

多管齐下施策，儿童用药“量”“质”齐升



2021年全国共有47个儿童用药被批准上市，其中14个纳入优先审评审批，促进了儿童用药上市进程，明显改善了儿童临床用药水平。目前，还有更多儿童用药处在申报过程中，我国儿童用药问题将进一步得到改善。

新版国家医保药品目录将于2023年3月1日起正式实施。调整后的国家医保药品目录内药品总数达2967种，新增药品涵盖22个儿童用药等。

儿童身体仍处在生长发育阶段，器官发育尚不完善，其肝肾功能对药物的代谢能力、不良反应耐受性与成年人存在明显差异。儿童用药是指适合14岁以下未成年人特殊体质以及需求的一类药品。国家卫健委近日发布的《关于进一步加强儿童临床用药管理工作的通知》(以下简称《通知》)提出，遴选儿童用药(仅限于药品说明书中有关明确儿童适应证和儿童用法用量的药品)时，可不受“一品两规”和药品总品种数限制，进一步拓宽儿童用药范围。《通知》还指出，医疗机构要按照处方剂量精准调配儿童用药，特别是针对低龄儿童的药品调剂，鼓励开发可灵活调整剂量的新技术、新方法，加强个性化给药的标准管理，减少“剂量靠猜、分药靠掰”导致的分不准、不安全等问题。

1 我国儿童用药研究起步晚、基础薄弱

2021年公布的第七次全国人口普查主要数据显示，我国0—14岁儿童人口为25338万人，约占我国总人口数的17.95%。《2021中国卫生健康统计年鉴》显示，2020年我国综合医院儿科门诊量为2.3亿人次。

尽管人口占比不小，儿童患者不少，但与成人药相比，儿童用药研究仍然面临起步晚、难度大、基础薄弱的窘境。

目前，我国儿童用药种类较少。温州医科大学附属第二医院、育英儿童医院药学部主任陈瑞杰说，我国儿童用药主要集中于呼吸系统用药和消化系统用药。而且以颗粒剂、片剂、口服溶液为主，吸入剂、咀嚼剂、贴剂等更适合儿童用的剂型缺乏。

数据显示，我国儿童用药市场中，呼吸系统用药、消化系统用药、抗感染用药和营养补充剂市场份额分别为39.2%、20.5%、17.6%和15.8%，肿瘤疾病、心血管疾病、神经系统疾病等的特药较少。

2 出台政策提高儿童用药保障水平

自2011年起，我国相继出台了多项利好政策，鼓励、支持儿童用药研发和生产。2019年新修订的《中华人民共和国药品管理法》明确支持开发符合儿童生理特征的儿童用药新品种、剂型和规格，对儿童用药予以优先审评审批。国家药监局通过开通儿童用药绿色通道、对研发企业主动靠前服务等举措，加快儿童用药上市。2020年3月，国家市场监管总局发布新修订的《药品注册管理办法》《药品生产监督管理办法》，将临床急需的儿童用药等纳入加快上市注册范围。2021年9月发布的《中国儿童发展纲要(2021—2030年)》中，提出鼓励儿童用药研发生产，完善儿童临床用药规范等。国家医保局医药服务管理司副司长黄心宇说，2022年版国家医保药品目录调整支持国产创新药、新冠治疗药、儿童用药等重点领域药品，这将进一步提高儿童用药保障水平。

中国工程院院士、中国医学科学院药物研究院院长蒋建东说，在多个国家政策推进下，我国儿童用药水平有了明显提高。在过去的这些年中，一直有儿童急需药品上市。2021年全国共有47个儿童用药被批准上市，其中14个纳入优先审评审批，促进了儿童用药上市进程，明显改善了儿童临床用药水平。目前，还有更多儿童用药处在申报过程中，我国儿童用药问题将进一步得到改善。

3 加强儿童用药专项研发和临床研究

除了出台相关政策外，国家还专门组织了儿童药研发专项，国家卫健委通过“重大新药创制”科技重大专项投入超6亿元经费研究儿童用药，先后分三批公布了105个药物的研究计划，并与国家药监局、工信部、国家医保局共同推进儿童用药研发和生产。

国家卫健委成立了国家儿童医学中心，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。2022年，国家儿童医学中心、上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心共同打造的临床研究病房正式启用。该临床研究病房规范承接和完成I期至IV期药物及医疗器械的临床试验，打造技术创新、产学研结合的共享平台。上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心主任张浩教授说，保护儿童受试者的权益与安全，保证药物临床试验的科学与规范是打造临床研究病房的意义所在，临床研究病房将致力于破解我国儿童用药短缺等问题。

科技创新也正在加速儿童用药的研发。在2022年中国国际服务贸易交易会上，国家儿童医学中心展示了解决儿童用药难的各种新技术。比如巯嘌呤是儿童急性淋巴细胞白血病的重要治疗药物，目前国内销售的唯一规格为50毫克片剂，均为成人片剂。但儿童需按每公斤体重计算服用剂量，用量随着生长发育而变化。为解决该难题，北京儿童医院突破微片的制粒及物料流动性关键技术，开发出可精准计量的创新制剂巯嘌呤微片，药品“体型”缩至芝麻大小，并构建了智慧化精准给药系统等。

北京儿童医院牵头承担的“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，以临床需求为导向，研发儿童用药。目前，获得生产批件、受理号或临床批件等共65项。“这些品种的研发填补了我国儿童用药市场空白，有效缓解了临床儿童用药短缺问题。”北京儿童医院药学部主任王晓玲说。

4 推进儿童用药发展还需各方努力

中国药学会科技开发中心首席专家肖鲁表示，解决儿童诊疗用药的窘境，要从根源上增加儿童用药的研发生产，从政策和经济等层面给予一定支持。

对药企而言，儿童用药研发周期长，工艺相对复杂，生产成本较高，且按照差比价原则计算，我国儿童用药价格与同类成人药品相差不大，加上用量偏少，难以激发企业研发、生产积极性。陈瑞杰也表示，儿童用药数量低于同类成人药品，想调动企业研发、生产积极性，须保证相关药品能有合理利润。因此，提高临床儿童用药水平，药品集中招标采购和医保政策跟进不可或缺。

“医保要给予足够关注，才能让企业对研发生产儿童用药充满信心。在药品集中招标采购中，还应尽快专门针对儿童用药探索出一种合适的采购方式。”陈瑞杰说，在呼吸和消化系统用药外，国家有关部门还需甄选儿童用药需求较为强烈的方面，比如儿童常见病、多发病，血液肿瘤病等重大疾病，有序推动相关儿童用药数量持续增加。医保部门可考虑制定有别于成人药品的儿童用药支付标准和体系，以调动生产企业的积极性，让儿童真正有药可用。

“接下来要以更大力度鼓励儿童用药的研发生产，保障儿童临床用药安全。这还需要各个环节和政府部门的共同努力。”肖鲁说。(据《科技日报》)