

中国新药注册临床试验的研究现状和趋势分析

Research status and trends of clinical trials for new drug registration in China

王晓晗, 姚珠星, 刘文东,
苏 娴, 胡洋平, 王海学

(国家药品监督管理局 药品审评中心, 北京
102600)

WANG Xiao - han, YAO Zhu - xing,
LIU Wen - dong, SU Xian,
HU Yang - ping, WANG Hai - xue

(Center for Drug Evaluation, National
Medical Products Administration, Beijing
102600, China)

作者简介: 王晓晗(1995 -), 女, 主管药师, 主要
从事药物临床试验安全风险管理与
药物警戒工作

通信作者: 王海学, 主任药师
Tel: (010) 80995876

E - mail: wanghx@cde. org. cn

摘要:目的 分析中国新药注册临床试验的发展现状与核心特征, 展望未来趋势, 为医药产业的研发布局与相关政策优化提供参考。**方法** 基于国家药品监督管理局药品审评中心(CDE)2020至2024年发布的《年度药品审评报告》及《中国新药注册临床试验进展年度报告》等公开数据, 对临床试验的数量增长、药物类型、适应症分布、实施效率及重点领域进展进行综合分析。**结果** 2024年临床试验登记总量达4 900项, 创历史新高; II期和III期试验占比稳步提升, 显示研发效率持续优化。化学药品与生物制品试验集中于抗肿瘤领域, 中药临床试验则主要聚焦于呼吸系统和消化系统疾病。细胞与基因治疗、罕见病用药、儿童用药等重点领域增长显著。**结论** 中国新药临床试验呈现高效、创新、国际化的发展趋势。未来需通过政策引导与技术创新, 优化资源布局、突破同质化竞争, 以推动医药产业的高质量发展。

关键词: 新药; 注册临床试验; 抗肿瘤药物; 细胞和基因治疗; 临床研发效率

DOI: 10. 13699/j. cnki. 1001 - 6821. 2026. 02. 020

中图分类号: R969 **文献标志码:** A

文章编号: 1001 - 6821(2026)02 - 0274 - 05

Abstract: Objective To analyze the developmental status and core characteristics of new drug registration clinical trials in China, and to forecast future trends, thereby providing references for the research and development (R&D) layout of the pharmaceutical industry and the optimization of relevant policies. **Methods** Based on public data from the Annual Drug Evaluation Report and the Annual Report on the Progress of Clinical Trials for New Drug Registration in China published by the Center for Drug Evaluation (CDE) of the National Medical Products Administration (NMPA) from 2020 to 2024, a comprehensive analysis was conducted on the growth in the number of clinical trials, drug types, distribution of indications, implementation efficiency, and progress in key areas. **Results** In 2024, the total number of registered clinical trials reached 4 900, a record high. The proportion of Phase II and Phase III trials increased steadily, indicating continuous optimization of R&D efficiency. Clinical trials for chemical drugs and biological products were concentrated in the anti - tumor field, while trials for traditional Chinese medicine focused primarily on respiratory and digestive system diseases. Trials in key areas such as cell and gene therapy, drugs for rare diseases, and pediatric medications showed significant growth. **Conclusion** New drug clinical trials in China are demonstrating trends towards greater efficiency, innovation, and internationalization. Future efforts should focus on policy guidance and

technological innovation to further optimize resource allocation, overcome homogeneous competition, and promote the high – quality development of the pharmaceutical industry.

Key words: new drug; registered clinical trial; antitumor drug; cell and gene therapy; clinical research and development efficiency

新药研发是医药产业发展的核心驱动力,而新药注册临床试验作为新药研发过程中的关键环节,对于评估药物的安全性和有效性起着至关重要的作用。近年来,随着我国对医药创新的重视程度不断提高,一系列鼓励政策的出台,以及医药企业研发投入的持续增加,我国新药注册临床试验呈现出蓬勃发展的态势。本研究通过对近五年国家药品监督管理局药品审评中心发布的《年度药品审评报告》^[1-5]和《中国新药注册临床试验进展年度报告》^[6-10]的综合分析,深入了解我国新药注册临床试验的现状与趋势,为合理规划研发资源、优化审评审批流程以及促进医药产业高质量发展提供参考依据。

1 中国新药临床试验现状分析

1.1 临床试验数量与增长趋势

在近五年的药品审评报告显示创新药注册申请受理量显著增加,临床试验登记数量也持续攀升,2024 年登记总量达 4 900 项,较 2020 年(2 602 项)增

长 88.3%,创历史新高。这一增长核心得益于临床试验默示许可、优先审评等审评审批改革一系列的政策红利,叠加本土药企研发投入增加的双重驱动。2024 年境内申办者占比达 92.8%,较 2020 年提高 15.3%,标志着我国新药研发从“进口依赖”转向“本土创新主导”。从药物类型看,化学药品占主导地位(2024 年占比 55.7%),但增速趋缓;生物制品占比显著提升(2024 年达 40.5%),其中治疗用生物制品以 1 类创新药为主(占比 79.0%);细胞和基因治疗领域呈爆发式增长,2024 年登记 115 项试验,较 2020 年增长 342.3%,其中细胞治疗占比 65.2%(75 项),基因治疗占 34.8%(40 项),但需警惕靶点、适应症扎堆导致的同质化研发风险。创新药注册申请受理量和临床试验登记数量的增长趋势表明我国新药研发日益活跃,医药企业和科研机构对新药研发的投入不断加大。2020 – 2024 年中国新药临床试验关键指标变化详见表 1。

表 1 2020 – 2024 年中国新药临床试验关键指标变化

Table 1 Changes in key indicators of clinical trials for new drugs in China from 2020 to 2024

指标	2020 年	2021 年	2022 年	2023 年	2024 年	五年变化
年度登记试验总量	2602	3358	3410	4300	4900	+ 88.3%
境内申办者占比	77.5%	78.9%	88.5%	91.7%	92.8%	+ 19.7%
生物制品占比	23.8%	26.7%	24.4%	22.2%	40.5%	+ 70.2%
细胞/基因治疗临床试验数量	26	/	46	81	115	+ 342.3%
仅在儿童人群中开展的新药临床试验占比	2.2%	3.0%	3.2%	2.4%	4.5%	+ 104.5%

1.2 临床试验特征分布

在目标适应证领域,化学药品和生物制品临床试验主要集中在抗肿瘤领域。2024 年化学药品临床试验中抗肿瘤药物占比 24.7%,生物制品中抗肿瘤药物占比高达 43.1%,充分显示出肿瘤治疗领域在新药研发中的核心地位,但过度集中已引发靶点同质化、临床试验资源竞争激烈、临床价值重叠等问题。此外,化学药品和生物制品的目标适应症还广泛分布于皮肤及五官科药物、内分泌系统药物、神经系统疾病药物、呼吸系统疾病及抗过敏药物、预防性疫苗和血液系统疾病药物,体现了治疗领域多元化趋势,弥补了治疗领域单一的短板。中药临床试验则主要集中在呼吸系统疾病(2024 年占比 36.1%)和消化系统疾病

(2024 年占比 18.5%)2 个领域,体现了中药在传统优势治疗领域的持续深耕。

在临床试验分期方面,各期临床试验占比在不同年份呈现出一定的变化。I 期临床试验占比从 2020 年的 50.4%(化学药品)降至 2024 年的 39.9%。II 期和 III 期占比提升至 19.5% 和 24.5%,体现我国创新药从“早期探索”向“临床转化”推进,研发成熟度与效率同步提高。在 1 类创新药中,I 期占比 46.9%,II、III 期占比分别为 22.6% 和 17.2%。

特殊人群用药方面有改善但仍不足。2024 年儿童用药临床试验 114 项,较 2020 年(33 项)增长 245%,其中 III 期占比 43.9%,预示未来将有更多儿童专用药上市。罕见病药物试验达 121 项,以血液系统

疾病、神经系统疾病和抗肿瘤药物为主。

1.3 临床试验地域分布与实施效率

临床试验资源分布仍不均衡,但区域集中度有所缓解。从临床试验组长单位和参加单位的分布来看,北京市、上海市、江苏省、湖南省、广东省等地区是主要的临床试验开展区域,儿童临床试验组长单位主要集中在北京市。这种地域集中现象主要是由于这些地区拥有丰富的医疗资源、高水平的科研机构 and 专业的临床试验人才队伍,能够为临床试验的顺利开展提供有力保障。然而,地域分布不均也可能导致部分地区临床试验资源紧张,而一些地区资源闲置,不利于临床试验的均衡发展。

我国新药注册临床试验实施效率呈现持续提升态势。在试验登记方面,2022年首次登记平均用时为116天,2023年降至78.5天,2024年再缩短至67.4天。BE备案登记效率提升更为显著,2022年平均用时67天,2023年降至16.6天,2024年仅需12.1天,且1个月内完成登记并提交的占比达91.7%。在启动受试者招募方面,临床试验获批后6个月内启动受试者招募的比例逐年增高,从2020年的不足50%提升至2024年的65.5%,其中生物制品启动效率最高(70.2%),化学药品次之(64.4%),中药相对较低(27.5%),与中药临床试验方案设计复杂、受试者招募难度大、产业化投入不足等因素密切相关。临床试验实施效率的提高得益于我国药品审评审批制度改革的推进,审评流程与临床试验各环节的不断优化以及各方对临床试验效率的重视,大大缩短了新药从研发到临床应用的时间。

2 重点领域新药临床试验进展

2.1 细胞和基因治疗产品

近五年来,中国在细胞与基因治疗(CGT)领域近五年呈现爆发式增长,已成为全球最活跃的研发区域之一。2023年成为关键节点,全年登记CGT类临床试验81项,较2022年增长近一倍,2024年我国CGT临床试验登记达115项,较2020年增长342.3%,试验数量与增速均位居世界前列。从结构上看,国内申办者主导的临床试验占比超过90%,适应症聚焦于抗肿瘤领域(占比51.9%)。嵌合抗原受体T(CAR-T)细胞疗法进展最快,截至2025年第二季度,已开展72项探索性试验、15项验证性试验,并提交7项新药上市申请(NDA),其中9项已获批上市(7项附条件批准,2项完全批准)。基因治疗紧随其后,55项探索性试验和7项确证性试验已启动。干细胞疗法虽临床活跃度高(87项探索性试验),但产业化进程较慢,仅

1款产品获批上市^[11]。未来CGT领域的发展,亟需从“数量扩张”转向“价值提升”,以临床价值为核心,加强源头创新与转化研究,完善质量控制与评价体系,推动更多具有国际竞争力的产品走向临床。

2.2 罕见病用药

近年来中国罕见病药物临床试验在政策优化和技术创新双重驱动下取得显著突破,整体呈现加速发展态势^[12]。2021年我国罕见病药物临床试验数量不足50项,2022年增至68项,2024年则攀升至121项,五年内实现了翻倍以上的增长。国家药监局通过完善优先审评、附条件批准、突破性治疗药物等加速通道,大幅缩短罕见病药物上市周期。2024年数据显示,优先审评时限从常规的200日压缩至130日,而临床急需的境外已上市罕见病用药审评时限进一步缩短至70日。同年,55个罕见病用药获批上市,其中20个品种通过优先审评加速落地,占比达36.4%。纳入附条件批准和突破性治疗程序的品种显著增加,2024年突破性治疗申请纳入量较2023年增长30%,累计纳入突破治疗药物程序294项,覆盖抗肿瘤、神经系统疾病等领域。但总体而言,我国罕见病药物研发仍处于追赶阶段,存在疾病领域覆盖不均匀、临床开发难度依然突出等问题,未来仍需进一步完善罕见病药物研发政策支持体系,拓展临床评价路径,鼓励罕见病药物研发。

2.3 儿童用药

近年来,国家药监局通过儿童用药优先审评通道、发布多项专项指导原则、鼓励真实世界研究数据作为儿童药物研发的关键支撑等措施,大力推动儿童用药研发进程。2020年仅在儿童人群中开展的临床试验为33项(占当年新药临床试验总量的2.2%),2022年增长至64项(占当年新药临床试验总量的3.2%),而2024年大幅提升至114项(占当年新药临床试验总量的4.5%),呈现逐年递增的良好趋势。2024年仅在儿童人群中开展的临床试验中,生物制品成为研发主力,Ⅲ期临床试验占比最高,反映成果转化加速。但与发达国家相比,我国儿童药品的研发及儿童药物临床试验仍有一定差距^[13]。未来应继续强化政策引导,鼓励在成人临床试验早期同步开展儿科研究,支持真实世界研究、模型模拟等创新方法在儿童药物研发中的应用,加快构建覆盖全年龄段、全生命周期的药物研发体系。

3 中国新药注册临床试验发展趋势分析

3.1 创新药研发持续推进

随着我国对医药创新的政策支持力度不断加大,

例如国家药监局关于优化创新药临床试验审评审批有关事项的公告(2025年第86号)^[14],满足特定条件下将部分创新药的临床试验审评审批周期缩短到30个工作日,以及对创新药研发企业的资金扶持、税收优惠等政策的实施,预计未来创新药研发将继续保持活跃态势。企业将更加注重以临床价值为导向的研发,加大对具有自主知识产权的创新药的研发投入,1类创新药的临床试验数量有望进一步增加,且研发将向更深入的阶段推进,Ⅱ、Ⅲ期临床试验占比可能会继续提高,我国创新药研发成熟度与成果转化能力进一步增强。同时,企业也应更加注重研发布局的优化,避免盲目跟风热门领域,加强对未被满足临床需求领域的探索,如针对罕见病、疑难杂症、老年病等的新药研发。此外,随着精准医学与生物标志物技术的快速发展,基于靶点分型、基因检测、个性化给药的精准治疗药物将成为重要研发方向,临床试验设计将更具有针对性和科学性,同时提高了药物治疗的精准性和有效性。

3.2 技术创新推动新兴疗法发展

随着科技的不断进步,数字化技术、人工智能、真实世界数据的应用拓展将在新药注册临床试验中得到更广泛的应用^[15]。数字化技术例如电子数据采集系统、远程监测技术、可穿戴设备、电子知情同意等数字化模式的进一步普及,不仅可以提高数据收集的准确及时性,也可以降低临床试验成本、提高效率,还能提高受试者的依从性和试验的可及性,尤其为基层机构、偏远地区开展临床试验提供有力支撑。人工智能和大数据技术将助力药物研发过程中的靶点发现、药物设计、临床试验方案优化、数据监测与分析等环节,提高研发效率和质量,大幅降低研发试错成本,提升试验设计科学性^[16-17]。真实世界数据在新药研发中的应用不断拓展,能够为新药临床试验的设计、患者招募、疗效评估等提供更多信息,尤其为罕见病、儿童用药等难以开展传统随机对照试验的领域提供关键科学支撑。

3.3 加强国际合作

在经济全球化的背景下,新药研发的国际合作日益紧密。我国药企和科研机构应积极加强与国际同行的合作与交流,通过开展国际多中心临床试验、联合研发等方式,充分利用全球资源,提升我国新药研发的水平和国际竞争力^[18]。越来越多本土企业将采用“全球同步研发、同步申报、同步上市”策略,在临床试验早期即纳入国际标准,推动我国临床研究方案、数据质量、伦理审查与国际接轨。参与国际多中

心临床试验,不仅可以加速新药在全球范围内的上市进程,还能使我国的临床试验标准与国际接轨,提高临床试验的质量和规范性。同时,通过与国际先进企业和科研机构的合作,学习借鉴其先进的研发理念、技术和管理经验,有助于推动我国医药产业的国际化发展。

3.4 完善临床试验体系

为了提高临床试验的质量和效率,未来应完善临床试验体系^[19],关键在于系统性地优化全流程并加强区域协同。针对方案设计、伦理审查、受试者入组等关键节点存在的堵点、难点,应精准施策,例如推广多中心伦理审查互认机制,积极应用数字化技术提升管理效率,解决影响实施效率的堵点^[20]。同时,还应加强不同地域医疗机构间的协同发展,鼓励不同地域、不同层级的医疗机构之间开展高效协同与合作,实现全国范围内临床研究能力的均衡、协同与可持续发展。

4 讨论

近五年,在药品审评审批制度改革持续深化、创新驱动发展战略全面推进的背景下,我国新药注册临床试验在数量规模、结构优化、效率提升、领域拓展等方面均实现跨越式发展。从发展成效看,我国新药临床试验已从高速增长转向高质量发展的转型关键期。临床试验登记总量持续攀升、本土申办者占比稳居高位,标志着我国新药研发已实现从“引进来”为主向“自主创新”为主的根本性转变;临床试验分期结构持续优化,Ⅱ、Ⅲ期临床试验占比稳步提升,反映我国创新药研发成熟度不断提高,早期研究向临床价值转化的能力持续增强;细胞与基因治疗、罕见病用药、儿童用药等长期短板领域快速突破,体现了我国新药研发正从“扎堆热门适应症”向“未被满足的临床需求”逐步转化。临床试验登记效率、受试者启动效率等关键指标持续改善,则得益于审评流程优化、伦理审查机制完善、数字化工具普及以及各方对临床研发质量与效率的共同重视,我国临床试验全链条管理能力稳步与国际接轨。

在快速发展的同时,我国新药注册临床试验仍面临一系列结构性、深层次问题,与医药产业高质量发展的要求仍存在差距。研发同质化现象仍较为突出,化学药品与生物制品临床试验高度集中于抗肿瘤领域,热门靶点、同类靶点重复开展临床试验现象普遍,造成临床资源浪费;临床研究资源区域分布不均衡,基层机构参与度不足、研究能力薄弱,不利于全国临床试验的均衡发展;特殊人群研发覆盖仍存在不足,

儿童用药、罕见病用药虽改善显著,但领域覆盖与研发布局仍需进一步完善。部分新兴领域临床转化率有待提升,细胞治疗、基因治疗等领域探索性研究活跃,但确证性临床试验、产业化转化进程相对滞后;临床试验国际化程度仍有提升空间,国际多中心临床试验占比不高,我国临床研发数据在全球注册中的认可度仍需进一步加强。

展望未来,我国新药注册临床试验将在持续鼓励创新的基础上,加速新技术应用,加强国际合作,不断完善临床试验管理体系,朝着更加高效、创新、国际化的方向发展。这不仅将推动我国医药产业的高质量发展,也将为全球患者带来更多安全、有效的治疗药物,提升我国在国际医药领域的地位和影响力。

参考文献:

- [1] 国家药品监督管理局药品审评中心.《2020年度药品审评报告》[EB/OL]. 2021-06-21. [2025-11-18]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/876bb5300cce2d3a5cf4f68e97c8a631>
- [2] 国家药品监督管理局药品审评中心.《2021年度药品审评报告》[EB/OL]. 2022-06-01. [2025-11-18]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/f92b7bdf775bbf4c4dc3a762f343cdc8>
- [3] 国家药品监督管理局药品审评中心.《2022年度药品审评报告》[EB/OL]. 2023-09-06. [2025-11-18]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/849b5a642142fc00738aff200077db11>
- [4] 国家药品监督管理局药品审评中心.《2023年度药品审评报告》[EB/OL]. 2024-02-04. [2025-11-18]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/9506710a7471174ab169e98b0bbb9e23>
- [5] 国家药品监督管理局药品审评中心.《2024年度药品审评报告》[EB/OL]. 2024-03-18. [2025-11-18]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/54538c67b7e764fc51666567fc620241>
- [6] 国家药品监督管理局药品审评中心.《中国新药注册临床试验现状年度报告(2020年)》[EB/OL]. 2021-11-11. [2025-11-18]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/d670723dd2f646722097b03cf005e052>
- [7] 国家药品监督管理局药品审评中心.《中国新药注册临床试验进展年度报告(2021年)》[EB/OL]. 2022-06-07. [2025-11-18]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/1839a2c931e1ed43eb4cc7049e189cb0>
- [8] 国家药品监督管理局药品审评中心.《中国新药注册临床试验进展年度报告(2022年)》[EB/OL]. 2023-09-07. [2025-11-18]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/46260e34bfe67292bfae1de8863d20fe>
- [9] 国家药品监督管理局药品审评中心.《中国新药注册临床试验进展年度报告(2023年)》[EB/OL]. 2024-05-20. [2025-11-18]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/d25e2879906bd2d3ae6c929aece41e34>
- [10] 国家药品监督管理局药品审评中心.《中国新药注册临床试验进展年度报告(2024年)》[EB/OL]. 2024-06-19. [2025-11-18]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/d0bc4836cfc4cb7c9ecf29ddaa7be6ea>
- [11] LIU Y T, GE C H, CHEN X Y, *et al.* Trends in the development of cellular and gene therapy in China [J]. *Nat Rev Drug Discov*, 2025, 24(9): 656—657.
- [12] 杨哲萱, 李杨, 丁文侠. 中国罕见病药物研发政策及研发现状简析 [J]. *药物评价研究*, 2023, 46(10): 2076—2082.
- [13] 马艳姣, 王悦琦, 郑时乡, 等. 中国注册儿童药物临床试验研究现状分析 [J]. *儿科学杂志*, 2023, 29(12): 1—5.
- [14] 国家药品监督管理局.《国家药监局关于优化创新药临床试验审评审批有关事项的公告(2025年第86号)》[EB/OL]. 2025-09-12. [2025-11-18]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/ggtg/ypggtg/ypqtggtg/20250912092255131.html>
- [15] 孙搏, 梅蕾蕾, 徐琰, 等. 中美欧药物临床试验监管实践与启示 [J]. *中国医药导刊*, 2025, 27(6): 548—555.
- [16] Zhang B, Zhang L, Chen Q Y, *et al.* Harnessing artificial intelligence to improve clinical trial design [J]. *Commun Med (Lond)*, 2023, 3(1): 191.
- [17] 郭金龙, 许鑫, 刘丽丽, 等. 药物研发中的大语言模型研究与应用进展 [J]. *中国新药杂志*, 2025, 34(13): 1384—1390.
- [18] 王奇巍, 叶亚婧, 郭文. 中国创新药鼓励政策改革进展与成果 [J]. *中国新药杂志*, 2024, 33(13): 1297—1302.
- [19] 王翠, 郑建中. 新政策背景下地市级医院药物临床试验质量管理体系优化研究 [J]. *中国医药导刊*, 2025, 27(6): 565—570.
- [20] 严钰茸, 曹钰然, 曹国英, 等. 研究者视角: 优化临床试验审评审批机制的机遇与挑战 [J]. *中国食品药品监管*, 2025(02): 44—49.

(本文编辑:冀希炜 收稿日期 2025-12-08)