

多措并举呵护儿童健康

国家统计局数据显示,2022年末,我国0—15岁(含不满16周岁)人口为25615万人,占总人口比例为18.1%。

与成人用药相比,儿童用药研发生产面临起步晚、难度大、基础薄弱等问题,需要医疗机构、科研院所、医药企业共同努力解决。

今年1月,国家卫健委办公厅发布《关于进一步加强儿童临床用药管理工作的通知》,鼓励医疗机构针对儿童用药开发可灵活调整剂量的新技术、新方法;3月,新版国家医保药品目录正式实施,新增药品涵盖22个儿童用药;今年前5个月,已有34个儿童用药获批上市,获批数量超去年同期……我国采取一系列措施鼓励儿童用药研发生产,不断提升药品供应保障水平。



(网络图)

突破关键技术,填补市场空白

“吃药靠掰,剂量靠猜”曾经是一些患儿及家长在用药时面临的难题。“儿童不是成人的缩影,儿童用药需要‘量身定制’。”国家儿童医学中心主任、北京儿童医院院长倪鑫说。

以治疗儿童急性淋巴细胞白血病的重要药物疏嘌呤为例。目前,市场上销售疏嘌呤的唯一规格为50毫克片剂,直径约1厘米,均为成人片剂。儿童服用疏嘌呤需按公斤体重计算剂量,并对成人片剂进行切分或磨粉,使用不便且精确度不高。

为解决这一难题,国家儿童医学中心、北京儿童医院率先突破关键技术,开发出可精准计量的疏

嘌呤改良剂型。药片直径2至3毫米,米粒大小,利于患儿吞咽。这一成果已经亮相在2022年中国国际服务贸易交易会上。

“我国儿童用药的品种、剂型、规格相比成人用药都普遍不足,儿科临床用药中约45%的药品说明书缺乏儿童用法用量,导致儿童用药错误的风险大大高于成人。”北京儿童医院药学部主任王晓玲说,整合资源、突破一系列核心关键技术、合理开展儿科临床研究,是实现儿童用药高效研发及临床转化的关键所在。

近年,北京儿童医院致力于儿童用药研发工作。王晓玲介绍,北京儿童医院牵头承担了

“十三五”重大新药创制科技重大专项课题——“儿童用药品种及关键技术研发”,联合全国59家科研院所、高校及企业的研发力量,强化科技创新,研发儿童用药。目前,已获得相关批文、受理号或签收号65项,有关成果填补了我国儿童用药市场的空白,将缓解市场上儿童用药短缺的现状。

此外,国家卫健委通过重大新药创制科技重大专项,投入超6亿元研究儿童用药;成立国家儿童医学中心,组织23个全国儿科相关单位,建立“中国儿科人群药物临床试验协作网”,推进儿童用药临床研究。

加快审评审批,激发创新动力

“儿子终于用上了国产氯巴占!”来自河南的张女士激动地说,“孩子两岁时确诊了癫痫病,需要服用治疗药物氯巴占,国产氯巴占上市为我们解决了大问题。”

2022年5月,国家药品审评中心将仿制药氯巴占片的上市申请纳入优先审评,用于2岁及以上癫痫病患者治疗。9月,我国首个国产氯巴占仿制药获批上市。不久后,一批批氯巴占片走下生产线,陆续进入20多个省份的医院,有效缓解了癫痫病患儿的用药缺乏问题。

氯巴占片是2022年我国儿童用药审评审批成果的一个缩影。作为药品技术审评机构,国家

药审中心优化儿童用药审评审批机制,激发产业创新活力。2021年以来,国家药审中心组建了儿童用药专项领导小组和工作小组,设立“儿童用药”特殊标识,将国家药监局的数据显示,2022年共有66个儿童用药品种通过技术审评,相较于2021年的47个有较大幅度提升,其中包含21个优先审评审批品种和11个鼓励研发申报儿童药品清单品种。这些产品加速上市,进一步满足了患儿用药需求。

破解儿童用药品种少、剂型少等难题,还要激发企业研发动力。国家药审中心按照“急用先行”的原则,建立了儿童用药研发审评证据体系,指导

企业顺利开展研发。目前,已发布十多项儿童用药专项指导原则,完善了儿童用药临床试验和安全性评价标准,为研发和审评提供了重要技术支持与审评依据。

加快引进境外已上市药品,也是满足我国患儿用药需求的重要途径。近年来,国家药监局会同国家卫健委,组织专家遴选并发布临床急需境外新药品种目录,鼓励境外药企前来申报,并对申报品种建立专门通道开展审评。我国已先后加快审批治疗脊髓性肌萎缩症的诺西那生钠注射液等16个儿童用药品种,为提高患儿生存率和生活质量带来了新的希望。

加强多方合作,促进研发生产

“我国在儿童适宜制剂研发与自主生产、重大疾病及罕见病用药研发等方面,仍与国际领先水平存在差距。”王晓玲坦言。

如何攻克儿童用药难题?王晓玲建议,设立儿童用药研发专项,聚焦前沿问题和关键技术,整合基础研究与转化应用资源,实现儿童用药特色技术的自主创新和品种转化。

“要鼓励医疗机构联合科研院所和企业,开发可灵活调整药物剂量的新技术、新方法,建立低龄儿童个性化调剂平台,推动儿童用药个性化调剂。对于疗效确切、特色优势明显、不良反应少的儿科医疗机构制剂,简化跨省调剂流程,满足临床用药需求。”王晓玲说。

北京协和医院院长张抒扬提出,在现有研发申报儿童药品清单的基础上,进一步完善儿童用药研发目录,引导优先研发创制,满足儿科临床用药需求。通过税费减免、定向补助、定点生产等方式调动企业参与儿童药品研发的积极性。加强儿童药品的基础研究和临床研究,推进完善成人药品说明书中儿童用药信息,鼓励儿童药品的国际认证。持续加强规范儿科研究的技术指导,完善儿科人群药物临床试验的安全保障。

“儿科不同疾病领域面临不同的用药问题。”倪鑫认为,一些儿童常见病、多发病的治疗缺乏适宜低龄儿童的药物剂型和规格,血液肿瘤病等重大疾病治疗缺乏儿童用药数据,儿童罕见病患者可用药

缺乏等困境在一定程度上现实存在。

倪鑫建议,一方面要加大新药研发力度,儿科专家和药品生产企业要加强合作,开展科研攻关;另一方面,对于国外最新的确实有效的创新药物,要及时开展适应症研究,及时将其引进国内,让患儿尽快有药可用。

“儿童用药研发难度大,工艺相对复杂,生产成本更高,加上用量偏少,一些药企研发生产的积极性不足。”达因药业负责人杨杰建议,有关部门应制定儿童用药准入及定价鼓励政策,让企业有一定的利润空间,从而激励企业投入更多人力、财力进行儿童用药研发和生产。

(据《工人日报》)