

国际医药动态汇编

(2026年4月份)

目录

WHO	3
新闻: 哈萨克斯坦成为中亚地区首个获WHO药品和进口疫苗监管认可的国家	3
美国	3
新闻: 美待定法案禁止IND采用中国临床数据	3
FDA	3
新闻: FDA提醒两千余名赞助方和研究人员披露试验结果	3
指南: 利用下一代测序技术评估人类基因治疗产品中基因组编辑的安全性评估(草案)	4
监管: 《药物合规项目手册》——生物制品批准前检查要点	4
报告: 减少非临床研究中的动物试验一年进展与未来计划	5
报告: 2025年合规办公室年度报告	5
PMDA	6
指南: 药品GMP检查指南	6
新闻: 生成式人工智能在PMDA运营中的应用启动	6
MHRA	6
监管: 临床试验改革启动	6
SFDA	7
指南: 研究与试验用药物(RAID)认定	7
指南: 关于利用RWD和RWE支持药品上市许可有效性和安全性的框架	7
ICH	7
指南: 针对ICH指南M15发布的模型导向药物开发培训模块	7
JPMA	8
指南: 电子信息监管要求与发布手册	8
PhRMA	8
评论: 从IRA中吸取定价教训	8
意见: 支持并敦促尽快实施340B返款模型	8
APEC	9

APEC区域健康老龄框架	9
BIA	9
报告：英国第一季度生物技术融资	9
IFPMA	10
立场：推进GMP检查信赖机制从试点到实践	10
ITIF	10
数据：中国顶级期刊论文占比超35%，但生命健康领域尚未超越美国	10
ABPI	11
报告：投资罕见性 改善罕见病治疗的经济与个人价值	11
EFPIA	11
报告：公共研发与创新奖：现有知识产权体系的现实替代方案？	11
报告：从预防到治疗应对非传染性疾病挑战	11
报告：中东欧与欧盟四国医疗保健投资与健康结果的对比分析	12

WHO

新闻:哈萨克斯坦成为中亚地区首个获WHO药品和进口疫苗监管认可的国家

WHO宣布,哈萨克斯坦在公共卫生方面取得了重大里程碑,成为中亚首个达到WHO全球国家监管机构分类下药品和进口疫苗成熟度等级(ML3)的国家。这一称号认可该国拥有稳定、运作良好且整合的药品和进口疫苗监管体系,符合国际标准。ML3的认证基于WHO严格的基准测试流程,使用全球基准工具(GBT)评估国家监管体系的成熟度和绩效,同时支持其持续改进,作为WHO全球监管能力增强更广泛工作的一部分。

原文链接: <https://www.who.int/news/item/09-04-2026-kazakhstan-become-s-first-country-in-central-asia-to-earn-who-recognition-for-regulation-of-medicines-and-imported-vaccines>

美国

新闻:美待定法案禁止IND采用中国临床数据

4月29日,美国国会众议院拨款委员会在FDA相关的联邦支出法案报告中添加条款,禁止FDA"接受、审评或考虑"来自中国、俄罗斯、伊朗或朝鲜的临床试验数据。该禁令明确适用于新药临床试验申请(IND)。委员会在报告中表达了多个所谓的担忧:知识产权窃取风险、临床试验伦理标准可能低于美国、人权问题等等。不过核心原因,还是在于对"中国对美国制药供应链和药物开发生态系统日益增长的影响力深感担忧。"拨款委员会报告虽不具备法律强制力,但高度影响联邦机构的预算运用,实际效力颇为显著。不过,上述条款要成为法律仍需经过立法程序多个环节。

原文链接: https://mp.weixin.qq.com/s/h-jdWRf_CNDhBf1AvEWH3g

FDA

新闻: FDA提醒两千余名赞助方和研究人员披露试验结果

FDA已提醒2200多家医疗产品公司和研究人员,必须向 ClinicalTrials.gov 提交某些临床试验结果信息。公司和研究人员常常未披露负面试验结果,导致公

共记录出现重大空白和发表偏见，掩盖了药物开发结果的真实面貌——高估成功案例而低估失败案例。这种差距还可能导致人们对医疗产品的安全性和有效性产生扭曲的认知。根据内部分析，29.6%极有可能符合强制报告要求的研究没有提交给 ClinicalTrials.gov 的结果信息。

原文链接：<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-re-minds-more-2200-sponsors-and-researchers-disclose-trial-results>

指南：利用下一代测序技术评估人类基因治疗产品中基因组编辑的安全性评估（草案）

FDA草案指南旨在为使用下一代测序技术评估人类基因治疗产品中基因组编辑安全性的非临床研究提供建议，以支持临床试验申请。它涵盖了对DNA编辑、表观遗传编辑和RNA编辑等多种模式的评估要求，重点包括：选择适当的测序策略（如短读长或长读长）以检测不同类型的编辑变化；确保样本（如患者或健康供体细胞）与最终产品一致且编辑率相当；通过生信分析、生化或细胞实验等方法进行脱靶位点的提名与确认，并需充分考虑人类遗传变异可能带来的新脱靶风险；对于可能造成DNA双链断裂的编辑方式，还需评估染色体易位风险。FDA建议申办方在提交IND前通过早期会议讨论相关研究计划，并递交完整的研究报告。

原文链接：<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/safety-assessment-genome-editing-human-gene-therapy-products-using-next-generation-sequencing>

监管：《药物合规项目手册》——生物制品批准前检查要点

FDA发布了合规项目手册（CPGM），详述CDER监管的生物制品许可前检查（PLI）和批准前检查（PAI）的流程与要点。PAI在生物制品领域特指对已获得许可的生物制品重大生产变更补充申请的批准前现场检查。该文件适用于CDER监管的生物制品的原液（DS）和制剂（DP）。

原文链接：<https://www.fda.gov/drugs/guidance-compliance-regulatory-information/drug-compliance-programs>

报告：减少非临床研究中的动物试验一年进展与未来计划

一年的探索，主要成就包括：①建立基础架构与框架（在FDA内部建立了跨中心的NAMs协调组织架构、与NIH建立合作伙伴关系、将“创新科学与技术新药方法”试点项目转化为永久性计划、发布通用验证框架指南草案）；②加强透明度（推出了可搜索的NAMs数据库、发布了基于15年NAMs提交数据的分析报告、发布了优化肝脏芯片系统测量技术的实用研究建议）；③指南/指导性建议：发布了单克隆抗体指南草案、批准了AIM-NASH等；④与欧盟、日本、澳大利亚等国际监管机构举办相关研讨会。下一步计划：将简化测试模式扩展至单克隆抗体以外的产品类别；建立全面的指标追踪系统；优先验证计算机和细胞基方法；建立开放的毒性数据仓库；开发覆盖所有关键终点的完整NAMs工具箱；促进多种NAMs在证据权重框架中的整合；加强国际监管协调；以及推动整个药物开发生态系统的文化转变。

原文链接：<https://www.fda.gov/science-research/science-and-research-special-topics/new-approach-methodologies-nams>

报告：2025年合规办公室年度报告

FDA合规办公室在2025年共发出314封警告信，较往年显著增加。此外，还有321起药品召回事件，涉及755个产品；与企业举行了85次监管会议；从FDA的药品注册和清单系统中停用了10922个药品。在合规审查方面，合规办公室发出了970封药品生产检查分类信（2023年仅为218）；为潜在的ClinicalTrials.gov违规行为发出了42份初步违规通知；发出了8700多份药品产品的电子证书，证明设施符合FDA标准以支持出口；与外国监管机构共享了409份检查和合规文件。报告显示，FDA在2025年的合规行动显著增加，特别是针对未经批准或错标的药品违规行为以及药品掺杂违规行为的监管执法力度加强。

原文链接：<https://www.fda.gov/about-fda/cder-offices-and-divisions/office-compliance>

PMDA

指南：药品GMP检查指南

PMDA将检查分为五类：上市前生产现场检查、上市后生产现场检查、产品分类检查、变更管理相关合规确认、出口药品生产相关生产现场检查。PMDA通常预先向被检查单位告知检查日期、检查员人数等必要信息。对于境外生产企业检查，若已选定境内代理人，PMDA需事先联系该境内代理人，并指示其向被检查生产企业传达。对于飞行检查，若有其他人员作为检查组成员加入，PMDA需在检查开始前获得被检查生产企业的同意。

原文链接：<https://www.pmda.go.jp/review-services/gmp-qms-gctp/gmp/0001.html>

新闻：生成式人工智能在PMDA运营中的应用启动

日本医药品和医疗器械管理局(PMDA)发布公告，宣布已完成微软(Microsoft)生成式AI数字助手“Microsoft Copilot”在全体现职官员及雇员中的导入工作，并于2026年4月起正式投入使用。PMDA此次部署基于该机构于2025年12月发布的《PMDA运营中AI应用的行动计划》。如其规划所体现的，PMDA暂未将AI定位为取代审评专家判断的颠覆性技术，而是选择从日常业务中的细微环节入手，通过Copilot的渐进式应用实现效率提升。

原文链接：<https://www.pmda.go.jp/about-pmda/news-release/0093.html>

MHRA

监管：临床试验改革启动

英国临床试验新法规生效，将加速评估首次人体试验，并引入“可通知试验”，为部分临床试验申请提供快速审评路径。监管机构已在提供更简化高效的审批方面取得进展，这有助于超越政府将临床试验设立时间缩短至150天的雄心目标，作为其为NHS制定的十年计划的一部分。最新数据显示，MHRA和HRA将经过安全与伦理综合审查的研究设置时间从169天缩短至仅122天。MHRA和HRA联合进行的审查流程平均需时41天，不到几年前的一半。

原文链接：<https://www.gov.uk/government/news/launch-of-clinical-trial-reforms>

SFDA

指南：研究与试验用药物（RAID）认定

沙特食品和药品管理局（SFDA）旨在通过建立一个名为“RAID”的特殊监管通道，吸引和鼓励全球制药企业在沙特阿拉伯境内进行创新药物的研发和临床试验。符合条件的在研药物（需全球未上市、针对未满足医疗需求、并承诺在沙特开展试验）可以获得此项指定，从而享受一系列重大激励，包括SFDA提供的专属指导、定价支持，以及在申请上市时获得优先审评、滚动提交等加速审批权益。

原文链接：<https://www.sfda.gov.sa/sites/default/files/2026-04/RAID.pdf>

指南：关于利用RWD和RWE支持药品上市许可有效性和安全性的框架

该指南明确定义了RWD（来源于日常诊疗的健康相关数据）和RWE（通过对RWD进行分析所得的临床证据），并阐述了其潜在应用场景（如生成假设、作为外部对照、补充罕见病数据等）。同时，框架着重强调了确保数据质量、控制偏倚与混杂因素的重要性，并列举了适用的研究设计（如观察性研究、目标试验模拟、混合试验等），以推动这类证据在沙特监管决策中的科学、合理使用。

原文链接：<https://www.sfda.gov.sa/sites/default/files/2026-04/Framework%20on%20the%20use%20of%20RWD%20and%20RWE-Final%20%282%29.pdf>

ICH

指南：针对ICH指南M15发布的模型导向药物开发培训模块

ICH M15 指南于2026年1月发布，涵盖了基于模型的药物开发（MIDD）的一般原则和良好实践，并统一了对文件标准、模型开发、分析中所用数据以及模型评估及其应用的期望。M15培训资料由ICH M15专家工作组制作，其中包含使用评估表的示例。该指南适用于所有当前和新兴的建模与模拟方法，包括但不限于：群体药代动力学/药效学、生理药代动力学、暴露-反应分析、基于模型的荟萃分析、定量系统药理学/毒理学、基于Agent的模型、疾病进展模型、人工智能/机器学习等。这些方法可以单独使用，也可以联合使用。

原文链接：<https://www.ich.org/news/training-module-issued-ich-guideline-m15-model-informed-drug-development>

JPMA

指南：电子信息监管要求与发布手册

电子数据的使用在药品开发和各种上市后操作中不可或缺，随着新系统和服务的引入，使用电子数据的运营范围每天都在扩大。另一方面，国内外监管机构及行业协会发布了各种电子数据系统和服务的法规和提案，个别企业收集足够信息变得困难。日本制药工业协会电子医学信息标准专家委员会第4工作组已编制了2021年针对各系统或企业的相关法规和发布清单，现已编制第五版，包含更新的法规和说明材料。

原文链接：https://en.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/EI_202604_ereshb.html

PhRMA

评论：从IRA中吸取定价教训

PhRMA指出国会不应加倍支持IRA通过最惠国政策失败的价格设定框架，而应听取明确证据，价格管制会伤害患者并削弱美国领导地位。美国《通胀削减法案》（IRA）中的药品价格设定政策（包括最惠国条款MFN）已导致早期研发投入下降近70%、临床试验启动减少25%-45%，同时患者自付费用和处方拒绝率上升，保费增加而选择减少，只有11%的受益人能实际受益；报告因此呼吁国会拒绝扩大政府定价控制，转而通过调整中介激励、限制340B项目滥用以及贸易谈判来推动改革。

原文链接：<https://phrma.org/resources/price-setting-is-the-wrong-approach-for-americans-lessons-learned-from-the-ira>

意见：支持并敦促尽快实施340B返款模型

PhRMA认为，现行的340B“补货模式”存在根本缺陷，缺乏透明度与数据访问受限；重复折扣问题严重；转移和滥用问题突出；监督和审计机制无效。因

此，强烈呼吁引入基于透明数据的“返款模型”，并要求加强对参与机构的资格审查与监管，以确保项目回归帮助弱势群体的初衷。

原文链接：<https://phrma.org/resources/request-for-information-340b-rebate-model-pilot-program>

APEC

APEC 区域健康老龄框架

APEC地区正经历深刻的人口结构转变，到2030年将有9个经济体进入“超老龄化”社会（65岁以上人口占比超20%）。报告将老龄化重新定义为“长寿经济”机遇——2020年50岁以上人群贡献了全球GDP的34%（45万亿美元），预计2050年将增至39%（118万亿美元）。为实现健康老龄化，报告提出三大支柱：一是卫生系统转型的五大优先方向，包括以社区为基础的综合护理、以人为本的长期照护，以及战略规划、融资模式、医疗培训、数字工具和创新这五大赋能因素；二是全社会参与的六大领域，涵盖医疗、金融安全、社会服务、建成环境与 mobility、教育与就业、住房，并需配套清晰的治理框架、老年人权利保障、积极老龄观和数字包容四大基础条件；三是APEC的四大推动作用，包括将健康老龄化设为全论坛政策优先、协调跨工作组合作、推动数据共享以证明健康老龄化的经济价值、以及促进公私合作。报告强调，通过将健康从成本转变为战略投资，APEC经济体可以将“银色海啸”转化为“黄金机遇”。

原文链接：<https://www.apec.org/publications/2026/04/apec-regional-framework-for-healthy-aging>

BIA

报告：英国第一季度生物技术融资

2026年第一季度英国生物技术融资显示出复苏迹象，股权融资总额达到5.52亿英镑，高于2025年第四季度的4.66亿英镑。这一增长伴随着投资在各融资阶段的更广泛分布，表明年初英国创新生物技术公司将面临更为活跃和多元化的融资环境。风险投资总额为5.16亿英镑，较2025年第四季度的4.42亿英镑增长17%，显示持续复苏有望开始。与2025年第一季度由少数大型融资主导不同，2026年第

一季度资本在各公司间的分配更为广泛。值得注意的是，交易数量显著增加至24笔，较2025年第一季度的15笔增长60%，显示出投资环境更为活跃但价值较低。

原文链接：<https://www.bioindustry.org/resource/uk-biotech-financing-january-march-2026.html>

IFPMA

立场：推进GMP检查信赖机制从试点到实践

IFPMA倡导全球药品监管机构采纳并推广“GMP检查信赖”机制。该机制指监管机构在决策时认可和采纳其他受信任机构（如PIC/S或WHO列名权威机构）的GMP检查结果，从而避免重复检查、优化资源配置、加速药品上市并增强供应链韧性。报告阐述了信赖机制的四大基础（标准趋同、国际合作、检查网络和法律框架），并为监管机构提出了三项具体实施建议：以可信证据为基础、完善法律指南、利用协作与远程工具。文件最终呼吁各方将经过试点验证的信赖机制从概念转化为普遍实践，以建立更高效、有韧性的全球药品监管体系。

原文链接：<https://www.ifpma.org/publications/advancing-gmp-inspection-r-eliance-from-pilots-to-practice/>

ITIF

数据：中国顶级期刊论文占比超35%，但生命健康领域尚未超越美国

几十年来，美国在学术论文发表方面一直领先全球，无论是整体还是高被引论文，1980年顶级期刊发表的论文中有60%由美国作者撰写。然而，这些趋势在过去几十年中发生了转变。截至2022年，中国已成为该排名的领导者，发表的顶级期刊论文占比超过35%，而1980年时几乎为零。与此同时，美国的比例迅速下降至约25%，与欧盟持平。中国在这一指标上的增长既反映了研究人员数量，也反映了其研究质量。2022年样本中，中国研究人员占顶尖期刊中超过四分之一的研究人员。在研究课题方面，中国研究人员在工程、物理科学和材料工程领域领先全球，但在生物医学和健康科学等领域尚未超越美国。

原文链接：<https://itif.org/publications/2026/04/13/2022-china-produced-over-35-percent-publications-top-5-percent-of-journals/>

ABPI

报告：投资罕见性 改善罕见病治疗的经济与个人价值

报告指出，尽管罕见病在英国影响着超过350万人，但目前仅有5%的疾病有有效疗法且NHS可及性有限。报告通过建模分析证明，若英国能将孤儿药治疗可及性提升至欧洲最佳水平（使13%的罕见病有药可用且89%获NHS报销），将能为15.8万额外患者带来价值44亿英镑的健康改善，并通过帮助患者和护理者重返工作岗位，每年创造23亿英镑的生产力收益，同时减轻NHS的系统压力。因此，报告主张在推动科研创新的同时，必须同步改善NHS的治疗可及性，以释放巨大的社会与经济价值。

报告链接：<https://www.abpi.org.uk/publications/investing-in-rarity-the-economic-and-personal-value-of-improving-treatment-for-rare-disease/>

EFPIA

报告：公共研发与创新奖：现有知识产权体系的现实替代方案？

报告指出，当前基于专利的知识产权（IP）体系在欧盟制药领域具有充分的经济学文献支持和可靠的成功记录，其激励高风险、高成本的药物研发不可或缺；虽然部分利益相关者提出以创新奖项或公共研发基础设施替代现有模式，但报告基于文献综述发现，这些替代方案缺乏充分的理论与实证基础——创新奖项在制药行业无成功先例，公共研发基建则面临资金规模过小、政府失灵风险巨大及大量未解决的法律经济问题，目前尚不具备纳入欧盟立法的条件。

报告链接：<https://www.efpia.eu/media/t3ccapgy/public-rd-and-innovation-prizes-realistic-alternatives-to-the-current-ip-system.pdf>

报告：从预防到治疗应对非传染性疾病挑战

问题：非传染性疾病NCDs不仅是公共卫生问题，更是宏观经济和韧性挑战。NCDs导致欧洲88-90%的死亡。仅2023年就造成840万人死亡。五大NCDs给欧盟造成的总成本估计为5300亿欧元，超过欧盟GDP的3%。这包括直接医疗成本和因生产力损失（缺勤、低效工作、过早死亡）带来的间接成本。

建议：报告提出了一个从“预防”到“护理”再到“治愈”的系统级转型蓝图，基于四个相互关联的支柱：转向预防；提供连续性护理；创新成果推广；加速数字化转型。报告最终呼吁将健康视为一项战略经济投资，而非单纯的成本支出。为此，需要在欧盟和国家层面的经济治理框架中嵌入健康投资，并通过多年期融资、加强卫生与财政部门协调以及欧盟层面的支持机制，克服短期预算周期，实现战略性投资。

报告链接：<https://www.efpia.eu/media/xcwpaczh/investing-in-a-healthier-more-resilient-europe.pdf>

报告：中东欧与欧盟四国医疗保健投资与健康结果的对比分析

这份报告指出，中欧和东欧（CEE）国家的医疗保健体系在投资和健康结果方面仍大幅落后于西欧的欧盟四国（德国、法国、意大利、西班牙）。具体表现为：CEE的公共医疗支出占GDP比重更低，人均投入仅为欧盟四国的一半；这导致了更低的预期寿命、更高的疾病负担和可治疗死亡率；同时，患者获得创新药物的机会更少、等待时间更长。此外，CEE地区还面临患者自付费用过高、人口老龄化和劳动力萎缩威胁财政可持续性挑战。报告认为，尽管存在这些差距且追赶速度缓慢，但医疗投资应被视为促进经济增长和生产力的战略投资，并通过改革融资、加快创新药物准入及加强预防措施来缩小差距。

报告链接：<https://www.efpia.eu/news-events/the-efpia-view/blog-articles/how-to-fix-the-conundrum-of-europe-s-east-west-healthcare-divide/>

中国医药创新促进会研究部整理

2026.5.6