

多举措鼓励儿童用药研发生产  
——满足用药需求 保障用药安全（健康焦点）  
《人民日报》（2021年10月8日19版）

第七次全国人口普查显示，我国0—14岁人口为25338万人，占总人口比例达17.95%，比2010年上升1.35个百分点。随着三孩政策的实施，我国儿童数量将不断增加。

儿童处于生长发育期，免疫系统尚未完善，患病率、就诊率、用药率比成人高。近年来，我国重视儿童用药供应保障工作，采取一系列措施鼓励儿童用药研发生产，缓解儿童药品短缺问题，保障儿童用药安全。

坚持以患儿为中心、以临床需求为导向，做到高标准、严要求、强服务，确保上市后的药品质量有保障

前不久，湖南一家药企研发的儿童用恩替卡韦颗粒获批上市，乙肝患儿有了专用药物。

“吃药靠掰，用量靠猜。”过去，不少乙肝患儿家长经常遇到这样的痛点。乙肝患儿缺乏专用药，只能按比例服用成人药片。但不同年龄阶段的患儿该服用多少，家长只能估算。恩替卡韦颗粒上市后，家长只需根据患儿的年龄，给孩子喂相应剂量即可，用药安全性也更有保障。

恩替卡韦颗粒快速获批上市得益于国家药监局开通的审评审批绿色通道。2019年8月，新修订的药品管理法明确规定，国家采取有效措施，鼓励儿童用药的研制和创

新，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。国家药监局不断完善儿童用药优先审评审批政策，开通儿童用药审评审批绿色通道，并建立专人专项协调督导的任务管理制度，提高审评审批效率。

“相比成人，儿童对药品安全要求更高。儿童用药需要专业审评、业务管理、技术支持、检查核查等环节密切配合。”国家药监局药审中心主任孔繁圃介绍，儿童用药审评审批绿色通道坚持以患儿为中心、以临床需求为导向，做到高标准、严要求、强服务，确保上市后的药品质量有保障。此外，审评审批系统将儿童用药项目设置特殊标识，并安排专人督导进度，确保按时限推进。

今年2月，国家药监局组织儿童用药审评工作组到国家儿童医学中心首都医科大学附属北京儿童医院调研，与临床医生、临床药师进行交流，了解儿童用药研发、使用和审评中的技术问题。5月，又到山东达因海洋生物制药股份有限公司，实地了解企业在儿童用药研发方面遇到的困难，并进行指导。孔繁圃说，加大与临床机构、研发企业的沟通交流，建立对话交流机制和合作机制，能为其提供技术支持和跟踪指导，进一步鼓励儿童用药研发。

“做好审评审批前服务，也能提升审评审批效率。”国家药监局药审中心化药临床一部部长杨志敏介绍，中心官网开通了儿童用药专栏，将儿童用药政策法规、指导

原则等文件集中公开，方便研究机构和企业提前准备申请材料，提高通过效率。

审评审批效率的提升加速了儿童用药上市。国家药监局公布的数据显示，2020年，共批准儿童专用药和增加儿童应用的药品26个，同比增长36.8%，其中国产药品17个，增幅达到46.2%。今年，儿童用药批准品种数量继续保持增长势头。目前已有28个儿童用药获批上市，还有45个儿童专用药和21个增加儿童适应症或用法用量品种正在审评中，其中22个品种已经纳入优先审评审批序列。

儿科医疗机构要提出需求，主动与科研机构、企业加强合作，形成“产学研用”的儿童用药研发生产体系

今年5月，湖北省宜昌市一家制药企业研发的咪达唑仑口服溶液获得国家药监局批准上市，填补了国内咪达唑仑口服溶液的空白，为广大患儿带来福音。该企业研发咪达唑仑口服溶液用时两年，耗资近1500万元。

咪达唑仑是一种镇静催眠药，主要用于患者麻醉前镇静、局部麻醉辅助、胃镜等内窥镜手术前的镇静，临床应用广泛。此前，我国医疗机构使用的都是注射用咪达唑仑。在术前使用，不少患儿因恐惧打针而拒绝，甚至哭闹，影响手术进度。咪达唑仑口服溶液加入了矫味剂，味道不错，患儿愿意服用，起到了与注射咪达唑仑同样的效果。

“儿童用药依然面临品种少、专用剂型和规格少、供

应量不足等问题。”北京儿童医院药学部主任王晓玲说，儿童不是缩小版的成人，由于身体尚未发育成熟，肝肾对药物的代谢能力和药品不良反应的耐受能力很低。长期过度服用或不当服用成人药物会对儿童身体造成不可逆影响。此外，成人药品大多带苦味，一些患儿不愿意服用，家长需想办法诱导，提高了服药难度。所以，研发各类儿童专用药和剂型很有必要。

在国家的大力支持下，国家医学中心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，以临床需求为导向，以临床评价为依据，强强联合研发儿童药。目前，获得生产批件/受理号 27 项，临床批件/备案号/受理号 33 项。“这些品种的研发填补了我国儿童用药市场的空白，有效缓解了临床儿童用药短缺的问题。”王晓玲说。

“儿科医疗机构应该成为儿童用药研发的排头兵。”国家儿童医学中心主任、北京儿童医院院长倪鑫说，儿科医疗机构是儿童用药使用最多的地方，最了解患儿的用药需求，掌握大量临床用药信息。儿科医疗机构要提出需求，主动与科研院所、企业加强合作，形成“产学研用”的儿童用药研发生产体系。

**达因药业**是专门从事儿童用药研发与生产的企业，近年来研发立项多达数十种。早在 2011 年，公司成立了儿童

用药研发中心，与中国医学科学院药物研究所、山东大学药学院开展深度产学研合作。达因药业董事长杨杰说：“儿童用药的研发要符合临床需求，根据儿童的病理、心理特点来设计和改进产品属性。”

“儿童用药供应短缺的一个重要原因是企业研发投入与收益不匹配。”杨杰说，儿童用药研发耗时长，临床研究风险高，处方工艺相对复杂，对原料辅料选择及质量控制要求高，从而导致生产成本高。如果按照药物活性成分定价，药企的成本可能无法覆盖，因而没有生产积极性。她建议，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。

药企要根据不同年龄段的孩子来设计剂型、包装和给药器具，并确定原料、辅料的最佳比例，保证药物疗效

“目前，医院能开的药物主要是成人儿童共用药。”王晓玲介绍，北京儿童医院药品目录中，儿童专用药占比仅为5%，成人儿童共用药占比约59%，经验性用药（说明书中没有儿童用药信息，医生根据临床经验用于患儿的药品）比例约为36%。医院在每个药房安排一名药师专门负责分药，免去了家长自行分药的麻烦，一定程度上提高了患儿用药安全性。

“药师提前分好了药，给孩子喂药更省心了！”在北京儿童医院病房药房，一名患儿家长刚刚取到了一包药。药

包里的药片大都经过了切割，有的是原药片的 1/2，有的只有 1/4。

走进药房后台，记者看到一名药师正在一手用镊子夹着药片，一手用剪子小心地剪。很快，一枚红色药片就分成了 4 份。旁边桌子的格子里盛着各种颜色的已经分割好的药片。这些药品将通过分药机器，自动包装好，发放给患儿家属。

但是，由医院进行分药，不一定能均匀分割其中的药物活性成分，可能会出现药效下降、剂量不准确等问题。此外，药品在分割的过程中，暴露在空气中，增加了污染的风险。如何解决这个问题？

“剂量准确，患儿服用才方便、安全。”杨杰认为，要从源头上解决分药存在的问题，还得靠多生产儿童专用剂型。药企要根据不同年龄段的孩子来设计剂型、包装和给药器具，保证药物疗效和安全。

巯嘌呤是治疗白血病的常用药，临床使用都是成人片剂，国内每片规格为 50 毫克，直径约 1 厘米。对于成年患者来说，直径 1 厘米的药片一仰脖就能吞下，但对于年幼的患儿来说，药片过大，很难吞咽。此外，巯嘌呤是根据每公斤体重来计算服用剂量。新生儿、早产儿的单次剂量只有药片的 1/25，甚至 1/50，考验着家长的“掰药”水平。

白血病是全国儿童恶性肿瘤排名第一的疾病，也是北京儿童医院接诊较多的疾病之一。为了解决白血病患儿用

药难题，北京儿童医院研发出疏嘌呤微片技术，将疏嘌呤做成直径约为 3 毫米的微片，大小如米粒。倪鑫介绍，疏嘌呤微片技术能帮助患儿精准用药，免去了分药的麻烦，也让患儿更容易吞咽，提高了用药依从性。

王晓玲建议，为了确保儿童用药分剂量药品的准确性、稳定性，企业生产儿童用药应当按技术指导原则做好剂量标准化、规范化、同质化。