

DIA

全球论坛 | 中文版

Global Forum

2022年9月刊

P3 DIA 2022全球年会

未来医疗保健的发展方向

包容性、全球性、个性化、数字化

DIA 2022年全球年会为疫情之后的首次DIA线下面对面会议，并以“合作创新”为主题，从“包容性、全球性、个人化、数字化”这四个相互关联的角度探讨医疗保健的未来是什么？

P7 聚焦地区监管动向

亚太地区的真实世界证据监管格局：澳大利亚、中国、日本和韩国

近年来，真实世界数据和真实世界证据（RWE）在监管决策中发挥着越来越重要的作用，随着监管机构在利用RWE进行上市前授权方面获得的经验越来越多，亚太地区的监管机构已开始针对利用RWE支持药品开发的问题，制定的新监管政策和指导文件。

P10 聚焦地区监管动向

欧盟药品监管体系应如何保持前瞻性？

在欧盟委员会的药品战略中，欧盟委员会对欧盟药品监管体系的期望在于“面向未来、与时俱进”，保持前瞻性。对于一个已经存在了二十多年但随着科学、技术和社会期望的变化而不断发展的系统而言，这意味着什么？DIA Europe 2022针对这一愿景展开了很多讨论。

导读



临床需求新趋势和监管前瞻性

世界变了。

临床需求随之变化，监管应快速应变。

年轻人生活在一个更加网络化的世界中，其特点是信息和知识体量巨大，但风险更高，社会流动性更低，不平等也更大。年轻人由于缺乏食物、危险行为和心理脆弱性加剧等因素，健康状况令人堪忧，其结果也显而易见——肥胖、糖尿病、精神健康障碍和药物滥用障碍等疾病的发病率增加。

我们越努力为每位患者提供服务，就越需要对相关的人员、基础设施、合作方、供应商、监督、技术平台以及解决方案进行部署、协调和整合。我们不能继续使用上个世纪药物开发的运营模式、文化和思维方式来优化当前21世纪解决方案的价值。我们观察到了一些特殊情况和案例，这些均为我们带来了显著的改善：患者和社区参与开发计划；方案设计更加灵活明确；资源分配和供应商的选择更具针对性；沟通更为频繁；协作和数据共享更为广泛和开放。

全球医疗保健的未来全在于创新，即无限制、无国界和开拓新领域的创新。监管者如何为这个勇敢的新世界贡献一份力量？三个领域值得关注：首先，将人工智能转化为真正的工具，改变临床试验的执行方式、终点的设计方式以及获得患者反馈的方式；第二，使用真实世界证据来满足他们的需求；第三，数字化的应用不仅可以实现以患者为中心，还可以使我们自己的运营基础设施能力和安全性与时俱进。

上述内容来自DIA 2022年全球年会疫情之后首次DIA线下面对面会议。本期文章《未来医疗保健的发展方向：包容性、全球性、个性化、数字化》。

另一篇文章《欧盟药品监管体系应如何保持前瞻性？》纵深探讨了监管的新使命。自1985年以来，基于欧盟委员会的决策程序，某种产品的安全性、有效性得到EU的监管机构的认可并按照高质量标准生产后，还必须忍受几个月的延迟才能提供给患者。

这就是我们面对的问题：一个研究小组估计，仅就最近的11种肿瘤产品上市，这种延迟便有可能导致18,600年的总寿命损失。在COVID-19疫情期间，疫苗的这一流程加快至不到一天，这表明了我们可以在不影响科学审查的质量和严谨性的情况下显著缩短时间。此外，还有一种更激进的方法，那就是将发布上市许可的决定权移交给EMA，从而消除不必要的延迟交接点。

谭勇
中国医药企业管理协会副会长
DIA Global Forum 中文版编委

顾问

郭云沛 苏 岭 徐晓阳

编委

徐增军 杨 悦 姚 晨
王 莉 赵 燕 李 浩
谭 勇

总编辑

王彤焱

执行总编辑

彭燊平

编辑部主任

王心蕾

翻译&编辑

陈欣月

美术设计

杨 帆 龚 晏

版权声明

本刊刊载的所有内容未经书面许可，任何人、单位不得转载、摘编或以其他方式使用。违反上述声明者，本刊将依法追究其法律责任。

目 录

卷首语: 导读

P1 临床需求新趋势和监管前瞻性

DIA 2022全球年会

P3 未来医疗保健的发展方向
包容性、全球性、个性化、数字化

聚焦地区监管动向

P7 亚太地区的真实世界证据监管格局: 澳大利亚、中国、日本和韩国
P10 欧盟药品监管体系应如何保持前瞻性?
P12 欧洲转化医学基础设施科学总监Toni Andreu专访
P15 泛美药品监管协调网络(PANDRH)第10次会议报告
P18 突发性传染病的未来框架
日本学术界、产业界及政府对COVID经验教训的看法

DIA社区 | 2022 dTrial洞察

P19 科技赋能, 支撑研究型医院建设



2021年8月, DIA与E药经理人联合推出DIA Global Forum中文版, 面向中国医药创新生态机构和相关从业人员。欲获取每月电子刊, 请保存此二维码并扫码填写申请表。



扫码订阅

联系人: 陈欣月
电话: 18516937629

未来医疗保健的发展方向

包容性、全球性、个性化、数字化

一位协会高管、两位监管人士、两位教授、一位患者权益倡导者、一位患者和一位图形艺术家走进拥挤的会议大厅，灵感也随之而来。

DIA 2022年全球年会庆祝了疫情之后首次DIA线下面对面会议。开幕全体会议在芝加哥（IL）召开，主题为“合作创新”，奠定了本周的工作基调，并探讨了医疗保健的未来是什么？从“包容性、全球性、个人化、数字化”这四个相互关联的角度出发，并由图形艺术家Alison Vellas (Ink Factory) 实时记录。



Barbara Lopez Kunz
Global Chief Executive
DIA

我们相聚于此，畅想着一个新的世界——一系列强大的健康干预措施和工具得以迅速发现、开发和批准，并能为大家所用。

世界变了，这也对年轻人提出了更高的要求。他们生活在一个更加网络化的世界中，其特点是信息和知识体量巨大，但风险更高，社会流动性更低，不平等性也更大。众所周知，当前仍有许多年轻人由于

缺乏食物、危险行为和心理脆弱性加剧等因素，健康状况令人堪忧，其结果也显而易见——肥胖、糖尿病、精神健康障碍和药物滥用障碍等疾病的发病率增加。为了应对这些问题带来的某些困难，我们正在开发新的应对方法，并了解其中的根本原因。

我们如何通过解决疗法开发全球化的问题来引导未来的健康发展轨迹？如何才能真正将以患者为中心和包容性融入我们的工作中？人工智能和医疗保健数字化的长期优势是什么？我相信，我们都会带着新的认知和见解离开这次会议，并更加清楚地了解我们在改善未来发展方面能够发挥的作用。



Robert Califf
Commissioner
US FDA
Honorary Co-Chair

为了应对我们面临的日益复杂的科学和医学挑战，并分析这些问题，我们必须对相关的数据来源、质量和类型进行扩展，此外，还要扩展途径和方

法, 为在正确的情况下收集正确的数据、提取数据制定前瞻性计划, 并应用正确的研究设计和分析方法从这些信息中获取知识。

数字工具的有效使用还可以在加强不同国家监管机构之间的协作努力方面发挥重要作用, 进而帮助我们应对当前面临的一些全球化挑战。我们需要一套比现有证据更加全面且可靠的证据。当前阻碍我们前进的主要因素在于未能以透明的方式来共享数据。在你参会的过程中以及思考如何进行系统优化时, 我希望你能考虑一下, 如果我们对共享数据的基础系统进行了优化改进, 我们的效率将会有怎样的变化。



Kenneth Getz
Executive Director and Professor
Tufts CSDD

我们大多数人都认同一个观点, 即药物开发企业正在创造未来, 以努力实现以个体患者为中心的医疗保健。将来以患者为中心的医疗保健体系中, 治疗创新和医疗保健服务将高度定制化(个性化), 以患者需求和丰富的健康和医疗数据为依据, 诊断会更加准确、能够更早地预测并检测疾病、个性化定制治疗计划并且更加及时地进行干预管理, 从而最大限度地优化个体患者的响应, 并使医学疗法更有针对性、更有效且更安全。

精准医疗或个性化医疗基于对分子基础(遗传和生物学基础)及疾病社会决定因素的深刻理解。在大型数据库、信息学、技术和高级分析工具的支持下, 我们能够靶向向高度分层的患者亚群, 并且最终体现于每个个体患者。

我们越努力为每位患者提供服务, 就越需要对相关的人员、基础设施、合作方、供应商、监督、技

术平台以及解决方案进行部署、协调和整合。我们不能继续使用上个世纪药物开发的运营模式、文化和思维方式来优化当前21世纪解决方案的价值。我们观察到了一些特殊情况 and 案例, 这些均为我们带来了显著的改善: 患者和社区参与开发计划; 方案设计更加灵活明确; 资源分配和供应商的选择更具针对性; 沟通更为频繁; 协作和数据共享更为广泛和开放。

我们从疫情中吸取的经验教训为我们未来目标的实现提供了一条路径, 将来, 每个研究志愿者都能参与到合适试验, 每个个体患者都能在恰当的时间、以恰当的剂量接受合适的治疗。



Miruna Sasu
President and CEO
COTA

众所周知, 美国由于种族、性别和社会经济地位等因素, 医疗保健也存在差异。我们知道, 在美国, 与真实世界中的患者相比, 参与临床试验的参与者往往都是白色人种、富人以及健康状况相对良好的人群。2020年, 美国75%的临床试验参与者都是白人。

为什么这一点很重要? 首先, 黑人男性被诊断出晚期前列腺癌的风险是白人男性的两倍; 其次, 黑人患上多发性骨髓瘤并死于该疾病的可能性更高。研究表明, 与白人相比, 黑人、西班牙裔和亚裔人群的总体癌症筛查率较低。有色人种诊断出更为晚期的疾病的可能性更高, 而且有色人种的保险覆盖率也更低。

我每天都在为未来包容性医疗保健的实现努力工作。这需要我们做起, 从你做起, 也从我自身做起。无论你担任什么角色, 为哪家公司工作, 我们

都必须考虑将供应商、技术人员、科学家、医生团结在一起，齐心协力解决问题。我们要创建数据，并负责任地使用这些数据，为我们的患者，也为我们自己，去分析并解决当前这些负担。

最终，在某个时间，我们终将会转变为“患者”的角色。因此，我邀请你加入我们，跟我一起奋斗，无论性别、种族、性取向、经济状况和任何其他差异，努力为每一位患者提供正确的护理路径。



Emer Cooke
Executive Director
European Medicines Agency

如果监管机构共同努力，我们可以在全球范围内做更多的事情，从而改善患者的治疗效果。我们已经证明了我们的行事方式可以更加多样化、更具创新性。现在，我们面临的挑战是将其中一些经验转化为我们日常业务的创新，并利用这些机会，为更能满足当地及全球患者需求的产品的开发提供支持。

全球医疗保健的未来全在于创新，即无限制、无国界和开拓新领域的创新。作为监管者，我们如何为这个勇敢的新世界贡献一份力量？我关注了三个领域：首先，将人工智能转化为真正的工具，改变临床试验的执行方式、终点的设计方式以及获得患者反馈的方式；第二，使用真实世界证据来满足他们的需求；第三，数字化的应用不仅可以实现以患者为中心，还可以使我们自己的运营基础设施能力和安全性与时俱进。

获取到及时且可靠的真实世界证据可以帮助患者更快地获得创新药物，并有助于我们做出更好的监管决策。我们可以使用机器学习来帮助分析信号，以便更快地选择模式并发现药物不良反应。我们必须在全球范围内开展这些工作，从而让全

界的患者都能从中获益。



Cynthia L. Verst
IQVIA
Chair of DIA Board
Chair of Executive Committee

DIA的作用是将医疗保健生态系统的利益相关者聚集在一起，以加速创新并重新构想医疗保健的未来。医疗保健未来的塑造取决于我们。一部分患者作为参与者，以及将代表性作为我们一切行动的核心，这两点在医疗保健行业中至关重要：了解疾病的流行病学，了解哪些患者队列能最终实现最大获益并保证最大程度的安全性。除了包容性，我们还需要深刻认识到全球医疗保健的全面影响和差异以及全球现实的重要性。我要感谢全球监管机构为应对新冠疫情所做的巨大努力。因此，我们对医疗保健的未来进行了完整的讨论，不仅谈到了包容性和全球现实，还谈到了以患者为中心。这让我们回到了医疗保健的中心问题，也就是我们的患者。



Andre Asbury
Patient Representative
The Chicago Lighthouse

我遗传了母亲和祖母的先天性白内障。我的母

亲希望我们能像正常人一样生活，因此冒着风险带我和妹妹去做了白内障的相关治疗。我妹妹当时治疗结果非常好。不幸的是，我的治疗并未达到预期效果，以至于我完全失去了右眼的视力。

于是，母亲做出了一个艰难的决定，将我们送到南部一所学校，该学校主要面向视力障碍人群，教我们各种丰富生活的方式，并帮助我们做好准备，以应对未来的残疾生活。

那时技术尚未普及，而且难度很大。不过，在我生命中的那个时刻，我知道有些事情正在发生变化。虽然当时的情况很难，但他们还是教我们阅读、写作和算术，还教我们如何应对残疾，如何调整，如何寻找资源。此外，我们还学会了一些其他的东西，比如使用计算机的自适应设备，并利用硬件和软件开阔视野。

当今时代，技术日益广泛且更具包容性。我们拥有丰富的自适应技术，不仅可以用于我的个人生活，还可以用于工作，这些技术也可以应用于医学研究。将这项技术应用于居家人员的远程问诊，医生远程进行眼科检查，患者在家就能实现舒适的就医体验。技术就在那里，我们要做的是不要惧怕技术，不要惧怕临床试验和相关研究人员。临床试验需要纳入像我这样的人，成千上万愿意参与临床试验的参与者以及申请加入临床试验的参与者。

我们要持续扩充自己的学习范围和内容。通过你所做的一切，提高对像我这样碰巧有视力障碍的人或者其他残疾的人的包容性，让他们有机会参与你的研究。看看每一张面孔，是人类美丽的色彩，穿过你的办公室，穿过你的工作地。关注并纳入像我这样的人，将技术、研究与知识整合到一起，这一点我们都能够做到。



Stephanie Crawford

Professor
University of Illinois at Chicago College of
Pharmacy
Honorary Co-Chair

我们相聚于此，并各自带来了不同领域的专业知识。当你离开时，请思考一下你所在的机构应如何适应那些带来积极影响的举措。DIA将生物制药行业、健康监管机构、学术界和其他各方聚集在一起。重要的是，我们在与患者组织合作时倾听患者的声音。通过合作进行创新为我们提供一个机会，去思考应对挑战的方式，并庆祝取得的成果。有一句非洲谚语说：“If you want to go fast, go alone. If you want to go far, go together”（如果你想走得快，那就一个人走；如果你想走得远，那就一起走）。我们可能代表不同的利益方，从不同的角度看问题，但我们所有人的共同点是一致的，即DIA的主页上写到的：“DIA成员齐聚一堂，合作解决问题，在这个日益复杂但又相互连接的世界中，探讨生命科学领域面临地区性及全球性挑战。DIA的愿景是让这种合作产生更好的政策、法规、科学、研发，并最终在全球范围内改善患者的治疗效果。” DIA 2022是我们走到一起的方式之一。

亚太地区真实世界证据的监管格局： 澳大利亚、中国、日本和韩国

作者: Ellen Sem, Fengyun (Vicky) Han, Annetta C. Beauregard
作者单位: Janssen Pharmaceutical Companies of Johnson & Johnson
授权: 本文翻译已获作者授权

近年来,真实世界数据(RWD)和真实世界证据(RWE)在监管决策中发挥着越来越重要的作用。RWE已被监管机构普遍接受用于上市后安全性监测(PMS)活动,但在上市前授权阶段的接受程度较弱。然而,新冠疫情为监管机构提供了一个评估RWE适用性的机会,以实现COVID-19疫苗的紧急使用授权或有条件批准。

根据国际药品监管机构联盟(ICMRA)发表的一份声明,国际监管机构针对从观察性研究中产生的RWE的评估,展开了合作并分享了相关知识。这些观察性研究为COVID-19的潜在疗法或疫苗相关的临床试验产生的证据提供了补充。随着监管机构在利用RWE进行上市前授权方面获得的经验越来越多,亚太地区的监管机构已开始针对利用RWE支持药品开发的问题,制定的新监管政策和指导文件。本文总结了澳大利亚、中国、日本和韩国等亚太市场的RWE监管格局。

澳大利亚

澳大利亚目前没有关于RWE的正式监管指南。2021年11月,澳大利亚治疗用品管理局(TGA)发布了《真实世界证据和患者报告结局审查》报告,该报告针对TGA在RWE和患者报告结局(PRO)方面的立场阐述了相关见解。该报告得出结论:RWE已经为TGA开展的药品、疫苗和医疗器械方面的上市后安全性研究提供了支持,TGA接受将RWE和PRO纳入提交材料并在上市前审查过程中对其进行评估。然而,TGA认识到,对于TGA如何在产品上市前批准中使用RWE和

PRO,可以在内部和外部开展更良好的沟通。该报告强调了TGA打算采取的关键后续步骤,例如更清晰和透明地说明RWE和PRO如何为审批申请提供支持,以及TGA如何使用RWE和PRO做出决策。

中国

中国大陆的RWE监管格局一直充满活力且发展迅速,在国家药品监督管理局(NMPA)的领导下,这一趋势渗透至儿科和其他特殊人群的药物开发领域。2018年8月,吴阶平医学基金会发布《中国真实世界研究指南》,2019年7月,中国真实世界数据与研究联盟(ChinaREAL)发表了多篇解释RWD应用的文章,包括技术规范、研究设计、数据管理和统计分析等内容。该联盟成立于2017年,旨在通过与监管机构、研究科学家和其他利益相关者的合作,促进RWE在医疗保健和政策决策方面的应用。迄今为止,NMPA已经发布了三份RWE相关指南:

· 2020年1月:《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》,该指导原则包含真实世界研究的定义、RWE的状态和范围、RWE的评

价原则,并为工业界如何使用RWE并支持药物研发提供了相关的科学原则。

· 2020年8月:《真实世界研究支持儿童药物研发与审评的技术指导原则(试行)》(仅中文)提供了如何使用真实世界研究支持儿童药物开发的指导原则。

· 2021年4月:《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则(试行)》(仅中文)讨论RWD适用性和数据管理、数据安全和数据质量。

NMPA、工业界和学术界也在不断参与;例如, NMPA开展了一个为期三年的RWE项目,旨在研究全球范围内的RWE政策、收集案例以及研究数据标准化。即将举行的年度NMPA RWE会议将进一步分享研究成果,与国际专业人士进行最佳实践的相关交流,并促进当地监管环境更加多元化。这些研究成果和用例也将为未来新的RWD/RWE监管指南提供科学依据。这些利益相关者还将对大数据、数字健康、个人信息保护和网络安全以及其他可能影响未来监管政策或指导的相关领域进行探讨。

RWE在中国台湾的监管决策中变得也越来越重要,中国台湾食品药品监督管理局(Taiwan FDA)发布了许多指南(全部为中文版本):

· 2020年7月:《真实世界证据支持药品研发之基本考量》

· 2021年1月:《真实世界证据的研究设计——务实性临床试验的考量重点》

· 2021年3月:《真实世界数据——关联性与可靠性之评估考量》

· 2021年7月:《使用真实世界数据/真实世界证据作为申请药品审查技术文件应注意事项》

从这些范围全面的指导文件来看中国台湾FDA似乎对改进当地的流程和方法实践的RWE非常感兴趣,以期提高中国台湾地区的监管质量。

日本

日本厚生劳动省(MHLW)及药品和医疗器械局(PMDA)正在积极推动RWD和RWE在其监管决策过程中的应用。2014年, PMDA发布了其首个《开展使用医学信息数据库进行药物安全

性评估的药物流行病学研究的RWD相关指导原则》。2017年至2021年期间, MHLW和PMDA均发布了一系列针对日本上市后研究的相关文件:

· 2017年6月:《使用健康信息数据库进行医疗产品上市后监测的基本原则》(Basic principles on utilization of health information database for Post-Marketing Surveillance of Medical Products) (仅日文)

· 2017年10月:《关于药品上市后研究规范的省令修正案》(Amendment of Ministerial Ordinance on Good Post-marketing Study Practice for Drugs) (仅日文)

· 2018年2月:《保证药品上市后数据库研究可靠性的注意事项》(Points to Consider for Ensuring the Reliability of Post-marketing Database Study for Drugs)

· 2019年12月:修订了《确保药品和医疗器械等产品的质量、有效性和安全性法案》(Act on Securing Quality, Efficacy, and Safety of Products including Pharmaceuticals and Medical Devices) (仅日文),明确学术团体、大学、机构和相关组织应针对药品和医疗器械的适当使用展开合作,此外,还要在上市许可持有人销售的其他医疗产品领域展开合作,并收集信息(包括RWD),以确保药品和其他医疗产品的适当使用。

· 2020年3月:《确保再生医疗产品上市后数据库研究可靠性的注意事项》(Points to Consider for Ensuring the Reliability of Post-marketing Database Study for Regenerative Medical Products)

· 2020年7月:《开展结局定义的确证性研究以用于上市后数据库研究的基本原则》(Basic principles in conducting a validation study of outcome definitions used for post-marketing database study) (仅日文)

· 2021年3月:《使用注册登记研究进行申请的基本原则》(Basic Principles on Utilization of Registry for Applications)和《确保使用注册登记研究进行申请的可靠性的相关注意事项》(Points to Consider for Ensuring the Reliability



in Utilization of Registry Data for Applications) 解决了在产品生命周期中使用的注册登记研究数据, 包括预批准、重新审查、附条件批准和限时批准申请, 以及标签更新。

2021年4月, PMDA成立了RWD工作组, 讨论与RWD/RWE相关的监管问题, 例如数据可靠性的标准和方法, 并致力于在日本监管框架中不断促进RWD的使用。PMDA发布了利用医疗信息数据库网络MID-NET开展的研究的结果汇总, 该网络根据医疗机构日常医疗实践中积累和登记的电子医疗信息评估药物的安全性。

韩国

即使没有建立正式的RWE监管框架, 韩国食品药品安全部 (MFDS) 也对利用RWE进行监管决策表现出浓厚的兴趣, 并通过不断有序地扩大RWE的范围和应用, 制定了全面的路线图:

- 2019年12月: MFDS发布了《允许基于使用RWE的数据库研究来开展上市后安全性研究的药品风险管理计划指南》(Guideline on Risk Management Plan for Medicines to allow post-marketing safety study based on database

study using RWD) (仅韩文)

- 2021年6月: MFDS发布了利用分析RWD的RWE (例如国家健康保险数据和电子病历) 进行上市后安全性研究的《医学信息数据库研究指南》(Guideline for Medical Information Database Research) (仅韩文)。

- 2021年7月: MFDS举办了线上研讨会“使用RWE建立药品管理体系的全球趋势及影响”。

- 2022年12月: MFDS组织了“利用大数据进行监管科学决策”监管论坛。

韩国药品安全管理综合计划 (2020-2024年) 预计, MFDS为了继续保持这一趋势, 将会建立一个当地的生态系统, 利用RWE等创新技术来为新药开发提供支持。

结论

在亚太地区内, 只有中国和日本采用了RWE相关的指南。澳大利亚或韩国以及通过其他相关机构还没有正式的监管框架。中国NMPA及中国台湾FDA还有日本PMDA采用的方法也略有不同:

- 中国NMPA发布的RWE相关指南讨论了RWE在中国药物开发过程中的使用、评估和范围, 并列出了RWE可用于支持药物开发和监管决策的几种情况。NMPA还专门发布了一份使用RWE支持儿科药物开发的指南, 此外, 中国台湾FDA的RWE指南讨论了RWE如何为罕见疾病或新适应症的传统随机临床试验提供补充。

- 日本PMDA的RWE指南侧重于利用上市后研究和注册登记研究数据进行产品批准申请。

- 数据可靠性和确保数据的高质量和适用性是这三个机构的共同主题。

为了加强RWE在监管决策中的使用, 亚太地区已做出多项努力, 其他亚太市场也正在讨论RWE研究, 并在新加坡、马来西亚、中国香港、印度和泰国举办了多个研讨会或研究活动, 预计该地区将与其他国际机构合作, 以确保在世界范围内建立更加协调的RWE环境。

欧盟药品监管体系应如何保持前瞻性？

作者: Nick Sykes

作者单位: Pfizer

授权: 本文翻译已获作者授权

在欧盟委员会的药品战略中, 欧盟委员会对欧盟(EU)药品监管体系的期望在于“面向未来、与时俱进”, 保持前瞻性(future-proof)。对于一个已经存在了二十多年但随着科学、技术和社会期望的变化而不断发展的系统而言, 这意味着什么? DIA Europe 2022针对“future-proof”的愿景展开了很多讨论。

为了响应欧盟委员会在2021年第四季度的公开公众咨询, 创新行业提出了一些改变欧盟监管体系的建议。DIA Europe 2022会议期间, 与会人员对这些提议进行了相关讨论, 其中包括委员会关注的以下优先事项。

更好地利用现有的快速监管途径

欧洲监管体系提供了多种可以加快创新药物的开发和审批的途径, 例如附条件上市许可、优先药品(PRIME)计划以及加速审评。然而, EU的监管机构并未充分利用这些途径, 尤其是在其他地区使用类似途径时。EMA的优先药品(PRIME)计划就是一个很好的例子, 该计划的准入方案尚不清楚, 大多数意图通过该计划进行审评的申请都被拒之门外。此外, 笔者认为PRIME在加速患者获得创新产品方面的价值还有待商榷。对于PRIME而言, 应该赋予其相应的合法性和正当性, 使其更好地定义高级别准入标准, 确保其符合加速审评计划, 这些可能有助于将PRIME的地位提升至与美国突破性疗法认定(BTD)相当的水平。

在DIA Europe 2022会议上, 一些监管机构一致认为, 快速监管途径需要以更加智能化的方式得以应用。但是, 接受和认可需要伴随着监管机构的

保障措施, 以便能够停止那些依据不成熟的申报材料来进行审评的申请。大多数制药公司都努力确保他们的MA(上市许可)申报材料足够成熟并能进行充分的说明; 因此, 监管机构提出的这种简单、节省资源的要求应该是可以接受的。

发布MA决定的流程、时间和责任

自1985年以来, 基于欧盟委员会的决策程序, 某种产品的安全性、有效性得到EU的监管机构的认可并按照高质量标准生产后, 还要必须忍受几个月的延迟才能提供给患者。一个研究小组估计, 对于仅最近的11种肿瘤产品, 这种延迟便有可能导致18,600年的总寿命损失。在COVID-19疫情期间, 疫苗的这一流程加快至不到一天, 这表明了我们可以在不影响科学审查的质量和严谨性的情况下显著缩短时间。此外, 还有一种更激进的方法, 那就是将发布上市许可的决定权移交给EMA, 从而消除不必要的延迟交接点。

EU的监管机构参与全球风险获益评估方面的合作

DIA Europe 2022的几场会议都提到, 最近一些监管体系较为成熟的国家的监管机构针对风险

获益评估展开了一系列合作，这一趋势也越来越显著。这些合作方式包括ACCESS联盟（澳大利亚治疗用品管理局[TGA]、加拿大卫生部、新加坡卫生科学局、瑞士治疗产品局[Swissmedic]以及英国药品和保健产品监管局[MHRA]之间的合作）的成立，以及FDA的ORBIS项目（由所有ACCESS机构以及巴西国家卫生监督局和以色列卫生部药品管理局组成）。DIA Europe 2022的与会者强调，EMA和EU的监管机构并未参与这些合作。

在疫情期间，EMA推出了其OPEN试点，以作为一小部分监管机构与其合作开展COVID疫苗和疗法风险获益评估的一种方式。此类合作方式也会在疫情之后继续开展。此外，ICMRA（国际药品监管机构联盟）成为疫情期间监管机构进行合作的重要全球论坛。尽管EMA在ICMRA中发挥主导作用，但该联盟的重点是监管机构之间的教育和分享学习，而不是风险获益评估方面的合作。

目前，对于欧盟审评的时间表，已设立了相关法律，而且这意味着EMA难以参与ACCESS和ORBIS等协作性风险获益评估。具有前瞻性的立法应确保用于定义评估流程和时间表的语言能够为EU的监管机构在参与未来国际合作方面带来一定的灵活性。

用电子患者信息代替纸质患者说明

DIA Europe 2022中，有一个反复被提及的问题，那就是我们目前需要一个面向未来、与时俱进的监管系统来迎接数字化的到来。当前最为迫切的需求便是向患者传达药物的相关信息。从技术和环境角度来看，目前为患者提供纸质说明的方法已经过时。利用数字化方法为患者提供药物信息可以对信息内容及其传递方式进行个性化，以更好地满足服用该药物的患者的需求，从而为患者带来更好的体验。

我们必须承认，目前并非所有欧盟国家患者都有条件使用数字工具，也不是所有的患者都具备高水平的数字素养。但是，现有的解决方案（例如应患者要求，提供相关纸质说明）将会确保患者仍能获

取到必要的药物信息，而且这些方案的有效性在疫情期间也得到了证实。随着时间的推移，我们应当解决数字技术的可及性和数字素养水平方面存在的问题，这也意味着那些临时解决方案终将会被取代。欧盟正是未能利用这个机会审查立法、解决现有障碍并接受数字化风险，才使其监管系统和患者均落后于其他国家。

定义监管流程，对于开发及审批受立法限制的高新技术，应给予充足的监管灵活性

在疫情期间，欧盟国家的监管机构尽其所能加快对疫苗和疗法的批准，他们在保护公众健康方面发挥的作用值得嘉奖。然而，他们的行动也受到了立法限制的阻碍；例如，立法中没有关于欧盟紧急使用授权的规定。与我们其他人一样，立法没有预料到疫情的迅速传播和影响，同时也没有预料到行业有能力如此迅速地做出反应，并有能力开发和提供相应的疫苗和治疗药物以供监管审查。

未来的监管系统必须具备灵活性，允许监管机构和开发人员针对新型尖端产品开发试行并调整监管程序，以便患者能够迅速接受他们需要的创新治疗，否则这些产品会受到现有规则的阻碍。这种敏捷性不仅需要在突发公共卫生事件期间发挥作用，而且还需要确保真正新颖的干预措施的开发，一级监管审查不会受到意料之外的法律阻碍。

回首过去，展望二十一世纪的下一个十年

即将进行的药品立法审查是更新欧盟监管体系的“千载难逢”的机会。由于任何修订都不太可能在本世纪后半叶生效，因此立法必须确保该系统已准备好支持未来十年至二十年间的创新开发和监管评估。通过从这个角度来看待这篇评论，而不仅仅是将其作为解决当今问题的一种手段，这一点至关重要。欧盟需要一个面向未来、与时俱进的监管体系来保持其全球影响力，更重要的是，要确保欧盟的患者迅速受益于未来的创新药物。

欧洲转化医学基础设施科学总监 Toni Andreu专访

作者: David Mukanga
作者单位: Bill and Melinda Gates Foundation
授权: 本文翻译已获作者授权



Toni Andreu
欧洲转化医学基础设施 (EATRIS) 科学总监

66

我相信, 研究和创新在医疗保健中的作用一直都是利用科学开发来为尚未得到满足的医疗需求寻求解决方案。

99

EATRIS指的是欧洲转化医学基础设施, 是一项由欧盟资助的计划, 旨在促进来自14个成员国的公共机构之间开展科学合作。EATRIS科学主任Toni Andreu博士针对该组织如何协调并帮助欧洲研究人员访问其他国家的公共设施的问题作出了相关解释。EATRIS与140家转化医学领域的公共研究机构合作, 曾经担任西班牙卡洛斯三世健康研究所的主任的Andreu博士揭示了EATRIS为什么需要保持“疾病不可知性”(即不限病种)。

Andreu博士, 您能否先介绍一下您的科学背景、转化研究经验, 以及您是如何加入欧洲转化医学基础设施 (EATRIS) 的?

我是来自巴塞罗那自治大学 (UAB) 的一名医生, 多年前曾在哥伦比亚大学和UAB攻读临床生物化学博士学位。

我的研究方向一直是神经肌肉疾病领域, 包括决定疾病表现的遗传机制, 并针对神经肌肉疾病特别是线粒体疾病 (这是一个特定的亚组) 患者开发解决方案, 开展相应的转化研究。该方向也让我的工作有机会涉及整个转化医学管线。

就个人而言, 我相信, 研究和创新在医疗保健中的作用一直都是利用科学开发来为尚未得到满足的医疗需求寻求解决方案。多年来, 这一直是我主要的兴趣领域, 但出于某种契机, 西班牙政府要求我领导卡洛斯三世健康研究所 (Carlos III Institute of Health) 的一个理事会; 该部门负责研究所的一个资助计划——健康研究基金 (Fondo de Investigación Sanitaria)。这段经历让我有机会参与政策制定, 从而帮助西班牙建立了健康研究及创新的路线图。

一年半后, 我成为了卡洛斯三世健康研究所所



长, 该研究所是一个政府机构, 负责研究、创新和公共卫生领域的广泛活动。几年后, 我回到加泰罗尼亚, 成为贝尔维奇大学医院的首席执行官, 该医院是西班牙同类医院中最大的医院之一。不久之后, 我被加泰罗尼亚卫生部聘用, 为其研究和创新活动设立总部。

在开展了多年的积极研究和政策制定工作后, 2018年1月, 我有幸加入欧洲转化医学基础设施 (EATRIS) 担任科学主任, 主要职责是协调该组织的科学战略和活动。

您能否解释一下EATRIS作为欧洲地区转化研究推动者, 其法律地位以及其组织运作的一般方式?

EATRIS是欧盟委员会 (EC) 研究基础设施的一部分, 该项目是EC在几年前与成员国合作创建, 旨在利用公共机构现有的科学研究和创新能力, 创建一个网络, 以促进欧洲研究人员对这些设施的可及性。例如, 如果保加利亚研究人员需要位于挪威的某种设施, EATRIS会创建一个相应的工作流程以供其使用。

EATRIS是由EC创建并由成员国所有的独立

组织, 其理事会由14个决定参与的成员国的政府代表组成; 他们中的大多数均来自于科学部门、教育部门和卫生部门。

EC承认EATRIS是一个欧洲机构, 也是一个独立的法律实体。每个决定加入EATRIS的政府都会选择他们认为具有重要战略意义的机构。因此, 我们共拥有140家附属公共研究机构, 包括了各大从事转化医学相关工作的大学、学术研究中心和大学医院。

我们的工作完全不限病种, 利用整个转化研究管线中的相关设施, 提供服务, 从而加速欧洲转化医学的发展。EATRIS开展了众多教育计划, 并与制药行业及生物技术行业开展合作项目, 这些均由位于阿姆斯特丹的协调办公室协调。在运营层面, 140家机构均有资产和研究设施, 并按照五个主题平台进行划分。

您能否会对这五个主题平台进行扩展? 这些平台如何帮助EATRIS保持疾病“不可知性”(不限病种)?

这五个平台分别为小分子、ATMP、疫苗和免疫分析、生物标志物以及成像和追踪。我们将我



们的研究资产和设施标记为“agnostic”（不限病种），这对于推进科学发现并将其转化为解决方案至关重要。主要价值链可以简化为药物开发过程，这也是EATRIS主要的工作方向。

EATRIS还参与了几个欧洲项目，例如，两周前，EATRIS被授权协调“Horizon 2020”下一个价值2400万欧元的项目，该项目旨在为药物的重新利用创建一个欧洲平台。

您能否介绍一下西班牙研究机构加入EATRIS的过程以及这些机构时如何从其他国家的研究机构中脱颖而出的？

哪些公共机构能够加入EATRIS由其成员国的政府决定。西班牙大约有20个附属机构，这使其成为众多成员国中KPI最高的国家之一。西班牙是一个非常活跃的国家，原因有两个：首先，因为它在EATRIS的创建中发挥了关键作用；其次，西班牙的一些机构情况与EATRIS非常匹配。

在EATRIS中，代表西班牙的机构为卡洛斯三世健康研究所，该机构作出战略决定，即附属机构

必须获得其健康研究所计划（Health Research Institutes Program）的认可，该计划主要针对西班牙大学医院相关的研究机构。这一要素意味着EATRIS中所有的西班牙机构都100%致力于转化研究，而不是仅限于发现的阶段。

在过去的几年里，西班牙意识到，与欧洲大陆的其他积极研究战略建立联系非常重要，因此决定选择EATRIS作为桥梁。西班牙一直积极参与欧洲项目，EU-PEARL便是一个很好的例子。EU-PEARL是一个由Vall d'Hebron研究所（VHIR）协调的IMI项目，旨在创建一个用于开发平台临床试验的欧洲框架。

如果一家西班牙机构向EATRIS提出一项倡议，且该倡议可转化为全球努力，我们会努力促进这一进程，并将他们与我们认为合适的利益相关者联系起来。或者，如果我们的中央办公室在另一个国家发现了机会，我们会进行内部对话，鼓励相关人员参与进来。西班牙的相关机构愿意长期参与一些欧洲范围内的计划。

据说，西班牙得到的新欧盟资金被视为一个推进先进疗法研究的机会。您如何评估这个机遇？哪些先进疗法更符合西班牙公共研究机构的能力？

这是西班牙为患者带来新疗法的绝佳机会，例如基于CAR-T的新疗法。西班牙还具有将基础研究与临床研究有效联系起来的能力，这是开发新疗法的关键要素。

由于西班牙在科学和临床研究界所做的努力，其在欧洲的转化医学领域处于领先地位。在最近的经济危机中，西班牙政府设法保障了高水平的研究活动，这充分显示了其弹性和效率。

此外，EATRIS还参与了多个在转化医学价值链中提供服务的项目。我们的旗舰计划EATRIS-Plus便是一个很好的示例，该项目由西班牙科学家主导，为多组学工具包的开发提供支持，以加速个性化医疗的实施。

泛美药品监管协调网络 (PANDRH) 第10次会议报告

作者: Camilla Gomes

作者单位: Roche

授权: 本文翻译已获作者授权

COVID-19疫情期间, 监管机构已经意识到, 对于建立更好的沟通渠道、在传统利益相关者的基础上进行拓展, 以及满足整个患者群里的需求而言, 与辖区内卫生机构开展互动至关重要。明确诉求并表达诉求一直很重要。这场疫情凸显了知道何时、何地以及如何表达(发声)的重要性。



信任的重要性是监管机构和其他医疗保健利益相关者从全球COVID-19经验中吸取的重要教训之一:

·监管活动更高的透明度和适当的沟通让公众能够对全球监管机构及行业建立信任。

·上市后活动对于保持我们对上市前监管灵活

性的信任越来越重要。

·所有监管机构都应始终采取信赖和工作共享的策略, 信赖可靠的组织, 从而避免一些重复的工作。

本文重点介绍了泛美卫生组织 (PAHO) 发起并主办的第10届泛美药品监管协调网络

(PANDRH)会议的相关讨论。

过去十年监管体系的演变

会议期间，监管机构和行业代表针对2010年至2020年美洲监管轨迹展开了公开讨论，PAHO秘书处概述了PANDRH为了应对技术工作对于敏捷性的更高需求，其运营模式发生的主要变化。这些变化使得我们采用了侧重于促进监管协同性的新法规，这些法规有所扩展，将医疗器械纳入其授权范围内，并且这些领域与网络成员设定的优先事项是一致的。

本概述还总结了2021年4月发布的《加强美洲监管体系：从区域参考国家监管机构吸取的教训》报告的主要发现，例如：

- 建立虚拟(线上)沟通渠道以加快数字文件的提交
- 将远程会诊和远程医疗的应用扩展到临床研究和患者护理中
- 扩大使用灵活的评估和批准机制，例如同情使用(compassionate use)或紧急使用授权

过去十年间，由于监管体系的加强，该地区的监管环境所有改善，PAHO CD50.R9号决议(加强国家监管机构对药品和生物制品的监管能力)的建议对这一改进的发挥了一定的作用，特别是在当前突发公共卫生事件中，为监管相关事宜的处理做了更好的准备。但同样清楚的是，这种影响并没有在整个地区发挥作用，各地存在差距，并且仍有改进的空间。

在美洲促进监管趋同与合作的历史进程中，有一些因素对今天建立更强大的监管基础仍然具有现实意义；例如，区域参考的国家监管机构发挥的主导作用，以及该地区监管机构有机会进一步参与区域性和国际性合作，并采用国际公认的技术准则和标准。

监管挑战和疫情应对

FDA发布了相关指导原则，阐述了在医疗器械审批方面采用新的、更灵活的监管方法的现实意义，并提到为了应对COVID-19，加强上市后活动的必要性，与此同时，还强调了需要加强与公众

和与私营企业的沟通和联系。

该指导原则成为了来自世界卫生组织等各个组织的专家们开展小组讨论的出发点，相关讨论由比尔及梅琳达·盖茨基金会的代表主持，重点探讨了要以强有力的监管体系为基础，建立一个优质的医疗保健系统，以及监管机构在疫情期间面临的战略挑战，例如：

- 尽管在面临来自公众的压力时，希望有捷径可走，但仍需保持科学稳健
- 了解他们所在社区的风险承受能力，并开发新的方法来评估紧急使用产品的获益及风险
- 流程需要更具灵活性，这可能意味着需要为紧急情况创建新的、更快速的监管途径
- 制定适当的沟通策略，确保监管机构成为所有利益相关者的可信赖方，即使监管机构必须传达不确定性
- 对参考机构采取信赖策略，以提高效率

充分应对这些挑战的关键成功因素包括：

- 全球(不是民族主义或个人主义的“单打独斗”)视角，通过信息共享、工作共享或信赖来促进监管机构之间达成合作
- 灵活和趋同的监管方法，尤其是更加灵活的上市前监管，为上市后活动提供更多资源
- 监管机构、行业以及PAHO和WHO等国际组织之间的密切合作

新冠疫情之后的监管系统议程

美洲的监管机构还讨论了建立更公平的医疗保健系统的探索性措施，以确保无论其监管机构是否成熟，都能向任意一个国家的民众提供质量、安全性及有效性均符合标准的产品。

世界银行代表主持了一场对话讨论，期间，他将本次讨论中监管层面的问题与全球经济和社会发展的概念联系起来，此外，监管小组成员还反思了当前COVID-19的影响已经完全显现的情况下，监管机构可能会采取哪些不同的做法。

他们的主要结论是，监管机构必须更好地将自己设想和定位为各自国家医疗保健系统的一部分。这包括创建新的、更好的沟通渠道，使其超越



传统的监管利益相关者，进入其他临床研究和/或临床护理社区，并为他们的目标受众定制某些信息：不仅要知道什么是重要的沟通，还要知道何时以及如何进行沟通。

新冠疫情还突显了（目前）当地法规与国际公认标准之间的趋同程度较低将会对救生产品的及时获取产生极大的负面影响；这一点不仅体现于新产品（COVID-19诊断、疫苗、疗法）方面，而且在供应链因此次紧急情况而中断的传统产品领域，也有所体现。

这种情况下，更加显现出了监管机构之间早期参与和全球合作的必要性，国际药品监管机构联盟（ICMRA）已成为美洲应对COVID-19、调整战略及协同合作的一个关键平台。未来，ICMRA可能会支持建立联盟，在机制上将监管机构和行业联合起来，以实现数据共享、加深信赖并避免重复工作。任何监管活动，不仅是在突发卫生事件期间，都可以从不断增加申办方与监管机构的定期互动中大大受益。

同样重要的是，政府要建立机制，确保在监管决策方面获得更大的技术自主权，并允许监管机构在不损害当地分销产品的质量、安全或有效性的情况下提高效率。这些政府利益相关者不仅要理解监管机构的作用，还要理解科学家、开发商

和制造商在各自管辖范围内的作用。监管机构还了解到，需要在公共领域更好地交流产品审批的相关数据和理由，并达成共识，即建立一个关系更加公开的卫生监督方式将有利于为未来的突发卫生事件做准备，因为它可以建立信任并最大限度地减少怀疑（例如对进口产品）。

未来的另一个愿景是寻找能够提高当地生产能力的替代方案，并最大限度降低完全依赖进口原料和成品的风险。然而，经验也表明，这些当地的生产策略必须保持较高的监管标准，并认识到高质量必定意味着高成本。对同一地区不同国家的产能进行调查，可以有效地利用现有资源，并使这些产品保持具有竞争力的价格。

关于会议

在美洲所有监管机构的参与下，PAHO于1999年创建了PANDRH网络，以支持该地区药品监管流程的协同。2021年12月，PAHO组织并举办了第10届PANDRH线上会议，以分享从新冠疫情中汲取的经验教训，并为美洲即将迎来的COVID-19后监管挑战做好准备。该会议为讨论共同监管主题提供了一个开放论坛，并为PANDRH网络提供了开发内部项目的指导方针和一般条款。

突发性传染病的未来框架

日本学术界、产业界及政府对 COVID 经验教训的看法

作者: Akiko Ikeda
作者单位: Janssen Pharmaceutical K.K.
授权: 本文翻译已获作者授权

全球COVID-19大流行的宣布标志着一场前所未有的、全球性疫苗和药物开发竞赛的开始。日本于2021年2月快速批准了一种疫苗上市,同时还在继续开发其他疗法,这可以称得上是一种成功。另一方面,这些努力也说明了传染病的不可预测性,以及日本和其他地方在“正常”时期为未知情况准备应对措施的重要性。

要想加快新疫苗和药物的开发,就需要提高临床试验的开展速度,以确保其最终的安全使用。ICMRA针对新冠疫情发布的加速试验指南不仅对日本而且对世界各地的发展都大有裨益,行业申办方和监管机构之间的早期和频繁磋商也是如此。开发计划成本高昂,因此,对于哪些产品能够通过这些计划得到加速开发,我们必须做出明智的决策。

在日本,获取当地(本地)患者数据的时机以及将患者数据用于监管审批仍然是一个问题。疫情的紧迫性要求根据全球范围内的有效性和安全性数据进行疫苗的审批,且不一定包括来自某个国家自己人口的临床数据;另一方面,标准J-NDA需要来自日本患者的数据。当某个MAH(上市许可持有人)在其申请中纳入了日本患者的数据;其他所有申请人均需按照PMDA的要求,在申请过程中在日本范围内开展临床试验,并同意在这些试验完成后立即将这些数据提交给PMDA。为了解决疫情期间紧急使用授权或正式获批新法规的相关问题,目前日本正计划对获取日本患者数据的必要性进行探讨,以后将有可能不需要日本的患者数据。

建立并促进学术界、工业界、监管机构和政府之间新的合作模式的需求仍然至关重要,因为这些合作会产生新的种子,提升其开展新兴研究的能力,而且这些研究将会在未来发挥重要作用。实践证明,学术研究在疫情早期阶段尤其重要,但在将这些产品推向日本市场的过程中,将这些研究人员与风险投资组织联系起来以进行后续商业化的机制

仍然相对罕见。不幸的是,COVID-19疫苗的开发并没有让日本的“新种子”迅速商业化,这清楚地表明,学术界和培育风险投资企业之间的合作仍然是日本的一个问题。

日本的学术和行业研究人员也了解到,任何一场流行疾病都免不了疫苗和治疗药物的开发,此次新冠疫情的相关问题有助于为应对下一次传染病的到来做好准备。和平时期的学术研究对于维持紧急情况下的发展动力非常重要。此外,学术组织之间的全球合作可能有助于更快地启动传染病研究项目。

从行业协会和制造商的角度来看,这次疫情在保证为产品质量、安全性或有效性的前提下,为传染病新型治疗方式(mRNA疫苗、病毒载体疫苗、抗体鸡尾酒疗法等)的探索提供了机会。业界还了解到,它可以在与日本公众的沟通中发挥更大的作用,在进行风险沟通的基础上,更为显著地促进公共卫生教育,包括疫苗接种的必要性。

COVID还教会了我们考虑疫情的非科学或非医学方面因素的重要性。谁最终负责危机管理或治疗产品供应链?谁向公众传播科学信息?我们建立了哪些危机管理系统,它们对全球健康问题的适用程度如何?政府或政治对这些系统的承诺有多强?

此外,疫情还表明了加强新产品开发从而对抗感染的重要性;日本和全球的政府、学术界和工业界之间的合作,不仅是为了缓解当前的疫情,还是为下一次流行病做准备;另外,还有政府在现实世界的预防和治疗中迅速采取行动的重要性。

原文出处:
<https://globalforum.diaglobal.org/issue/february-2022/>



北京大学肿瘤医院江旻主任



北京大学肿瘤医院李洁主任

2022 dTrial洞察 科技赋能，支撑研究型医院建设

作者：沈斌燕

近年来，大数据和人工智能的发展赋予临床研究更多的科技力量，同时也给研究型医院建设带来先进的信息资源和技术支持。本届DIA dTrial论坛分上下两部分，分别由北京大学肿瘤医院的江旻主任和李洁主任主持，聚焦人工智能、大数据平台、数字化病房等技术，围绕计算机技术发展推动研究型病房和研究型医院建设为主体，讨论新技术在研究型病房和研究型医院建设中的应用，探索智慧型病房和智慧型医院的建设如何助力临床研究发展。

加强研究型病房建设，实现临床研究高水平自立强

研究型病房或者研究型医院的建设工作率先在北京展开，其建设的成果和经验不仅有利于把这个概念进一步推广，也有助于其他地区研究型医院的建设。石处从政府部门的角度出发，介绍了北京研究型病房示范建设项目的的基本情况以及其带来的好处。

北京研究型病房示范建设项目确定了“一看齐，二同步，四提升”的建设目标，即对标一流机构，实行1+N多学科建设，原研和转化双路径同步实施，人财物信四方面同步保障。从2019年开始布局至今，已经公布了3批研究型病房示范建设项目，总



DIAForum
北京市卫生健康委科教处处长石菁菁

DIA

规模达到了30家。

为了切实保障项目的有序进行，北京市从完善

研究型病房支撑服务体系，加快推动科技成果转化，发挥医药健康协同创新联席会议制度三个角度出发，提出了一系列强有力的措施，从而推动医院由以看病为主的医疗中心加速向研究中心转变，构建医院发展新格局。

项目的稳步运行也带了很多显而易见的好处：资源能效得到释放，比如优化病历系统研发等信息化建设；临床研究水平和效率得到提升，比如已经成立了涉及65家医疗机构的医学伦理审查互认联盟，以达到减少重复审查的目的；科研产出及成果转化加速，比如在临床研究高水平文章产出等方面都有显著的提升；产业协同创新机制不断完善，比如打造医研企合作平台等等。

但是与国际高水平机构相比，北京市的研究型病房建设仍有许多值得进一步探索和改进的地方：首先，高水平专家稀缺且临床资源高度集中化，临床研究对医生职业晋升路径有待优化，并且临床研究专业人才也难以满足需求；其次，在国际上发起MRCT项目少，参与或者承担MRCT的经验匮乏，也进一步导致了指定国际指南及高水平文章产出有限，转化能力薄弱，而临床医护人员科技创新的积极性也尚未激发；最后，在政策和机制上，临床研究协作机制尚不成熟，IIT或者早期探索性试验管理经验与能力不足，专利成果与转化机制也还需增强。

为了应对这些不足，北京市期望通过“六位一体”的建设，即以支撑产业发展为核心、以医院的分级分类改革为着力点、以临床研究型人才队伍建设为主线、以信息化建设为支撑等进一步提升研究型病房的建设，领先全国、赶超欧美。

《中华人民共和国个人信息保护法》中伦理审查关注的内容

《中华人民共和国个人信息保护法》的颁布是个人信息保护方面的一个里程碑。李主任另辟蹊径，从伦理审查的角度，为我们介绍了在临床试验中，如何在法律允许的范围内更好地收集和處理个人信息。同时，李主任也提出了许多发人深省的问题。

《个保法》对个人信息的定义、处理和收集都有明确的规定。对个人信息的收集和處理，尤其是对敏感个人信息的收集和處理，需要尤为注意。规



DIA中国顾问委员会成员、北京大学肿瘤医院消化肿瘤内科主任医师、北京大学肿瘤医院伦理委员会主任委员李洁

范地处理个人信息可以通过匿名化和去标识化来保障个人信息。

在临床试验中，也需要各方关注如何规范地收集和處理信息数据，牢记个人信息处理秉承的两大核心原则：一、应当取得个人同意；二、个人信息处理的重大事项发生变更，重新告知并取得同意。

- 研究中方案的约定：分配给受试者专属的识别号，向受试者说明其数据将如何被使用等等。目前，外企或国际多中心研究在这方面的工作优于国内企业的研究，而国内企业的研究又优于研究者发起的研究，因此有针对性的培训和提升还是必不可少的。

- 知情同意书中的告知：向受试者说明如何使用其数据以及信息披露的程度等等。随着《个保法》的颁布，知情同意书的内容也需要进一步完善，以确保个人信息的规范收集和處理。

- 受试者招募：需要考虑如何获取受试者信息，招募公司是否有授权；医生是否直接将患者信息未经脱敏直接交给招募公司等等。

- 病例报告中收集的信息：需要考虑是否过度收集，比如EDC录入之后，是否可以不再需要收集姓名缩写，是否可以仅收集出生年月等等。

- 另外，远程监查、大数据研究、疫情的影响等，也给信息的收集和處理带来了新的挑战和思考。

研究型医院的机遇与挑战

万主任通过对国内外研究型医院发展的对比，



上海医药临床研究中心副主任、上海医药临床研究中心有限公司副总经理万鸣

分析了我国研究型医院建设的发展和机遇，以及未来发展的策略和建议。

研究型医院的概念最早在2003年提出。2013年，国家民政部批准建立了中国研究型医院学会，标志着研究型医院的建设进入了一个新阶段。

通过对麻省总医院、Baim临床研究中心、剑桥大学医院、京都大学医学部附属医院和上海研究型医院的对比，不难发现国内的研究型医院建设和国外相比还是有一定的差距。同时，不同的研究型医院也有各的长处，比如，英国剑桥在体系化建设和临床研究科研结合方面是强项，近年来与阿斯利康公司一同研发了新冠疫苗；而美国的研究型医院，在体系化建设方面树立了标杆，其完善的体系不仅可以支持院内各项临床研究，也可以支持其他中小型医院的临床研究。

进一步分析，我们与海外一流的研究型医院差距主要体现在软实力方面，比如人员配置方面，国内专职的科研人员比较缺乏；另外，信息化建设以及设备建设投入方面，尽管像北京协和、北京肿瘤和上海顶级的三甲医院在硬件方面基本上能够达到国际标准，但是还有很多医院没有支撑其各自的优势学科的硬件设备。

虽然如此，目前我们还是处在非常好的时间段。在一些超大型城市，政府对生命健康、生物医药领域投入了相当多的资源，比如北京政府出台了非常多的配套政策，而上海政府及申康也大力度扶持IIT研究型医院建设。目前，已经有部分示范性医院开始慢慢走向国际化。

最后对于研究型医院的发展策略和建议，万主

任提出了自己的见解：一方面希望国家政府继续关注研究型医院，可以出台更多扶持或者配套建设的政策；另一方面，建立一种人才团队培养和人才机制培养的可持续发展模式是十分必要的；最后，研究者也需要与企业多开展合作，利用企业的资金、产品研发管线等优势达到共赢。

整体数字化方案在研究型医院场景的应用

钱主任着眼于研究者发起的临床研究，为我们介绍了数字化临床研究管理的痛点以及申康临促中心平台的项目经验分享。

临床试验已经从传统模式变成了2.0模式，临床试验的发起量有了显著的增长。其中，研究者发起的临床研究，目前已经是申办方发起的研究的三倍，但是研究项目的执行仍存在着不少的问题，比如设计方案的随意修改等等。

另外，真实世界研究也是备受关注的课题。真实世界数据值得深度挖掘，但是因为医院的数据标准不一致和各医院之间的信息也很难共享等原因，数据整合成为了一大难题。从真实世界数据到真实世界证据的转化，还需要进一步的摸索，但是我们也可以借鉴国外的优秀案例，比如：UK BioBank已经建立了50万英国人群的数据库，成为了英国乃至全球生命健康领域众所周知的部分共享的数据库；美国的TCGA数据已经有33类癌症数据，其中包括1万多患者的多维度的数据，是现在做研究宝贵的对照库和挖掘库。

而国内，申康在这方面的建设工作也十分具有标志性。两年半之前，上海市级医院临床研究促进



DIA

上海市申康医院发展中心临床研究促进发展中心主任钱碧云

发展中心的成立,一方面促进医院临床研究更加规范地开展,另一方面也促进这些临床研究资源更好地共享,合理地配置,也可以更多元渠道地帮助医疗机构夯实基础建设。在项目建设中,由36家市级医院联合起来的市级医院伦理联盟,建立了基于项目制的互认机制。另外,推动在医院内部成立CRU作为支持机构来支撑医生开展临床研究,也有助于标准化,规范化地管理项目等等。这些宝贵地经验值得其他地区借鉴。

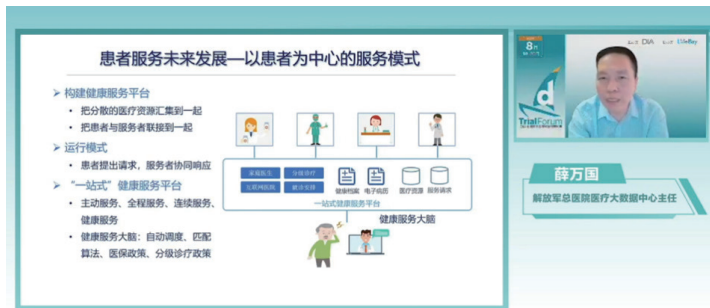
医院数字化转型与信息化未来发展

薛主任基于近几年的热门话题——数字化转型,探讨了数字化转型对于医院的意义,医院在数字化转型的发展方向以及信息化未来的趋势。

从本质上来说数字化转型就是通过数字化技术将物理世界映射为数字世界,在数字世界中进行数据处理分析决策,运用决策再反过来指导物理世

界的可行性也值得进一步分析。从医疗业务上来,当前的数字化发展水平,还不足以使依靠人的专业知识和经验进行诊疗的模式发生根本性的改变;从管理上看,最近几年国家和行业主管部门出台了一系列有关改革医院发展的相关政策,对于公立医院而言面临着很大的转型压力;从可行性方面,基于数字空间开展医院绩效评价、预测、模拟、决策、资源调度等活动是可能的;最后从患者服务角度来看,看病的过程从根本来讲还是患者围着医院在转。建设以患者为中心的就诊模式,在技术上是完全可行的,但是难点是在政策和机制方面需要围绕这个转型进行支撑。

最后,关于信息化的未来。医院信息化的未来发展,有以下两个方面特别值得关注:第一方面是辅助提高医疗记录效率,尽量减少医生在医疗文书上的工作量;第二方面是尽量降低临床信息负荷,提供给医生想要的、加工后的信息。管理信息化的未来发展,可以基于数字空间建立医疗质量监管体系来创新医院运营的评价模式,开展医院的运营指导。患者服务信息化的未来,实现以医院为中心的医疗服务模式向患者为中心的健康管理模式进行转变。



DIA

解放军总医院医疗大数据中心主任薛万国

界活动,创造最终价值。

从医院信息化发展过程来看,主要分为三个阶段:信息化、数字化以及数字化转型。目前大型医院已经基本实现了数字化,主要表现在三个环节:首先实现了医疗设备数字化采集,其次在数字化采集基础上实现了业务环节之间的数据共享,形成了网络化协同的工作模式,最后在数据采集共享基础上开展数据的分析应用。总体上来看,数字化主要提升了效率和带动了局部业务的转变,但是尚未达到模式转变。

另外,医院数字化转型的需求以及实现这些转

数据洞察下的海外研究型医院

赵总通过对国外顶级的5家研究型医院(麻省总医院,梅奥医学中心,德州大学安德森癌症中心,约翰·霍普金斯医院以及克利夫兰诊所)的关键指标对比分析和全面画像的方式,为我国的研究型医院的建设提供了可以参考的方向,取他人之长补己之短。

研究型医院的提出,源于研究型大学,是一种为主动适应临床与科研融合的发展趋势而推出的一



科睿唯安中国区数据科学创新负责人赵冲



种医院发展模式，目的是依靠科技创新的成果带动临床诊治水平的提高。

对于研究型医院的分析评价，可以通过关键指标来衡量。比如基于2017-2021的数据，梅奥在机构的研究论文总量领先于其他四家机构，而麻省总医院在全球前1%高被引论文占比和机构获得专利引用的论文数又优于其他机构，另外，安德森在规范化学科影响力和机构与产业合作占比方面在5所机构中排名第一。

但是当有关科研人员及其机构的数据被压缩成简单的指标或者排名时，会导致信息的丢失，从而解读会比较片面。而全面画像，即构建一个合理多维的规范化的指标对我们进行全面评价有着不容忽视的作用，比如引文主题、专利技术布局、临床试验的主要适应证等方面的综合分析。

数据如何被用，如何形成指标，如何用指标构建一个更合理的、适应性更强的体系，怎么建立兼容特殊性又有相对标准化体系，是需要我们需要进一步思考的地方。

专家讨论

最后，特邀嘉宾陈晓媛主任（清华大学医学院临床试验中心执行主任，北京清华长庚医院临床试验机构办公室主任）、衡反修主任（北京大学肿瘤医院信息部主任）、徐济铭（开心生活科技CEO）和唐海妹（默沙东研发（中国）信息技术部负责人）参与讨论了两个问题，各位专家从不同的角度都提出了非常有价值的观点。首先对于研究型医院的建设重点，可以在研究型医院整体布局的基础上，加强产研结合的落地以及信息系统建设，互联互通，标准化、统一化地为创新服务。另外，近期发布的《远程智能临床试验专家共识》与研究型医院的建设都应该以患者为中心，坚持3个指导原则：立项考虑患者，从患者角度评价，以及实施阶段减少患者负担，从而更好地发挥研究型病房的作用。

结论

本次分论坛干货满满，不仅让我们了解到了国内外研究型医院的建设现状，也从不同的维度让我们见识到了政府部门、医院以及产业对于研究型医院的建设着重点以及发展的策略。另外，法规政策的变化或者技术的革新，也给我们的工作带来了新的思考和挑战。但是无论环境怎么变化，应该把以患者为中心作为核心理念，推动产学研用的综合模式往前发展。





立刻加入DIA全球会员!

两年期会员
优惠已开启



DIA全球会员遍布80多个国家

会员们携手共同合作直面生命科学领域的挑战

专属全球月刊和 学术期刊

- DIA Global Forum 国际版月刊, 可在线阅读
- DIA Global Forum 中文版月刊, 可下载 **NEW**
- DIA科学期刊 《治疗创新与监管科学》 双月刊, 可下载

免费视频课程和 注册优惠

- DIA中国资源库两个主题 模块(100+视频课程) 免费学习 **NEW**
- 会员专享DIA全球年会热点 视频 (美国、中国和欧洲年会 精选话题) **NEW**
- 会员专享会议视频(如肿瘤创 新论坛全程视频) **NEW**
- 会员专享社区直播回放观看 权限 **NEW**
- 会员专享完整版蓝皮书阅读 权限 **NEW**
- 线上能力建设课程注册优惠
- 全球年会和培训注册优惠

社区活动专区

- 优先获得线下学术社区 沙龙现场机会
- 参与DIA社区每月直播活动
- 有机会免费参加DIA与 国际知名培训机构的 联名课程 **NEW**
- 有机会参与DIA定向邀请的 会员活动 **NEW**

助力工作与 职业发展

- 成为DIA志愿者
- 成为DIA讲者
- 获得DIA青年领袖机会
- 参与组织委员会
- 成为主旨演讲及年会嘉宾

Learn More at DIAGlobal.org.cn

