

国外食品药品法律法规编译丛书

美国罕见病药物 法律法规

主编 蒋 蓉

中国医药科技出版社

国外食品药品法律法规编译丛书

美国 罕见病药物 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

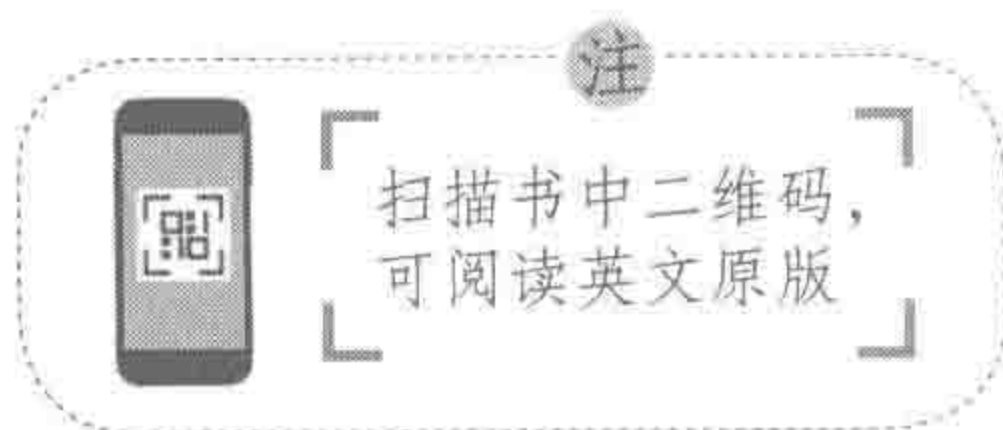
美国罕见病药物法律法规 / 蒋蓉主编. — 北京 : 中国医药科技出版社,
2018.2

(国外食品药品法律法规编译丛书)

ISBN 978-7-5067-9674-3

I. ①美… II. ①蒋… III. ①疑难病-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261033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
规格 710 × 1000mm^{1/16}
印张 7
字数 64 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 978-7-5067-9674-3
定价 28.00 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 谥	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，需要世界的目光。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

关注生命质量、提高弱势群体卫生福利是当今世界各国政府首要关注的社会问题。虽然罕见病发病率低，但我国人口基数大，以致我国罕见病患者总人数不容小觑。因此，促进罕见病用药的研发、提高罕见病用药的可及性是提高全民卫生福利的重要问题。

FDA 是较早针对罕见病用药出台专门法律法规，并明确概念界定、促进企业研发的药品监管部门。本书在全面梳理美国药品监管法律法规体系的基础上，收集和翻译了与罕见病用药密切相关的法案及部分法案中的法律条款、技术指南，以便为我国罕见病用药的发展提供借鉴参考。

全书共分为两部分。

第一章为美国药品立法中与罕见病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》《食品药品管理法修正案》《FDA 安全及创新法案》三个法规文件中与罕见病药物有关的部分条款进行编译，以及《罕见病药物法案》的全文翻译。

第二章为美国食品药品监督管理局制定《罕见病：药物工业发展指南的常见问题》的指南全文翻译，内容涵盖了 FDA 对协助治疗或预防罕见病的药品和生物制品的发起人、罕见病药物开发中的选题、项目开发等问题的官方意见。

为使读者更直接的理解美国食品药品监督管理局对罕见病用药的

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

第一章 法规	1
联邦食品和化妆品法案	1
分章 B——罕见病用药	1
罕见病药物法案	18
简称	18
《联邦食品和化妆品法案》修正案	19
“罕见病药物的认定”	20
“对未获专利的罕见病药物的保护”	21
“罕见病药物研究的公开协议”	22
“分章 A——药物和器械”	23
FDA 安全及创新法案	52
第九章 药物审批和患者可及性	52
第二章 指南	65
罕见病：药物工业发展指南的常见问题	65
I. 引言	66
II. 背景	67
III. 自然史研究	68
IV. 疾病病理生理学和生物标记物的使用	71
V. 非临床研究	73
VI. 临床有效终点	76

VII. 证明有效性和安全性	80
VIII. 化学、制造和控制	83
附录 名词术语总表	91

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 B 中 SEC. 525、SEC. 526、SEC. 527、SEC. 528、SEC. 529 以及分章 E 中 SEC. 569 与罕见病药物相关的条款进行翻译)

分章 B——罕见病用药

罕见病药物研究的建议

SEC. 525. 【《美国法典》第 21 主题第 366aa 条】

(a) 用于美国国内罕见病症的药物，其申请人可以在以下程序之前，请求部长提供书面的临床及非临床研究建议——

(1) 药物依照 505 条之要求获批可用于该类病症。

(2) 若该药物为生物制品，药物可依照《公共卫生服务法案》351 条之要求获批用于该类病症。

若部长有理由认定依照该节之要求申请的药物为用于美国国内罕见病的药物，则部长应向申请人提供书面的临床及非临床研究建议。部长根据申请提出时可获得的信息，确定申请获批（依照第 505 条之规定）所必需的信息，或获得许可证（依照《公共卫生服务法案》第 351 条之规定）所必需的信息，并据此提供书面建议。

(b) 部长应依照法规，公布 (a) 款所述规定的执行程序。

罕见病药物的认定

SEC. 526. 【《美国法典》第 21 主题第 360bb 条】

(a)(1) 制造商或申请人可能请求部长为用于罕见病的药物进行认定，认定申请应在以下程序之前提出：第 505 (b) 款所述的申请递交之前，或《公共卫生服务法案》第 351 条所述的许可证申请递交之前。若部长发现依照本款之要求递交申请的药物正用于或将用于罕见病研究，且符合以下情况——

(A) 若该药物的申请依照第 505 条之要求获批。

(B) 若该药物的许可证依照《公共卫生服务法案》第 351 条批准。

批准、认证或许可将发给该类药物，则部长应将该类药物认定为罕见病药物。本节所述的认定申请应包含申请人对部长发出的药物认定通知（依照（b）款之要求）的同意。

（2）在第（1）节中“罕见病”指：（A）在美国国内患者不超过20万人；（B）在美国国内患者超过20万人，但罕见病用药的研发与推广费用无望通过药物销售弥补。上述句子中对任何药物的判定应根据实际情况（从符合本款的认定申请提出时起）做出。

（b）在（a）款中所述的认定应符合以下条件——

（1）若药物的申请依照第505（b）款之要求获批，或药物的许可证依照《公共卫生服务法案》第351条发给，则制造商应在任何中止行为发生前，至少提前一年告知部长。

（2）若药物的申请依照第505（b）款之要求未获批，或药物的许可证依照《公共卫生服务法案》第351条未能发给，且药物的临床前研究或505（i）段所述的研究正在进行，对于初始目的如下的研究：使申请依照第505（b）款之要求获批，或使许可证依照《公共卫生服务法案》第351条发给；其有任何中止决定时制造商或申请人应告知部长。

（c）与（a）款中所述的认定相关的通知应对公众公开。

（d）部长应依照法规，公开（a）款所述规定的执行程序。

罕见病药物的保护

SEC. 527.【《美国法典》第 21 主题第 360cc 条】

(a) 除 (b) 款所述情况外，若部长——

(1) 依照 505 条之要求批准某类型药物的申请。

(2) 依照《公共卫生服务法案》第 351 条发给许可证。

则对于依照 526 条之要求认定的罕见病用药，若申请人不是上述获批或获得许可罕见病药物的原持有人，部长不可批准其依照 505 条之要求提出的同类型不同药物申请，亦不可依照《公共卫生服务法案》第 351 条发给许可证，除非该申请获批后或许可证颁发后 7 年期满方可批准。第 505 (c) (2) 节之内容不适用于前述的申请批准的驳回。

(b) 对于依照 505 条之要求获批且依照 526 条之要求认定，或依照《公共卫生服务法案》第 351 条获得许可证的某类型罕见病药物。

在该申请获批后或许可证颁发后 7 年期内，若申请人不是上述获批或获得许可罕见病药物的原持有人，在满足以下条件时，部长可批准其依照 505 条之要求提出的同类型不同药物申请，或依照《公共卫生服务法案》第 351 条发给许可证——

(1) 部长向药物批准件或许可证持有人提供通知和意见递交机会