·新药述评与论坛·

中美突破性治疗药物制度实施效果的比较研究

文　鑫,田丽娟*
(沈阳药科大学,沈阳 110016)

[摘要]　**目的**:借鉴美国突破性治疗药物(breakthrough therapy designation,BTD)制度的有益经验,为完善我国 BTD 制度提供建议和参考。**方法**:通过对中美 BTD 制度的实施效果进行比较分析,揭示两国 BTD 制度的实施效果与差距。**结果与结论**:中美 BTD 认定申请数量总体均呈增长趋势,但我国 BTD 认定率和认定获批率均显著低于美国,这可能与申请质量参差不齐和政策细化程度不足有关。我国 BTD 药物上市前临床开发时间较短,但审评时间较长,反映了两国药品监管机构在临床试验指导力度上的差异。在抗肿瘤药物临床试验设计方面,我国更倾向于单臂、非随机设计,以客观缓解率为主要终点;而美国试验设计则更为丰富与多元。此外,尚未有 BTD 中药获批上市。建议我国药品监管机构借鉴美国经验,制定 BTD 审评管理规范,加强审评人员的主导作用,设立跨学科团队,加强临床试验研制指导,提高研发及审评效率;同时,加强 BTD 认定药物叠加附条件批准上市后的监管,并推动 BTD 中药的申报与审批。医药企业应加强研发团队 BTD 法规和技能培训,提高 BTD 药物申请的质量,促进产品加快上市以满足患者临床需求。

[关键词]　突破性治疗药物;药品注册;实施效果
[中图分类号]　R95　　[文献标志码]　A　　[文章编号]　1003－3734(2026)10－1032－08

A comparative study of the implementation effects of breakthrough therapeutic drug systems in China and the United States

WEN Xin, TIAN Li-juan*
(*Shenyang Pharmaceutical University*, *Shenyang* 110016, *China*)

[**Abstract**]　**Objective**: To draw on the useful experience of the breakthrough therapy designation (BTD) system in the United States (US) to provide suggestions and references for improving the BTD system in China. **Methods**: Through a comparative analysis of the implementation effects of the BTD systems in China and the US, the implementation effects and gaps of the BTD systems in the two countries were revealed. **Results & Conclusion**: The numbers of applications for BTD recognition in China and the US were generally on the rise, but the rates of BTD recognition and approval in China were significantly lower than those in the US, which may be related to the uneven quality of the applications and the lack of policy refinement. China's BTD drugs had a shorter pre-market clinical development time, but a longer review time, reflecting the difference in the strength of clinical trial guidance between the two countries' drug regulatory agencies. In terms of clinical trial design for antitumour drugs, China preferred single-arm, non-randomised design with objective remission rate as the primary endpoint; whereas the trial designs in the US were richer and more diverse. In addition, no BTD Chinese medicine has been approved for marketing. It is recommended that China's drug regulatory agencies learn from the US experience, formulate

[作者简介]　文鑫,女,硕士研究生,主要从事药事法规与药物政策研究。E-mail:wenxin_6@126.com。
[通讯作者]　*田丽娟,女,硕士生导师,副教授,主要从事药事法规与药物政策研究。E-mail:tianlijuan_8@126.com。
[DOI]10.20251/j.cnki.1003-3734.2026.10.004

BTD review and management standards, strengthen the leading role of reviewers, set up interdisciplinary teams, strengthen the guidance of clinical trial development and improve the efficiency of research and development and review; at the same time, strengthen the supervision of BTD-recognised medicines after superimposed conditional approval for listing, and promote the declaration and approval of BTD traditional Chinese medicines. Pharmaceutical companies should strengthen the training of R&D teams on BTD regulations and skills, improve the quality of BTD drug applications, and promote the accelerated marketing of products to meet patients' clinical needs.

[**Key words**] breakthrough therapy designation; drug registration; implementation effect

突破性治疗药物(breakthrough therapy designation,BTD)制度是指针对严重或危及生命的疾病,已有初步临床证据显示在关键临床终点上显著优于现有疗法的药物,监管部门在临床试验阶段给予密集指导,以加速其研发上市,进而惠及患者的制度[1]。该制度起源于美国,自 2012 年实施以来,美国 FDA 不断更新和细化相关指导文件,促进了 300 多个适应证的药物上市,积累了丰富的实践经验,也为其他国家提供了有益的借鉴。

作为深化药品审评审批制度改革的关键举措,我国新修订的《药品注册管理办法》新增了 BTD 制度,以期加快新药开发,解决中国患者未满足的临床需求。截至 2024 年 12 月 31 日,我国国家药品监督管理局(National Medical Products Administration,NMPA)药品审评中心(Center for Drug Evaluation,CDE)和美国 FDA 分别有 294 和 614 个药品被纳入突破性治疗认定;其中,获批上市的药品分别为 58 和 335 个。有研究表明,BTD 制度的实施有望加快新药开发,解决中国未满足的临床需求[2]。但我国 BTD 制度在实施过程中呈现出一些不足,例如:欠缺非正式沟通交流机制、缺少药审机构主动指导规定[3];暂无从药物开发时长、关键临床试验特征等角度对中美已获批上市 BTD 药物的实施效果进行的比较研究。

鉴于此,本文通过对比分析中美上市新药中纳入 BTD 程序的药品数量、叠加其他加速程序的比例、药品类型分布、治疗领域分布、适应证分布、临床开发时长和审评时长以及关键临床试验特征,揭示中美 BTD 制度对药品研发上市与患者获益情况的实际影响,比较我国和美国 BTD 制度的实施效果与差距,分析我国 BTD 制度实施过程中存在的问题,并提出改进建议。

1 数据与方法

本文旨在分析自美国(2012 年)和中国(2020 年)BTD 制度实施之日起至 2024 年 12 月 31 日期间,美国和中国首次批准上市的 BTD 药品。BTD 认定上市药品信息来源分别为:中国来源于 CDE 发布的年度药品审评报告[4-8]、美国来源于药物评价与研究中心(Center for Drug Evaluation and Research,CDER)/生物制品审评办公室(Center for Biologics Evaluation and Research,CBER)发布的 BTD 药品累计批准报告[9-12]。数据收集渠道包括:我国 NMPA 官网公开的药品批件信息[13]、CDE 官网公开的中国上市药品技术审评报告[14]、美国 FDA 官网、Drugs@FDA 公开的美国上市药品技术审评报告[15]和期刊文献等,通过这些渠道查询并整理能够反映中美突破性治疗药物制度实施效果的数据,包括药品品种、适应证、其他加快上市注册程序纳入情况、临床试验申请时间、上市申请时间、批准上市时间、关键临床试验设计等信息。

在数据统计方面,按品种统计时,同一品种有多个规格的,按一个品种进行统计;按适应证统计时,同一品种有多个适应证的,区分适应证进行统计。治疗领域的划分依据参考了国际疾病分类(international classification of diseases,ICD)的分类体系[16]。研究中使用 Excel 进行数据整理,SPSS 进行统计分析,GraphPad Prism 绘制图表。具体研究数据纳入情况见图 1 和图 2。

2 结果与分析

2.1 历年申请、认定和获批 BTD 药品数量 自美国 FDA 实施 BTD 制度以来,截至 2024 年 12 月 31 日,CDER 和 CBER 累计收到 1 557 份 BTD 认定申请,其中 614 个药品被授予 BTD 认定,335 个药品已批准上市。BTD 认定率约为 39.4%,认定获批率约为 54.6%。美国 FDA 获得的 BTD 申请数量和授予的 BTD 认定数量在 2019 年达到高峰,之后有所下降,但在 2023 和 2024 年有所回升。然而,美国 FDA 批准上市的 BTD 药品数量相对稳定,没有显著波动(见图 3)。

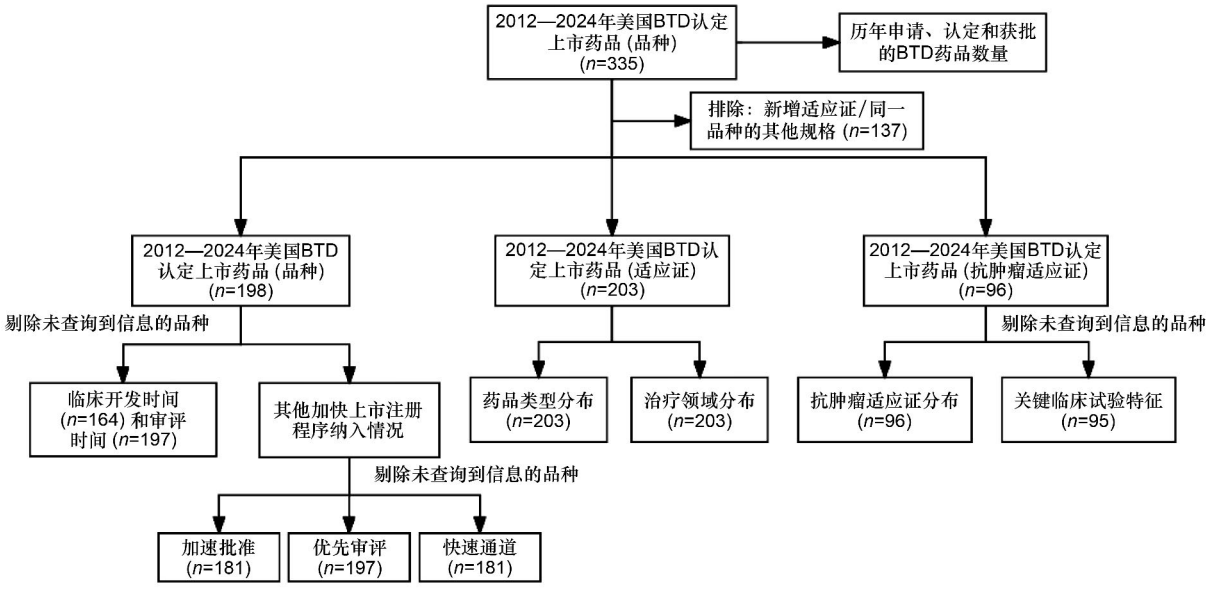


图 1　美国研究数据纳入情况

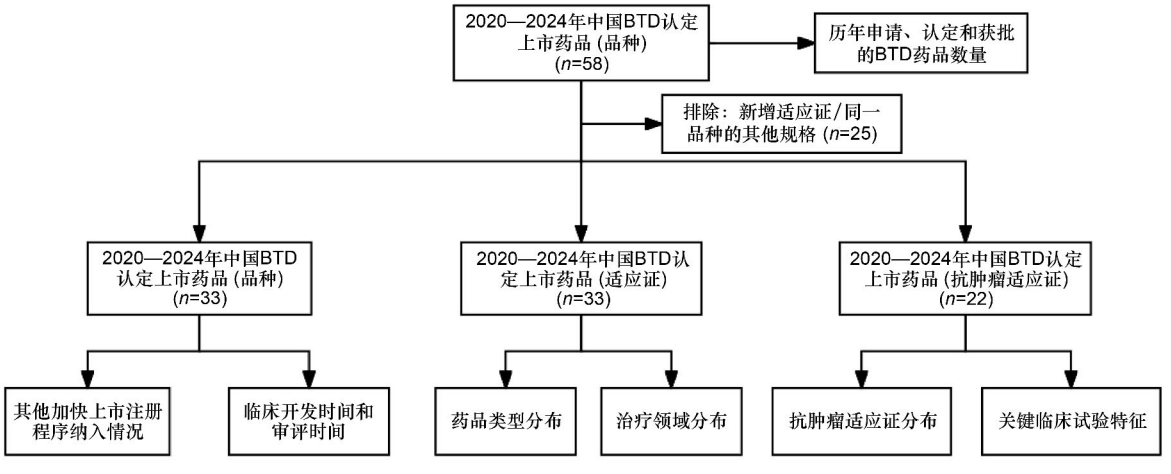


图 2　中国研究数据纳入情况

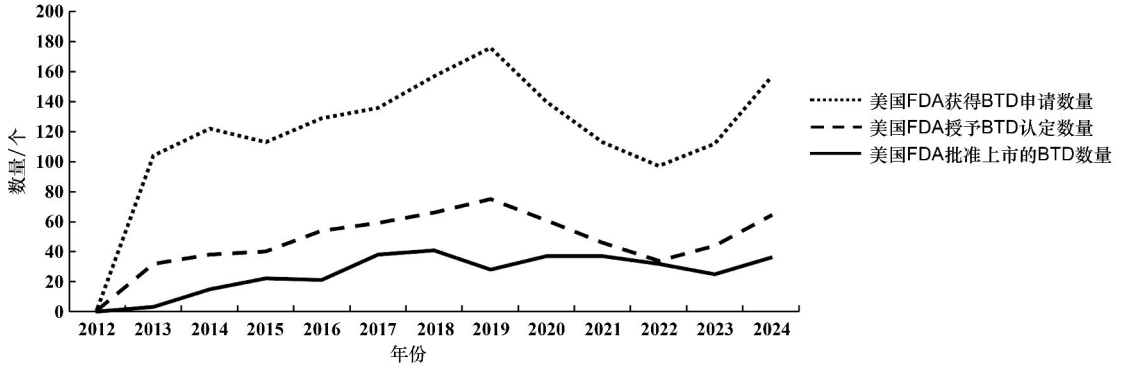


图 3　2012—2024 年美国 FDA 的 BTD 申请、认定、获批数量趋势图

相比之下，自中国 NMPA 实施 BTD 制度以来，截至 2024 年 12 月 31 日，中国 NMPA 累计收到 1 233 份 BTD 认定申请，其中 294 个药品被授予 BTD 认定，58 个药品已批准上市。BTD 认定率约为 23.8%，认

定获批率约为 19.7%。中国 NMPA 获得的 BTD 申请数量在 2021 年有所下降,其余年份均呈增长态势。中国 NMPA 授予的 BTD 认定数量和批准上市的 BTD 数量逐年递增,但增速较缓慢(见图 4)。

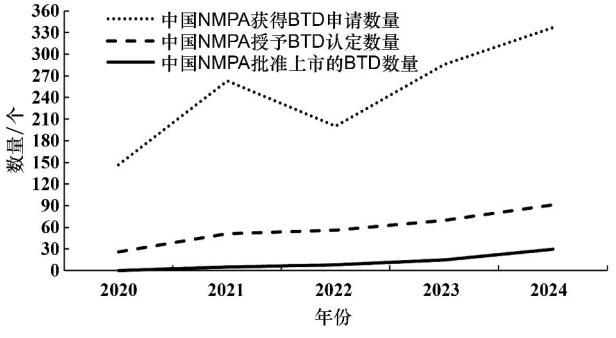
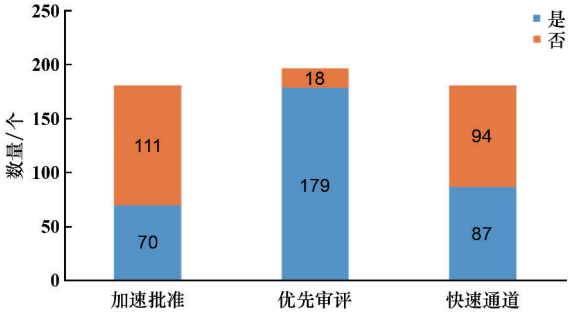


图 4 2020—2024 年中国 NMPA BTD 申请、认定、获批数量趋势图

我国 BTD 认定率(23.8% *vs* 39.4%)和认定获批率(19.7% *vs* 54.6%)均显著低于美国,说明我国相关申请的针对性不足,与政策的契合度有待提升。这与政策实施时间较短以及政策细化内容的深度不足有关。相比之下,美国 FDA 要求审评人员主动识别符合 BTD 标准的药物,并强调由有经验的审评人员参与会议及保持非正式会议之外的意见交流,以推动 BTD 认定和加速上市进程。目前,我国尚未出台类似措施[17]。

2.2 叠加其他加快上市注册程序的情况 研究显示,中美两国 BTD 认定药品叠加其他加快上市程序的比例存在显著差异。美国叠加优先审评的比例最高,为 91%,快速通道认定占比 48%,加速批准(相当于我国的附条件批准)占比 39%(见图 5)。



17 个品种未查询到加速批准/快速通道的纳入情况;1 个品种未查询到优先审评的纳入情况;占比按照实际统计到的信息计算

图 5 美国 BTD 认定获批药品叠加加快上市注册程序情况

我国叠加优先审评的比例同样最高,为 97%,附条件批准占比 55%(见图 6)。与美国相比,我国 BTD 认定药品叠加优先审评(97% *vs* 91%)和附条件批准(55% *vs* 39%)的比例更高。

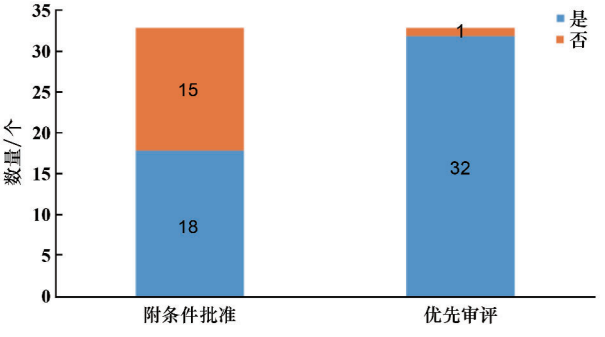


图 6 中国 BTD 认定获批药品叠加加快上市注册程序情况

2.3 药品类型分布 自中国和美国分别实施 BTD 制度以来,美国累计批准上市 203 个 BTD 认定适应证,其中化学药共计 110 个(占比 54.2%),生物制品共计 93 个(占比 45.8%);中国累计批准上市 33 个 BTD 认定适应证,其中化药共计 18 个(占比 54.5%),生物制品共计 15 个(占比 45.5%),见图 7。可见,中美获批上市的 BTD 中化学药和生物制品比例相当。

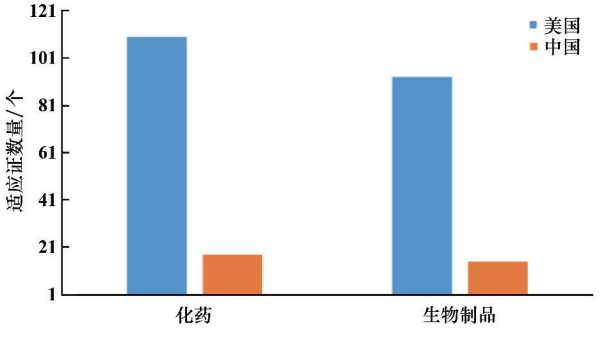


图 7 2012—2024 年中美 BTD 认定获批适应证数量分布

2.4 治疗领域分布 美国 BTD 认定获批上市的药品中,抗肿瘤药的占比最高,达到了 47.3%;其余按治疗领域占比从高到低依次为代谢疾病(占比 9.9%)、感染性疾病(占比 9.9%)、血液系统疾病(占比 5.9%)、免疫系统疾病(占比 5.4%)、神经系统疾病(占比 4.9%)、呼吸系统疾病(占比 3.4%)、

消化系统疾病(占比 3.4%)、皮肤疾病(占比 2%)、精神障碍疾病(占比 1.5%)、内分泌疾病(占比 1.5%)、视觉系统疾病(占比 1.5%)、循环系统疾病(占比 1%),见图 8。

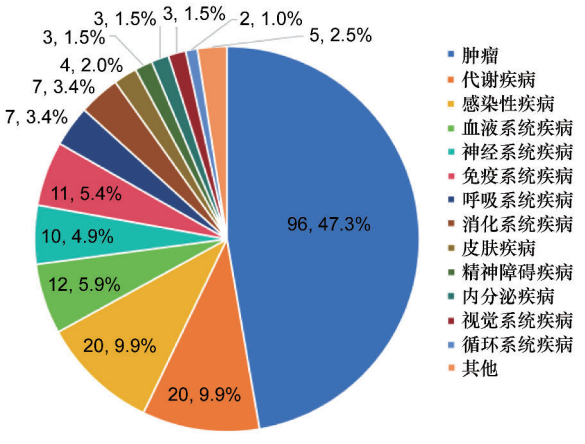


图 8 美国 BTD 认定获批上市药品治疗领域分布

中国 BTD 认定获批上市的药品中,抗肿瘤药的占比同样最高,达到了 67%;其余按照治疗领域占比从高到低依次为皮肤疾病(占比 9%)、血液系统疾病(占比 6%)、精神障碍疾病(占比 6%)、泌尿系统疾病、感染性疾病、神经系统疾病、循环系统疾病,各占 3%,见图 9。

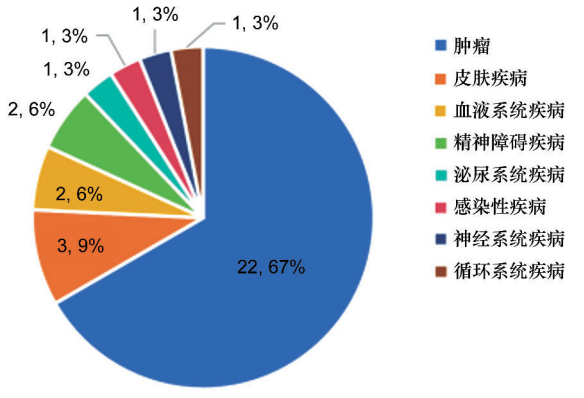


图 9 中国 BTD 认定获批上市药品治疗领域分布

从图 8 和图 9 可见,相较于美国,我国 BTD 认定获批上市的药品中,抗肿瘤药占比更高(67% *vs* 47.3%),治疗领域分布范围更集中,治疗领域的分布能够在一定程度上体现中美两国新药研发的热点方向,以及当前尚未满足的临床需求。

2.5 抗肿瘤适应证分布 美国 BTD 认定获批上市的肿瘤药中,非小细胞肺癌占比最高;其余按照适应证占比从高到低依次为淋巴瘤、白血病、乳腺癌、多发性骨髓瘤、尿路上皮癌、胆管癌、黑色素瘤、低级别胶质瘤、甲状腺髓样癌、甲状腺癌、胃肠间质瘤、卵巢癌、广泛期小细胞肺癌、鼻咽癌、膀胱癌、神经母细胞瘤等,见图 10。

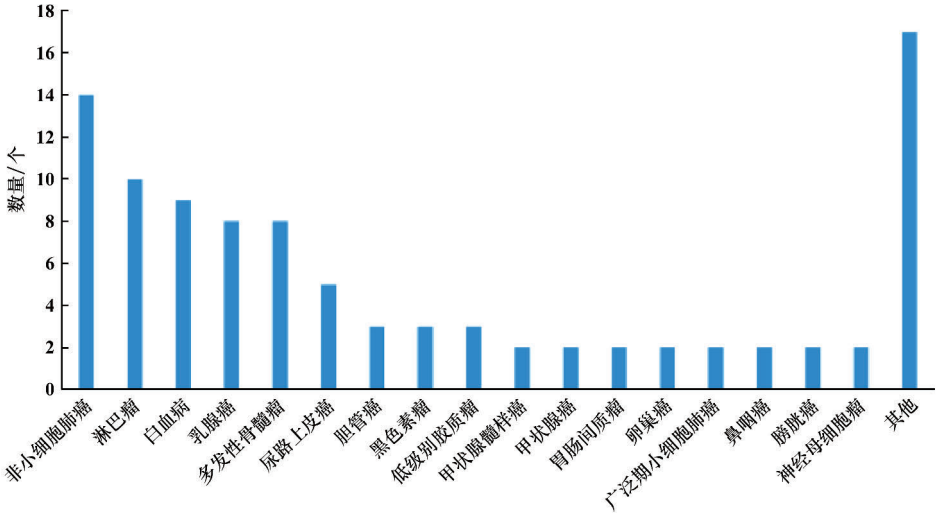


图 10 美国 BTD 认定获批上市肿瘤药适应证分布

中国 BTD 认定获批上市的肿瘤药中,非小细胞肺癌占比同样最高;其余按照适应证占比从高到低依次为多发性骨髓瘤、乳腺癌、宫颈癌、淋巴瘤、前列腺癌和白血病,见图 11。

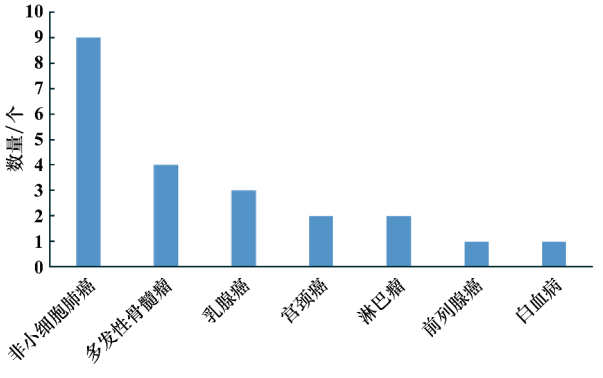


图 11 中国 BTD 认定获批上市肿瘤药适应证分布

从图 10 和图 11 可见，中美两国在 BTD 获批的肿瘤药物中，非小细胞肺癌均占比最高（40.9% *vs* 14.6%）。然而，两国在其他适应证的分布上存在差异：美国以淋巴瘤、白血病、乳腺癌、多发性骨髓瘤为主，并涵盖更多罕见或高致死率癌种（如胆管癌、黑色素瘤、神经母细胞瘤等）；而中国则更侧重多发性骨髓瘤、乳腺癌、宫颈癌和淋巴瘤，并纳入地域或性别高发癌种（如宫颈癌、前列腺癌）。

2.6 中美 BTD 药物临床开发时间和审评时间 数据显示，相较于美国，我国 BTD 药物的上市前临床开发时间中位数更短（3.03 年 *vs* 6.51 年；$P < 0.001$），而审评时间更长（364 d *vs* 240 d；$P < 0.001$），见图 12。

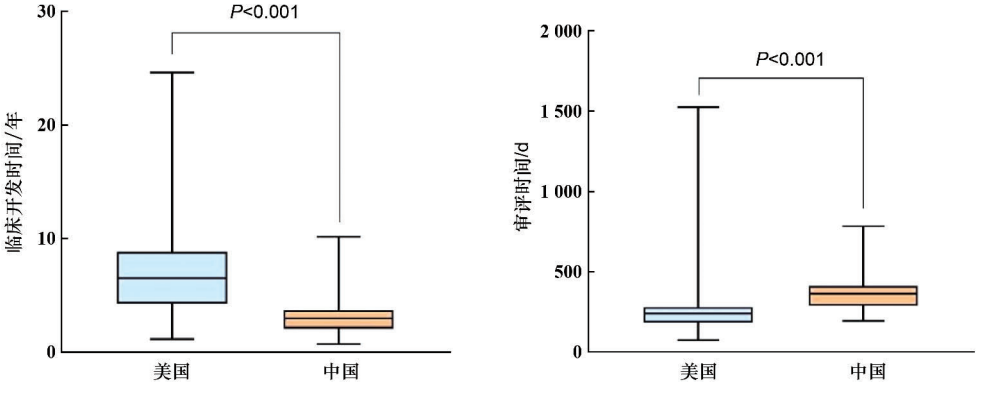


图 12 中美已上市 BTD 药品的临床开发时间和审评时间

然而，这并不意味着我国 BTD 药物的总开发时间更短。一方面，相较于美国，我国获得附条件批准的 BTD 药物比例较大（55% *vs* 39%），而附条件批准的药物，其研发工作在获得批准时如果尚未结束，中国 NMPA 会要求企业开展上市后确证试验[18]。因此所谓的“临床开发时间较短”主要是指上市前的临床开发时间中位数较短；另一方面，进口药物在我国 BTD 认定药物中占比高达 42.4%，而进口药物在中国提交新药申请时，可能已经在其原产国完成了Ⅰ期或Ⅱ期临床试验，或者基于全球范围内的随机对照试验（randomized controlled trial，RCT）和中国本地的单臂试验获得附条件批准，并承诺进行后续研究[19]。这些因素共同导致了进口药物在中国开展临床试验所需的时间较短，从而缩短我国 BTD 药物上市前临床开发时间的中位数。

对于审评时间而言，美国 FDA 在临床试验阶段的指导力度更大，而且在上市申请前（pre-new drug application，pre-NDA）会议中的沟通内容更细致（包括申请的格式和内容）[20]，从而确保了申报资料的完整性，降低了因数据不充分而导致的发补几率，这些因素可能是导致我国在审评时间方面与美国产生差距的原因（中美 BTD 药物审评中位时间为 364 d *vs* 240 d）。

2.7 中美 BTD 抗肿瘤适应证关键临床试验特征 本研究分析了美国 95 个抗肿瘤适应证（110 个关键临床试验）和中国 22 个抗肿瘤适应证（22 个关键临床试验）的数据。结果显示，两国临床试验入组患者规模相近，美国中位数为 106 例（IQR 69-184），中国为 101 例（IQR 77-196）。试验阶段分布上，中国的试验集中于Ⅱ期（77.3%），无Ⅰ期临床试验，而美国以Ⅱ期（67.3%）和Ⅲ期（27.3%）为主，且有少量Ⅰ期临床试验（5.4%）。

试验设计方面，尽管两国均以非随机、开放试验为主，但美国随机对照试验比例（30%）高于中国（22.7%）。中国试验单臂设计比例（77.3%）显著高于美国（63.6%），且无 3 臂以上试验。联合用药

策略在美国的采用率(20%)也高于中国(13.6%)。主要疗效终点选择上,中国 68.2% 的试验单独使用客观缓解率(objective response rate,ORR),而美国则以 ORR(31.8%)和 ORR& 缓解持续时间(duration of response,DOR)联合指标(33.6%)为主,且包含总生存期(overall survival,OS)(4.5%)、无进展生存期(progression-free survival,PFS)(13.6%)等长期疗效指标,呈现多样性。中国的试验未见 ORR & DOR 组合应用及单独使用 OS 作为主要终点的情况。

综上所述,与美国相比,中国抗肿瘤临床试验更倾向于单臂、非随机、开放标签设计,并以 ORR 作为核心评价指标;而美国的试验设计则更为多元,尤其在随机对照、多臂试验以及长期疗效终点(如 OS 和 PFS)的应用上,见表 1。

表 1 中美获批上市的 BTD 抗肿瘤适应证的关键临床试验设计 n(%)

项目	美国	中国
入组患者 M(IQR)/例	106(69,184)	101(77,196)
临床试验阶段		
Ⅰ期	6(5.4)	0(0)
Ⅱ期	74(67.3)	17(77.3)
Ⅲ期	30(27.3)	5(22.7)
试验设计		
随机对照试验	33(30)	5(22.7)
非随机对照试验	77(70)	17(77.3)
盲法类型		
开放	95(86.4)	20(90.9)
双盲	15(13.6)	2(9.1)
临床试验臂数		
1 臂	70(63.6)	17(77.3)
2 臂	37(33.6)	5(22.7)
≥3 臂	3(2.7)	0(0.0)
是否为联合用药		
是	22(20)	3(13.6)
否	88(80)	19(86.4)
主要疗效终点		
OS	5(4.5)	0(0.0)
PFS	15(13.6)	4(18.2)
ORR	35(31.8)	15(68.2)
CR	2(1.8)	1(4.5)
OS & PFS	1(0.9)	1(4.5)
ORR & DOR	37(33.6)	0(0.0)
CR & DOR	2(1.8)	0(0.0)
PFS & ORR	1(0.9)	0(0.0)
CR/CRh	3(2.7)	0(0.0)
CR/CRc	1(0.9)	0(0.0)
其他	8(7.3)	1(4.5)

CR:完全缓解;CRh:完全缓解伴部分血液学恢复;CRc:临床完全缓解伴最小残留皮肤异常

3 讨论与建议

3.1 中美突破性治疗药物制度实施效果的差异比较与问题分析 中美两国在 BTD 药物的研发和审评方面存在显著差异。尽管两国 BTD 认定申请数量总体均呈增长趋势,但我国在 BTD 认定率和认定获批率均显著低于美国,这可能与我国申请质量参差不齐[21]、政策细化程度不足等因素有关。两国化学药和生物制品获批比例相当,但我国至今未有 BTD 中药获批,反映中药创新领域的潜在短板。在抗肿瘤药物的临床试验设计上,我国更倾向于单臂、非随机、开放标签设计,并以 ORR 作为核心评价指标,这一策略虽可通过缩短数据观察周期加速药物附条件批准上市,但因缺乏对照组和长期随访数据,可能影响对 OS 等长期临床获益的评估,需通过上市后确证性试验进一步验证药物的有效性和安全性[22]。相比之下,美国的试验设计更为丰富和多元,尤其体现在随机对照、多臂试验以及长期疗效终点(如 OS 和 PFS)的应用上[23-24]。此外,相较于美国,我国 BTD 药物上市前临床开发时间更短,主要源于附条件批准药物比例高及进口药物占比高;但我国审评时间更长,反映了两国药品监管机构在临床试验指导力度上的差异。

3.2 完善我国突破性治疗药物制度的建议 为完善我国 BTD 制度,建议我国药品监管机构借鉴美国经验,制定专属的 BTD 审评管理规范,明确审评人员分工、协作及内外沟通机制,为申请人与审评人员提供明确的政策指引。其次,充分发挥审评人员在 BTD 认定和管理中的主导作用,赋予审评人员基于已有数据(如临床试验结果、非临床研究等)主动识别符合 BTD 标准的药物;还需配备有经验的审评人员,设立专门的跨学科项目团队,为 BTD 药物的研发提供更全面、深入的指导[25],确保申报资料的完整性,进而提高研发及审评效率[1,26]。同时,加强 BTD 认定药品叠加附条件批准上市后的监管,并推动 BTD 中药申报与审批[27-28]。此外,医药企业应加强对注册和研发团队的 BTD 法规和技能培训,确保提交准确、完整的申请,从而提高认定率和批准上市率,满足患者临床需求。

[参 考 文 献]

[1] 袁利佳, 汪小燕, 杨志敏, 等. 突破性治疗药物程序在药品注册体系中的作用及展望[J]. 中国药事, 2022, 36(9): 973-983.

[2] LUO XX, QIAN F, YANG LN, *et al*. Assessment of the breakthrough-therapy-designated drugs granted in China: a pooled a-

nalysis 2020 – 2022[J]. *Drug Discov Today*, 2022, 27(12): 103370.
[3] 胡一琳, 赵晓佩, 马美英, 等. 美国突破性治疗(BTD)程序实施对我国的启示[J]. 卫生软科学, 2023, 37(12): 85 – 88.
[4] 国家药品监督管理局. 2020 年度药品审评报告[EB/OL]. (2021 – 06 – 21)[2025 – 04 – 19]. https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/20210621142436183.html.
[5] 国家药品监督管理局. 2021 年度药品审评报告[EB/OL]. (2022 – 06 – 01)[2025 – 04 – 19]. https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/20220601110541120.html.
[6] 国家药品监督管理局. 2022 年度药品审评报告[EB/OL]. (2023 – 09 – 06)[2025 – 04 – 19]. https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/20230906163722146.html.
[7] 国家药品监督管理局. 2023 年度药品审评报告[EB/OL]. (2024 – 02 – 04)[2025 – 04 – 19]. https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/20240204154334141.html.
[8] 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]. (2025 – 03 – 18)[2025 – 04 – 19]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/54538c67b7e764fc51666567fc620241.
[9] Center for Drug Evaluation and Research. Breakthrough Therapy Approvals[EB/OL]. (2025 – 01 – 13)[2025 – 04 – 19]. https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/breakthrough-therapy-approvals.
[10] Center for Biologics Evaluation and Research. CBER Approvals for Breakthrough Therapy Designated Drugs[EB/OL]. (2025 – 02 – 14)[2025 – 04 – 19]. https://www.fda.gov/regulatory-information/food-and-drug-administration-safety-and-innovation-act-fdasia/cber-approvals-breakthrough-therapy-designated-drugs.
[11] Center for Drug Evaluation and Research. Breakthrough Therapy Designation Requests[EB/OL]. (2025 – 01 – 13)[2025 – 04 – 19]. https://www.fda.gov/drugs/ind-activity/breakthrough-therapy-designation-requests.
[12] Center for Biologics Evaluation and Research. CBER Breakthrough Therapy Designation Requests[EB/OL]. (2025 – 02 – 14)[2025 – 04 – 19]. https://www.fda.gov/regulatory-information/food-and-drug-administration-safety-and-innovation-act-fdasia/cber-breakthrough-therapy-designation-requests.
[13] 国家药品监督管理局政务服务门户. 药品批件发布信息[EB/OL]. (2024 – 12 – 31)[2025 – 04 – 19]. https://www.nmpa.gov.cn/zwfw/zwfwpjfbzs/pjfbzsyp/index.html.
[14] 国家药品监督管理局药品审评中心. 上市药品信息[EB/OL]. (2024 – 12 – 31)[2025 – 04 – 19]. https://www.cde.org.cn/main/xxgk/listpage/9f9c74c73e0f8f56a8bfbc646055026d.
[15] Food and Drug Administration. Drugs@FDA: FDA-Approved Drugs[EB/OL]. (2024 – 12 – 31)[2025 – 04 – 19]. https://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm.
[16] World Health Organization. International Classification of Diseases 11th Revision[EB/OL]. (2024 – 12 – 31)[2025 – 04 – 19]. https://icd.who.int/en/.
[17] 党子悦, 郭冬梅. 我国药品加快上市注册程序的注册情况分析[J]. 中国药事, 2023, 37(7): 735 – 742.
[18] SHEA M, OSTERMANN L, HOHMAN R, *et al*. Impact of breakthrough therapy designation on cancer drug development[J]. *Nat Rev Drug Discov*, 2016, 15: 152.
[19] LUO XX, DU X, LV XF, *et al*. Clinical benefit, price, and regulatory approval of cancer drugs granted breakthrough therapy designation in China, 2020 – 2024[J]. *JAMA Netw Open*, 2024, 7(10): e2439080.
[20] 王婧璨, 温宝书, 陈成立. 美国新药临床试验期间沟通交流机制简介与思考[J]. 中国新药杂志, 2020, 29(11): 1222 – 1226.
[21] 邹丽敏, 杜瑜, 齐玥丽, 等. 抗肿瘤新药突破性治疗药物认定的标准及考虑[J]. 中国临床药理学杂志, 2021, 37(11): 1471 – 1475.
[22] 宋茵茵, 徐文峰, 胡欣, 等. 我国附条件批准上市抗肿瘤药物探讨[J]. 中国药业, 2022, 31(19): 12 – 18.
[23] 孙一卜, 郝恣若, 陈玉文. 中国临床试验数据被国际接受的难点及对策[J]. 中国新药杂志, 2025, 34(23): 2486 – 2489.
[24] 广东省药学会, 李晓彦, 邹燕琴, 等. 药物临床试验伦理审查·广东共识(2025 年版)[J]. 今日药学, 2025, 35(11): 801 – 805.
[25] 江旻, 刘晓红, 房虹, 等. 药物直达临床试验参与者模式在临床试验中实施的专家共识[J]. 中国新药杂志, 2025, 34(21): 2306 – 2315.
[26] 袁林, 邵明立. 美国突破性治疗及其对我国新药审评的启示[J]. 中国新药杂志, 2017, 26(1): 1 – 6.
[27] 吴晨悦, 韩炜, 曲建博, 等. 2020 年以来中药创新药批准上市情况分析及思考[J]. 中国新药杂志, 2025, 34(22): 2358 – 2365.
[28] 孙青山, 姚佳, 李锴诺. 中药专利申请中的实验数据审查问题研究[J]. 中国新药杂志, 2025, 34(22): 2372 – 2377.

编辑:蒋欣欣/接受日期:2025 – 07 – 06