

国外食品药品法律法规编译丛书

21世纪 治愈法案

编译 杨 悦

中国医药科技出版社

国外食品药品法律法规编译丛书

21 世纪 治愈法案

编 译 杨 悦

中国医药科技出版社

图书在版编目 (CIP) 数据

21世纪治愈法案 / 杨悦编译. — 北京 : 中国医药科技出版社, 2018.1

(国外食品药品法律法规编译丛书)

ISBN 978-7-5067-9359-9

I. ①2… II. ①杨… III. ①药品管理-质量管理-法案-美国
IV. ①D971.221

中国版本图书馆CIP数据核字(2017)第128917号



注
扫描书中二维码,
可阅读英文原版

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
规格 710 × 1000mm $\frac{1}{16}$
印张 38 $\frac{1}{4}$
字数 447 千字
版次 2018 年 1 月第 1 版
印次 2018 年 1 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 978-7-5067-9359-9
定价 89.00 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 谔	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

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面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

前言

《21 世纪治愈法案》是食品药品法律法规译丛的第一部。2016 年 12 月 9 日美国国会高票通过《21 世纪治愈法案》。继推出“精准医疗计划”、“奥巴马医保计划”后，这部法案将是奥巴马离任前的最后一部与国民健康及医疗相关的重大法案。大多数美国人支持该法案，该法案的出台将会促进美国医疗研究和产品的创新。该法案在国际社会引起强烈反响。

一、发布背景

该法案以加速新疗法的发现（discovery）、研发（development）和提供（delivery）为主线，保持美国在生物医疗创新的全球领先地位为目标。健康科学研究正在飞速发展，但相关立法严重落后于创新的步伐。为了寻求解决方法，国会召开 8 次听证会，24 次圆桌讨论会议，听取了来自 FDA、NIH、制药行业、医疗器械行业、学术界、私人研究机构、医疗中心、医务人员、患者和疾病宣传组织如美国癌症协会等诸多方面的声音，最终促成了《21 世纪治愈法案》的起草与出台。

2015 年 5 月 13 日，180 多所科研机构、学术团体和医务人员组织联名向美国国会致信，认为美国国立卫生研究院（NIH）多年来的资金支持链非常脆弱，还停留在使用 20 世纪的资源，然而面对的是 21 世纪的机遇和挑战。这导致美国在罕见病领域、阿尔茨海默病、自闭症、埃博拉病毒等疾病流行性疾病的研发动力极其不足，这是人类的悲剧和政策的失误；“必须立法阻止对美国人

民的健康威胁，而不是容忍这些疾病的肆虐。”美国国会认为在这些疾病研究领域投入研发基金，促进基础研究成果向可及的治疗方法转化，是健康法律政策的真正源头。通过加强基础研究投资，来撬动未来美国整个医疗技术水平创新的发展，影响深远。

21 世纪治愈法案将推动和引领美国未来十年、二十年，甚至更长时间内在生命科学领域的创新研发、疾病治疗，以及大健康领域发展的重大国策和投资导向。是所有美国人都关注的切身利益大事。同时，该法案也是全球各国政府在制定生命科学领域相关政策和投资创新研发的“风向标”和重要参考。

二、法案目标

美国必须保持在生物医药领域的全球领先地位，拯救更多生命，减少严重威胁人类健康疾病对美国人民的健康威胁，同时创造出更多就业岗位；通过努力，使监管机构和科学界、制药行业进入治疗目前主要严重疾病的新轨道。奥巴马在任 8 年，力推了两个关于医疗的法案，分别是《患者保护和平价医疗法案》和《21 世纪治愈法案》。前者基于当下，通过政府主导，增加美国人民的医疗保险覆盖率及降低美国的医疗费用，后者面向未来，是一次拯救生命的机会。

该法案旨在通过加大政府投入，抗击海洛因和处方药成瘾；加大了 NIH 的医学基础研究投入，用于实施“癌症登月计划”、“脑研究计划”和“精准医疗计划”；加快美国 FDA 未来十年新药审评上市速度；提出精神卫生服务体系改革方案；优化面向 65 岁以上老年人的 MEDICARE 医保计划和面向未成年人、低收入孕妇、低收入老人和残疾人等困难群体的 MEDICAID 计划覆盖和支付范围等等。

三、法案主要内容

“发现 - 研发 - 提供”是该法案的主线，即通过加强基础医学学科研究，加速医药产品研发上市，并最终保证向患者提供和保证可及性。

发现，即科学发现。向 NIH 提供 48 亿美元用于基础科学研究。其中，14.5 亿美元用于此前奥巴马总统提议的精准医疗计划的实施，促进对于现在基因、生活方式和环境改变引发的疾病变化的理解；18 亿美元用于副总统拜登提出的“癌症登月计划”，加速癌症研究，争取在 5 年内完成在癌症预防、诊断、治疗和护理方面需要 10 年才能完成的进展。15.1 亿美元投资“脑研究计划”，以促进对阿尔茨海默病等精神疾病的科学研究；300 万美元投资自体干细胞再生性医学研究。医学基础研究的发展将有助于疾病致病机理和因素的深入理解，促进创新医药产品研发工具的发现。NIH 是美国主要的医学与行为学研究机构，也是世界最大的国立医学研究机构之一，其任务是研究生命本质和行为学方面的基础知识，并充分运用这些知识延长人类寿命，以及预防、诊断和治疗各种疾病和残障。

此外，两年内投入 10 亿美元，用来实施奥巴马提议的反对海洛因和处方阿片类药物流行病等药物滥用。在美国，每年死于药物滥用的人比死于机动车事故的人还要多。

研发，即新疗法研发。过去 20 多年，科技发展步伐加快，人类基因组图谱绘制取得重大成果，但新研究发现应用到 FDA 批准新疗法却非常困难。该法案将会通过下述方式，促进基础研究成果向新疗法的转化：促进临床试验的现代化，促进安全性有效性资料积累和分析方式的现代化；将患者放在审评程序的核心位

置，以患者为中心（patient-focused）；支持范围更广泛合作的生物标记物开发、资格认定和使用项目，生物标记物能有助于在研发早期理解新治疗手段的治疗机制、适用对象；简化开发健康软件和移动医疗 app、组合产品、疫苗、再生医学疗法的法规，并提供明确一致的法规要求；激励儿科药物的研发，授权 FDA 使用更为灵活的方式审评具有突破性技术的医疗器械；向 FDA 提供 5 亿美元，用于促进监管现代化，招募和保留最优秀的科学家、博士和工程师。

提供，即新疗法提供患者使用。新药和医疗器械的研发，如果不能及时提供给需要的患者使用，研发就没有任何价值。该法案通过多种方式提高新疗法的可及性：保证不同医疗机构电子健康记录系统互通使用，从而实现患者治疗的无缝衔接；帮助促进医务人员的教育，促进资深医务人员对最新医疗技术的掌握。

此外，该法案针对影响美国人口 1/5 的精神卫生问题提出强化针对整体精神卫生服务体系的改革措施。对 MEDICARE 和 MEDICAID 项目提供方进行支付审核，优化支付范围和支付标准，保障 65 岁以上老年人和困难群体的基本医疗保障和大病医疗保障。

四、主要措施

1. FDA 致力于监管科学的突破与审评标准的创新

《21 世纪治愈法案》是 FDA 多年来药物创新理念与战略的延续，从关键路径计划，到监管科学战略，再到治愈法案，其理念和战略不断明晰和强化。FDA 一方面致力于满足患者尚未满足的治疗需求，另一方面致力于减轻新医药产品研发的成本和监管负担，以便使创新产品更快、更好的上市使用，保护和促进公众健康。

监管科学是评价产品安全性、有效性、质量和功能的新工具、新标准和新方法的科学。早在 2004 年 3 月，FDA 发布《创新 / 停滞：新医药产品关键路径的挑战与机遇》的白皮书，正式提出“关键路径计划”（The Critical Path Initiative, CPI）。“关键路径计划”主要是优先解决影响医药产品开发的最紧迫问题，使当代生物医学基础研究所取得的重大成果迅速转化为提高公众健康的新产品。关键路径计划的最主要目的在于通过创造新的、能更准确地判断和预测新医药产品的安全性及有效性的工具，确保最新的生物医学基础研究成果能更快、更确定、更低成本地转化为新的，更有效的治疗手段。FDA 的关键路径计划在三个重要方向取得成就，包括生物标记物和其他科学工具、简化临床试验确保产品安全性等方面。

在关键路径计划等取得重大成就的基础上，2010 年，FDA 启动了监管科学计划，将监管科学融入到 FDA 监管活动的方方面面。监管科学是“发展评价监管产品安全性、有效性、质量和功能的新工具、标准和方法的科学”。2011 年 8 月 17 日，FDA 发布《促进 FDA 监管科学：战略计划》，确定了缩小监管决策制定与科学知识之间关键差距的策略，包括新的医药产品研究工具、模型；提高临床试验的质量和效率；识别和评估缺乏临床终点和相关生物标记物等手段，解决监管科学和创新的需求，促进产品开发和审评过程。

在重视监管科学的同时，FDA 还提出“智慧监管（smart regulation）”，即通过智慧、合理和以科学为基础的监管，构建最合理的监管制度框架同时减少不必要的负担，在鼓励创新的同时实现保护公众健康的目标。“智慧监管”要求 FDA 保持动态化，

与时俱进，发现和利用最优的科学技术，从而引导有价值的创新的实现，促进行业的公平竞争，减少产品的召回，巩固消费者的信心，维持 FDA 在全球的创新领导地位。

《21 世纪治愈法案》是监管科学战略的延续。该法案旨在对《食品药品化妆品法案（FD&CA）》进行重点修订，并扩大 FDA 的监管权力。该法案致力于监管科学的突破和审评标准的创新，很大篇幅在于促进新类型证据的在药品研发和审评中的使用，如适应性试验设计、贝叶斯统计学方法、生物标记物、替代终点等获得的数据，考虑特定患者的风险效益平衡。

2. 以患者为中心的审评——建立患者体验数据搜集和提交指南
法案第 3001 节明确规定 FDA 在药品审评时接受患者体验数据。患者体验数据是患者本人以及患者家庭、患者组织等其他任何人搜集的，与患者疾病状态，接受诊疗和服务过程中的体验，以及患者疗法的偏好等各种经验数据。FDA 后续将建立搜集和提交患者体验数据的指南，在数据搜集方法、评价标准等方面给予行业指导，重点关注患者疾病的关键负担，疾病治疗负担，以及如何确保患者风险效益平衡。

3. 药物开发工具资格认定、简化特定类别申请技术审评要求
法案第 3011 节通过修订 FD&CA，新增第 507 节，强化 FDA2015 年建立的药物开发工具资格认定程序（QPDDT）（指南）明确立法，通过对生物标记物、动物模型、临床结局等药物开发工具在特定使用背景下的有效性进行认定，简化申请资料提交要求，从而缩短药物研发时间，减少药物研发的失败率。法案要求 FDA 在法案实施五年内公布认定与使用标准及实施绩效。法案第 3012 节允许基因靶向药物或蛋白质变体靶向药物的临床试验

发起人，使用该自己之前获批的具有相同或相似技术的药物的数据。第 3031 节提出针对药品某些特定适应证的补充申请，FDA 可仅审评临床数据摘要，但是申请人仍需附上所有相关数据。法案第 3022 节允许已批准上市药物的新适应证，今后可通过提供真实世界证据获得批准，真实世界证据还可用于上市后研究要求（PSR）。

4. 创新的适应性临床试验设计

FDA 今后将开展会议讨论，发布相关指南文件，支持发起人在新药申请中加入适应性设计和创新数据分析模型。所谓适应性设计是指一种前瞻性设计，根据研究中受试者数据分析，及时修正和调整一个或多个特定研究设计和假设，促使临床试验和临床开发计划效率更高。

5. 有限数量患者抗菌药（LPAD）审批通道

每年，至少 200 万美国人因耐抗生素感染致病，导致 23000 人死亡。对于许多感染，由于患者数量少，且缺乏参照疗法，传统的临床试验往往无法进行。有限数量患者抗菌药（LPAD）审批通道就是在这种背景下提出的。法案第 3042 节规定，对于治疗威胁生命的感染性疾病的抗菌药，FDA 在批准抗菌药上市时有一定灵活性，可基于有限数量患者数据批准上市。同时，该抗菌药标签、广告上应带有“有限患者数据”标识等要求。在这种情况下，药品审评批准的风险效益平衡与普通药品不同，要考虑到患者未满足的临床需求，确保患者效益风险平衡。

6. 医疗器械特殊审批通道

基于现有的医疗器械优先审评途径，在 FD&CA 中新增了如医疗器械突破性疗法途径，该途径类似于药品的突破性疗法途径，

对于特定类别高风险医疗器械，允许使用文献中数据作为审评依据，旨在加快具有早期临床获益的医疗器械的研发和审评。

7. 罕见病研发激励

罕见病用药一直是 FDA 重点创新激励的领域，该法案使罕见病药物优先审评券（PRV）计划获得再授权，执行有效期延至 2020 年。2012 年实施鼓励治疗罕见儿科疾病优先审评的 PRV 制度。PRV 制度指的是对于已获得批准的治疗被忽略的热带疾病、罕见儿科疾病的新药或疫苗的申请人，符合优先审评标准时，FDA 将奖励其一张“优先审评券”，该药品申请人的其他药物可以凭借该券获得优先审评资格，该券可以转让或出售。该法案更新罕见病用药资助计划，资助范围由临床试验扩大到观察性研究领域，以促进研究罕见病的自然发展进程和治疗过程。

8. 知情同意与人类受试者保护

要求 HHS 部长协调人类受试者基本法规（45 CFR 46）和 FD&CA 下的受试者保护法规（21 CFR 46），进一步优化多中心临床试验的伦理委员会审评程序。取消医疗器械临床试验发起人只能使用本地 IRB 的规定，允许其使用中心伦理委员会对医疗器械临床试验开展伦理审评。FDA 今后有更大的灵活性，可豁免或修改最小风险临床试验的知情同意要求，HHS 和 NIH 根据基本法规也可采取这种灵活性。

9. 扩大使用 / 同情使用

要求研究性药物的生产企业在公共网站公开其同情使用（Compassionate use）药物的实施计划，促进病危或亟需治疗患者参加临床试验。但公布实施计划并不代表保证申请参加计划的患者一定获得药物治疗，只有符合标准的患者允许加入计划。

10. 精神健康服务领域改革措施

在 HHS 的部长办公室下设立精神健康及物质使用部长助理、首席医学官、建立跨部门严重精神疾病协调委员会、制定战略计划，促进基于证据的精神健康项目的开展与实施，促进精神疾病更加科学的诊断和治疗，同时加强与其他联邦政府机构的合作，增强各部门的沟通，从而为精神健康服务提供保障。这一系列改革旨在进一步提高精神健康服务的质量和范围，并为公众健康提供保障。

11. MEDICARE 和 MEDICAID 项目优化

针对 65 岁老年人的 MEDICARE 计划提供各州的支付目录覆盖范围决策权限，但需要向社会公开决策证据，目录内项目价格公开透明；开发 MEDICARE-A 部分即住院报销部分的单病种付费编码系统，优化 B 部分门诊费用支付范围。提高面向贫困人口 of the MEDICAID 项目提供方信息的可获得性，加强支付审核等等。

五、编译启示

1. “从拯救生命的高度”设定政府优先资助领域

法案关注影响美国民众健康最为重要的领域和疾病，立法阻止对美国人民的健康威胁，包括癌症、阿尔茨海默病、罕见病、精神物质滥用、精神疾病。这些疾病影响美国人民未来的健康，是长期战略性问题，是政府必须承担的责任，是政府的长期战略目标上升为法律。

政府投入明确指向癌症、脑科学、再生科学基础研究领域，向 NIH 提供基础研究经费，强化政府责任。法案也强化了药物滥用、精神健康服务，65 岁老年人和贫困人口的基本医疗卫生服务提供领域的立法。