

国外食品药品法律法规编译丛书

# 美国儿科用药 法律法规

主编 蒋蓉

中国医药科技出版社

法律法规编译丛书

# 美国 儿科用药 法律法规

主 编 蒋 蓉

中国医药科技出版社

## 图书在版编目 (CIP) 数据

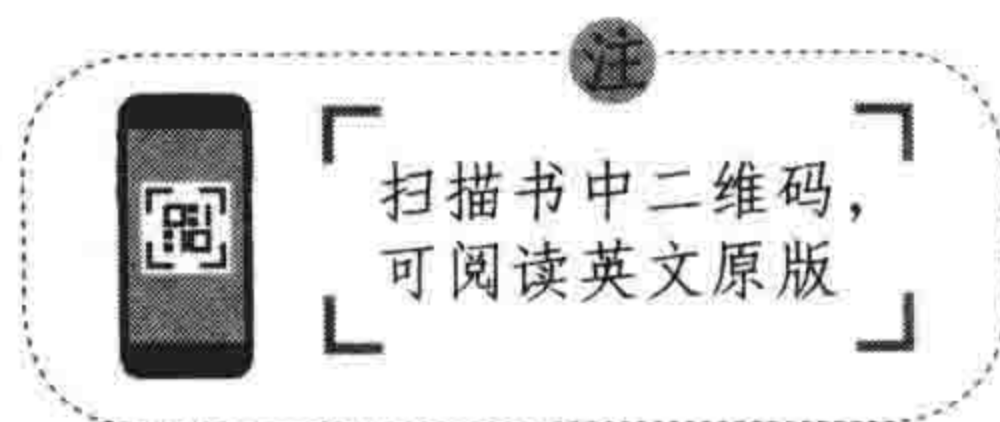
美国儿科用药法律法规 / 蒋蓉主编. — 北京: 中国医药科技出版社,  
2018.2

(国外食品药品法律法规编译丛书)

ISBN 978-7-5067-9676-7

I. ①美… II. ①蒋… III. ①小儿疾病-用药法-药品管理法-美国 IV. ①D971.221.6

中国版本图书馆CIP数据核字(2017)第260974号



美术编辑 陈君杞

版式设计 大隐设计

出版 中国医药科技出版社

地址 北京市海淀区文慧园北路甲 22 号

邮编 100082

电话 发行: 010-62227427 邮购: 010-62236938

网址 [www.cmstp.com](http://www.cmstp.com)

规格 710 × 1000mm<sup>1/16</sup>

印张 27

字数 297 千字

版次 2018 年 2 月第 1 版

印次 2018 年 2 月第 1 次印刷

印刷 三河市国英印务有限公司

经销 全国各地新华书店

书号 ISBN 978-7-5067-9676-7

定价 68.00 元

版权所有 盗版必究

举报电话: 010-62228771

本社图书如存在印装质量问题请与本社联系调换

## 国外食品药品法律法规编译丛书

- ★ FDA职责与权力
- ★ FDA行政管理指南
- ★ FDA监管程序手册
- ★ FDA食品安全法规汇编
- ★ 美国药品流通监督管理
- ★ 美国药品申报管理
- ★ 美国医疗器械管理法规（一）
- ★ 美国医疗器械管理法规（二）
- ★ 美国医疗器械管理法规（三）
- ★ FDA美国医药产品现行生产质量管理规范（CGMP）
- ★ FDA医药产品现行生产质量管理规范指南汇编
- ★ 美国儿科用药法律法规
- ★ 美国罕见病药物法律法规
- ★ 21世纪治愈法案
- ★ FDA药品与生物制品管理办法指南（一）
- ★ FDA药品与生物制品管理办法指南（二）
- ★ FDA特殊生物制品技术指南
- ★ FDA药理毒理学指南
- ★ FDA生物药剂学指南
- ★ 立法50年 欧盟药品监管法律法规纲要——原则、程序、体系及一般药品規制
- ★ 立法50年 欧盟药品监管法律法规纲要——原则、程序、体系及特殊药品規制
- ★ 欧盟医疗器械管理法规
- ★ 欧盟草药科学指南

责任编辑 / 马 进 向 丽

封面设计 / 大隐设计

# 国外食品药品法律法规 编译委员会

主任委员 焦 红

副主任委员 徐景和 吴少楨

委 员

王铁汉	柳 军	张 靖	马纯良	李奇剑
王 红	王立丰	王者雄	丁建华	孔繁圃
江德元	于 军	颜江瑛	丁逸方	王小岩
袁 林	段永升	石耀宇		

工作委员会

陈 谕	刘 沛	吴利雅	任端平	赵燕宜
陈永法	杨 悦	丁锦希	吕晓华	胡 明
梁 毅	罗文华	郭 薇	康珊珊	樊一桥
濮恒学	蒋 蓉	丁红霞	唐小枚	马爱霞
邵 蓉	唐健元	龚兆龙	傅道田	权鲜枝

# 本书编委会

主 编 蒋 蓉

副主编 颜建周 李 伟 刘 毅

编 委 (按姓氏笔画排序)

朱雪敏 (中国药科大学)

刘 洁 (中国药科大学)

刘 毅 (中国药科大学)

江 莹 (浙江医药高等专科学校)

孙圆圆 (中国药科大学)

李 伟 (中国药科大学)

李应梦 (中国药科大学)

吴俊杰 (中国药科大学)

胡文康 (中国药科大学)

姚科帆 (中国药科大学)

袁 妮 (大连医科大学)

徐 亮 (中国药科大学)

葛 靖 (中国药科大学)

蒋 蓉 (中国药科大学)

颜建周 (中国药科大学)

# 序

食品药品安全问题，既是重大的政治问题，也是重大的民生问题；既是重大的经济问题，也是重大的社会问题。十八大以来，我国坚持以人民为中心的发展思想和“创新、协调、绿色、开放、共享”的五大发展理念，全力推进食品药品监管制度的改革与创新，其力度之大、范围之广、影响之深，前所未有。

党的十九大再次强调，全面依法治国是国家治理的一场深刻革命，是中国特色社会主义的本质要求和重要保障。法律是治国之重器，良法是善治之前提。全面加强食品药品安全监管工作，必须坚持立法先行，按照科学立法、民主立法的要求，加快构建理念现代、价值和谐、制度完备、机制健全的现代食品药品安全监管制度。当前，《药品管理法》的修订正在有序有力推进。完善我国食品药品安全管理制度，必须坚持问题导向、坚持改革创新、坚持立足国情、坚持国际视野，以更大的勇气和智慧，充分借鉴国际食品药品安全监管法制建设的有益经验。

坚持食品药品安全治理理念创新。理念是人们经过长期的理论思考和实践探索所形成的揭示事物运动规律、启示事物发展方向的哲学基础、根本原则、核心价值等的抽象概括。理念所回答的是“为何治理、为谁治理、怎样治理、靠谁治理”等基本命题，具有基础性、根本性、全局性、方向性。理念决定着事物的发展方向、发展道路、发展动力和发展局面。从国际上看，食品药品安全治理理念主要包括人本治理、风险治理、全程治理、社会治理、

责任治理、效能治理、能动治理、专业治理、分类治理、平衡治理、持续治理、递进治理、灵活治理、国际治理、依法治理等基本要素。这些要素的独立与包容在一定程度上反映出不同国家、不同时代、不同阶段食品药品安全治理的普遍规律和特殊需求。完善我国食品药品安全管理制度，要坚持科学治理理念，体现时代性、把握规律性、富于创造性。

坚持食品药品安全治理体系创新。为保障和促进公众健康，国际社会普遍建立了科学、统一、权威、高效的食品药品安全监管体制。体制决定体系，体系支撑体制。新世纪以来，为全面提升药品安全治理能力，国际社会更加重视食品药品标准、审评、检验、检查、监测、评价等体系建设，着力强化其科学化、标准化、规范化建设。药品安全治理体系的协同推进和持续改进，强化了食品药品安全风险的全方位防控和质量的全面提升。

坚持食品药品安全治理法制创新。新时代，法律不仅具有规范和保障的功能，而且还具有引领和助推的作用。随着全球化、信息化和社会化的发展，新原料、新技术、新工艺、新设备等不断涌现，食品药品开发模式、产业形态、产业链条、生命周期、运营方式等发生许多重大变化，与此相适应，一些新的食品药品安全治理制度应运而生，强化了食品药品安全风险全生命周期控制，提升了食品药品安全治理的能力和水平。

坚持食品药品安全治理机制创新。机制是推动事物有效运行的平台载体或者内在动力。通过激励与约束、褒奖和惩戒、动力和压力、自律和他律的利益杠杆，机制使“纸面上的法律”转化为“行动中的法律”，调动起了各利益相关者的积极性、主动性和创造性。机制的设计往往都有着特定的目标导引，在社会转型



期具有较大的运行空间。各利益相关者的条件和期待不同，所依赖的具体机制也有所不同。当前，国际社会普遍建立的食品药品分类治理机制、全程追溯机制、绩效评价机制、信用奖惩机制、社会共治机制、责任追究机制等，推动了食品药品安全治理不断向纵深发展。

坚持食品药品安全治理方式创新。治理方式事关治理的质量、效率、形象、能力和水平。全球化、信息化、社会化已从根本上改变经济和安全格局，传统的国际食品药品安全治理方式正在进行重大调整。互联网、大数据、云计算等正在以前所未有的方式改变着传统的生产、生活方式，而更多的改变正在蓄势待发。信息之于现代治理，犹如货币之于经济，犹如血液之于生命。新时期，以互联网、大数据、云计算等代表的信息化手段正在强力推动食品药品安全治理从传统治理向现代治理方式快速转轨，并迸发出无限的生机与活力。

坚持食品药品安全治理战略创新。战略是有关食品药品安全治理的全局性、长期性、前瞻性和方向性的目标和策略。国家治理战略是以国家的力量组织和落实食品药品安全治理的目标、方针、重点、力量、步骤和措施。食品药品安全治理战略主要包括产业提升战略、科技创新战略、行业自律战略、社会共治战略、标准提高战略、方式创新战略、能力提升战略、国际合作战略等。食品药品管理法律制度应当通过一系列制度安排，强化这些治理战略的落地实施。

坚持食品药品安全治理文化创新。文化是治理的“灵魂”。文化具有传承性、渗透性、持久性等。从全球看，治理文化创新属于治理创新体系中是最为艰难、最具创造、最富智慧的创新。

食品药品安全治理文化创新体系庞大，其核心内容为治理使命、治理愿景、治理价值、治理战略等。使命是组织的核心价值、根本宗旨和行动指针，是组织生命意义的根本定位。使命应当具有独特性、专业性和价值性。今天，国际社会普遍将食品药品安全治理的是使命定位于保障和促进公众健康。从保障公众健康到保障和促进公众健康，这是一个重大的历史进步，进一步彰显着食品药品监管部门的积极、开放、负责、自信精神和情怀。

中国的问题，需要世界的眼光。在我国药品安全监管改革创新的重要历史时期，法制司会同中国健康传媒集团组织来自监管机构、高等院校、企业界的专家、学者、研究人员陆续翻译出版主要国家和地区的食品药品法律法规，该丛书具有系统性、专业性和实用性、及时性的特点，在丛书中，读者可从法条看到国际食品药品治理理念、体系、机制、方式、战略、文化等层面的国际经验，期望能为我国食品药品监管改革和立法提供有益的参考和借鉴。

焦 红

2017年12月

# 编译说明

儿科用药的研究开发与科学监管,是保障儿童基本用药需求、确保儿童用药安全的前提。为促进儿科用药发展,美国率先建立儿科用药法律体系,旨在激励制药行业探索药品在儿科临床使用中的安全性和有效性,鼓励儿科用药研发上市。

本书在全面梳理美国药品监管法律法规体系的基础上,收集和翻译了与儿科用药密切相关的法案及部分法案中的法律条款、技术指南,以便为我国儿科用药发展提供借鉴参考。

全书共分为两部分。

第一章为美国药品立法中与儿科用药密切相关的法案及部分法案中的条款,包括《联邦食品药品和化妆品法案》及其历年修正案中儿科用药相关条款原文编译,以及《最佳儿童药品法案》和《儿科研究公平法案》两部儿科用药专门法案的全文翻译。

第二章为美国食品药品监督管理局制定的儿科药物研发、审评与管理方面的12部行业指南全文翻译,内容涵盖儿科研究计划、儿科药理学研究、儿科安全性评价研究、儿科标签信息等。

为使读者更直接的理解美国食品药品监督管理局对儿科用药的管理要求,本书在保持原有法条编纂体例的基础上,直接对原文进行了翻译,以便读者快速检索阅读并可准确回溯法条原文。

当然,由于编者水平所限,且法律法规不断更新,本书难免存在疏漏与不足之处,敬请广大读者不吝斧正。

# 目录

<b>第一章 法规</b> .....	1
<b>联邦食品和化妆品法案</b> .....	1
第V章 药品与医疗器械 .....	1
第VII章 一般性权利 .....	44
<b>食品药品管理现代化法案（1997）</b> .....	50
主题1——药品监管的改进 .....	50
<b>最佳儿童药品法案</b> .....	60
<b>儿科研究公平法案</b> .....	88
<b>食品药品管理法修正案</b> .....	102
第IV主题——儿科研究公平法案（2007） .....	102
第V主题——最佳儿童药品法案（2007） .....	118
<b>FDA 安全及创新法案</b> .....	142
第V主题——儿科用药与器械 .....	142
第VIII主题 生产抗生素的激励 .....	164
<b>第二章 指南</b> .....	169
<b>行业指南：儿科研究计划：提交初始儿科研究计划的</b> <b>内容、过程及修订后的初始儿科研究计划</b> .....	169
I. 引言 .....	170
II. 背景 .....	171
III. 需要提交初始儿科研究计划的申请 .....	173

IV. 初始儿科研究计划提交的时间 .....	173
V. 初始儿科研究计划的内容 .....	175
VI. 达成协议的初始儿科研究与提交儿科研究申请的 关系 .....	191
VII. 初始儿科研究要求修改的时间和内容 .....	191
VIII. 未达成一致协议的初始儿科研究计划 .....	193
IX. 达成未达成一致协议的初始儿科研究计划的协议 ...	193
<b>行业指南：含对乙酰氨基酚的非处方口服液儿科用药</b> ...	203
I. 引言 .....	203
II. 背景 .....	204
III. 推荐 .....	206
<b>行业指南：儿科药品和生物制品的一般药理学研究</b> .....	211
I. 引言 .....	211
II. 背景 .....	212
III. 临床药学考虑 .....	214
IV. 伦理考虑 .....	218
V. 儿科研究方案设计及要点考虑 .....	222
<b>行业指南：罕见儿科疾病优先审评券</b> .....	245
I. 引言 .....	245
II. 背景和概况 .....	246
III. 定义、政策及程序——问答形式 .....	247
<b>行业及评审人员指南：合并人用处方药品和生物制品</b>	
<b>标签的儿科信息</b> .....	278
I. 引言 .....	278
II. 背景 .....	280

Ⅲ. 人用处方药和生物制品标签中的儿科数据放置 .....	288
<b>行业指南：儿科用预防性艾滋病疫苗研制 .....</b>	<b>297</b>
I. 引言 .....	297
II. 范围 .....	298
Ⅲ. 背景 .....	298
IV. 支持探索性预防性艾滋病疫苗的儿科研究数据 .....	300
V. 支持授予儿科用预防性艾滋病疫苗许可证的数据 .....	303
<b>行业指南：如何遵守《儿科研究公平法案》 .....</b>	<b>307</b>
I. 引言 .....	307
II. 背景 .....	308
Ⅲ. 综述——《儿科研究公平法案》的要求 .....	310
IV. 儿科评估 .....	313
V. 儿科计划及提交 .....	315
VII. 遵守《儿科研究公平法案》 .....	327
VIII. 《儿科研究公平法案》及儿科市场独占权 .....	328
<b>行业及 FDA 工作人员指南：儿科专家咨询团 .....</b>	<b>331</b>
引言 .....	331
儿科专家咨询团 .....	332
<b>行业指南：儿童医药产品的 E11 临床研究 .....</b>	<b>337</b>
I. 引言 (1) .....	337
II. 指南 (2) .....	340
<b>行业指南：回应书面请求的儿科肿瘤学研究 .....</b>	<b>358</b>
I. 引言 .....	358
II. 儿科独占权的法律规定 .....	359
Ⅲ. 在儿童身上的抗肿瘤药研究有什么特殊 .....	359

IV. 典型的书面请求需要什么 .....	361
V. 典型的协议是怎么样的 .....	362
VI. 申请人是否具备享有独占权的资格 .....	365
<b>行业指南：儿科用药增补——内容和格式 .....</b>	<b>368</b>
I. 引言 .....	368
II. 内容及格式 .....	368
III. 数据展示 .....	371
IV. 参考资料 .....	372
<b>行业指南：儿科用药非临床安全性评价 .....</b>	<b>374</b>
I. 引言 .....	374
II. 背景 .....	375
III. 幼年期动物需要的一般考虑 .....	376
IV. 幼年期动物药理学评价的一般考虑 .....	380
V. 幼年期动物设计毒理学研究的一般因素 .....	385
VI. 在风险管理中应用幼年期动物试验数据的一般考虑 .....	390
VII. 人与动物发育期比较 .....	391
<b>附 录 名词术语总表 .....</b>	<b>407</b>

# 第一章 | 法规



## 联邦食品药品和化妆品法案

《公法》113-5 修改通过，2013.3.13 生效

( 本法案选取第 V 章 – 分章 A 中 SEC. 505A、SEC. 505B、SEC. 505C、SEC. 505E、SEC. 515A、SEC. 520 以及第七章 – 分章 C 中 SEC. 736 与儿科用药相关的条款进行翻译 )

### 第 V 章 药品与医疗器械

#### 分章 A- 药品与医疗器械

#### SEC. 505A. [ 21 U.S.C. 355a ] 药物的儿科研究

( a ) 定义——在这一节中使用的术语“儿科研究”或“研究”是指药物至少开展一次儿童群体（在适当情况下包含新生儿）的临床研究（根据部长<sup>1</sup>裁量，可包含药代动力学研究）。此外，在部



长裁定的情况下，可包括临床前研究。

### (b) 新药的市场独占期——

(1) 总则——除了第(2)段规定外，根据第505(b)(1)节规定提交的申请在获得批准之前，如果部长认为与儿科用药相关的信息，会对儿童产生健康效益，会提出开展儿科研究的书面要求(可能包含完成这些研究的时间表)。申请者一旦同意这一要求，就必须按照时间表完成研究，并对不同年龄群体使用合适的药物处方。此外，研究报告的提交和受理需要遵循(d)(3)节的内容——

(A)<sup>2</sup>(i)(I)在第505(c)(3)(E)(ii)段和(j)(5)(F)(ii)段中提及的时间被视为5年半而不是5年，而在这一段中(c)(3)(E)(ii)和(j)(5)(F)(ii)提及的4年、48个月和7年半分别被视为4年半、54个月和8年。

(II)在第505(c)(3)(E)(iii)段和(iv)段，以及(j)(5)(F)(iii)段和(iv)段中提及的时间被视为3年半而不是3年。

(ii)如果根据第526节被指定为罕见病用药，则第527(a)款中提及的时间被视为7年半而不是7年。

### (B)(i)如果药物——

(I)列于橙皮书中的某项专利，有其他上市申请根据第505(b)(2)(A)(ii)段或(j)(2)(A)(vii)(II)小段要求提交了第二阶段专利说明书<sup>3</sup>，但在该专利到期(含任何专利延期)之前，