

国际医药动态汇编

(2026年8月份)

目录

FDA	3
观点：美国必须重视早期临床开发	3
指南：《FDA与PDUFA产品申办者或申请人之间的正式会议》	3
监管：FDA征求公众反馈，以指导生成式AI医疗设备的监管策略	3
指南：《常见问题：开发潜在细胞和基因治疗产品》	4
报告：《临床研究中数字化衍生测量工具的开发和使用的关键考量》白皮书	4
EMA	5
监管：新的资格工具及联合临床评估早期信息更新指南	5
监管：《批准后变更（PACs）监管信赖：试点中期评估》	5
英国	5
动态：英国选定资助9项NAM替代动物试验，包含2个AI工具	5
ICH	6
指南：《M16：结构化产品质量申报》	6
PhRMA	6
动态：关于处方药使用者费用法案（PDUFA）第八期绩效目标函的声明	6
监管：PhRMA对医保药品价格谈判计划及医保处方药福利计划拟议规则（CMS-4215-P）的意见	7
动态：PhRMA关于德国持续对创新制药产品支付不足问题的意见提交文件	7
观点：高收入国家在创新药物上的投入不足	8
BIA	8
观点：《生物安全法案》对英国生命科学的关键启示	8
观点：跨越平台期：生物科技AI正在等待什么	9
BIO	9
观点：BIO 2026：生成基因组学帮助生物技术公司设计得更好，而不仅仅是更快	9
监管：BIO告诉参议员们，通过加强创新来扩大患者可及性	9

观点：研究表明，生物技术知识产权对经济和社会具有价值	10
观点：GLOBE和GUARD方案忽视了中小型生物技术公司外授权的现实，威胁到 创新	10
ABPI	10
报告：《健康数据研究服务：一代人难得的机会，引领世界》	10
BCG	11
观点：保险公司如何在医疗保健领域实现端到端	11
ITIF	11
观点：关于美国贸易代表办公室就德国长期对创新药品支付不足发起301调 查的评论	11

FDA

观点：美国必须重视早期临床开发

文章指出，美国早期临床开发效率已显现竞争劣势，对比海外市场，美国I期临床试验周期更长，现有IND申报流程存在要求模糊、申报材料冗余、整体打包提交等制度性堵点，拖累创新药从实验室走向人体试验的进度，将损害本土创新投资、患者获取在研疗法的机会以及全球医药创新领导地位。为此FDA提出“加速IND试点（Expedited IND Pilot）”改革方案，在守住受试者安全底线前提下，明确I期人体试验适配性监管要求、引入具备专业能力的科研机构作为申报筹备阶段的科学合作方、推行IND材料分模块滚动审评，通过提前识别并解决申报问题，缩短首次人体试验启动时间，提升监管流程的可预期性与协作效率，以此重振美国早期药物临床开发竞争力。

原文链接：<https://www.fda.gov/news-events/fda-voices/america-must-address-early-clinical-development>

指南：《FDA与PDUFA产品申办者或申请人之间的正式会议》

该指南落实2023年9月发布的《处方药用户付费法案》（PDUFA）再授权项下的会议管理目标，针对CDER、CBER管辖药品及生物制品，正式固化包含Type A、Type B、Type B（EOP）、Type C、Type D、INTERACT在内的六类新药正式会议机制，配套混合面对面、虚拟、电话、书面回复四种会议形式，其中轻量化Type D、面向FIH前早期创新产品的INTERACT会议从2023年草案转为正式制度，可分别实现窄议题快速反馈、解决首次人体试验前复杂研发难题；该指南不适用于仿制药、生物类似药及医疗器械。

原文链接：<https://www.fda.gov/media/172311/download>

监管：FDA征求公众反馈，以指导生成式AI医疗设备的监管策略

FDA发布生成式AI医疗器械监管讨论文件，围绕该类设备特有的风险，提出双轴风险评估框架、以胜任力评估为核心的上市前评价路径、风险匹配的上市后监测等监管构想，同时对基础模型、智能体AI系统提出相关考量，面向设备厂商、临床人员、公众等多方公开征集意见，意见征集截止至2026年10月19日，旨在构

建兼顾患者安全与技术创新的监管路径，也有望为全球同类监管提供参考。

原文链接：<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-seeks-public-feedback-inform-regulatory-approach-generative-ai-enabled-medical-devices>

指南：《常见问题：开发潜在细胞和基因治疗产品》

FDA 于8月定稿发布细胞与基因治疗（CGT）产品开发 36 项问答指南，覆盖 IND 申报审评、CMC、非临床研究、临床试验设计、BLA 准备等全链条监管要点；文件明确早期临床试验 CMC 资料可适度简化、工艺性能确认批次按风险评估确定，对动物模型选择、剂量外推、有效性证据、替代终点使用、长短程安全性监测给出细化建议，同时厘清滚动审评、各类会议、供者资质等实操问题，为行业 CGT 产品研发与申报提供清晰监管指引。

原文链接：<https://www.fda.gov/media/183631/download>

报告：《临床研究中数字化衍生测量工具的开发和使用的关键考量》白皮书

此白皮书针对临床研究中的数字化衍生测量工具（DDM）提出包含确认、分析验证、临床验证的三维递进验证框架，确认聚焦设备原始参数测量的准确性，分析验证需在目标受试人群中验证工具对临床特征的评估能力，临床验证重点确认指标具备实际临床意义；文件提出证据强度需匹配工具用途，关键性研究主要终点要求更高标准的前瞻性验证，探索性终点可采用回顾性或桥接证据，该白皮书虽非正式指南，但对申办者开展数字化工具验证具备重要参考价值。

原文链接：<https://www.fda.gov/medical-devices/digital-health-center-excellence/key-considerations-development-and-use-digitally-derived-measures-clinical-investigations-fda-paper>

EMA

监管：新的资格工具及联合临床评估早期信息更新指南

该指南明确药品开发商在向EMA提交上市许可申请时，同步启动联合临床评估（JCA）程序：需在EMA的意向书中声明产品是否属于JCA范围（目前针对肿瘤新药和先进疗法，2028年起扩展至孤儿药，2030年起覆盖所有适用产品），并通过IRIS门户提交。欧委会同步上线 JCA 资格核查工具。

原文链接：<https://ec.europa.eu/newsroom/sante/newsletter-archives/78397>

监管：《批准后变更（PACs）监管信赖：试点中期评估》

2026 年 8 月，EMA联合世界卫生组织发布药品批准后变更监管信赖审评试点中期评估报告，该试点遵循世卫组织良好信赖实践，参与国监管机构可参考EMA 的审评报告开展药品 CMC 等上市后变更审评，各国仍保留独立监管决策权，并非自动互认；中期数据显示，近 80% 参与的国家监管机构审评周期较常规程序减半，多数机构认为 EMA 审评材料可支撑本国决策，同时试点存在参与不均衡，部分国家受法律、资源约束无法参与等问题，EMA 将持续收集数据，探索将该模式转为常态化路径，以此减少多国重复审评，提升审评效率，降低药品供应短缺风险。

原文链接：<https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/international-activities/multilateral-coalitions-initiatives/reliance-applied-post-authorisation-changes-pilots-pharmaceutical-industry>

英国

动态：英国选定资助9项NAM替代动物试验，包含2个AI工具

英国投入2000万英镑在剑桥设立临床前转化模型中心，英国创新署配套最高200 万英镑资助9 NAM（基于人体生物学新方法）项目，包含2个 AI 预测平台，旨在替代传统动物试验、加快新药研发并压缩成本。项目已于2026年7月启动，目前处于两阶段创新合同的第一阶段，将开展数据验证及监管、商业化路径规划，优质项目可进入下一阶段，目标推动至少两项技术落地用于MHRA监管审评；英国

监管机构 MHRA 已对非动物试验数据开放提前审评服务,当地动物试验数量已呈下降态势。

原文链接: <https://mp.weixin.qq.com/s/FIRPTS4AGwauCkP2HoZi8Q>

ICH

指南:《M16: 结构化产品质量申报》

ICH于8月18日采纳 M16《结构化产品质量申报 (SPQS)》概念文件,该指南配合修订中的新CTD (M4Q (R2)), 聚焦解决当前药品质量申报中非结构化文本、格式不统一、数据缺乏互操作性等痛点,属于数据技术规范,不改动原有CTD科学质量要求;项目包含核心指南、技术附录及配套实施材料,采取分阶段开发,计划 2030年11月正式落地,将推动质量申报由文档向结构化数据集转型,为AI辅助审评、监管数据互通奠定基础。

原文链接: https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_M16_Concept_Paper_Final_20260818.pdf

https://database.ich.org/sites/default/files/ICH53_M16_EWG_Work%20Plan_2026_0818.pdf

PhRMA

动态: 关于处方药使用者费用法案 (PDUFA) 第八期绩效目标函的声明

2026 年 8 月 13 日,美国制药研究与制造商协会 (PhRMA) 针对《处方药使用者付费法案第八版 (PDUFA VIII)》绩效目标公函发布声明,肯定自 1992 年实施的 PDUFA 构建了高效、可预期、基于科学的药品监管体系,使超 70% 新药率先在美国获批, FDA 药品审评具备全球标杆地位;认为 PDUFA VIII 协议通过减少不必要审评延误、将现代监管科学工具纳入常规审评、强化项目问责,巩固美国生物医药竞争优势,该绩效目标公函是 FDA、产业界、患者群体等多方协同的成果; PhRMA 呼吁美国国会尽快完成 PDUFA 重新授权,保障美国患者尽早用上新药,同时留住本土创新药物研发能力,该版协议拟通过审评全流程更早、更频繁的 FDA 反馈机制压缩审评周期,吸纳新型证据与技术适配前沿科学发展,

并提升使用者经费使用及项目运行的透明度与问责水平，夯实公众信任基础。

原文链接：<https://phrma.org/resources/phrma-statement-on-the-prescription-drug-user-fee-act-pdufa-viii-performance-goals-letter>

监管：PhRMA对医保药品价格谈判计划及医保处方药福利计划拟议规则（CMS-4215-P）的意见

PhRMA敦促CMS重新考虑一项可能阻碍投资于更便捷、更易获得新疗法的提案。CMS已经使用极其宽泛的标准来确定哪些药品符合《通胀削减法案》的价格设定标准。例如，同一制造商生产且具有相同活性成分或部分的药物，即使对患者来说是重大进步，也会自动被纳入定价。但现在，CMS提议将这一有缺陷且缺乏支持的法规解释扩展到将某些新的复合药物（称为固定剂量组合）与较旧的单一成分药物归为一类，前提是不同的活性成分产生了新的配方，从而实现了替代给药途径。

原文链接：<https://phrma.org/resources/phrma-comments-on-medicare-drug-price-negotiation-program-and-medicare-prescription-drug-benefit-program-proposed-rule-cms-4215-p>

动态：PhRMA关于德国持续对创新制药产品支付不足问题的意见提交文件

2026年8月10日，PhRMA向美国贸易代表办公室提交书面意见，响应美方依据《1974年贸易法》301条款针对德国创新药偿付不足问题发起的调查，该文件指出德国依托 AMNOG 药品定价报销体系，通过不合理的临床获益评估、以老旧药物及仿制药作为定价参照、实施长期药品价格冻结、叠加多层法定强制返利等管控手段系统性压低创新药价格，2026年新出台的法定医保缴费稳定法案还进一步加大强制返利、扩大价格冻结范围，加剧创新药支出失衡，德国创新药 GDP 占比仅为美国的一半，PhRMA认为上述政策属于不合理贸易做法，加重美国患者、纳税人负担，侵蚀美国药企研发投入回报，限制美国生物医药产品市场准入与出口，还会通过国际价格外溢进一步放大负面影响，文件援引美英药品定价协议先例，敦促美国贸易代表加快与德国开展双边谈判，推动德国达成与美国相当的创

新药 GDP 支出占比，要求德国开展系列政策改革，调整临床获益评估规则、废除各类压制药价的法定返利与限价机制、完善孤儿药相关政策、消除医生处方经济惩罚，并建立双边履约监督机制，以具有约束力的双边协议解决德国对创新药支付不足的问题。

原文链接：https://cdn.aglty.io/phrma/Attachments/NewItems/PhRMA%20Comments%20on%20Section%20301%20Investigation%20of%20Germany_20260810044634.pdf

观点：高收入国家在创新药物上的投入不足

PhRMA援引安永研究简报，以 GDP 占比为指标对比多国创新药支出水平，认为多数高收入国家受本国药品定价、医保报销政策影响，对创新药品支付水平与其经济实力不相匹配，即便药物仍处于专利及数据保护期，相关支付不足问题仍会延续；报告以德国作为典型案例，2023 年德国新近上市创新药、全部创新药支出占 GDP 比重分别仅为 0.36%、0.64%，远低于美国的 0.78%、1.32%，PhRMA 提出，其他高收入国家低估创新药价值、压制药品支付，既限制本国患者获得突破性疗法，也造成美国承担了全球生物医药研发中不成比例的成本负担。

原文链接：https://cdn.aglty.io/phrma/Attachments/NewItems/High-Income%20Countries%20Under-Spend%20on%20Innovative%20Medicines_20260810052829.pdf

BIA

观点：《生物安全法案》对英国生命科学的关键启示

美国《生物安全法案》虽未全面禁止对华外包，但可产生域外传导效应，给英国生命科学企业带来尽职调查与合同风险。即便英企不直接获得美国政府资金，若供应链涉及关联中方的CRO、CDMO等供应商，就可能被美方合作方要求增设合同保护条款；该法案短期不影响私人资助的美国临床试验、FDA审批及部分销售，但会冲击合作机会、销售渠道及后续投融资退出价值。首份相关企业名单预计今年12月出台并将年度更新，不确定性增加，建议英企持续关注供应商风险，而非仅做一次法律核查。

原文链接: <https://www.bioindustry.org/resource/biosecure-act-key-takeaways-for-uk-life-sciences.html>

观点：跨越平台期：生物科技AI正在等待什么

该文章指出，当前生命科学领域 AI 多停留在试点阶段，难以规模化落地，根源并非算法、人才不足，而是行业普遍存在数据孤岛、元数据缺失、数据溯源不完善等问题，缺少适配 AI 运行的数据与运营基础设施；文章认为，只有搭建统一互通、具备治理合规能力的数据底座，AI 技术才能从概念试点转向规模化实际应用。

原文链接: <https://www.bioindustry.org/resource/past-the-plateau-whats-biotech-s-ai-is-waiting-on.html>

BIO

观点：BIO 2026：生成基因组学帮助生物技术公司设计得更好，而不仅仅是更快

BIO 2026 大会研讨指出，生成基因组学不仅可缩短新药研发周期、降低成本，还有望提升临床试验成功率，但模型落地需要建立科研人员信任；当前相关基础模型尚处于临床前早期阶段，行业多采取多元布局、合作共建的投资策略，重视技术实际决策价值而非仅追求运算速度。

原文链接: <https://bio.news/latest-news/bio-2026-generative-genomics-helps-biotechs-design-better-not-just-faster/>

监管：BIO告诉参议员们，通过加强创新来扩大患者可及性

BIO向参议院药物价格工作组提交意见，反对扩大政府药品定价管控及引入国际参照定价，认为此举将抑制产业创新；其主张通过改革药品福利管理机构（PBM）、优化医保规则降低患者自付负担，同时呼吁延续对小型生物技术企业的政策保护，加大科研投入、推进临床试验监管改革，依靠强化本土创新生态提升新药可及性，维护美国生物技术全球竞争力。

原文链接: <https://bio.news/federal-policy/build-patient-access-by-strengthening-innovation-bio-tells-senators/>

观点: 研究表明, 生物技术知识产权对经济和社会具有价值

相关研究显示, 生物技术知识产权兼具重大经济与社会价值, 美国专利商标局报告表明知识产权密集产业拉动大量 GDP 与高薪岗位, 美国商会分析指出生物医药创新带来巨大社会收益, 每 1 美元医药研发投入可产生 27 美元社会价值; 专利保护是生物制药行业创新的重要基础, BIO 组织呼吁强化专利保护, 以此保障生物技术领域创新投入。

原文链接: <https://bio.news/health/studies-show-value-of-biotech-ip-for-the-economy-and-society/>

观点: GLOBE和GUARD方案忽视了中小型生物技术公司外授权的现实, 威胁到创新

BIO 指出, 美国 HHS 拟推出的 GLOBE、GUARD 国际参考定价方案, 忽视了中小生物企业对外授权的行业现实; 药企对外授权后往往丧失海外定价控制权, 叠加各国价格保密法规, 该政策实操难度大, 或将冲击中小生物技术企业研发资金来源, 抑制药物创新。

原文链接: <https://bio.news/bios-view/globe-and-guard-approaches-ignore-the-realities-of-out-licensing-at-small-and-mid-size-biotech-companies-threaten-innovation/>

ABPI

报告: 《健康数据研究服务: 一代人难得的机会, 引领世界》

ABPI 发布报告, 针对政府拟投入 5 亿英镑建设的健康数据研究服务 (HDRS) 提出行业诉求, 指出英国拥有极具价值的 NHS 健康数据, 但长期存在数据碎片化问题; 报告呼吁实现全英全科医疗数据覆盖、标准化数据关联、可预期且具备商业竞争力的数据访问服务, 同时将公众信任与隐私保护纳入制度设计, 以此释放健康数据研发价值, 巩固英国生命科学全球竞争力、吸引研发投资。

原文链接: <https://www.abpi.org.uk/media/blogs/2026/august/the-health-data-research-service-a-once-in-a-generation-chance-to-lead-the-world/>

BCG

观点: 保险公司如何在医疗保健领域实现端到端

该文章基于对全球头部健康保险机构高管访谈指出,健康保险公司正跳出传统理赔支付职能,转型为医疗服务的统筹方,向预防、筛查、诊疗、康复等医疗全价值链延伸,以此提升客户价值、优化理赔成本、拓展多元收入;险企可通过数字服务、合作联盟、自建医疗机构等多种模式布局,其业务扩张需要在服务交付模式、用户引导、服务准入、业务整合度、资产所有权五大维度做好战略设计,同时充分考量各国监管环境约束,建议按照准备、方案构思、分阶段落地的路径推进全链条医疗业务布局。

原文链接: <https://www.bcg.com/publications/2026/future-of-integrated-health-insurance>

ITIF

观点: 关于美国贸易代表办公室就德国长期对创新药品支付不足发起301调查的评论

2026年8月, ITIF向美国贸易代表办公室提交意见,针对美对德国创新药支付不足开展的 301 调查指出,德国实施参考定价、强制药企折扣、价格冻结等系列药品价格管控政策,压低创新药偿付水平,不仅造成新药在德上市滞后,还通过国际参照定价外溢影响全球药价,加重美国承担全球生物医药研发成本的负担,抑制药企研发投入;报告提及德国 2026 年新医改进一步提高专利药强制扣减比例,已引发部分跨国药企削减在德投资,建议美国借鉴 2026 年美英药品定价协议模式,推动德国承担合理的创新研发成本,平衡药品可负担性与生物医药创新发展。

原文链接: <https://itif.org/publications/2026/08/10/comments-to-us-tr-regarding-germanys-persistent-underpayment-for-innovative-pharmace>

2026年9月1日

中国医药创新促进会研究部整理