

国际医药动态汇编

(2026年2月份)

目录

香港卫生署	2
三款新药在「1+」机制下获批注册	2
美国	2
美国参议院发布《患者与家庭至上：构建未来的FDA》报告	2
美国国际贸易委员会启动对华生物技术专项调查	2
FDA	3
FDA局长发文，将默认单项关键试验支持药物批准	3
GDUFA IV聚焦五议题：仿制药“美国优先”和费用博弈	3
FDA生产预核查试点（PreCheck）项目，加强国内药品供应链	3
FDA罕见儿科优先审评券展期至2029	4
FDA发布《关于利用合理机制框架开发针对生物学原因已知的特定遗传疾病的个体化治疗的考量》草案	4
EMA	4
关于填写变更申请表中“具体范围”部分的申请人指南	4
ICH	5
ICH M15指南《模型导向药物开发的一般原则》即将实施	5
EFPIA	5
10个国家生物制药策略的比较分析	5
欧洲药品是加强欧盟竞争力的关键	5
欧洲各国电子药品信息（ePI）试点项目情况的全面调查	6
PhRMA	6
PhRMA 2026特别301听证会强调美国创新者依赖知识产权、定价相关的创新体系	6
PhRMA对CMS提交的关于全球高效药价基准（GLOBE）和《保护美国医疗保险免受药品成本上升》（GUARD）拟议规则的意见	7
IFPMA	7
共创罕见病全球行动计划	7
为什么孤儿药在中低收入国家仍然难以获得，可以做些什么	7

香港卫生署

三款新药在「1+」机制下获批注册

香港政府发言人表示再有三款新药在「1+」药物审批机制下获批注册，令按此机制下获批注册新药增加至十九款。该三款新药分别用于治疗二型糖尿病、慢性阻塞性肺疾病及不可切除或转移性非小细胞肺癌，能为病患者带来更多医治选择。

原文链接：<https://mp.weixin.qq.com/s/R2tmhyOhz1B233ZptpOT8Q>

美国

美国参议院发布《患者与家庭至上：构建未来的FDA》报告

该报告对FDA的现状进行了全面诊断，指出了其在药品、生物制品、医疗器械和食品审查中存在的效率低下、不可预测和竞争不足等问题，并提出了一系列具体的改革建议，核心目标是让FDA的监管框架更好地服务于美国患者和家庭的健康。具体建议主要包括：“最小负担”（least burdensome）的路径原则从医疗器械扩展到其他产品类别；对符合条件的I期临床试验试点通知路径；临床试验向更加去中心化和创新性的设计演变；确保AI标准与框架之间协调；提高药品审评流程的可预测性；加速罕见病药物的开发；为生物制品创建简化的中间路径等。

原文链接：https://www.help.senate.gov/imo/media/doc/fda_report.pdf

美国国际贸易委员会启动对华生物技术专项调查

美国国际贸易委员会正在开展一项新的事实调查，将审查中国在生物技术领域的国家支持和定价做法，并评估这些做法可能对美国产业的市场份额和竞争力产生的影响。

调查范围：涵盖基因组测序、合成生物学、原料药（API）制造等核心领域，评估其对美国市场份额及竞争力的影响。

脱钩预警：此项由国会授权的调查可能成为特朗普政府未来采取限制性贸易措施、加码交易审查的“前奏”。原文链接：

https://www.usitc.gov/press_room/news_release/2026/er0226_68211.htm

FDA

FDA局长发文，将默认单项关键试验支持药物批准

FDA局长Marty Makary和生物制品审评与研究中心（CBER）主任Vinay P rasad宣布，FDA长期以来针对药物的证据标准正在发生重大转变，该机构将在大多数情况下默认仅要求进行一项临床试验，以证明产品符合其安全性和有效性的监管要求。两位官员还指出一项关键研究的费用可能在3000万至1.5亿美元之间，“FDA预计这项倡议将引领药物开发的激增，”并暗示较低的开发成本会带来更低的药价。

参考链接：<https://mp.weixin.qq.com/s/RHFmYPPMCXUuLcEqdDtEJQ>

GDUFA IV聚焦五议题：仿制药“美国优先”和费用博弈

各方围绕仿制药申请（ANDA）项目费用结构、设施费用豁免、境外检查费调整及本土生产优先审评试点计划等议题展开讨论。（1）项目费用结构或从分级制转向按ANDA数量计费；（2）境外检查费差额拟从15,000美元提高至25,000美元；（3）FDA建议豁免本土生产设施的GDUFA设施费用；（4）FDA拟将本土生产ANDA优先审评试点计划制度化；（5）FDA拟对BE或生物分析数据或生产设施数据问题给予6个月期限解决。

参考链接：<https://mp.weixin.qq.com/s/Liw0FOdtOgxra6H-RM8LvQ>

FDA生产预核查试点（PreCheck）项目，加强国内药品供应链

2025年，FDA提出PreCheck计划，以促进供应链回流。近期，FDA表示PreCheck试点项目第一阶段将根据项目优先事项的匹配，选拔正在开发新制药制造设施的参与者，并于2026年开始开展PreCheck活动。被选入该公司的公司将在整个设施开发过程中受益于FDA的沟通和反馈。

参考链接：<https://www.fda.gov/industry/fda-manufacturing-precheck-pilot-program>

FDA罕见儿科优先审评券展期至2029

特朗普签署政府资金延期法案，包括重新授权FDA发放罕见儿科疾病优先审评券（Priority Review Voucher, PRV）的权力，有效期延续至2029年。

原文链接：<https://mp.weixin.qq.com/s/sqnDDjX2ovbMflwottqCEw>

FDA发布《关于利用合理机制框架开发针对生物学原因已知的特定遗传疾病的个体化治疗的考量》草案

FDA发布了针对个体化治疗批准的提案方草案指导，这些人在随机对照试验因患者群体较少而不可行的情况下，通过产生大量有效性和安全性证据来获得批准。草案指导重点关注针对特定遗传、细胞或分子异常的治疗方法，旨在纠正或改变疾病的根本原因。关键标准包括：识别致病异常；演示该疗法针对根本原因或近邻生物通路；依赖未治疗患者的良好自然病史数据；确认靶向药物或编辑成功；对于传统批准，治疗应在临床结局、疾病进展或生物标志物上显示出改善，且已确立可预测临床益处。

原文链接：<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/considerations-use-plausible-mechanism-framework-develop-individualized-therapies-target-specific>

EMA

关于填写变更申请表中“具体范围”部分的申请人指南

EMA发布《关于填写变更申请表中“具体范围”部分的申请人指南》，指导申请人完成I类和II类变更申请表中的“具体范围”（precise scope）部分，旨在“提高描述清晰度，并最终促进EMA验证和审评过程”。这份指南表面看是填报格式优化，实则可能为全球监管进一步深化应用AI埋下了关键伏笔。

原文链接：<https://www.ema.europa.eu/en/news-events/whats-new>

ICH

ICH M15指南《模型导向药物开发的一般原则》即将实施

ICH M15 指南已经在国际协调过程中达到第4步，即获得通过，接下来将进入全球落地的第5步实施阶段。首次为模型引导的药物研发证据建立了统一的评估框架。这一框架将建模与模拟从辅助性技术工具提升为正式的监管证据。监管机构对MIDD证据的接受度不再依赖个人经验，而是基于标准化的评估表。该表包含六个关键评估要素：目标问题、使用背景、模型作用、错误决策的后果、模型风险和模型影响。申办者应当在规划阶段就完整填写这些要素，并与监管机构进行早期沟通。

原文链接：<https://ich.org/page/multidisciplinary-guidelines#15>

EFPIA

10个国家生物制药策略的比较分析

10个国家：中国、美国、丹麦、法国、英国、瑞士、韩国、新加坡、日本、沙特阿拉伯

分析框架：涵盖六大指标，分别是研发强度、产学研合作、临床试验、监管框架效率、风险投融资、转化生态与初创企业。

核心论点：生物制药已成为与人工智能、量子技术并列的全球创新与工业竞争力的核心赛道。面对日益激烈的地缘政治和经济压力，各国都在制定并投资于支持性政策，以争夺人才、投资、制造能力和未来全球价值链中的领导地位。报告特别指出，欧洲正面临失去创新曲线的风险，必须紧急采取行动，应对来自美国和中国日益强大的竞争压力。欧洲在全球制药研发支出中的份额已从2010年的37% 下降至2020年的32%，预计若不采取反制措施，到2040年将进一步降至21%。欧洲正面临被边缘化的切实风险。

原文链接：<https://www.efpia.eu/media/sr3fpeqh/a-comparative-analysis-of-biopharmaceutical-strategies-in-10-countries.pdf>

欧洲药品是加强欧盟竞争力的关键

EFPIA指出如果没有制药行业，欧盟贸易差额将从1470亿欧元的顺差降至470亿欧元的赤字。制药行业已成为欧盟工业研发增长的主要推动力，每年在欧

洲研发投入达550亿欧元，出口额达3200亿欧元，是欧盟贸易顺差贡献最大的一方——比所有行业加起来还大30%。然而，在过去二十年里，欧洲失去了25%的全球投资份额给其他地区。2010年至2022年间，欧盟研发支出年均增长4.4%，美国为5.5%，中国为20.7%。

原文链接：<https://www.efpia.eu/news-events/the-efpia-view/statements-press-releases/european-pharmaceuticals-key-to-strengthening-eu-competitiveness/>

欧洲各国电子药品信息（ePI）试点项目情况的全面调查

当前欧盟法规要求每盒药品必须附带纸质说明书。正在修订中的欧盟药品立法将引入电子药品信息（ePI），允许未来逐步从纸质向电子化过渡，具体实施进度将取决于各成员国的准备情况。调查结果显示：各国试点进展不一，但势头积极（14个国家正在积极进行试点，7个国家正在规划阶段，10个国家尚未启动）；试点范围主要集中在医院专用或医护人员使用的药品上；试点得到了积极反馈；部分国家受限于法律法规、技术等问题尚未能开展相关试点。

原文链接：<https://www.efpia.eu/media/wdak14pb/overview-of-the-pilots-in-europe-testing-the-use-of-the-electronic-product-information-epi-for-medicines.pdf>

PhRMA

PhRMA 2026特别301听证会强调美国创新者依赖知识产权、定价相关的创新体系

PhRMA的核心目的是敦促美国贸易代表办公室（USTR）充分利用“特别301条款”这一法律工具，解决海外市场对美国创新药设置的壁垒，确保美国公司能在国外获得“公平和对等的待遇”。主要指控点和关注点：知识产权保护被侵蚀、不公平的定价和报销政策、国际未履行贸易承诺等。

原文链接：<https://phrma.org/resources/phrma-2026-special-301-hearing-statement>

PhRMA对CMS提交的关于全球高效药价基准（GLOBE）和《保护美国医疗保险免受药品成本上升》（GUARD）拟议规则的意见

PhRMA全面、强烈地反对GLOBE和GUARD拟议规则，认为这两项规则超出了CMS的法定权限，是一个强制性的筹资机制而非一个真正的“测试”模型，将对美国生物医药行业和美国患者造成严重伤害。主要反对理由包括：法律与宪法依据不足；对患者无益且基于错误的前提；引入外国定价体系的弊端；严重损害美国创新和竞争力，并将领导权拱手让给中国。

原文链接：

<https://phrma.org/resources/phrmas-comments-on-cms-mfn-medicare-proposals-globe-and-guard>

IFPMA

共创罕见病全球行动计划

IFPMA强烈支持迅速启动全球行动计划，包括支持各国制定和加强其国家罕见病战略；为罕见病行动提供全球一致性和可见性。产业界特别关注五个领域：

- （1）提升专门研发网络和合作伙伴关系的能力，以扩展科学理解并推动创新，弥补因患者稀少而投资和开发有限的地区。
- （2）加强共同数据生态系统，包括注册库、历史队列、发病机制研究、真实世界证据和跨境数据共享，支持更好、更快速的决策。
- （3）提升诊断能力，包括对基因组和人工智能工具使用能力建设。我们还鼓励制定全球诊断指导，以帮助减少诊断不平等。
- （4）推进专门的监管路径，包括依赖、趋同和加速审查，支持安全有效治疗的及时批准。
- （5）推动可持续的医疗服务模式，包括基于价值定价、报销和创新资金机制的合作，针对不同地区和医疗系统能力量身定制。

原文链接：<https://www.ifpma.org/news/158th-session-of-the-who-executive-board-eb158-co-creating-the-global-action-plan-for-rare-diseases/>

为什么孤儿药在中低收入国家仍然难以获得，可以做些什么

背景：在中低收入国家，由于人口基数大、出生率高、诊断能力弱，疾病负担可能被严重低估，但孤儿药的获取却极度不平等；一项分析显示，在评估的12种孤儿药中，低收入国家没有一种获批，中等收入国家有26% 获批，而高收入

国家则有64%获批。系统性障碍分析框架：（1）政策层面：罕见病在公共卫生中优先级低，缺乏国家战略、专属法规、稳定的融资机制以及不利的商业环境；（2）患者路径：诊断难、转诊难、获得专科护理难、长期管理难；（3）产品路径层面：监管复杂漫长、供应链薄弱、基础设施不足，以及最常被讨论的可负担性问题。

原文链接：<https://www.ifpma.org/publications/why-orphan-medicines-remain-out-of-reach-in-low-and-middle-income-countries-and-what-can-be-done/>

中国医药创新促进会研究部整理

2026.3.2