药学管理与信息

我国罕见病药物优先审评审批情况简析

Brief Analysis of Priority Review of Rare Disease Drugs in China

俞颖慧，杨树俊，周　斌*
（中国医药工业研究总院，上海 201203）

YU Yinghui, YANG Shujun, ZHOU Bin*
（*China State Institute of Pharmaceutical Industry, Shanghai 201203*）

摘要：该文介绍了目前我国正式纳入优先审评审批的罕见病药物的研发和注册情况。自2016年施行优先审评政策以来，截至2022年第一季度，药品审评中心共正式纳入了137个罕见病药物的优先审评。从2018年开始，从受理到上市的审评时长开始缩短。纳入优先审评的罕见病药物涉及多种分子类型，治疗领域以肿瘤为主，但适应证属于《第一批罕见病目录》的国产药物依然以仿制为主。总体来看，优先审评政策加速了罕见病药物在中国的申报和上市，建议将更多优先审评药物的适应证纳入罕见病目录，并尽快出台罕见病的相关法规、配套出台相应的研发激励政策，促进国内企业投入罕见病创新药的研发，推动我国的自主研发药物上市，以满足罕见病患者的临床需求。

关键词：罕见病药物；药物研发；优先审评；罕见病目录

中图分类号：R95　　**文献标志码**：C　　**文章编号**：1001-8255(2023)02-0277-06

DOI：10.16522/j.cnki.cjph.2023.02.017

20世纪80年代以后，罕见病药物逐渐受到国际社会的关注，美国和欧盟相继制定了专门的法律以推动其研发，如免除新药申请费、拥有快速审批资格、研发经费退税优惠及研究经费支持、较少的临床试验人数和医疗保险分担罕见病药物费用等法规[1]。罕见病在全球层面尚没有一个被普遍接受的标准定义[2]。世界各地的立法中都使用了一些定义，用以鼓励制药企业对该地区的某种患病率低于给定阈值的疾病进行药物开发。例如美国2002年通过的《罕见病法案》将罕见病定义为在美国患病人数低于20万人的疾病[3]。根据Orphanet数据库（https://www.orpha.net/）统计，全球罕见病有6 172种[4]，其中4 440种罕见病为基因相关疾病，这些疾病在不同的国家和地区按照当地的“罕见病定义”标准被归为罕见病。我国对于罕见病尚无统一的定义，2018年5月，国家卫生健康委员会等五部门联合发布了《第一批罕见病目录》（以下简称《目录》），收录了121种罕见病[5]。

近年来，国家高度重视罕见病患者的健康权益，多次出台措施推进罕见病药物的可及性，包括供应端促进罕见病药物研发的一系列政策，也包括支付端的多层次患者保障政策。自2015年国务院发布《关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见（国发〔2015〕44号）》（以下简称《意见》）之后[6]，我国陆续颁布了多项鼓励罕见病药物研发和上市的政策，其中包括加快罕见病药物审评审批、减免临床和附条件上市、给予罕见病药物6年数据保护期等相关政策，并发布了临床急需境外药物目录[7]。

本研究通过对被正式纳入优先审评审批的罕见病药物的审评和研发情况进行分析，从优先审评的角度了解我国罕见病药物的研发现状，为进一步提

收稿日期：2022-05-08

作者简介：俞颖慧(1984—)，女，博士研究生，专业方向：社会管理药学。

通信作者：周　斌(1968—)，研究员，博士生导师，从事医药产业经济政策与医药政策法规的研究。

E-mail：zhoubin@sinopharm.com

高我国罕见病药物的研发和可及性提供参考。

1　我国罕见病相关的优先审评审批政策

罕见病相关的优先审评审批政策首次出现在2015年的《意见》中，其中提出要对包括罕见病在内的多种疾病的创新药加快审评审批，此后关于罕见病优先审评审批的多个政策陆续出台。2019年8月，罕见病实施优先审评审批正式被写入《中华人民共和国药品管理法》[8]，并在2020年发布实施的《药品注册管理办法》[9]中被进一步细化。值得注意的是，在此前颁布的优先审评审批相关政策中，被纳入优先审评的罕见病药物范围较宽，不排除仿制药，只是强调纳入优先审评的罕见病药物要具有明显临床优势，且临床申请的药物同样适用优先审评审批。而在2020年的《药品注册管理办法》中，把罕见病药物优先审评的范畴限制为具有明显临床价值的治疗罕见病的创新药和改良型新药，且优先审评仅适用于药品上市申请阶段。相关政策进展如表1所示[10—13]。

2　正式纳入优先审评审批的罕见病药物研发情况

检索CDE网站（www.cde.org.cn）优先审评审批公示数据，截至2022年3月31日，共有769个药物（不同厂家、同一通用名的分开计算）被正式纳入优先审评，然后参考Orphanet数据库对罕见病药物进行识别，对这些纳入优先审评的罕见病药物的研发情况分析如下。

2.1　药物申报和上市数量统计

自2016年优先审评审批相关政策施行以来，截至2022年第一季度，CDE共将137个罕见病药物正式纳入优先审评，其中临床阶段申请20个，上市申请阶段117个。根据CDE网站的公示数据，因符合罕见病药物范畴被纳入优先审评的有60个，其他纳入优先审评的原因包括缓解积压、药物具有临床优势、符合附条件批准、突破性治疗和儿童用药等。

从获批情况来看，这些优先审评药物中，批准上市的90个，批准临床的18个，不批准及企业撤回的8个，尚无审评结论的21个。如图1所示，通过优先审评上市的罕见病药物数量呈逐年增长趋势，2021年共批准了29个，创历年之最。

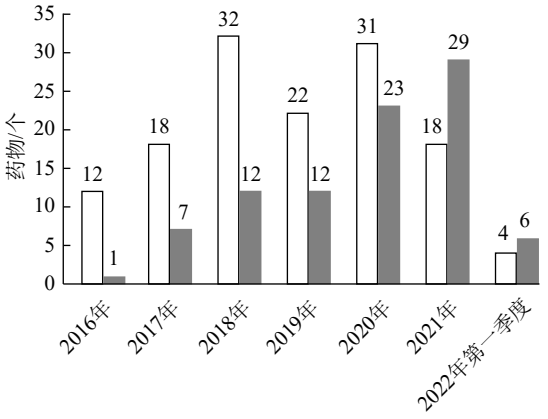
2.2　上市药物审批时长统计

经优先审评审批通道获批上市的药物中，在2016年获批的只有1个药物，是治疗C型尼曼-匹

表1　我国颁布的优先审评审批相关政策

Tab.1　Priority Review Policies in China

发布时间	政策名称	相关条文
2015-08-18	《意见》（国发〔2015〕44号）	加快审评审批防治艾滋病、恶性肿瘤、重大传染病、罕见病等疾病的创新药
2016-02-26	《关于解决药品注册申请积压实行优先审评审批的意见》（食药监药化管〔2016〕19号，现已废止）	为加强药品注册管理，加快具有临床价值的新药和临床急需仿制药的研发上市，优先审评审批治疗罕见病且具有明显临床优势的药品注册申请
2017-12-28	《关于鼓励药品创新实行优先审评审批的意见》（食药监药化管〔2017〕126号）	为加强药品注册管理，加快具有临床价值的新药和临床急需仿制药的研发上市，优先审评审批治疗罕见病且具有明显临床优势的药品注册申请。同时废止2016年的《关于解决药品注册申请积压实行优先审评审批的意见》
2018-05-23	《关于优化药品注册审评审批有关事宜的公告》（2018年第23号）	对防治严重危及生命且尚无有效治疗手段疾病以及罕见病药品，国家药品监督管理局药品审评中心（CDE）建立与申请人之间的沟通交流机制，对审批各环节优先配置资源，加快审评审批；对于境外已上市的防治严重危及生命且尚无有效治疗手段疾病以及罕见病药品，进口药品注册申请人经研究认为不存在人种差异的，可以提交境外取得的临床试验数据直接申报药品上市注册申请
2019-08-26	《中华人民共和国药品管理法》	国家鼓励短缺药品的研制和生产，对临床急需的短缺药品、防治重大传染病和罕见病等疾病的新药予以优先审评审批
2020-03-20	《药品注册管理办法》	药品上市许可申请时，对于罕见病的创新药和改良型新药且具有明显临床价值的药品，可以申请适用优先审评审批程序；对纳入优先审评审批程序的药品上市许可申请，给予以下政策支持：1. 临床急需的境外已上市境内未上市的罕见病药品，审评时限为70日；2. 优先审评审批程序的审评时限为130日
2020-03-31	国家药监局关于实施《药品注册管理办法》有关事宜的公告（2020年第46号）	对《药品注册管理办法》发布前后的优先审评审批的执行范围和程序进行了规定



□—正式纳入优先审评的药物；■—批准上市药物。

图 1 2016 年至 2022 年第一季度纳入优先审评和批准上市的罕见病药物数量

Fig.1 Number of Rare Disease Drugs Included in Priority Review and Granted Marketing Approvals from 2016 to the First Quarter of 2022

克病的麦格司他胶囊，从 CDE 受理其上市申请到获批经历的时长（以下简称“审评时长”）为 20 个月。过去的 6 年间，在 2017 年获批的药物平均审评时长最长，可能受 2 个仿制药的较长审评时长的影响，分别为 34 和 58 个月，影响审评时长的因素包括补充资料和临床核查等。从 2018 年开始，受优先审评审批政策的推动，审评时长开始缩短，如图 2 所示。2020 年至 2022 年获批的罕见病药物的平均审评时长为 14 到 17 个月，其中审评时长最短的是治疗肌萎缩侧索硬化的依达拉奉氯化钠注射液，从受理到获批仅 3 个月。

从 2016 年到 2022 年第一季度，被纳入优先审评的罕见病药物根据不同类型区分，其审评时长的对比如表 2 所示。总体而言，化学药品创新药审评时长明显短于仿制药，生物制品创新药审评时长略短于仿制药。就 2018 年数据来看，化学仿制药虽然平均审评时长较创新药短，但从纳入优先审评到上市时间（397 天）依然长于创新药（283 天），除生物仿制药（当年获批的只有复宏汉霖的利妥昔单抗，是首个利妥昔生物类似物）的审评时间短于另外几个创新生物制品药物以外。

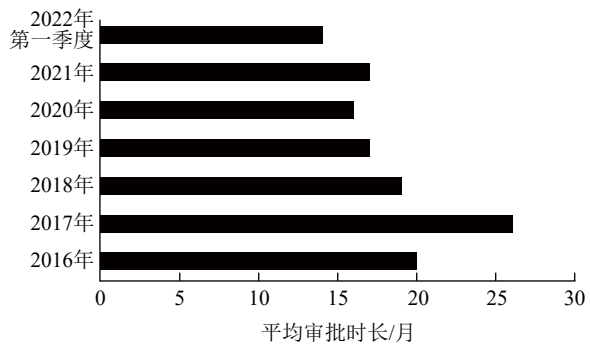


图 2 2016 年至 2022 年第一季度罕见病药物平均审评时长

Fig.2 Average Review Time of Rare Disease Drugs from 2016 to the First Quarter of 2022

表 2 2016 年到 2022 年第一季度获批上市的不同类型罕见病药物的平均审评时长比较 [1)]/ 月

Tab.2 Comparison of Average Review Time of Different Types of Rare Disease Drugs Granted Marketing Approvals from 2016 to the First Quarter of 2022/Months

获批年份	化学药品		治疗用生物制品	
	创新药	仿制药	创新药	生物仿制药
2016年	20	NA	NA	NA
2017年	18	46	NA	NA
2018年	24	15	16	7
2019年	11	31	17	21
2020年	12	20	16	19
2021年	10	33	15	19
2022年	14	NA	13	NA

注：[1)] 化学药品创新药包括创新药和改良型新药（旧版《药物注册管理办法》化学药分类项下的 5.1 类和新版的 2.2 类）；生物仿制药包括旧版的部分 2 类、7 类、10 类和 15 类；NA 代表当年无该类型的罕见病药物被纳入优先审评审批。

2.3 与临床急需境外新药的比对分析

自 2018 年 11 月 CDE 发布首批临床急需境外新药名单以来，目前已发布 3 批名单，共涉及 73 个临床急需境外新药，其中 41 个药物因治疗罕见病被列入名单[14—16]。这 3 批名单中，符合 Orphanet 数据库罕见病药物范畴且正式被纳入优先审评的，第一批有 10 个，第二批有 5 个，第三批有 3 个。如表 3 所示，这 18 个药物中有 17 个已进口获批上市，有 1 个是在临床阶段获得的优先审评，还未申请上市；有 6 个药物的适应证未进入《目录》，

表 3　临床急需药物名单中被纳入优先审评的罕见病药物

Tab.3　Rare Disease Drugs Included in the Lists of Urgently Needed Drugs in Clinical Settings

序号	药品名称	适应证	临床急需新药名单批次	《目录》	上市时间	企业名称
1	氨吡啶缓释片	多发性硬化	第一批	是	2021-05-11	渤健制药
2	氘代丁苯那嗪片	迟发性运动障碍	第一批	是	2020-05-14	梯瓦制药
3	诺西那生注射液	脊髓性肌萎缩症	第一批	是	2019-02-22	渤健制药
4	磷酸索尼德吉胶囊	基底细胞癌	第一批	否	2021-07-20	上海济煜医药
5	迪妥昔单抗注射液	神经母细胞瘤	第一批	否	2021-08-12	百济神州药业
6	丁苯那嗪片	亨廷顿舞蹈病	第一批	是	2021-06-16	博士伦福瑞达
7	注射用司妥昔单抗	卡斯尔曼病	第一批	是	2021-12-02	百济神州药业
8	氯苯唑酸软胶囊	转甲状腺素蛋白淀粉样变心肌病	第一批	是	2020-09-30	辉瑞制药
9	司来帕格片	肺动脉高压	第一批	否	2018-12-07	强生药业
10	依洛硫酸酯酶α注射用浓溶液	Ⅳ型黏多糖病	第一批	是	2019-05-21	百傲万里生物医药
11	依达拉奉氯化钠注射液	肌萎缩侧索硬化	第二批	是	2019-07-31	田边三菱制药
12	波生坦分散片	肺动脉高压	第二批	否	2019-09-05	强生药业
13	注射用阿加糖酶β	法布里病	第二批	是	2019-12-18	赛诺菲制药
14	布罗舒单抗注射液	成纤维细胞生长因子23(FGF23)相关低磷血症	第二批	是	未上市	协和麒麟制药
15	阿加糖酶α注射用浓溶液	法布里病	第二批	是	2020-08-26	武田制药
16	艾伏尼布片	急性髓系白血病	第三批	否	2022-02-09	基石药业
17	富马酸吉瑞替尼片	急性髓系白血病	第三批	否	2021-01-30	安斯泰来制药
18	富马酸二甲酯肠溶胶囊	多发性硬化	第三批	是	2021-04-13	渤健制药

包括基底细胞癌、神经母细胞癌、肺动脉高压和急性髓系白血病。获批上市的 17 个临床急需境外用药的平均审评时长为 11 个月，短于其他被纳入优先审评罕见病药物的平均审评时长。

2.4　适应证及治疗领域分布情况

纳入优先审评的罕见病药物根据世界卫生组织所使用的解剖学、治疗学及化学分类编码分类，疾病治疗领域以抗肿瘤药物最多（56 个），其次是血液系统药物（27 个），这两类药物占比超过 50%，其他疾病治疗领域分布较为分散，如消化系统药物只有马昔巴特口服液 1 个药物，适应证为先天性肝内胆管发育不良征。

纳入优先审评的罕见病药物中，有 57 个药物用于治疗《目录》收纳的疾病，大部分药物（79%）被纳入优先审评的理由是因为符合罕见病纳入范围。适应证被纳入《目录》的药物中，只有 1 个（注射用美法仑，用于治疗视网膜母细胞瘤）为肿瘤适应证，其余 56 个药物均为非肿瘤适应证。

部分药物虽然其适应证未进入《目录》，但仍因符合罕见病优先审评范围而被纳入优先审评，这类药物有 16 个，适应证包括肺动脉高压、凝血因子缺乏、酪氨酸血症Ⅰ型、进行性假肥大性肌营养不良（杜氏肌营养不良）、肉芽肿性血管炎、肢端肥大症和多发性骨髓瘤。

适应证未被纳入《目录》的药物中，有 55 个药物治疗肿瘤适应证，肿瘤适应证多为血液系统肿瘤，在 Orphanet 数据库中被纳入罕见病范畴，包括急性髓系白血病、霍奇金淋巴瘤和非霍奇金淋巴瘤等；其他肿瘤适应证包括基底细胞癌、神经母细胞瘤、胸膜间皮瘤、骨肉瘤、皮肤癌、胃肠间质瘤和胆管癌；25 个药物治疗非肿瘤疾病，涵盖肺动脉高压在内的 12 个适应证。

2.5　药物类型分析

照 2020 年发布的《药品注册管理办法》中的药物分类，历年优先审评审批罕见病药物中化学药共有 78 个，生物药有 57 个，中药 2 个。

化学药除了传统的小分子之外，还有 2 个多肽和 3 个寡核苷酸类新药，寡核苷酸类药物包括 1 个小干扰核苷酸（siRNA）和 2 个反义寡核苷酸（ASO）。生物药包括凝血因子、单抗、双抗、抗体偶联药物等多个类别，其中以凝血因子类药物最多，共有 20 个，其次是单克隆抗体 16 个，新型细胞疗法嵌合抗原受体 T 细胞免疫治疗（CAR-T）产品也有 5 个。

纳入优先审评的各药物分类除中药外，进口药占全部纳入优先审评的罕见病药物的较大比重

(56%)，国产药中创新药只有 18 个，占全部纳入优先审评的罕见病药物的比重（13%）较低。特别是适应证进入《目录》中的药物，化学药无国产创新药，除进口药物之外均为仿制药。

2.6 研发企业情况

纳入优先审评的罕见病药物的申报企业为 86 家，包括 22 家多国公司，8 家国内生物制药（biopharma）企业，17 家国内生物技术（biotech）企业，30 家国内大中型药企和 9 家国外中小型药企。

所有纳入优先审评的罕见病药物中，超过 50% 的药物由中国企业注册申报（76 个），其中 19 个药物是由国内企业与国外企业合作引入到中国的，百济神州药业引进最多（3 个），有 2 个均为第一批临床急需目录产品，分别是治疗卡斯尔曼病（又称巨大淋巴结病或血管滤泡性淋巴结增生症）的注射用司妥昔单抗和治疗神经母细胞瘤的迪妥昔单抗注射液。

因适应证在《目录》中而被纳入优先审评的 57 个药物中，由国内企业注册申报的不足一半（28 个），19 个药物为化学仿制药或生物类似物等非原创新药，4 个为许可引进产品，自主研发的新药较少，只有 5 个。

3 讨论

自 2016 年优先审评审批政策施行以来，纳入优先审评审批和按优先审评获批上市的罕见病药物数量呈逐年增长的趋势，说明优先审评审批政策在一定程度上加速了罕见病药物在中国的申报和批准。优先审评审批的政策旨在加快包括罕见病和临床急需等在内药物的研发上市，在政策施行的过去 6 年，纳入优先审评的罕见病药物从受理到上市的时间逐渐缩短，提高了罕见病患者的用药可及性，实现了部分罕见病患者从无药可用到有药可用的状态改变。

2022 年 2 月，国家卫生健康委员会官网公布的《对十三届全国人大四次会议第 9415 号建议的答复》[17] 中提到，国家卫生健康委已按照规定，适时启动第二批罕见病目录的遴选工作，处于材料审核阶段。虽然第二批罕见病目录仍在讨论中，但多个药物因为符合罕见病的范围已被纳入优先审评，希望未来这些纳入优先审评的罕见病适应证可被选入第二批罕见病目录。尽管纳入优先审评的罕见病药物适应证以肿瘤为主，但目前进入《目录》的肿瘤适应证只有 2 种，可考虑增加更多肿瘤适应证进入罕见病目录。

国家药监局和卫生健康委在 2018 年发布的《关于优化药品注册审评审批有关事宜的公告》中明确提出，对于境外已上市的防治严重危及生命且尚无有效治疗手段疾病以及罕见病药品，进口药品注册申请人经研究认为不存在人种差异的，可以提交境外取得的临床试验数据直接申报药品上市注册申请 [12]。该举措缩短了境外罕见病新药在国内获批上市的时间，促进了国外的新型药物惠及我国罕见病患者，也有望进一步提高国内药企引进罕见病药物的积极性。

全球市场对于罕见病仍有巨大的、未满足的临床需求，国外研发巨头已纷纷通过自主研发和并购积极布局罕见病研发管线药物 [18]。近年来，国内药企也逐步进军罕见病领域，需要注意的是，目前国内企业对于罕见病药物的研发仍以仿制为主，虽然部分药企积极引进国外早期研发药物，但是仍需加大创新药研发力度。一方面，罕见病领域药物研发可能投入大、回报少，因而资本关注度较低。另一方面，政策制定会对药企的战略布局方向产生影响。

4 总结与展望

欧美地区早在 20 世纪已建立了罕见病法规体系并设立了相关监管机构。2019 年 9 月 29 日，国家发展改革委员会联合多部委发布了《促进健康产业高质量发展行动纲要（2019—2022 年）》[19]，指出要推进药品和医疗器械提质创新，对临床急需的新药和罕见病用药予以优先审评审批，显示了国家对于改善罕见病患者用药可及性的决心。但当前我国罕见病诊疗与保障体系亟待进一步完善，现存罕见病药物市场保障法规零散地分布在相关的政策之中，需要参考发达市场的成熟经验，进一步完善法规体系。此外，在药物可及性方面，由于患者群体数量少、收益不明、开展临床试验的周期长且结果难以预判、部分类别药品进口监管政策不明确、医保支付环节存在不确定性等，企业缺乏研发、仿制及生产罕见病药物的动力，95% 以上的罕见病确诊

后依然缺乏有效治疗药物[20]。

总体来讲，优先审评政策一定程度上促进了罕见病药物在中国的可及性。但是我国亟需出台罕见病的相关法规，从而加强社会对罕见病的关注，在宏观政策引导下，将更多的罕见病纳入到我国的罕见病目录，配套出台相应的研发激励政策，促进国内企业投入到罕见病创新药的研发中，推动具有我国自主知识产权的创新药物解决罕见病患者的临床需求，保障罕见病患者的合法用药权益。

参考文献：

[1] 孙宇航, 王　萍. 国内外罕见病患者医疗保障现状探讨及启示[J]. 中国卫生质量管理, 2019, **26**(3): 141-145.

[2] TAMBUYZER E, VANDENDRIESSCHE B, AUSTIN C P, *et al*. Therapies for rare diseases: therapeutic modalities, progress and challenges ahead [J]. *Nat Rev Drug Discov*, 2020, **19**(2): 93-111.

[3] 107th Congress of the United States of America. Rare Diseases Act of 2002[EB/OL]. (2002-11-06)[2022-05-28]. https://www. congress. gov/107/plaws/publ280/PLAW-107publ280. pdf.

[4] WAKAP N S, LAMBERT M D, ORLY A, *et al*. Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database [J]. *Eur J Hum Genet*, 2020, **28**(2): 165-173.

[5] 国家卫生健康委员会, 科学技术部, 工业和信息化部, 等. 关于公布第一批罕见病目录的通知[EB/OL]. (2018-05-11)[2022-04-27]. http://www. gov. cn/zhengce/zhengceku/2018-12/31/content_5435167. htm.

[6] 国务院. 国务院关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见[EB/OL]. (2015-08-18)[2022-04-27]. http://www. gov. cn/zhengce/content/2015-08/18/content_10101. htm.

[7] 王　雪. 我国罕见病用药可及性现状分析[J]. 中国临床药理学杂志, 2021, **37**(8): 1026-1032.

[8] 全国人民代表大会常务委员会. 中华人民共和国药品管理法[EB/OL]. (2019-08-27)[2022-04-27]. https://www. nmpa. gov. cn/xxgk/fgwj/flxzhfg/20190827083801685. html.

[9] 国家市场监督管理总局. 药品注册管理办法[EB/OL]. (2020-01-22)[2022-04-27]. https://gkml. samr. gov. cn/nsjg/fgs/202003/t20200330_313670. html.

[10] 国家食品药品监督管理总局. 总局关于解决药品注册申请积压实行优先审评审批的意见[废止][EB/OL]. (2016-02-26)[2022-04-27]. https://www. nmpa. gov. cn/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/20160226085101295. html.

[11] 国家食品药品监督管理总局. 关于鼓励药品创新实行优先审评审批的意见[EB/OL]. (2017-12-28)[2022-04-27]. https://www. nmpa. gov. cn/directory/web/nmpa/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/20171228172301452. html.

[12] 国家药品监督管理局, 国家卫生健康委员会. 关于优化药品注册审评审批有关事宜的公告[EB/OL]. (2018-05-23)[2022-04-27]. https://www. nmpa. gov. cn/xxgk/ggtg/qtggtg/20180523110601517. html.

[13] 国家食品药品监督管理总局. 国家药监局关于实施《药品注册管理办法》有关事宜的公告(2020年第46号)[EB/OL]. (2020-03-31)[2022-04-27]. https://www. nmpa. gov. cn/xxgk/ggtg/qtggtg/20200331145501259. html.

[14] 国家药品监督管理局药品审评中心. 关于发布第一批临床急需境外新药名单的通知[EB/OL]. (2018-11-01)[2022-04-27]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/21de8acd6c395746b041b2ad93eb5c43.

[15] 国家药品监督管理局药品审评中心. 关于发布第二批临床急需境外新药名单的通知[EB/OL]. (2019-05-29)[2022-04-27]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/82f3bf94dc2c38d1a24d851f0e44914b.

[16] 国家药品监督管理局药品审评中心. 关于发布第三批临床急需境外新药名单的通知[EB/OL]. (2020-11-19)[2022-04-27]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/08818b168ccc85db9a42a0f6623b5688.

[17] 国家卫生健康委. 对十三届全国人大四次会议第9415号建议的答复[EB/OL]. (2020-02-09)[2022-04-27]. http://www. nhc. gov. cn/wjw/jiany/202202/6ac97171a1d54f2dad97c6088f2ea080. shtml.

[18] 姚　倩. 盯上罕见病外资药企的“加减法”[J]. 中国外资, 2021, (1): 84-85.

[19] 国家发展改革委等多部委. 关于印发《促进健康产业高质量发展行动纲要(2019—2022年)》的通知[EB/OL]. (2019-09-30)[2022-04-27]. http://www. gov. cn/xinwen/2019-09/30/content_5435160. htm.

[20] 张抒扬. 关爱罕见病, 从保障用药开始[J]. 中国卫生经济, 2019, (5): 64-65.