

服用但需要治疗中断。

Esmya 的活性成分为醋酸乌利司他，通过结合到细胞表面的孕酮受体上，从而阻断孕酮与受体结合产生作用。由于孕酮可以促进子宫肌瘤的生长，醋酸乌利司他通过阻断孕酮作用而减少肌瘤体积。醋酸乌利司他同时也是单剂量紧急避孕药 EllaOne 的活性成分，该药目前没有相关的严重肝损伤的病例报告，不需要关注该方面的风险。

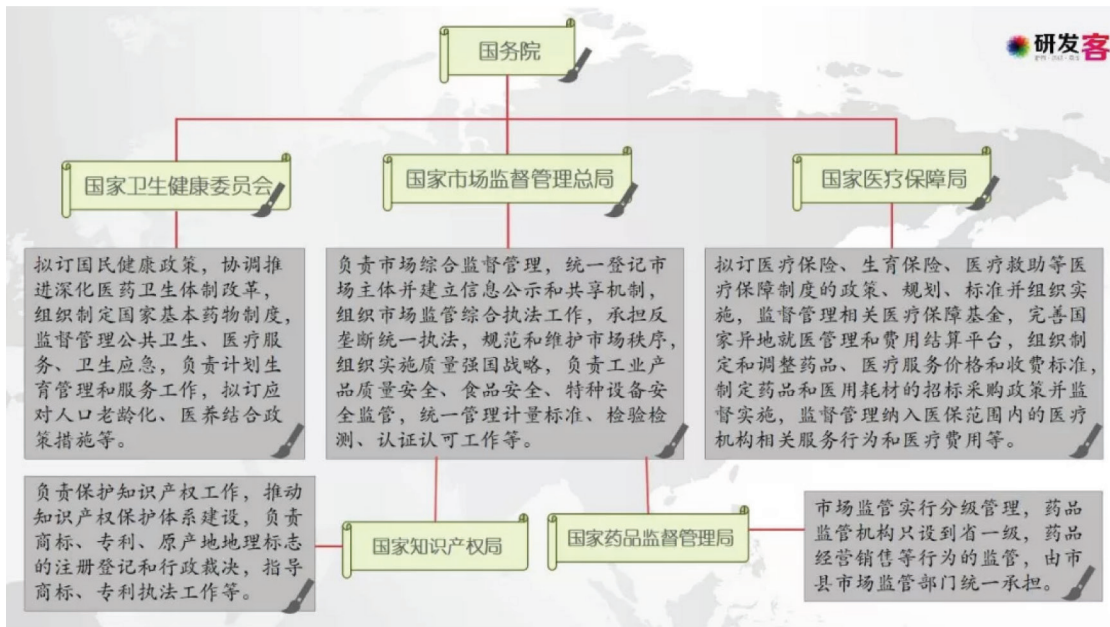
(EMA 网站)

变革中的药监部门 | 法规观察

陈小娟

研发客

回顾近期制药行业的动态，万众瞩目的一条当属《关于国务院机构改革方案的说明》(以下简称《方案》)，因为这涉及到药品监管最高机构国家食品药品监督管理总局的从属。根据《方案》，药监局的职责被整合到新组建的国家市场监督管理总局之下，并将单独组建国家药品监督管理局。调整后，原 CFDA 局长、党组书记毕井泉任国家市场监督管理总局党组书记，原 CFDA 副局长焦红任国家药品监督管理局局长。



这一调整最直观的影响是药监局将丧失独立的部门规章立法权，因此业内很多人担忧近年来大力推行的药监改革成果能否延续，尤其是原来涉及到多部位协作配合的药品审批审评改革措施，如临床试验机构备案制建设、伦理委员会管理、药品专利相关的知识产权工作等。在刚结束的全国“两会”上，同样传递出了医药界人士对于政策连贯性的渴望。

2017年“两办”发布《关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》，此后政策出台频繁，深化药监改革代表了国家意志，因此不少人更愿意相信，改革的大方向不会因机构重组而有所改变，这也是

大势所趋。也有人评价调整后的机构设置更有利于提高医药行业的集中度，有利于药品监管下沉。再回看身处改革风暴中心的药监部门，无论是药监总局，还是药品审评中心，仍在密集出台政策法规，目标继续锁定在鼓励创新、提高质量和与 ICH 进行国际化接轨的改革任务。在日新月异的变革年代，处变不惊的魄力更显难能可贵，也给业内人士吃下一颗定心丸。

在近期政策动态里，优化临床试验审评审批仍然是药监部门的工作重点。其中与沟通交流会议有关的政策有了新的修订，即《药物研发与技术审评沟通交流管理办法（修订稿）》，修订后的沟通交流会议形式更为多样，分为面对面会议、视频会议、电话会议或书面回复等。适用范围除了创新药物外，还新增了改良型新药、生物类似药、复杂仿制药以及临床急需药物一致性评价品种。细化到具体操作的沟通交流会议以制度的形式固定下来，有章可循固然是好，但真正沟通交流的过程还需围绕产品的科学性问题进行探讨，这就需要双方做好充足的准备才能在资源有限的情况下高效解决问题。

药品审评审批全过程的信息公开与保密制度也都在近期有了征求意见稿。根据《关于加强药品审评审批信息保密管理的实施细则（征求意见稿）》，保密的信息包括涉及国家秘密、商业秘密、技术秘密和个人隐私的信息，未获准对外披露的审评审批信息，与审评审批工作相关的投诉举报信息等。根据《药品审评审批信息公开管理办法（征求意见稿）》，公开的信息包括药品注册申请受理信息，审评审批过程信息和结果信息，及其他审评审批信息。保密制度的落实有利于保护药品注册申请人的合法权益，而公开制度则促进审评过程透明化且接受社会监督，两个制度的平衡融入了更为科学的审评理念。但具体如何监督药品审评审批工作人员的保密工作是否到位，同一品种申报企业数量 3 家以上的药品名单需公开这一数据是否合理，这些问题仍有待探究。

一些改革措施仍在有条不紊的推进。拟纳入优先审评程序的名单已公布 26 批，创新的趋势越来越明显，在最新的第 26 批名单里，新药临床或上市申请的数量已达一半以上，其中本土企业与外企各占半壁江山。历时两年多，仿制药一致性评价工作终于迎来了第一批完成一致性评价的品种名单，共计 17 个品种规格中浙江华海药业以 9 个产品领跑在前，资金和研发实力可见一斑。基药目录品种的仿制药一致性评价工作的推进不尽人意，首批名单中 289 基药目录仅占 4 个，这也有了后续 CDE 陆续发布《289 目录品种参比制剂基本情况表》和《289 基药目录中国内特有品种名单》。

另一个值得关注的是，随着国内创新氛围持续升温，肿瘤免疫这一前沿领域的治疗产品在国内已有很大的发展，这对于以往审评以仿制药思路为主的药监部门而言是一个挑战。追随药学技术进步的脚步，药审部门也在探索这些全新领域的审评审批要求，包括细胞治疗产品（CAR-T 为代表）、抗 PD-1/PD-L1 单抗品种，并制定相关技术指导原则，如年底出台的《细胞治疗产品研究与评价技术指导原则（试行）》。从一个概念到开发成药应用到临床长路漫漫，但政策的引导和支持无疑给了制药企业极大的信心和鼓励，对于临床用药需求未被满足的患者而言更是一大福音。

注：原文首发于《研发客》，网站地址 www.PharmaDJ.com

