·新药述评与论坛·

中国附条件批准药品说明书编制与管理

赵技宇,田丽娟*
(沈阳药科大学,沈阳 110016)

[摘要] **目的:**为加强中国附条件批准药品说明书的编制与管理、提升说明书对临床合理用药的指导价值提供建议与参考。**方法:**综合运用政策法规梳理、现状与问题分析、国际经验借鉴等方法,系统梳理中国附条件批准药品说明书的相关政策法规,深入剖析当前该类药品说明书在撰写规范、信息更新、传递效率等方面存在的核心问题,再对比借鉴美国与欧盟体系的成熟经验,进而形成我国加强该类药品说明书管理的具体建议。**结果:**通过上述研究,明确了我国附条件批准药品说明书在法规政策体系、信息更新与传递机制上的短板及可借鉴的国际经验,提出了涵盖专项技术规范、更新约束机制、信息传递体系、数字化监管平台的系统性解决方案。**结论:**通过完善附条件批准药品说明书的编制与管理机制,能够有效应对该类药品的证据局限性,提升说明书对临床用药的指导价值,为保障患者用药安全与提高治疗有效性提供有力支撑,推动附条件批准药品全生命周期管理水平的提升,同时助力我国药品审评审批制度改革深化与医药产业高质量发展。

[关键词] 附条件批准;药品说明书;政策法规;国际经验
[中图分类号] R95 [文献标志码] A [文章编号] 1003-3734(2026)13-1358-05

Preparation and management of conditional approval drug package inserts in China

ZHAO Ji-yu, TIAN Li-juan*
(*Shenyang Pharmaceutical University*, *Shenyang* 110016, *China*)

[**Abstract**] **Objective**: To provide suggestions and references for strengthening the preparation and management of labeling for conditionally approved drugs in China and for enhancing their guiding value for rational clinical drug use. **Methods**: A comprehensive approach integrating policy and regulation review, current situation and problem analysis, and international experience reference was adopted. We systematically reviewed the relevant policies and regulations on labeling for conditionally approved drugs in China, conducted an in-depth analysis of the core problems existing in the writing specifications, information updates and communiation efficiency of such labeling, and then formulated specific recommendations for improving the management of labeling for conditionally approved drugs in China by drawing on the mature experience of the United States and the European Union systems. **Results**: Through the above research, we identified the gaps in China's regulatory policy system and in the information update and communication mechanisms for labeling of conditionally approved drugs, as well as international experience that can be used for reference, and proposed systematic solutions covering dedicated technical specifications, update constraint mechanisms, information communication systems and digital regulatory platforms. **Conclusion**: By improving the preparation and management mechanism of labeling for conditionally approved drugs, we can effectively address the evidence limitations of such drugs, enhance the guiding value of labeling for clinical drug use, provide strong

[基金项目] 辽宁省教育厅基本科研资助项目(LJ142510163002)
[作者简介] 赵技宇,女,硕士研究生,研究方向:药事法规与药物政策。E-mail: 47085332@qq.com。
[通讯作者] *田丽娟,女,副教授,硕士生导师,研究方向:药事法规与药物政策、合理用药研究。E-mail: tianlijuan_8@126.com。
[DOI]10.20251/j.cnki.1003-3734.2026.13.003

support for ensuring patient medication safety and improving treatment effectiveness, promote the improvement of the lifecycle management level of conditionally approved drugs, and at the same time facilitate the deepening of the reform of China's drug review and approval system and the high-quality development of the pharmaceutical industry.

[**Key words**] conditional approval; drug instructions; policies and regulations; international experience

药品说明书是传递药品信息的核心载体,既是医务人员的处方依据,也是患者合理用药的重要参考,其编制与管理对医药市场发展和公共健康保障至关重要。

附条件批准药品是基于早期数据、针对危重或公共卫生急需领域提前获批的药品,仍需后续临床数据验证安全性与有效性,其说明书管理面临更复杂的挑战,制度设计与监管策略需兼顾其独特性,保障信息及时更新与传递。

随着我国药品监管体系的完善,附条件批准药品的临床应用日趋广泛,规范其说明书编制、建立高效管理机制,对保障药品全生命周期安全、促进医药创新与可及性意义重大。当前我国该类药品说明书仍存在内容简略、科学性不足、患者友好性欠佳等问题。在药品全球化背景下,借鉴国际经验探索符合国情的管理模式,已成为行业与监管机构的迫切任务。本研究旨在构建适配的管理路径,为完善药品说明书监管体系、保障公众用药安全提供参考。

1 中国附条件批准药品说明书管理

1.1 附条件批准药品说明书管理相关政策法规

针对附条件批准药品的特殊性,国家药品监督管理局(National Medical Products Administration, NMPA)及国家药品监督管理局药品审评中心(Center for Drug Evaluation, CDE)已逐步构建专项管理法规政策体系,明确说明书编制、标注及更新要求(见表1)。核心法规政策包括2020年实施的《药品注册管理办法》,其中明确要求附条件批准药品的说明书需标注"附条件批准"专用标识,并载明上市后研究要求与完成时限;还有CDE同步发布的《药品附条件批准上市技术指导原则(试行)》进一步细化技术标准,规定说明书需在【适应证】【临床试验】等核心章节注明批准依据,并提示有效性与安全性数据的待补充状态。

表1 我国附条件批准药品相关法规政策梳理

发布时间	发布主体	法规名称	关于说明书管理的核心内容
2019.08.26	全国人大常委会	《药品管理法》[1]	明确药品生产企业需确保说明书真实、全面、准确,无虚假内容,奠定说明书信息真实性的法律基础
2020.11.19	CDE	《药品附条件批准上市技术指导原则(试行)》(2020年第41号)[2]	说明书的【适应证/功能主治】和【临床试验】须写明:本品基于替代终点/中间临床终点/早期临床数据获附条件批准,尚无临床终点数据,有效性与安全性待上市后进一步确证;【批准文号】标注"附条件批准上市"
2022.05.23	CDE	《化学药品及生物制品说明书通用格式和撰写指南》(2022年第28号)[3]	延续附条件批准品种说明书标注要求,明确需注明附条件批准依据、数据现状及上市后确证要求
2025.07.08	国家药品监督管理局综合司	《药品附条件批准上市申请审评审批工作程序(试行)(修订稿征求意见稿)》[4]	虽未直接新增说明书要求,但通过规范临床试验、上市后研究等全流程,间接推动说明书依据全生命周期数据更新,确保信息时效性

在法规体系建设方面,针对当前附条件批准药品的说明书管理尚不完善。作为上位法《药品管理法》及配套的《药品管理法实施条例》,未针对附条件批准药品的说明书管理作出专项管理条款,仅提出说明书"真实、准确、完整"的原则性要求;《药品说明书和标签管理规定》(2006年国家食品药品监督管理局令第24号)作为直接监管依据,因出台早于附条件批准制度,缺乏专用标识、风险提示、动态更新等特殊要求。

1.2 附条件批准药品说明书管理现状与问题

由于附条件批准的药品上市时限短、积累的临床试验和质量控制数据有限,当前我国附条件批准药品说明书的制定与管理仍面临多维度问题,具体体现在以下三方面。

1.2.1 执行层面缺乏系统性技术指引 现有监管实践多依赖通用政策框架,虽部分技术文件提出零散要求(如《化学药品及生物制品说明书通用格式和撰写指南》明确标注要求),但尚未出台聚焦附条

件批准药品研发阶段特殊性的系统性编制指南与审评原则。这种“通用框架 + 零散补充”的模式,导致说明书在初始制定环节缺乏精准操作标准,难以充分契合“获益-风险动态平衡”的核心管理需求,也使得监管审评缺乏统一、明确的技术依据。

1.2.2 上市后更新机制滞后 上市后安全性监测与再评价机制不完善[5],说明书内容更新滞后。附条件批准药品获批时临床数据尚不充分,长期安全性与特殊人群使用风险需在上市后进一步验证。但我国尚未建立成熟的上市后监管体系,缺乏配套的不良反应监测、上市后研究及风险管控机制,导致新发现的安全信息和补充的有效性数据难以及时纳入说明书,说明书在药品全生命周期管理中的作用有待强化。

1.2.3 信息传递效果欠佳 部分说明书对适用条件、风险提示、数据局限性等关键信息表述晦涩,缺乏通俗化解读,增加了医务人员快速获取信息的难度,也导致患者难以准确理解获益与风险。同时,缺乏有效的信息传递渠道与使用指导机制,医务人员与患者难以系统获取解读信息,进一步削弱了说明书的临床指导价值。

综上所述,亟需结合附条件批准药品的特点,尽快制定切实可行的说明书编制指南和管理规范,以指导和规范申请人的说明书编写,为监管部门的技术审评提供明确的遵循标准,从而保障附条件批准药品说明书的科学性、规范性和可读性,更好地指导临床合理用药。

2 美国、欧盟附条件批准药品的说明书管理

2.1 美国:“数据绑定 + 动态更新”机制

美国 FDA 针对加速批准药品(即附条件批准药品)建立了“说明书-研究-监管”三位一体管理体系[6-9]。① 说明书管理新增明确数据绑定与标注要求,【适应证与应用】部分需先以一句话清晰界定适应证,随后紧跟“应用限制与预期临床受益不确定性”的简明描述,并明确指向【临床研究】部分,示例表述为“本品适用于【具体疾病/人群】。该适应证系基于【替代终点/临床终点名称】,通过加速批准获得;改善【具体临床获益】尚未被证实。继续批准可能取决于【确证性试验】中对临床获益的验证”;医疗专业版说明书则在【警告与注意事项/临床研究】中设专段说明“继续批准的依据与条件”,内容涵盖确证性试验的目的、主要终点、预计完成时间或阶段性里程碑,以及“若未证实临床获益,批准可能被撤销”的明确提示,必要时需在【黑框警告】或其他显著位置同步风险提示,确保与【适应证与应用】中的限制表述前后呼应、形成闭环;② 研究管理作为体系核心,聚焦上市后确证性试验对临床获益的验证,试验结果直接关联药品批准状态,失败即触发批准撤销流程,形成“获批-验证-维持/撤销”闭环;③ 监管管理则重点构建风险沟通与电子化管理机制:一方面在现行法规框架下优化可读性,另一方面依托结构化产品标签(structured product labeling, SPL)与 DailyMed 平台实现说明书电子化发布,确保更新内容在 72 h 内完成审核并公示;同时采用机器可读的 SPL 与拆解元数据技术,提升检索、比对与再利用效率,并在专业版与患者版之间保持关键信息的一致性与可追溯性,便于医护人员与患者快速定位“适应证限制”“确证性试验状态”“风险与上报途径”等核心要素。

2.2 欧盟:“全生命周期 + 分层管理”体系

欧洲药品管理局(European Medicines Agency, EMA)秉持风险管理理念,依托《欧盟人用药品指令》2001/83/EC 与《欧盟理事会条例第 726/2004 号》搭建起完善的法规框架[10-12]。在此体系下,欧洲 EMA 发挥统筹协调核心作用,推动跨部门紧密合作与高效联动,其中人用药品委员会(Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP)主导科学评估工作,药物警戒风险评估委员会(Pharmacovigilance Risk Assessment Committee, PRAC)专注于风险管控,成员国主管机构(national competent authorities, NCAs)发挥区域执行优势,衔接本地用药需求,上市许可持有人(marketing authorisation holder, MAH)履行主体责任,推动说明书内容落地与动态调整;各主体通过明确分工与高效协同,共同对药品说明书实施贯穿全生命周期的闭环管理。在附条件批准路径中,这一闭环管理体系进一步细化,产品信息[涵盖药品特性概要(summary of product characteristics, SmPC)和包装说明书(package leaflet, PL)]于上市前便围绕已确证的获益-风险情况纳入审评范畴,并通过风险管理计划(risk management plan, RMP)明确“缺失信息/研究假设”,设定特定义务并实施加强监测;上市后则依据新获取的证据动态更新说明书,具体变更需经 PRAC→CHMP 程序提出并落实,若情况需要,由欧盟委员会(European Commission)作出暂停或撤销产品的决定。

说明书内容遵循“三层信息”逻辑进行分层纳

入与呈现。① 将经过审评确认、对用药决策具有关键影响的“确证信息”(如适应证、用法用量)强制写入 SmPC/PL;② 对于需要进一步证据支撑的“待验证信息”(如特定人群剂量),通过 RMP 中的“缺失信息/研究假设”、上市后安全性研究目标(post-authorisation safety study,PASS)以及欧洲公共评估报告(european public assessment report,EPAR)中的“限制/不确定性”表述进行动态反映,待证据成熟后升级为确证信息;③ 针对“潜在风险”(发生率不明或不确定性较高的情况),在 RMP 中进行识别并规划监测措施,同时在 SmPC/PL 中标注“需密切监测”等提示语并将不良反应上报途径予以公开,必要时配合采取风险最小化措施。对于加强监测的品种,PL/SmPC 会展示黑色倒三角形及提示语,以强化医患报告意识;相关提示的纳入与移除由 PRAC 评估后,经既定程序更新至产品信息。

这样以“RMP-信号-建议-变更-再评估”为主线,与 RMP、PASS、PRAC→CHMP 建议以及产品信息变更机制紧密衔接,构建起一套科学、规范且动态的说明书分层管理与更新体系,进一步巩固了跨部门协同下药品全生命周期管理的有效性与严谨性。

3 加强我国附条件批准药品说明书管理的对策建议

3.1 健全我国附条件批准药品说明书管理法规体系

结合欧美经验,针对我国附条件批准药品说明书管理依赖通用文件、特殊性技术规范不足的问题,首先应系统性完善法规制度。核心在于修订《药品说明书和标签管理规定》这一基础性规章,增设“附条件批准药品说明书管理”专章,明确其法律地位与管理边界。同时,废止或整合零散的技术文件,出台统一的《附条件批准药品说明书编制与审评技术指南》,将附条件批准的核心特性(如基于替代终点或早期数据)全面融入说明书的编制要求中,从根本上解决“通用框架 + 零散补充”导致的适配性难题。

3.2 强化数据关联机制,明确动态更新义务

借鉴欧美将说明书与上市后研究深度挂钩的经验,建立“说明书-研究-监管”三位一体的强关联机制。在法规中强制要求,说明书【适应证】章节必须清晰标注批准所依据的替代终点或早期数据,并明确列出需完成的上市后确证性研究清单及时限。更关键的是,将“说明书更新”与“上市后研究进度”进行刚性绑定,规定企业需定期提交研究进展报告,并同步更新说明书中【临床试验】【注意事项】等章节的相关内容;对于研究失败或未按时完成的情况,必须在说明书中显著提示风险,监管部门可依据此启动审批撤销程序。将说明书更新与不良反应监测、上市后研究进度刚性挂钩,规定企业需定期提交风险监测数据与研究进展报告,新发现的安全性信息、有效性补充数据需在规定时限内纳入说明书修订;针对研究未按时完成或数据提示风险升高的情况,强制要求在说明书显著位置更新风险提示,监管部门可依据监测数据启动说明书修订督导或审批调整程序,确保说明书能实时反映药品全生命周期的获益-风险变化。

3.3 规范信息呈现与风险沟通,提升说明书临床价值

为兼顾信息的专业性与可读性,法规需对说明书的信息分层与呈现方式作出明确规范。可参考欧盟的分层逻辑,引导企业在说明书中对“确证信息”“待验证信息”和“潜在风险”进行清晰划分与视觉区分,帮助医护人员和患者快速识别信息的确定性。同时,细化可读性要求,鼓励采用通俗化表述,并建立包含患者代表在内的评审机制。此外,可借鉴美国 FDA 的做法,在法规中要求企业同步编制面向医务人员的“核心信息摘要”和面向患者的“用药指导”,作为说明书的补充材料,打通专业与公众间的风险沟通壁垒。同时,借鉴电子说明书相关实践[13],明确要求在说明书显著位置附带二维码或条形码,方便患者随时扫描查看最新版本,具体可参照《药品说明书(简化版)及药品说明书(大字版)编写指南》《电子药品说明书(完整版)格式要求》[14]中关于电子信息呈现的规范,确保患者能实时获取药品最新信息,充分发挥说明书在临床合理用药中的指导作用。

3.4 强化监管能力,打造“数字化 + 全生命周期”监管平台

一是建设动态监管数据库:整合药品年度报告系统[15]、不良反应监测系统数据,构建“附条件批准药品说明书管理平台”,实现“研究数据上传-说明书更新申请-监管审核-信息公示”全流程信息化。平台需设置“智能预警模块”,当企业未按计划提交确证性试验数据、超期未更新说明书时,自动向监管人员推送预警信息(如短信、系统弹窗),同时生成“企业违规记录”,纳入药品安全信用档案。例如:某企业若逾期 30 d 未提交说明书修订申请,平台可自动限制其后续药品注册申请权限,直至完成整改。

4 总结

附条件批准制度作为平衡药品可及性与安全性

的关键制度设计,其核心价值的实现高度依赖于科学规范的药品说明书管理[16]。本文通过系统梳理我国附条件批准药品说明书管理的现实挑战,剖析美国 FDA“数据绑定 + 动态更新”与欧盟 EMA“全生命周期 + 分层管理”的成熟机制,揭示出说明书管理需围绕“风险透明化、信息动态化、沟通精准化”三大核心展开。我国当前在附条件批准药品说明书领域存在的制度缺失、更新滞后与信息传递低效等问题,本质上是“快速上市”与“全生命周期监管”衔接不畅的体现,亟需以制度创新构建适配其特性的管理体系。

药品说明书作为指导临床用药的法定文件,既是附条件批准药品风险与获益的“可视化载体”,也是监管部门、企业、医务人员与患者之间的“信任纽带”。唯有通过制度完善、技术赋能与多方协同,才能让附条件批准药品说明书真正发挥“科学指引、风险预警、信息沟通”的核心作用,最终实现“提升患者用药可及”与“保障用药安全有效”的双重目标,为我国药品审评审批制度改革的深化与医药产业高质量发展提供坚实支撑。

[参 考 文 献]

[1] 中华人民共和国国务院. 中华人民共和国药品管理法[EB/OL]. (2018 - 10 - 19)[2025 - 10 - 06]. http://www.npc.gov.cn/npc/c1773/c1848/c21114/c35494/c35497/201905/t20190521_293082.html.

[2] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《药品附条件批准上市技术指导原则(试行)》的通告(2020 年第 41 号)[EB/OL]. (2020 - 11 - 19)[2025 - 10 - 06]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/d1716db06f90c3adf134de337373b22c.

[3] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《化学药品及生物制品说明书通用格式和撰写指南》的通告(2022 年第 28 号)[EB/OL]. (2022 - 05 - 20)[2025 - 10 - 06]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/f181ed96619e3bef4ce8154bb66d91bb.

[4] 国家药品监督管理局药品审评中心, 综合司. 国家药监局药审中心关于再次公开征求《药品附条件批准上市申请审评审批工作程序(试行)(修订稿征求意见稿)》及政策解读意见的通告(2025 年第 28 号)[EB/OL]. (2025 - 07 - 08)[2025 - 10 - 06]. https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/zhqyj/zhqyjyp/20250708155742138.html.

[5] 赵婷婷, 赵建中, 王海学. 关于规范国内已上市药品说明书的几点思考[J]. 中国临床药理学杂志, 2020, 36(14): 2157 - 2160.

[6] FDA. Labeling for Human Prescription Drug and Biological Products Approved Under the Accelerated Approval Pathway[EB/OL]. (2019 - 01)[2025 - 10 - 06]. https://www.fda.gov/media/119755/download.

[7] FDA. Expedited Program for Serious Conditions-Accelerated Approval of Drugs and Biologics[EB/OL]. (2024 - 12)[2025 - 10 - 06]. https://www.fda.gov/media/184120/download.

[8] FDA. Medication Guides; Patient Medication Information (Proposed Rule)[EB/OL]. (2019)[2025 - 10 - 06]. https://www.fda.gov/media/169303/download? attachment.

[9] 傅书勇, 杨悦, 于金冉. 中美药品说明书管理的法律法规比较[J]. 医药导报, 2018, 37(10): 1277 - 1280.

[10] European Parliament and Council. Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council laying down Community procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human and veterinary use and establishing a European Medicines Agency[EB/OL]. (2024 - 03 - 31)[2025 - 10 - 06]. https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/PDF/? uri = CELEX:32004R0726&qid = 1760605277648.

[11] European Commission. Guidance on the Readability of the Labelling and Package Leaflet of Medicinal Products for Human Use[EB/OL]. (2019 - 01 - 12)[2025 - 10 - 06]. https://ebox.nbu.bg/med13/ne19/02.EMA_2009_01_12_readability_guideline_final_en.pdf.

[12] 袁思晗, 蒋蓉, 郑妤婕, 等. 欧盟患者药品说明书管理体系研究及启示[J]. 中国药房, 2025, 36(3): 269 - 274.

[13] 国家药品监督管理局. 国家药监局关于发布药品说明书适老化及无障碍改革试点工作方案的公告[EB/OL]. (2023 - 10 - 31)[2025 - 10 - 06]. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202310/content_6912986.htm.

[14] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《药品说明书(简化版)及药品说明书(大字版)编写指南》和《电子药品说明书(完整版)格式要求》的通告(2023 年第 142 号)[EB/OL]. (2023 - 10 - 31)[2025 - 10 - 06]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/1f33e0f52f5a40e8b99d9d95c94a946c.

[15] 孙哲丰. 我国药品年度报告信息化现状与思考[J]. 中国医药导刊, 2023, 25(8): 783 - 787.

[16] 刘璇, 林琳, 田丽娟. 我国药品附条件批准上市制度实施进展和启示[J]. 中国新药杂志, 2024, 33(20): 2088 - 2095.

编辑:蒋欣欣/接受日期:2026 - 01 - 28