

中国临床医学研究 发展报告 2018



中国生物技术发展中心 编著 _____

非
外
借



科学技术文献出版社
SCIENTIFIC AND TECHNICAL DOCUMENTATION PRESS

中国临床医学研究 发展报告2018

中国生物技术发展中心 编著



科学技术文献出版社
SCIENTIFIC AND TECHNICAL DOCUMENTATION PRESS

· 北 京 ·

图书在版编目 (CIP) 数据

中国临床医学研究发展报告. 2018 / 中国生物技术发展中心编著. —北京: 科学技术文献出版社, 2018.12

ISBN 978-7-5189-4812-3

I. ①中… II. ①中… III. ①临床医学—研究报告—中国—2018 IV. ①R4

中国版本图书馆 CIP 数据核字 (2018) 第 218083 号

中国临床医学研究发展报告2018

策划编辑: 郝迎聪 李蕊 责任编辑: 赵斌 李鑫 马新娟 责任校对: 文浩 责任出版: 张志平

出 版 者 科学技术文献出版社
地 址 北京市复兴路15号 邮编 100038
编 务 部 (010) 58882938, 58882087 (传真)
发 行 部 (010) 58882868, 58882870 (传真)
邮 购 部 (010) 58882873
官 方 网 址 www.stdp.com.cn
发 行 者 科学技术文献出版社发行 全国各地新华书店经销
印 刷 者 北京时尚印佳彩色印刷有限公司
版 次 2018 年 12 月第 1 版 2018 年 12 月第 1 次印刷
开 本 787×1092 1/16
字 数 213 千
印 张 13
书 号 ISBN 978-7-5189-4812-3
定 价 128.00 元



版权所有 违法必究

购买本社图书, 凡字迹不清、缺页、倒页、脱页者, 本社发行部负责调换

《中国临床医学研究发展报告 2018》

编委会

编委会主任：张新民

编委会副主任：沈建忠 范玲 孙燕荣 董志峰

主 编：范玲

副 主 编：陈书安 李萍萍

编写组成员：(按姓氏笔画排序)

于善江	王 玮	王 莹	王 跃	王 晶	王 磊
王小宁	王小理	王伊龙	王恒哲	王晓民	王超男
王慧媛	毛开云	尹军祥	邓洪新	甘荣兴	卢 姗
刘 晓	刘炎锋	刘福团	关镇和	江洪波	阮梅花
寿成超	苏 月	李 希	李冬雪	李苏宁	李治非
杨 阳*	杨 阳**	杨 莉	杨金亮	旷 苗	陈大明
陈正一	范 红	范月蕾	赵若春	袁天蔚	耿红冉
郭 伟	黄 菲	黄英明	曹 彩	渠天欣	葛 瑶
谭 昶	熊 燕	魏于全			

* 作者单位为中国生物技术发展中心。

** 作者单位为四川大学。

序

当今世界，人口老龄化进程加速，人类疾病谱正在从以传染性疾病为主逐步向以慢性非传染性疾病为主转化，由此带来的社会经济负担日益加重。中国政府历来重视医疗健康领域的发展，习近平总书记指出，“没有全民健康，就没有全面小康”。贯彻实施健康中国战略，提升人民健康水平和临床医学诊疗水平，是全面建成小康社会的重要基石。

近年来，伴随着基础生命科学领域的突破性进展，人类对疾病发生发展机制的研究更加深入，临床医学诊疗手段不断丰富，未来疾病诊疗模式正在逐步向更及时、更精准、更智能的方向发展。临床医学研究作为医学科技创新链的关键环节，是推动基础生命科学和医学研究成果向临床应用转化，保障临床诊疗技术，以及产品安全性和有效性的重要支撑。

2008—2017 年 10 年间，全球临床医学研究论文总数超过 46 万篇，共有 180 多个国家和地区开展了超过 20 万个临床研究项目，美国、法国、英国等发达国家无论在论文质量还是在研究项目数量方面，都具有显著优势。2017 年，全球第一个 CAR-T 细胞药物 Kymriah 的上市，是细胞治疗等新技术在临床应用转化方面的重要里程碑，癌症等重大疾病的治疗将有更多、更好的手段和选择。

中国在临床医学研究方面不断取得进步。近 10 年间，中国共发表临床医学研究相关论文 3 万余篇，在全球临床医学研究论文中的占比从 3.7% 增至 10.3%，论文数量排名全球第 2 位；在《新英格兰医学杂志》(*The New England Journal of Medicine, NEJM*)、《柳叶刀》(*The Lancet*)、《美国医学会杂志》(*Journal of the American Medical Association, JAMA*) 和《英国医学杂志》(*British Medical Journal, BMJ*) 四大顶尖医学类期刊上发表的论文数量从 82 篇增长至 279 篇，排名从全球第 11 位提升至第 5 位。自 2012 年中国启动国家临床医学研究中心建设工作

以来，先后分3批建设了共计32家临床医学研究中心，形成了涵盖260个地级以上城市、9000余家医疗机构的临床医学协同创新网络。近3年来，中国开展的国内临床医学研究和参与的国际多中心临床医学研究数量增长超1倍。然而，与医学科技发达国家相比，中国临床医学研究能力还比较薄弱，缺少高质量、系统性的临床医学研究和具有全球影响力的研究成果。目前，中国在临床药物的自主知识产权数量、医药企业综合竞争实力、大型医疗装备自给能力、主导国际诊疗标准和临床规范制定等方面与西方发达国家相比还存在很大差距。

中国生物技术发展中心组织国内临床领域专家编写了《中国临床医学研究发展报告2018》一书。该书首次全面、系统地梳理了近年来国内外临床医学研究的发展现状和各国临床医学研究政策法规，总结了临床医学研究创新体系建设经验，以及2017年中国临床医学研究领域的重要进展和成果，旨在进一步明晰中国临床医学科技发展的国际定位，对提升中国临床医学科技水平，促进医学科技创新具有重要意义。

希望该书能够为医学科技领域的政策制定者、研究人员、管理人员、医药工作者、企业家，以及关心中国医学科技发展的社会各界人士提供有益参考。同时也希望编著者能够积极听取各方意见，不断改进和完善，使其成为中国临床医学研究领域最全面、最权威的综合性年度报告。



政协第十二届全国委员会副主席
中国科学技术协会名誉主席
中国科学院院士

2018年12月

前 言

临床医学是综合运用医学、流行病学、卫生统计学、卫生管理学、社会学、医学心理学和人口学等学科的理论知识与研究方法，研究疾病的病因、诊断、治疗和预后，以了解、预防和治疗人类疾病，提高临床医疗水平，促进人类健康的科学。

临床医学研究是连接基础研究和临床应用，实现医学研究转化，发展医药创新产业的关键环节。一个国家或地区的临床医学研究能力决定了其医药创新能级和产业能级。美国、英国、加拿大、日本等医学科技发达国家多年来通过实施临床医学研究计划、成立临床医学研究网络或联盟等措施，规范研究过程，共享研究资源，集成化协同开展临床医学研究，提高临床医学研究的效率和质量，促进创新医药科研成果产出。

临床医学研究体系建设是实施健康中国战略的重要内容之一。为系统反映中国临床医学研究领域的年度发展概况和主要成就，交流总结中国临床医学科技发展经验，研判中国临床医学研究未来发展趋势，中国生物技术发展中心牵头组织编写了《中国临床医学研究发展报告 2018》（以下简称《报告》）。《报告》共分四个章节，第一章整体分析了临床医学研究现状与趋势，对国内外临床医学发展概况、临床医学研究机构发展现状进行了概要分析；第二章总结了国内外临床医学研究政策与法规，比较系统地梳理了临床医学研究的基本规范、伦理审查、注册管理、数据管理，以及一些特殊领域的管理政策；第三章介绍了中国临床医学研究的主要进展，选编了 2017 年中国牵头的具有重要临床价值或对医学科技发展具有重大影响的部分代表性成果和重要进展；第四章浅析了国际年度热点，选择肿瘤免疫治疗这一医学前沿和热点进行了论述。此外，《报告》还编录了与中国临床医学研究相关的一些文件和材料。

由于数据库差异，本报告的地区统计范围略有差异。在基于 Web of Science 与

Medline 数据库的论文检索中，中国论文情况主要指发文机构中包含中国和中国香港机构的论文，发文机构仅为中国台湾地区机构的论文未在统计范围。在基于 ClinicalTrials.gov 平台的临床研究登记检索中，中国临床研究主要包括发起者 / 合作者为中国大陆研究机构的临床研究，发起者 / 合作者仅为中国香港和中国台湾地区机构的临床研究未在统计范围。

临床医学研究内涵丰富、体系复杂，由于时间紧迫、水平有限，《报告》涉及的内容和范畴也是有限的，特别是对临床医学研究发展态势、政策与法规的把握可能还需进一步深化，临床医学研究成果的遴选标准和原则也值得进一步论证和探讨，《报告》中可能有遗漏和错误之处，有待后续补充和完善。敬请各位读者批评指正，并提出宝贵意见，以便我们进一步优化和完善今后的工作。

编者

2018 年 12 月

目 录

第一章 临床医学研究现状与趋势	1
一、国际临床医学研究发展现状	1
二、国内临床医学研究发展现状	16
第二章 国内外临床医学研究政策与法规	40
一、管理规范	40
二、伦理审查	48
三、申请与审评	53
四、登记注册	59
五、数据管理	64
六、其他管理政策	69
第三章 2017 年中国临床医学研究重要进展及成果选编	77
一、重大科学发现	77
二、新技术新方法	87
三、临床转化与产品	92
四、临床标准规范与推广	102
第四章 2017 年临床医学研究热点浅析——肿瘤免疫治疗	114
一、国内外进展	114
二、存在的主要问题	142
三、未来重要发展方向	144

图表索引	146
附 录	148
附录 A 2017 年中国医学相关政策文件	148
附录 B 中国合格评定国家认可委员会 (CNAS) 认定的医学实验室	150
附录 C 国家临床医学研究中心名录	161
附录 D 国家重点研发计划“重大慢性非传染性疾病防控研究”重点专项 2016—2017 年度立项项目清单	163
附录 E 国家重点研发计划“精准医学研究”重点专项 2016—2017 年度 立项项目清单	173
附录 F 国家重点研发计划“生殖健康及重大出生缺陷防控研究”重点专项 2016—2017 年度立项项目清单	182
附录 G 国家重点研发计划“数字诊疗装备研发”重点专项 2016—2017 年度立项项目清单	184
致 谢	197

第一章 临床医学研究现状与趋势

随着经济社会的发展，中国居民对高质量健康水平生活的需求不断提升，疾病模式也在发生快速变化，对中国疾病预防、诊断和治疗水平提出了更高的要求。规范科学的临床医学研究，对中国临床医学的健康快速发展，促进医学成果转化应用起到了重要作用。近年来，随着生物技术和医学科技的不断发展及多学科的交叉融合，临床医学研究呈现系统性、规范性、协同性、综合性的发展特点，并逐步向精准治疗、智能医疗发展。

本报告中所指的临床医学研究是以疾病的诊断、治疗、预后、病因和预防为主要研究内容，以人群为主要研究对象，以医疗服务机构为主要研究基地，由多学科人员共同参与组织实施的科学研究活动，既包含观察性临床研究和干预性临床研究，又包含疾病诊疗规范、标准等策略的研究和制定。本章将从临床医学论文发表情况、临床研究项目开展情况、临床医学研究平台体系建设和临床转化进展情况等方面，对国内外临床医学研究现状进行分析。

一、国际临床医学研究发展现状

2017 年，全球临床医学研究领域取得了突破性进展。基于基因治疗和细胞治疗的创新产品首获批准上市，有望变革恶性肿瘤等重大疾病的治疗模式。美欧等发达国家陆续针对数字健康、3D 打印等新技术发布若干新政，创新产品不断涌现，美国食品药品监督管理局（U. S. Food and Drug Administration, FDA）批准原创新药和医疗器械创新产品的上市数量明显增多。

（一）科学发现

近年来，全球临床医学研究论文数量保持稳步增长趋势，针对恶性肿瘤的医学研究成为 2017 年最受关注的临床医学研究领域。无论在研究论文数量还是论文影响力方面，美国均位列全球第 1 位，其研究水平和学术产出远超其他国家。

1. 全球临床医学研究论文数量稳步增长

基于 Medline 数据库统计显示，全球发表的临床医学研究论文数量^①保持稳步增长。2008—2017 年，各研究机构发表的临床医学研究论文总量达 46.9 万篇，2016 年年度论文数量较 2008 年增长了 26.3%（图 1-1）。

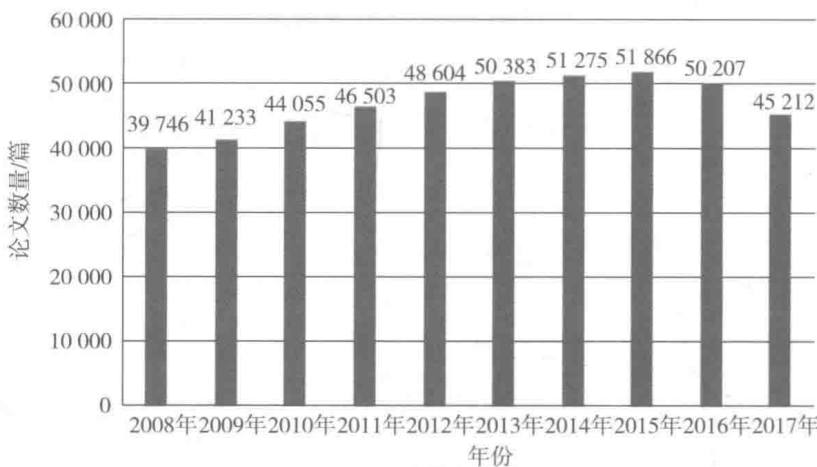


图 1-1 2008—2017 年国际临床医学论文数量^②

数据来源：Medline 数据库

2. 肿瘤成为临床医学研究的热点领域

肿瘤是全球临床医学研究最受关注的领域，2017 年全球研究机构在肿瘤领域共发表研究论文 12 090 篇，占临床医学研究论文总数的 26.7%。肿瘤领域论文数量高于排名第 2 位的心血管疾病领域 1 倍之多。精神疾病、创伤与伤害、神经系统疾病论文数量分列第 3 位至第 5 位（图 1-2）。

① 检索日期：2018 年 11 月 16 日。数据库最新更新时间：2018 年 11 月 14 日。检索方法：基于 Medline 数据库，以主要 MeSH 主题词“Humans”AND (“Analytical, Diagnostic and Therapeutic Techniques and Equipment Category” OR “Chemicals and Drugs Category” OR “Diseases Category” OR “Clinical Study” OR “Epidemiology” OR “Psychiatry and Psychology Category” OR “Community-Based Participatory Research” OR “Outcome Assessment (Health Care)” OR “Comparative Effectiveness Research”) 为检索式，检索临床医学类研究论文。

② 由于 Medline 数据库收录数据延迟等原因，2017 年全球临床医学研究论文尚未完全收录，数量仅供参考。

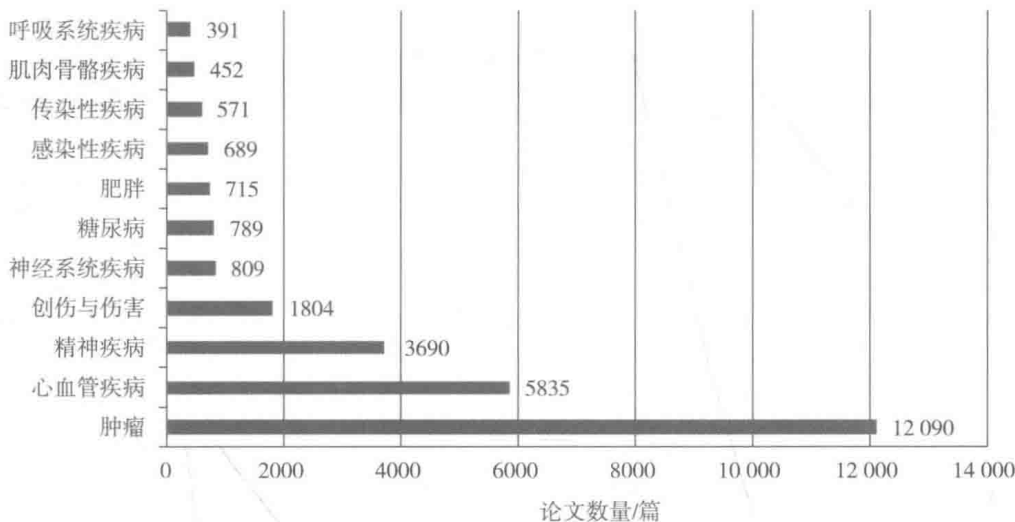


图 1-2 2017 年全球临床医学研究领域疾病研究论文分布情况

数据来源：Medline 数据库

3. 美国保持临床医学研究论文领先优势

2017 年，美国、中国、英国、德国、意大利、澳大利亚、加拿大、法国、日本、荷兰发表的临床医学研究论文数量位居全球前 10 位。同时，这 10 个国家在近 10 年（2008—2017 年）发表论文总数也均居前 10 位。美国始终以显著优势位居全球首位，2017 年美国共发表临床医学研究论文 13 306 篇。自 2013 年以来，中国临床医学研究论文数量排名超过英国，位列第 2 位（表 1-1、图 1-3）。

表 1-1 2017 年临床医学研究论文数量前 10 位的国家

排名	国家	发表临床医学研究论文数量 / 篇
1	美国	13 306
2	中国	4609
3	英国	3825
4	德国	2499
5	意大利	2397
6	澳大利亚	2068
7	加拿大	2068

续表

排名	国家	发表临床医学研究论文数量 / 篇
8	法国	1826
9	日本	1667
10	荷兰	1547

数据来源：Medline 数据库。

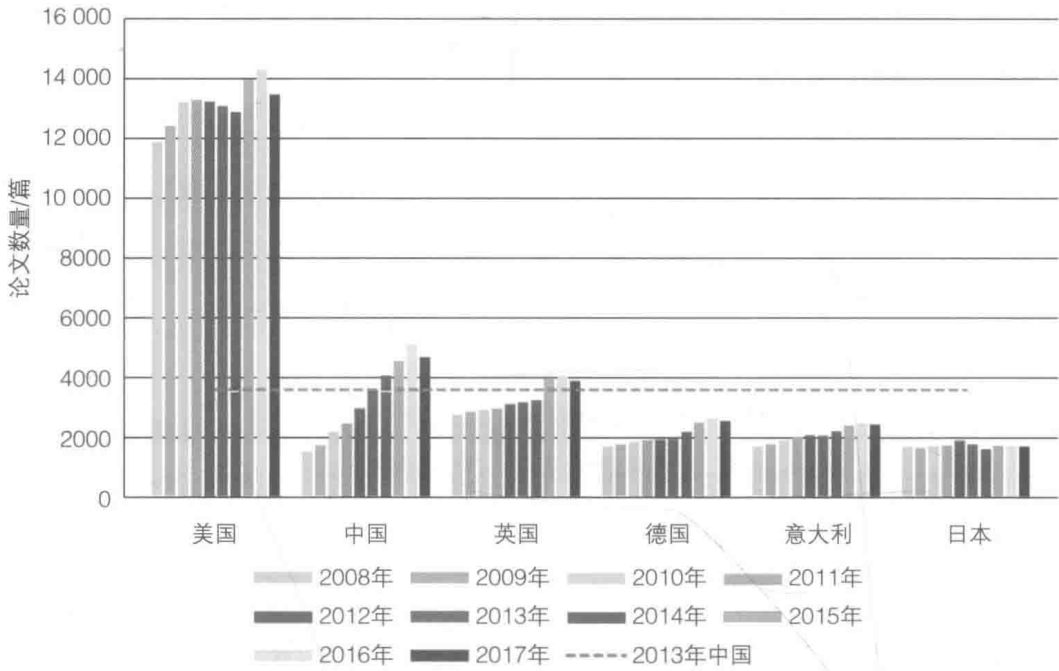


图 1-3 2008—2017 年美国、中国、英国、德国、意大利、日本临床医学研究论文数量年度变化趋势

数据来源：Medline 数据库；

注：2013 年中国临床医学研究论文数量超过英国，位居全球第 2 位。

在高水平研究论文方面，2017 年，《新英格兰医学杂志》（*The New England Journal of Medicine, NEJM*）、《柳叶刀》（*The Lancet*）、《美国医学会杂志》（*Journal of the American Medical Association, JAMA*）和《英国医学杂志》（*British Medical Journal, BMJ*）四大医学类期刊共刊登研究论文 8121 篇。其中，美国研究机构共主持或参与发表论文 2611 篇，位居全球首位；中国研究机构主持或参与发表论文 279 篇，位居全球第 5 位（图 1-4）。

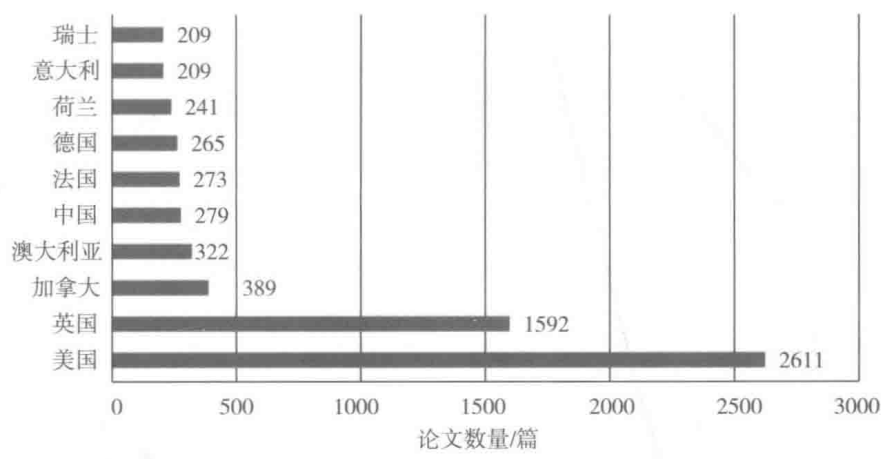


图 1-4 2017 年四大医学类期刊论文发表情况

数据来源：Web of Science 数据库

4. 欧美研究机构在四大医学类期刊发表论文排名领先

在 *NEJM*、*The Lancet*、*JAMA*、*BMJ* 四大医学类期刊发表论文数量最多的 10 个研究机构来自美国、英国、加拿大 3 个国家。美国哈佛大学 2017 年在四大医学类期刊上共发表论文 350 篇，占该年度总数的 10.04%，远远高于其他医学研究机构。英国伦敦大学学院以 122 篇论文位列全球第 2 位（表 1-2）。

表 1-2 2017 年在四大医学类期刊上发表论文的主要机构排名

排名	机构	论文数	占比
1	美国哈佛大学（Harvard University）	350	10.04%
2	英国伦敦大学学院（University College London）	122	3.50%
3	英国帝国理工学院（Imperial College London）	98	2.81%
4	英国牛津大学（University of Oxford）	97	2.78%
5	英国伦敦卫生与热带医学院（London School of Hygiene & Tropical Medicine）	87	2.50%
6	英国伦敦国王学院（King's College London）	72	2.07%
7	加拿大多伦多大学（University of Toronto）	70	2.01%
8	美国西雅图华盛顿大学（University of Washington）	67	1.92%
9	美国约翰斯·霍普金斯大学（Johns Hopkins University）	66	1.89%
10	美国密歇根大学（University of Michigan）	60	1.72%
10	美国宾夕法尼亚大学（University of Pennsylvania）	60	1.72%
10	澳大利亚悉尼大学（The University of Sydney）	60	1.72%

数据来源：Web of Science 数据库。

（二）临床研究

临床研究是探索疾病发生发展机制，开发新型诊疗技术和产品，促进临床成果转化的关键环节。美国 ClinicalTrials.gov 数据库^① 中收录了全球 180 多个国家和地区超过 20 万个临床研究项目，数据分析显示，全球临床研究日趋活跃，项目数量持续增长，并且由研究型机构发起的临床研究占据越来越重要的地位。

1. 全球临床研究项目数量稳步增长

基于 ClinicalTrials.gov 数据库的统计分析表明，2008—2017 年全球临床研究项目数量整体增长近万项^②。从已公开的数据来看，2017 年 ClinicalTrials.gov 登记的临床研究项目数量为 23 777 项（图 1-5），其中，I 期临床试验数量 2677 项、II 期临床试验数量 3563 项、III 期临床试验数量 1709 项、IV 期临床试验数量 1458 项（图 1-6）。

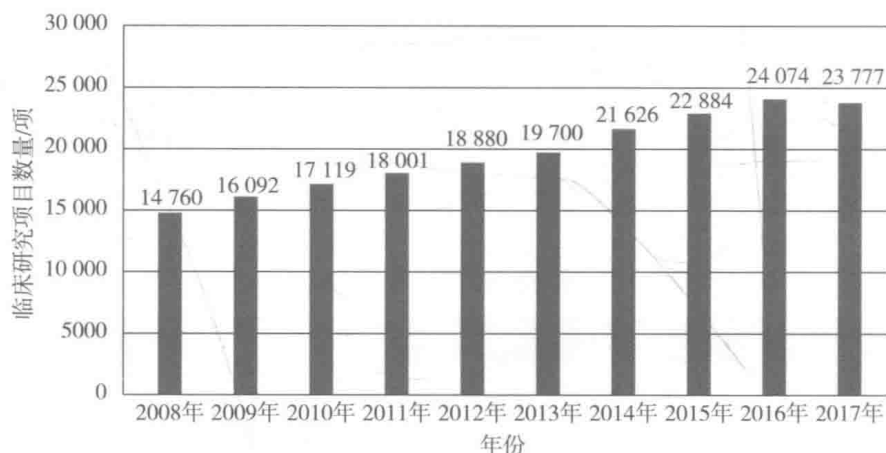


图 1-5 2008—2017 年全球临床研究项目数量总体情况^②

数据来源：ClinicalTrials.gov 数据库^③

① 在全球临床研究登记平台中，ClinicalTrials.gov 作为临床研究登记的主要网站，为患者、医疗人员、研究者提供了大量疾病的临床研究信息，是当前国际上较为权威的临床研究登记网站之一。

② 由于公开滞后等原因，2017 年数据尚未完全纳入，仅供参考。

③ 检索日期：2018 年 10 月 12 日。本节下同。

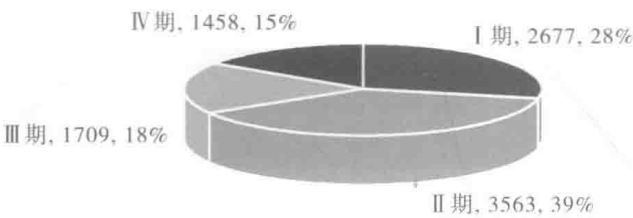


图 1-6 2017 年全球 I 期至 IV 期临床阶段的临床研究项目数量分布^①

数据来源：ClinicalTrials.gov 数据库

2. 美国临床研究项目数量全球领先

2017 年在 ClinicalTrials.gov 数据库登记的临床研究项目中，排名前 5 位的国家分别为美国、法国、中国、英国和加拿大。其中，美国是最主要的临床研究项目开展地区，其临床研究项目数量占该年度全球临床研究项目数量的 35.79%。法国紧随其后，位列第 2 位。中国位列第 3 位，共开展临床研究项目 1801 项，占比 7.57%（表 1-3）。

表 1-3 2017 年全球临床研究项目国家 / 地区排名情况

排名	国家 / 地区	项目数量 / 项	占比
1	美国	8509	35.79%
2	法国	1927	8.10%
3	中国	1801	7.57%
4	英国	1439	6.05%
5	加拿大	1420	5.97%
6	德国	1202	5.06%
7	西班牙	977	4.11%
8	意大利	897	3.77%
9	韩国	859	3.61%
10	比利时	695	2.92%
11	荷兰	635	2.67%

^① ClinicalTrials.gov 平台登记的研究项目中，部分研究未计入临床研究阶段，本图未统计此类研究。