·监管科学研究·

欧洲药品监管数据应用研究与思考

殷翠香[1,2],李海玲[1,2*]

(1 国家药品监督管理局药品审评中心,北京 100076; 2 药品监管科学全国重点实验室,北京 102629)

[摘要] 随着药品审评审批改革深化和数字技术迅猛发展,药品审评数据作为药品监管领域的重要基础资源,加强其应用对提升药品审评效率与推动模式转型具有重要意义。本研究基于欧洲药品监管数据,从数据战略、数据质量、数据保护及数据应用等方面展开分析,并就高质量数据管理体系构建、数据应用价值释放以及利益相关者协同机制等提出思考,以期为我国药品审评数据研究和应用提供参考,促进药品审评数据要素价值释放,助力药品审评数智化高质量发展。

[关键词] 药品审评数据;基础资源;价值释放;数智化;高质量发展

[中图分类号] R95 [文献标志码] A [文章编号] 1003-3734(2026)18-1952-04

Research and consideration on the application of the European drug regulatory data

YIN Cui-xiang[1,2], LI Hai-ling[1,2*]

(1 *Center for Drug Evaluation, National Medical Products Administration, Beijing* 100076, *China*; 2 *State Key Laboratory of Drug Regulatory Science, Beijing* 102629, *China*)

[**Abstract**] With the deepening of drug review and approval reform and the rapid development of digital technology, it is of great significance to enhance the application of drug review data, as an important basic resource in the field of drug review, for the efficiency improvement and mode transformation of drug review. Based on the European drug regulatory data, this study analyzed data strategy, data quality, data protection, and data application, and proposed ideas on high-quality data management system, data application value release, and stakeholder collaboration mechanism, in order to provide references for the research and application of drug review data in China, promote the value release of data elements, and assist in the high-quality development of drug review digitalization and intelligence.

[**Key words**] drug review data; basic resources; value release; digitalization and intelligence; high-quality development

在数字经济快速发展的当下,数据作为重要生产要素,其日益增长的价值有利于新质生产力的培养与发展,助推各领域转型提速升级[1-3]。国务院、国家药品监督管理局加大药品监管领域数据应用支持力度,提出强化数据汇集与治理,探索开展穿透式监管,以适应新时代医药产业发展需求、保障公众用药安全[4-6]。作为药品监管领域的重要基础资源,药品审评数据是围绕药品注册申请审评产生的,涵盖申请信息、审评信息及法规指南等内容,内涵药品审评特点及发展趋势,发挥其数据要素乘数效应,对加快培育和发展药品审评新质生产力具有深远意义[7-8]。欧洲 EMA 药品监管注重数据应用,通过将药品数据与信息技术融合,促进药品数据规范、高效共享与利用,为药品科学监管提供数据支持,促进药品创新研发与安全有效,逐步形成较为成熟的数据应用体系,推动药品监管决策从经验驱动向数据驱动转型,有利于药品监管高质量发展,对促进我国药品审评数

[基金项目] 药品监管科学全国重点实验室资助项目(2025-SKLDRS0369)

[作者简介] 殷翠香,女,工程师,主要从事药品审评相关信息化建设与研究。E-mail:yincx@cde.org.cn。

[通讯作者] *李海玲,女,工程师,主要从事药品审评相关信息化建设与研究。E-mail:lihl@cde.org.cn。

[DOI]10.20251/j.cnki.1003-3734.2026.18.007

据应用具有指导意义。因此,本文研究欧洲 EMA 药品数据应用情况,以期为药品审评数据应用发展提供参考,促进药品审评数据潜能激活与价值释放,推进药品审评流程优化与效率提升,助力药品审评审批数字化、智慧化、国际化创新发展探索与实践,赋能药品审评高质量和现代化发展。

1 概述

为利用好技术发展背景下数据量增的机遇,以数据驱动助力药品监管高效性与创新性发展,欧洲 EMA 逐步建立健全药品监管数据应用体系,利用数据量多、专业团队管理及系统化技能培训等优势,强化数据治理和管理利用,促进数据共享和互操作性提升,助力构建数据驱动的监管生态体系,赋能决策改进、流程优化和效率提高,支持欧洲药品创新和公共卫生[9-10]。① 收集大量药品监管数据,通过药品监管信息化实践过程,积累了大量多源异构数据,包括申请人提交的用于证明药品安全性、有效性与质量的数据,对监测药品安全与短缺具有重要意义的主数据及补充临床试验证据与填补药物知识空白的真实世界数据等,为药品监管数字化转型发展提供数据基础[9];② 构建由各成员国药品监管机构负责人共同管理的网络数据指导小组,明确了范围、组成和利益相关者参与模式等,并制定了关于利用药品监管和健康数据以及新工具相关工作计划,促进向数据驱动的药品监管转型落地实施,助力药品研究创新,惠及公众用药安全[9,11];③ 加强数据分析技能培训,依托欧洲网络培训中心,汇聚药品监管数据分析知识资源,涵盖真实世界证据、生物统计学和数据科学等信息,为欧洲药品监管网络工作人员提供专业知识与最佳实践,促进将数据分析能力转化为药品监管决策的有力支撑[9]。并且,欧洲网络培训中心也在试点将知识资源供国际监管机构使用,并提供公开可访问的培训资源,促进知识共享与交流协作,以适应新工具和新技术不断涌现的药品审评发展趋势[12]。以及通过数据监管栏目,公开数据战略、数据保护及大数据亮点通讯等信息,便于社会公众了解实施情况,促进欧洲网络中的监管者和利益相关者交流协作,强化药品监管数据应用效能,服务药品审评高效发展[9-10]。

2 欧洲药品监管数据应用研究

2.1 数据战略 欧洲 EMA 协同利益相关者制定协调一致的网络数据管理与利用战略,为数据驱动、技术融合的药品监管发展提供指导与技术引擎,促进药品机构之间数据共享利用,助力协作与更明智的监管决策[9,13-14]。欧洲 EMA 同各成员国药品监管机构负责人于 2021 年 12 月发布了《欧洲药品监管网络数据标准化战略》,经调研分析利益相关方数据需求,通过采用已有数据标准、适应现有数据标准、发展新数据标准等方式,明确了数据标准化原则,并提出了建议举措,为药品监管数据的一致性和可整合性指明方向,促进药品监管数据驱动发展,助力数据战略制定实施[9,13]。随着药品监管数据量增标准优化的发展,2025 年 10 月首次发布的《欧洲药品管理局网络数据战略》既是网络数据指导小组 2025—2028 年工作计划的重要交付成果,又支持欧洲 EMA 监管网络战略关于“到 2028 年利用数据、数字化和人工智能”的目标[10]。该战略明确了数据可访问、数据共享性等原则,提出了确保数据高质量和可靠、利用目录和元数据组织数据、支持通过变革管理和培训进行转变及利用工具将数据转化为可操作的洞见等 6 个战略重点,有利于激发药品监管数据潜力,促进药品监管经验转化与知识融合,赋能药品监管数字化、智慧化发展[10,14]。

2.2 数据质量 欧洲 EMA 通过搭建框架、规范来源等综合施策,逐步构建药品监管数据质量体系,助力药品监管数据驱动范式发展[15]。2022 年 10 月,欧洲 EMA 同各成员国药品监管机构负责人和欧洲健康数据空间联合行动共同制定《欧洲药品监管的数据质量框架》。经征求意见,2023 年 12 月更新后,明确了用于支持利益风险决策的药品监管数据质量的一致性和标准化方法的准则,分析了不同应用场景中应考虑的数据质量措施与指标,并引入了成熟度模型,既有利于提高药品监管数据质量,也为药品监管数据应用指明了方向[16]。随着真实世界数据从上市后补充证据逐步向上市前审评依据延伸,为增强其在监管决策中的有用性,2024 年 11 月发布的《欧洲药品监管应用于真实世界数据的数据质量框架草案》描述真实世界数据质量评估建议,以供参与监管过程的欧洲药品监管网络成员、医药行业及学术界等利益相关者使用[17]。此外,欧洲 EMA 同各成员国药品监管机构负责人发布了真实世界数据来源和研究目录,规范真实世界数据获取通道,增强真实世界数据研究的透明度,并建立真实世界数据目录相关栏目,提供最新动态、用户指南及常见问答等信息,为需要数据的药品监管机构和利益相关者等提供支持,通过国际合作启动真实世界

数据研究的共同指南,推动高质量证据促进创新转化[18]。并且,欧洲 EMA 推进药品主数据管理服务,对物资管理服务、产品管理服务、组织管理服务、参照管理服务 4 个领域药品数据逐步实施国际标准化组织药品识别标准,促进主数据提交及维护的规范化、流程化,推进数据质量、一致性、互操作性提升,助力药物数据生命周期管理,服务数据驱动的药品监管发展需要[19]。

2.3 数据保护 在数据应用过程中,欧洲 EMA 注重个人信息在安全和伦理治理框架内进行管理与分析,结合欧洲数据保护相关法规要求,强化数据保护和隐私安全,助力药品监管数据安全可持续发展[20]。对于个人数据保护,欧洲 EMA 利用数据保护申明,明确个人数据处理依据、收集范围、共享机制、数据主体权益及联系邮箱等,以信息公开保障数据主体知情权与选择权;建立并维护其个人数据处理活动记录的中央登记册,记录数据控制者、数据主体、接收者、处理目的及技术和组织数据保护安全措施等信息,统筹推动个人信息安全与数据价值释放,保障数据主体知情权与删除权等数据保护权益,促进监管机构规范化处理个人数据[20-22]。

2.4 数据应用 在推进从基于文件提交向依据提交文件数据审评的药品监管模式探索进程转变的背景下,结合日益提升的数据标准化要求和持续发展的信息技术情况,欧洲 EMA 逐步加强数据在药品监管过程中的应用,如真实世界数据等,助力药品监管决策科学化、高效化,进而服务药品研究与创新发展[23-24]。并且,欧洲 EMA 加强新工具、新技术应用,探索赋能审评数字化转型,促进药品审评高质量发展和现代化,如人工智能等技术[9]。为推进人工智能在药品监管数据应用中的落地实施,欧洲 EMA 制定关于利用人工智能的计划,为人工智能在药品监管系统中落地实施指明方向;以《人工智能在药品生命周期反思文件》《大型语言模型指导原则等文件》为指导,细化应用原则与建议反馈,促进药品生命周期中人工智能安全、高效利用;构建 AI 驱动的知识挖掘工具“科学探索者”,作为信息检索的辅助工具,供科学建议相关人员使用,并结合专项培训,促进药品监管数据的高效利用,进而辅助科学决策与高效审评[25]。

3 欧洲药品监管数据应用思考

随着药品审评审批改革持续深入和政务服务不断优化,数据应用作为信息技术与药品审评融合应用的重要组成部分,正推动药品审评治理体系和治理能力现代化的前进步伐,促进药品监管数据应用的系统性与连贯性,推动穿透式、智慧化药品审评发展新路径探索,进而保障公众用药安全、促进医药产业发展[4-6]。在任务管理方面,药品数据应用有利于任务与资源监测分析,促进审评流程再造与资源配置优化,助力审评效率提升;在审评模式发展方面,有利于审评知识的分析提炼,促进“经验驱动”向“数据驱动”发展,赋能药品审评高质量与创新发展;在服务效能方面,有利于常见问题和潜在问题总结处理,推动主动靠前精准化服务,提升用户体验感,进而促进审评效率提升[7-8,26]。

在医药全球化蓬勃发展和药品注册电子申报深入发展背景下[27-28],随着药品审评审批高质量发展进程加快,结合药品审评数据量和复杂性增加及数据驱动需求日益提升等情况[29],笔者研究欧洲 EMA 药品监管数据应用情况,为药品审评数据要素价值释放提供参考,以期从审评业务与数字技术融合角度,探索构建以高质量药品审评数据为基础、以药品审评数据价值释放为目的、以多元利益相关者协调机制为保障的药品审评数据应用体系,推进“数据要素”在药品审评领域运用效能提升,助力药品审评模式创新和高质量发展,使前沿技术切实服务公众,满足公众用上新药好药需求。

一是探索高质量数据管理体系的建立健全,建议覆盖源头、过程、结果全链条,推进数据来源合法、质量可控、安全合规,进而支撑药品审评领域数据高效流通与价值释放。① 筑牢源头规范,通过调研国内外数据应用实践,建立符合实际的数据标准,推进适时动态调整,既利于源头数据的标准化、结构化,也利于全过程管理,夯实药品审评数据价值释放的基础。② 深耕过程管控,融合数据清洗规则与工具技术应用,促进冗余数据消除与异常数据修复,推动过程数据准确性、完整性和可用性提升,为智慧发展和精细服务提供高质量数据支撑。③ 加强结果赋能,构建高质量数据助力数据应用、数据应用赋能数据质量提升的良性循环,实现数据开发利用纵深发展。此外,加强数据各环节安全隐私防护,在保障数据质量基础上,促进数据安全可控及数据安全流动和开发利用,进而促进药品审评转型升级。

二是研究数据应用价值与效能释放,促进审评效率提升,赋能药品审评现代化进程加速。加强药品审评数据深度挖掘和价值利用,建议以数据分类分级为基石,研究按数据重要性和影响程度等数据

分类分级体系建立,促进数据特征与价值识别,为精细化数据分析与深化业务场景打造基础保障。并且探索以审评业务场景为牵引,结合药品审评审批改革全面深化实际情况,推进精准品种画像、任务流程分析、资源优化配置等场景深度应用,促进数据价值释放与审评创新发展循环构建,赋能药品审评高效治理和高质量发展。研究以信息技术为驱动,为数据价值释放提供技术支撑,如利用大数据技术从大量数据中快速提取有价值信息,结合可视化展示,以数据挖掘技术促进药品审评数据"增值",助力药品审评效率提升与创新发展。

三是促进多元化利益相关者协同机制的建立,促进药品数据应用技术水平与创新能力提升,推动数据应用统筹规划、落地实施及成果转化等各环节融合发展,助力药品监管效能与模式创新。促进多元化利益相关者协同,一方面要组建多层次专业队伍,凝聚药学、临床、信息技术等跨领域人才合力,转化为推进新工具、新技术落实的生产力,促进产学研知识共创与技术共建,赋能药品审评模式重塑与创新发展;另一方面要加强业务教育培训,不断强化数据应用技术攻坚与药品审评业务场景适配能力,增强药品审评数据价值释放的专业能力与技术水平,促进药品审评在数字化、智慧化发展的核心竞争力提升,进而推动药品审评高质量和现代化发展。

[参 考 文 献]

[1] 中共中央国务院. 中共中央国务院关于构建数据基础制度更好发挥数据要素作用的意见[EB/OL]. (2022-12-29)[2025-12-30]. https://www.gov.cn/zhengce/202212/content_6720768.htm.

[2] 国家数据局. 国数政策〔2023〕11号 国家数据局等部门关于印发《"数据要素×"三年行动计划(2024—2026年)》的通知[EB/OL]. (2024-01-05)[2025-12-30]. https://www.cac.gov.cn/2024-01/05/c_1706119078060945.htm.

[3] 工业和信息化部. 工信部联消费〔2025〕79号工业和信息化部等七部门关于印发《医药工业数智化转型实施方案(2025—2030年)》的通知[EB/OL]. (2025-04-03)[2025-12-30]. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202504/content_7020857.htm.

[4] 国务院办公厅. 国办发〔2024〕53号 国务院办公厅关于全面深化药品医疗器械监管改革促进医药产业高质量发展的意见[EB/OL]. (2025-01-03)[2025-12-30]. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202501/content_6996117.htm.

[5] 国家药品监督管理局. 药监综函〔2024〕313号 国家药监局综合司关于印发药品监管人工智能典型应用场景清单的通知[EB/OL]. (2024-06-18)[2025-12-30]. https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjzh/20240618144318144.html.

[6] 陈锋. 药品安全穿透式监管探索研究[J]. 中国医药导刊, 2025, 27(4): 321-324.

[7] 熊玮仪, 鲁爽, 王涛. 人工智能在医药产业及药品监管中的应用与思考[J]. 中国食品药品监管, 2024, 1(5): 26-33.

[8] 范乙. 药品审评数据安全相关问题思考[J]. 医学信息学杂志, 2014, 35(10): 40-43.

[9] EMA. Data in regulation: Big data and other sources[EB/OL]. (2025-03-10)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/data-regulation-big-data-other-sources.

[10] EMA. Big Data Highlights[EB/OL]. (2025-10-08)[2025-12-30]. https://ec.europa.eu/newsroom/ema/newsletter-archives/67775.

[11] EMA. Network Data Steering Group (NDSG)[EB/OL]. [2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/data-regulation-big-data-other-sources/network-data-steering-group-ndsg.

[12] EMA. EU Network Training Centre(EU NTC)[EB/OL]. [2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/european-medicines-regulatory-network/eu-network-training-centre-eu-ntc.

[13] EMA. European Medicines Regulatory Network Data Standardisation Strategy[EB/OL]. (2021-12-17)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/european-medicines-regulatory-network-data-standardisation-strategy_en.pdf.

[14] EMA. The European Medicines Agencies Network Data Strategy[EB/OL]. (2025-10-03)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/european-medicines-agencies-network-data-strategy-increasing-value-data-benefit-public-animal-health_en.pdf.

[15] EMA. Data quality framework for medicines regulation[EB/OL]. (2023-12-12)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/data-regulation-big-data-other-sources/data-quality-framework-medicines-regulation.

[16] EMA. Data Quality Framework for EU medicines regulation[EB/OL]. (2022-10-10)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/data-quality-framework-eu-medicines-regulation_en.pdf.

[17] EMA. Data Quality Framework for EU medicines regulation application to Real-World Data[EB/OL]. (2024-11-04)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/draft-data-quality-framework-eu-medicines-regulation-application-real-world-data_en.pdf.

[18] EMA. Real-world evidence[EB/OL]. (2022-06-10)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/data-regulation-big-data-other-sources/real-world-evidence#hma-ema-catalogues-of-real-world-data-sources-and-studies-68345.

[19] EMA. Sharing data across systems: Master data on human medicines[EB/OL]. (2022-06-10)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/data-regulation-big-data-other-sources/sharing-data-across-systems-master-data-human-medicines.

[20] EMA. Data protection and privacy at EMA[EB/OL]. [2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/about-us/data-protection-privacy-ema.

[21] EMA. Website data protection notice[EB/OL]. [2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/about-us/about-website/website-data-protection-notice.

[22] EMA. Central register of data processing records[EB/OL]. (2025-03-11)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/about-us/data-protection-privacy-ema/central-register-data-processing-records#contact-point-71763.

[23] EMA. The European medicines agencies network strategy 2028[EB/OL]. (2024-03-18)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/seizing-opportunities-changing-medicines-landscape-european-medicines-agencies-network-strategy-2028-final_en.pdf.

[24] EMA. 2024 annual report of the European Medicines Agency[EB/OL]. (2025-10-06)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/documents/annual-report/2024-annual-report-european-medicines-agency_en.pdf.

[25] EMA. Artificial intelligence[EB/OL]. (2025-07-10)[2025-12-30]. https://www.ema.europa.eu/en/about-us/how-we-work/data-regulation-big-data-other-sources/artificial-intelligence.

[26] 张原, 李海玲, 张华川, 等. 结构化视角下的药品审评架构: KASA的创新实践[J]. 中国医药导刊, 2024, 26(11): 1098-1103.

[27] 郁倩雯, 田丽娟. 电子递交下的药品注册全生命周期管理研究[J]. 中国新药杂志, 2025, 34(17): 1808-1813.

[28] 殷翠香, 李海玲, 张原. 国外药品注册电子提交系统研究与思考[J]. 中国新药杂志, 2025, 34(10): 1032-1034.

[29] 郑妤婕, 余选绒, 刘博琳, 等. 药品监管法治体系建设中风险管理理念的演进与深化[J]. 中国现代应用药学, 2025, 42(10): 1630-1634.

编辑:蒋欣欣/接受日期:2025-04-01