技术公司在采用AI方面进展缓慢。其中超过40%的企业尚未将人工智能实质性地纳入其药物发现流程。

<https://www.bcg.com/publications/2025/biopharma-trends>

PHARMA

10 年临床试验排名前 2025 位的欧洲国家

IQVIA 曾经发布了一份报告对欧洲的临床试验全景描绘了一副相当负面的图景。随着 2023 年全球试验的比例从 2013 年的 22% 下降到 2023 年的 12%，欧洲正在失去竞争力。这些临床研究损失的很大一部分流向了美国（自 2018 年以来，其试验数量翻了一番）和中国（世界领导者）。此份报告详见：

https://efpia.eu/media/o2gjinmfu/efpia_ve_iqvia_assessing-the-clinical-trial-ct-ecosystem.pdf

本文对西班牙、法国、德国、意大利、波兰、荷兰、比利时、丹麦、捷克、匈牙利的临床试验数量进行了粗略的统计。

<https://pharmaboardroom.com/articles/top-10-european-countries-for-clinical-trials-in-2025/>

Illumina 禁令：生物制药公司中美贸易困境只是开始？

这篇文章探讨了美国和中国之间贸易紧张局势对生物制药行业的影响，特别是对Illumina公司的制裁及其潜在的连锁反应。特朗普政府宣布对中国商品加征10%的关税后，中国商务部将美国基因测序巨头Illumina列入“不可靠实体”清单，理由是违反市场交易规则和对中国公司采取歧视性做法。Illumina在中国的业务占其总收入的7%，约3亿美元。禁令可能导致罚款和出口限制，影响其测序仪器在中国的销售。对生物制药行业的广泛影响：供应链中断风险、价格上涨和患者影响、研发合作受损。

<https://pharmaboardroom.com/articles/illumina-ban-just-the-start-of-us-china-trade-troubles-for-biopharma/>

2025年5大仿制药公司

概述了山德士、梯瓦、维亚特里斯、太阳制药、上海复星医药的财年业绩。中国复兴医药属于这5家公司之一。

<https://pharmaboardroom.com/articles/top-5-global-generics-companies-2025/>

ICMRA

ICMRA协同评估总结报告

2021年7月，ICMRA启动了协同评估试点项目，旨在通过全球监管机构合作，优化药品批准后变更（PAC）的评估流程。试点项目涉及多个监管机构，对同一PAC申请进行联合评估，成功实现了在120天内达成统一评估结果的目标。试点评估了5个申请，涉及增加制造能力、新制造场地、质量控制测试变更等关键方面。结果显示，88%的技术问题达成共识，信息请求（Information Requests）数量减少25%，未增加行业负担，且多数申请在同一天获得批准。试点项目还促进了监管机构间的合作与协调，为未来全球药品监管合作提供了宝贵经验。

https://icmra.info/drupal/sites/default/files/2025-01/cap_summary_report_23jan2025.pdf

Pharmaz

全球药品监管的未来

全球监管机构正逐步加强合作，以简化审批流程并提高效率。数字化技术如人工智能和大数据正在改变药品研发和监管方式，而突破性疗法（如基因和细胞疗法）的快速发展则要求监管框架更具灵活性和创新性。总体而言，未来药品监管将更加注重全球协作、技术应用和对新兴疗法的支持。

<https://pharmaboardroom.com/articles/the-future-of-global-pharma-regulation-harmonisation-digitalisation-breakthrough-therapies/>

ICH

《ICH Q1稳定性试验指南》（草案）

《ICH Q1稳定性试验指南》（草案）共计108页，当前已进入公开咨询期。该指南将原ICH稳定性指南系列Q1A-F和Q5C进行修订并整合，增加使用过程中的稳定性研究、短期稳定性研究、中间产品/中间体加工和保持时间、标准品稳定性研究、产品生命周期和建模等内容，同时，示例了一系列产品类型的标准稳定性数据包，用于监管提交，并包括对在药品质量体系（PQS）内管理的研究的建议。

<https://www.ich.org/news/ich-q1-draft-guideline-step-2-presentation-now-available-ich-website>

文件：https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_Q1EWG_Step2_Draft_Guideline_2025_0411.pdf

TGA

指南：医疗器械唯一设备标识（UDI）要求指南

该文件旨在通过全球统一标识提升医疗器械的可追溯性和患者安全。核心内容如下：1、UDI 系统基础，用于加强患者安全，提升监管框架有效性。2、各方义务与适用设备：明确制造商、赞助商和第三方在 UDI 方面的具体职责。规定部分医疗器械和体外诊断设备需满足 UDI 要求，同时列出豁免设备清单。3、实施要求：涵盖获取和应用 UDI 的详细流程并介绍了 AusUDID 数据库相关内容。

容4、特定设备规定：针对不同类型医疗器械，如可重复使用设备、一次性设备等，制定了专门的 UDI 要求。

<https://www.tga.gov.au/resources/guidance/complying-unique-device-identification-requirements-medical-devices>

指南链接：

<https://www.tga.gov.au/sites/default/files/2025-03/complying-unique-device-identification-requirements-medical-devices.pdf>