《鼓励研发申报儿童药品清单》实施现状与成效

The Implementation and Achievement of Encouraging Research and Development List of Pediatric Drugs

凌　星[1]，范冰冰[1]，郭　文[1,2]*

（1. 中国医药工业研究总院，上海 201203；2. 中国医药工业信息中心，上海 200040）

LING Xing[1], FAN Bingbing[1], GUO Wen[1,2]*

（*1. China State Institute of Pharmaceutical Industry, Shanghai 201203; 2. China National Pharmaceutical Industry Information Center, Shanghai 200040*）

摘要：自 2016 年以来，国家卫生健康委员会联合多部门连续发布 5 批《鼓励研发申报儿童药品清单》，旨在丰富儿童适用药品的品种、剂型和规格，满足儿科临床用药需求。文章归纳了《鼓励研发申报儿童药品清单》以及罕见病目录信息，对药品品规数量、覆盖的治疗领域、剂型规格等信息采用描述性统计分析方法进行分析，并总结实施现状；检索了儿童用药专栏、上市药品目录、优先审评审批公示以及 2023 年医保目录信息，梳理了通过优先审评审批通道上市及纳入国家医保目录的产品的品规明细，总结实施成效。该研究期望对清单药品动态调整机制的优化提供一定的参考，从而调动医药企业研发儿童药品的积极性。

关键词：儿童用药；鼓励研发申报儿童药品清单；罕见病；优先审评审批；医保目录；社会管理药学

中图分类号：R95；R985　　**文献标志码：**A　　**文章编号：**1001-8255(2025)05-0694-08

引用：凌　星，范冰冰，郭　文.《鼓励研发申报儿童药品清单》实施现状与成效[J]. 中国医药工业杂志，2025, 56(5): 694-701. DOI：10.16522/j.cnki.cjph.2025.05.018

儿童用药安全与合理使用对预防疾病和提高健康水平至关重要。近年来，我国在鼓励研发创新、加快审评审批、保障生产供应、强化监督管理、完善用药体系建设等方面相继出台了一系列保障儿童用药的相关政策[1]。

2014 年，原国家卫生计生委等六部门印发《关于保障儿童用药的若干指导意见》，明确指出我国儿童用药适宜品种少、适宜剂型和规格缺乏、药物临床试验基础薄弱、不规范处方行为和不合理用药等问题仍比较突出，亟待采取措施予以解决，从鼓励研发创制、加快申报审评、确保生产供应等多个环节对保障儿童用药提出了具体要求，并明确提出要逐步建立鼓励研发的儿童药品目录。2016 年，原国家卫生计生委、工业和信息化部、原国家食品药品监管总局发布《首批鼓励研发申报儿童药品清单》。2019 年，《中华人民共和国药品管理法》中专门设置鼓励儿童药研发的条款，进一步加强政策的协同性，鼓励儿童用药品的研制和创新，支持开发符合儿童生理特征的儿童用药新品种、剂型和规格，对儿童用药品予以优先审评审批[2]。2020 年发布的《药品注册管理办法》第四章第三节提出，具有明显临床价值的，符合儿童生理特征的儿童用药新品种、剂型和规格的药品可以申请适用优先审评审批程序。

我国儿童用药的激励政策正逐步完善，相应细化落实工作也在持续推进。国家药品监督管理局建立了包括真实世界数据支持等指导原则在内的儿童用药研发审评证据体系，发布了《儿童用药（化学药品）药学开发指导原则（试行）》[3]、《真实世界研究支持儿童药物研发与审评的技术指导原则（试行）》、《成人用药数据外推至儿科人群的技术指导原则》、《儿科人群药物临床试验技术指导原则》等

收稿日期：2024-12-16

作者简介：凌　星（1996—），女，博士研究生，专业方向：医药政策与法规。

通信作者：郭　文（1981—），女，研究员，博士生导师，从事社会与管理药学的研究。

E-mail：guowen@pharmadl.com

指导原则，完善了儿童用药临床试验和安全性评价标准，为研发和审评提供了重要的技术支持与审评依据，并激发了企业研发活力。2024 年，国家卫生健康委等十部委联合印发《关于推进儿童医疗卫生服务高质量发展的意见》，再次明确指出我国仍存在儿童药物适宜剂型、规格不足等问题，要补齐儿童用药短板，加强儿童药品使用监测，动态调整包括儿童用药在内的短缺药品清单和临床必需易短缺药品重点监测清单。

2016 年以来，我国已持续制定并发布了 5 批《鼓励研发申报儿童药品清单》（以下简称“《清单》”），以指导儿童用药的研发方向，促进儿童适宜品种、剂型、规格的研发创新和申报审评[4]，目前已累计发布 170 个品规，涉及 139 个药品通用名。但《清单》内药品的研发上市现状、临床用药可及性提升效果、政策协同效率的实现程度等关键问题，亟待通过回溯性研究系统评估其政策实施成效。

本文重点分析了 5 批《清单》的实施现状、实施成效[5]，为政府、医药企业提供《清单》中药品的注册申报动态，讨论相关问题以及不足，以期为儿童药品的研发和生产提供一定的参考，为相关工作的完善提供建议和优化方案。

1 研究方法

数据来源：通过国家药品监督管理局、国家医疗保障局、国家卫生健康委等官方网站，以及中国儿童用药数据库（cpd.pharmadl.com）和相关文献[6]，获得 5 批《清单》的品种、剂型、规格、治疗领域等基础信息，并用 Microsoft Excel 2021 软件对《清单》中的药品数据进行透视分析。

通过检索国家药品监督管理局药品审评中心儿童用药专栏模块，获得优先审评审批通道上市药品品规明细；通过比对 2 批罕见病目录清单与中国儿童用药数据库中上市儿童药品目录集、鼓励研发申报儿童药品清单集，获得罕见病用药品规明细；通过比对国家医疗保障局官网公示的 2023 版国家医保目录与中国儿童用药数据库中上市儿童药品目录集、鼓励研发申报儿童药品清单集，获得纳入国家医保目录的儿童用药品规明细。用每批次品规上市日期减去清单发布日期，计算平均值，获得每批《清单》已上市药品的平均响应时长。

本文采用描述性统计、对比分析等方法，分析目前已发布《清单》中 170 个药品的品规数量、治疗领域分布、涵盖儿童罕见用药品规等基本情况，从而反映《清单》的实施进展及现状；通过分析《清单》内药品的上市品种、优先审评审批品种、医保目录品种等，总结《清单》实施成效，进一步了解企业对政策的响应效率、政策实施联动衔接程度，以期了解我国儿童用药需求困境的缓解程度。

2 《清单》基本情况

如表 1 所示，5 批《清单》共涉及 139 个药品通用名，144 个品种（按清单序号计），170 个药品品规（按通用名＋剂型＋规格计），覆盖 28 种剂型（已去重）。

表 1 5 批《清单》概况

Tab.1 General Information on Five Pediatric Drug Lists

发布时间	批次	药品通用名数量	药品品规数量	剂型数量
2016 年 6 月	第一批	31	35	8
2017 年 5 月	第二批	39	40	14
2019 年 8 月	第三批	34	40	12
2023 年 8 月	第四批	24	30	9
2024 年 8 月	第五批	15	25	7
	合计	139	170	28

2.1 纳入品种的治疗领域

5 批《清单》共涉及 14 个治疗领域［按药物的解剖学、治疗学及化学分类法（anatomical therapeutic chemical，ATC）一级分类计］。相对集中于神经系统用药、心血管系统用药、消化道和新陈代谢用药、抗肿瘤药及免疫调节剂、全身用抗感染药等领域（图 1），上述领域包含的药品通用名数量分别为 24、21、20、19 和 16 个，累计占比 71.9%。

统计结果显示，各批次药品覆盖 9 ～ 10 种治疗领域。每批次覆盖的前 5 大治疗领域如图 2 所示。

第一批治疗领域主要集中在神经系统用药和心血管系统用药，占比分别达 29.03%和 22.58%，如地西泮、劳拉西泮、苯妥英钠等神经系统用药，以及尼莫

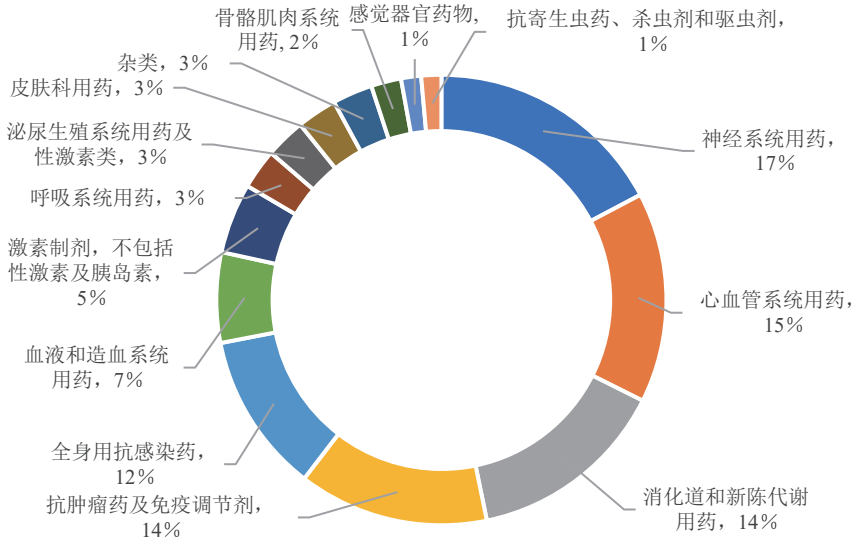


图 1　5 批《清单》中药品的治疗领域分布

Fig.1　Therapeutic Area Distribution of Drugs in Five Pediatric Drug Lists

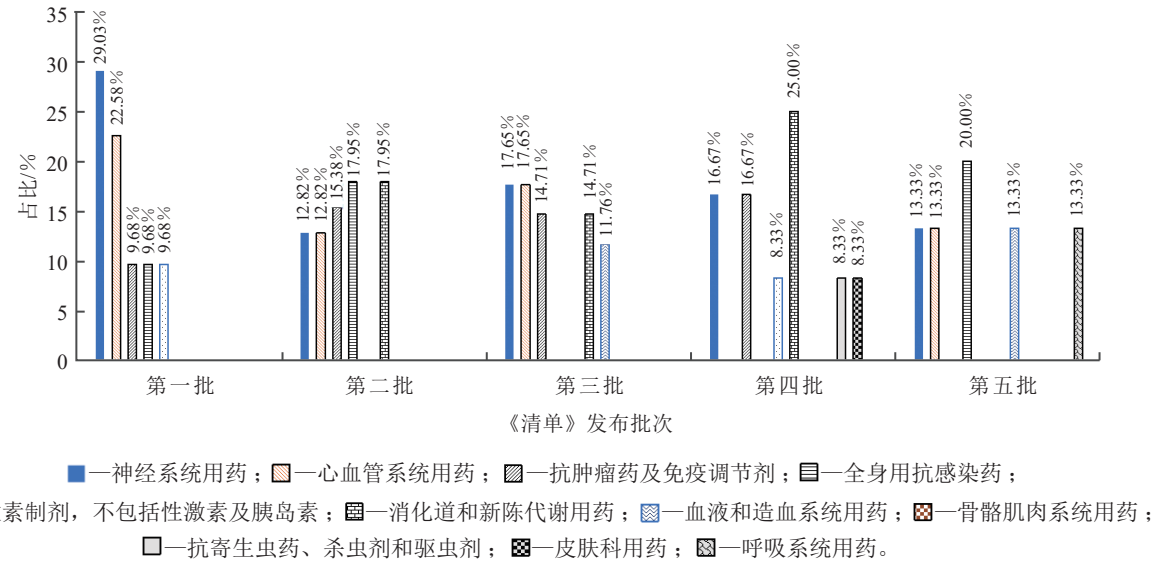
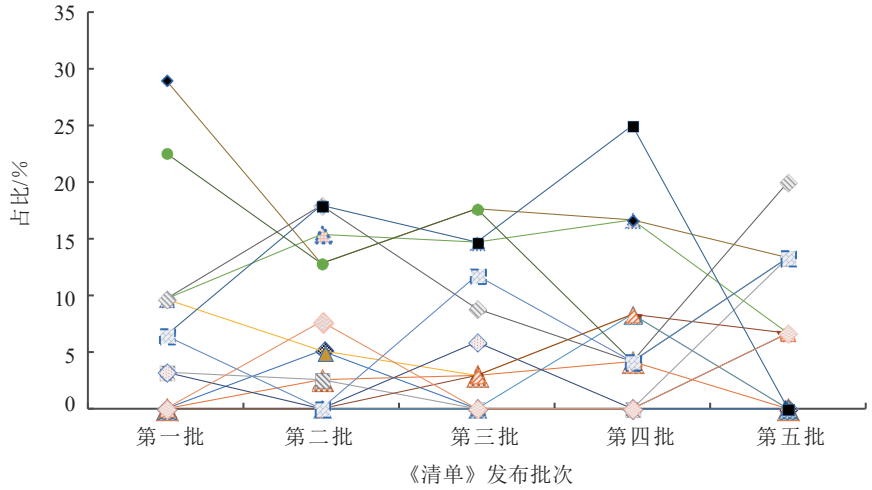


图 2　5 批《清单》中药品涉及的前 5 大治疗领域

Fig.2　Top 5 Therapeutic Areas of Drugs in Five Pediatric Drug Lists

地平、地高辛等心血管系统药物。第二批主要集中在全身用抗感染用药、消化道和新陈代谢用药、抗肿瘤药及免疫调节剂，如万古霉素、骨化三醇、环磷酰胺等。第三批主要集中在神经系统用药、心血管系统用药、消化道和新陈代谢用药、抗肿瘤药及免疫调节剂领域，涉及右美托咪定、缬沙坦、曲恩汀、阿那白滞素等药物。第四批集中在消化道和新陈代谢用药、神经系统用药、抗肿瘤药及免疫调节剂，如苯丁酸甘油酯、吉伏司瑞、阿伏利尤单抗等。第五批则主要集中在全身用抗感染用药，如阿尼芬净等。

从 5 批《清单》中药品治疗领域的变化趋势（图 3）来看，神经系统用药一直位居前 5，且占比维持 10%以上（图 2）。《清单》中的神经系统用药以精神抑制或兴奋类药物为主，鼓励研发更适宜儿童的



◆—感觉器官药物；▲—骨骼肌肉系统用药；▨—呼吸系统用药；▲—激素制剂，不包括性激素及胰岛素；▲—抗寄生虫药、杀虫剂和驱虫剂；▲—抗肿瘤药及免疫调节剂；◇—泌尿生殖系统用药及性激素类；▲—皮肤科用药；◇—全身用抗感染药；◆—神经系统用药；■—消化道和新陈代谢用药；●—心血管系统用药；▨—血液和造血系统用药；◇—杂类。

图 3 5 批《清单》中药品的治疗领域变化

Fig.3 Changes of Therapeutic Areas of Drugs in Five Pediatric Drug Lists

规格与剂型。由于儿童神经系统尚未完全成熟，针对儿童的精神类药物治疗剂量与成人存在显著差异，研发适宜的剂型与规格有利于个体化精准治疗。另外，呼吸系统用药在前 4 批《清单》中占比在 3%以下，第 5 批突然增至 13.33%。推测原因为：近年来呼吸系统疾病的发病率有所上升，儿童作为呼吸系统疾病的易感人群，用药需求也相应增加。这体现出政策关注当前儿童用药临床需求的变化并及时做出了动态调整。心血管系统用药占比稳步降低，这可能是随着医疗技术的发展，多数先天性心脏病患儿能得到及时、有效的手术治疗，因而对心血管系统用药的依赖减少。

2.2 纳入品种覆盖的剂型

5 批《清单》中药品共计有 170 个品规，涉及 28 种剂型，具体如图 4 所示。其中，注射剂、口服溶液剂、混悬剂和片剂累计占比 71.2%。2020 年发布的《儿童用药（化学药品）药学开发指导原则（试行）》[3]，强调在药物开发过程中应合理选择给药途径和剂型，按照早产新生儿、足月新生儿（0 ～ 27 天）、婴幼儿（28 天至 23 个月）、儿童（2 ～ 11 周岁）、青少年（12 至 16 或 18 周岁）5 个不同年龄组，给予不同剂型适宜性和可接受度评分。注射剂和口服溶液剂这 2 类剂型，基本适用各年龄段儿童[3]。

分析数据可见，每批《清单》中药品的剂型分布较为集中，且均含有注射剂、口服溶液剂和混悬剂这 3 种剂型，数量位居前列。这体现出政策以临床用药和指导原则为导向，科学引导儿童药品的剂型研发。

此外，《清单》中也包含鼻用喷雾剂、灌肠剂、

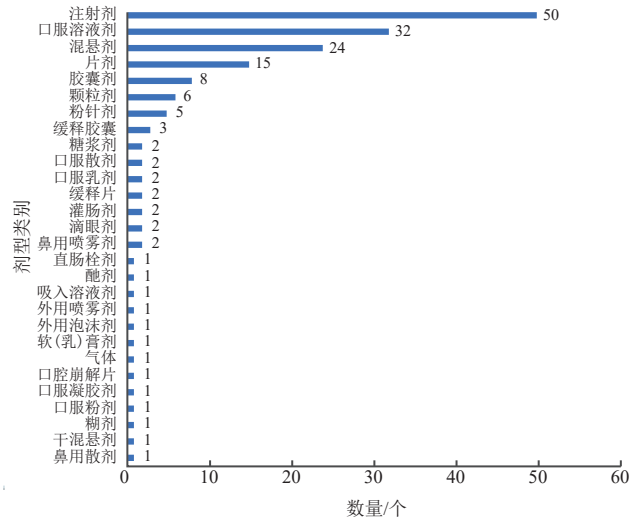


图 4 5 批《清单》中药品的剂型分布

Fig.4 Dosage Form Distribution of Drugs in Five Pediatric Drug Lists

滴眼剂等多种适宜儿童使用的特殊剂型，有助于丰富儿童用药的选择，提高儿童用药的依从性。

2.3 纳入品种中涉及的罕见病用药

在罕见病的患病人群中，儿童患者的数量不可忽视，约 75%的罕见病发病于儿童期[7]。5 批《清单》中有 52 个品规为罕见病用药，占比达 30%，涉及约 50 种适应证，如戈谢病、血栓性血小板减少性紫癜、新生儿糖尿病、全身型重症肌无力等。罕见病用药的占比体现出政策对儿童罕见病用药的支持和资源倾斜，有助于加快儿童罕见病用药上市，满足更多罕见病患儿的临床需求。

3 《清单》实施成效

以下将统计分析《清单》中药品的上市品规数量、企业响应开发药品时长、纳入医保目录数量、通过优先审评审批的上市品种数量等，从而反映儿童药品清单的实施成效。

3.1 《清单》中药品的上市情况分析

截至 2024 年 11 月，第一批《清单》中有 10 个品规已上市，第二批《清单》中有 12 个品规已上市，第三批《清单》中有 9 个品规已上市，第四批《清单》中有 6 个品规已上市，第五批《清单》中暂未有品规上市。具体如表 2 所示。5 批《清单》中药品累计上市 37 个品规，占比 21.8%，余下 133 个品规处于临床研究或未开发阶段。上述已上市品规涉及 72 家制药企业，覆盖 10 个治疗领域，主要集中在消化道和新陈代谢用药、神经系统用药、抗肿瘤药及免疫调节剂、心血管系统用药等领域。目前暂无泌尿生殖系统用药及性激素类、抗寄生虫药、杀虫剂和驱虫剂等领域用药上市。

由表 2 可见，52 个罕见病用药已上市 17 个品规，占比达 33%，占已上市品规总数 46%。涉及先天性高胰岛素性低血糖血症、家族性地中海热、血友病、新生儿持续肺动脉高压、婴儿痉挛综合征、原发性胆汁性胆管炎等 2 批罕见病目录中定义的 20 余种罕见病。

在罕见病用药中有多个药品存在虽有同品种上市，但无清单内规格产品上市的情况。例如：治疗进行性肌营养不良的肾上腺素注射剂，《清单》列出 1 mL ∶ 0.1 mg 规格，但已上市的同品种规格为 1 mL ∶ 1 mg；治疗视网膜母细胞瘤的环磷酰胺片剂，《清单》列出 25 mg 规格，但已上市的同品种规格为 50 mg；治疗黑色素瘤的羟基脲片剂，清单列出 0.1 g 规格，但已上市规格为 0.5 g，且未标注儿童用药信息。上述情况，不仅存在规格不匹配的问题，还缺乏针对儿童用药的指导，增加了儿童用药的风险。

由图 5 可见，第一批《清单》中药品的平均响应上市时长为 1 823.49 天，第四批《清单》中的药品已缩短至 284.40 天。这表明制药企业自每批次《清单》发布后响应开发相应药品的上市时长明显缩短。

在 37 个上市品规中，多数为《清单》发布后首次获批上市，实现相关用药的“从无到有”。主要分为以下 2 种情况。

①此前为国外已上市但国内未上市的儿童药品。例如，国内首个治疗儿童痉挛症的罕见病用药氨己烯酸散剂，为国外权威指南推荐的一线用药，也是伴结节性硬化婴儿痉挛症的首选用药；国内首个一氧化氮吸入剂，此前在我国儿科临床实践中长期缺少标准质控药品，部分使用工业用一氧化氮替代。上述 2 种药物均属于临床需求迫切的药物。此外，因“铁马冰河”事件[8]引起社会广泛关注的氯巴占片剂，该药物为首个用于治疗 2 岁及以上伦诺克斯 - 加斯托综合征（Lennox-Gastaut syndrome，LGS）患者癫痫发作的药物。这些药物的上市有效缓解了国内出现的“断药危机”。

②此前为国内已上市但无儿童适宜剂型的药品。例如，阿托品滴眼剂、右美托咪定鼻用喷雾剂、米诺环素外用泡沫剂、咪达唑仑口腔溶液剂、依那普利口服溶液剂等为上市新剂型。其中，右美托咪定鼻用喷雾剂相较于原上市剂型具有显著优势，规避了静脉给药可能引发的不良反应，以及滴鼻给药时患者常见的呛鼻风险。在临床方面，该剂型的出现有效解决了儿童术前镇静中超适应证使用盐酸右美托咪定注射液的困境，且填补了术前镇静领域鼻喷剂型的空白，为临床实践提供了更为安全、有效的给药选择，匹配不同年龄段的儿童用药需求［资料来源：国家医保药品目录调整申报材料（公示版）］。

表 2 5 批《清单》中上市药品的品规

Tab.2 Marketed Specifications of Drugs in Five Pediatric Drug Lists

批次	药品通用名	剂型	上市规格	获批企业数	罕见病用药
第一批	二氮嗪	口服混悬液	30 mL ： 1.5 g	1	是
	氟哌啶醇	口服溶液剂	1 mL ： 2 mg	1	
	高血糖素	注射剂	1 mg	2	
	美法仑	注射剂	50 mg	2	是
	咪达唑仑	口腔溶液剂	1 mL ： 5 mg	1	
	尼莫地平	口服溶液剂	1 mL ： 3 mg	2	
	水合氯醛	灌肠剂	1.34 g ： 0.5 g	1	
	碳酸氢钠	注射剂	1.4%（100 mL）	2	
	熊去氧胆酸	混悬剂	1 mL ： 50 mg	1	是
	左乙拉西坦	注射剂	5 mL ： 0.5 g	24	
第二批	阿托品	滴眼剂	0.1%	1	
	氨己烯酸	口服散剂	0.5 g	3	是
	氨氯地平	混悬剂	1 mL ： 1 mg	1	
	丙卡巴肼	胶囊剂	50 mg	1	
	骨化三醇	口服溶液剂	1 mL ： 1 μg	2	是
	磺胺甲噁唑 + 甲氧苄啶，复方	注射剂	1 mL ：磺胺甲噁唑 80 mg，甲氧苄啶 16 mg	3	
	氯巴占	片剂	10 mg	1	是
	美沙拉秦	直肠栓剂	0.5 g	1	
	去氨加压素	口服溶液剂	1 mL ： 0.36 mg	2	
	维拉苷酶 α	粉针剂	400 IU	1	是
	一氧化氮	吸入气体		1	是
	依库珠单抗	注射剂	10 mg/mL	1	是
第三批	阿那白滞素	注射剂	0.67 mL ： 0.1 g	1	是
	苯乙酸钠 + 苯甲酸钠，复方	注射剂	50 mL	1	
	伏立康唑	混悬剂	1 mL ： 40 mg	5	
	曲恩汀	胶囊剂	0.25 g	2	是
	沙丙蝶呤	片剂	0.1 g	1	是
	他克莫司	颗粒剂	1 mg	1	
	他克莫司	颗粒剂	0.2 mg	1	
	依那普利	口服溶液剂	150 mL ： 0.15 g	2	
	右美托咪定	鼻用喷雾剂	1 g ： 0.2 mg	2	
第四批	艾夫糖苷酶 α	注射剂	0.1 g	1	是
	苯丁酸甘油酯	口服溶液剂	1 mL ： 1.1 g	1	是
	加那索龙	混悬剂	1 mL ： 50 mg	1	是
	米诺环素	外用泡沫剂	4%	1	
	培妥罗凝血素 α	注射剂	500 IU	1	是
	培妥罗凝血素 α	注射剂	1 000 IU	1	是

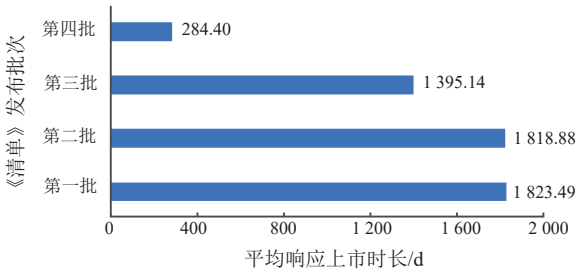


图 5 5 批《清单》中上市药品的平均响应时长

Fig.5 The Average Time to the Marketing of Drugs in Five Pediatric Drug Lists

3.2《清单》中药品纳入优先审评审批通道的情况分析

37 个上市品规中共有 23 个品规通过优先审评通道上市。5 批《清单》中药品通过优先审评审批通道上市的数量及占比稳步提升（图 6）。第一批《清单》中药品的纳入率为 75%，第四批《清单》纳入率已达 100%，显示清单与药审协同衔接的效率明显提升，《清单》中药品的上市速度明显加快。

第一批《清单》中药品纳入优先审评审批通道的有咪达唑仑口腔溶液剂、水合氯醛灌肠剂、二氮

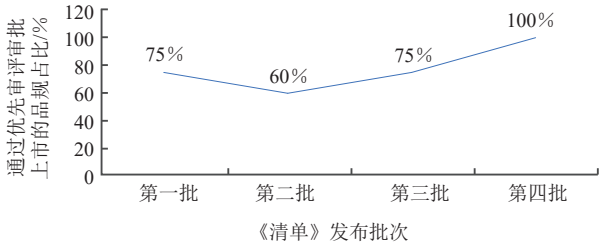


图 6　通过优先审评审批通道上市品规的占比变化

Fig.6　Proportions of Drug Listed through Priority Review and Approval

嗪混悬剂、美法仑注射剂、熊去氧胆酸混悬剂、左乙拉西坦注射剂等；第二批《清单》中有氯巴占片剂、氨己烯酸口服散剂、阿托品滴眼剂、一氧化氮吸入气体、依库珠单抗注射剂等；第三批《清单》中有阿那白滞素注射剂、苯乙酸钠 + 苯甲酸钠复方注射剂、他克莫司颗粒剂、右美托咪定鼻用喷雾剂、曲恩汀胶囊剂等；第四批《清单》中有加那索龙混悬剂、艾夫糖苷酶 α 注射剂、苯丁酸甘油酯口服溶液剂、米诺环素外用泡沫剂、培妥罗凝血素 α 注射剂等。

纳入优先审评审批通道的《清单》药品，能够显著缩短药品审评周期。以氟哌啶醇为例，该药未纳入优先审评审批程序，国家药品监督管理局药品审评中心正式受理申请时间为 2021 年 10 月 14 日，批件公告时间为 2023 年 8 月 1 日，完成审评耗时 612 天；而纳入优先审评审批程序的二氮嗪，受理申请时间为 2022 年 8 月 1 日，批件公告时间为 2024 年 1 月 9 日，审评完成仅耗时 318 天。由此可见，纳入优先审评审批程序的药品，审评周期大幅缩短，审批效率显著提升。

3.3 《清单》中药品纳入医保目录的情况分析

国家医疗保障局发布《2020 年国家医保药品目录调整工作方案》，明确将医保目录外的、儿童药品清单中的儿童药品纳入 2020 年药品目录新增范围，首次实现了医保目录和儿童药品清单在政策层面的联动[5]，明确支持医保目录纳入《清单》中的儿童药品。纳入《清单》的药品，不设置 5 年内获批的时间限制，仅需满足“医保目录申报调整程序启动之前已上市”的要求即可，强化了政策的配套和协同。

目前，《清单》的 37 个上市品规中已有 13 个品规纳入 2023 版医保目录。其中，第一批《清单》药品中共有 10 个品规上市，5 个纳入医保，占比 50%；第二批《清单》药品中共有 12 个品规上市，6 个已纳入医保，占比 50%；第三批《清单》药品中共有 9 个品规上市，7 个未纳入医保（含 4 个在 2023 年 6 月后上市的药品，因而未能申请纳入），2 个纳入医保，占比 22%；第四批《清单》由于药物上市时间与当年医保目录调整时间要求不吻合或为 2024 年新获批上市品种，未能申请纳入 2023 年医保目录；第五批《清单》目前无上市品规，暂无品规进入 2023 版医保目录。《清单》与医保目录协同衔接的力度正在加大，这将进一步提高儿童临床用药的可及性。

4　讨论与建议

从研究数据可见，每批《清单》中药品覆盖的治疗领域变化趋势与纳入罕见病用药的数量占比，都能反映出我国政策对儿童用药临床需求变化、罕见病用药的高度关注。企业响应研发相应药品的速度不断加快，通过纳入优先审评审批上市的品种占比明显提高，医保目录配套细则支持力度的加大，也都表明清单政策的激励成效逐步显现。

但值得注意的是，目前存在已上市的多个品规仅 1 ～ 2 家企业能提供供应保障，或已上市同品规未标注儿童用药信息、现上市品规非《清单》内列出规格等情况。追根溯源，可能是以下原因导致。①国内拥有儿童药品生产部门的企业少，研发生产容量有限。②儿童临床试验开展难度大，数据收集和分析难度高，修改药品儿童用药信息的积极性低。③同一通用名的药品，已有多家制药企业生产并纳入集采，市场预期不足。④《清单》中药品的品规滞后于现有研发生产技术，具备竞争优势的品种已进入市场，导致该品规未有企业申报上市。

因此，建议从以下 3 个方面优化《清单》的激励政策。①加强《清单》内药品调入、调出的动态管理。监测《清单》内药品研发上市的动态，将多年未有研发上市或与临床需求变化不符合的品种及时调出，将临床急需品规纳入《清单》，并注重不同

批次间的协同衔接。②加强政策间的协同联动。与《罕见病目录》、《临床急需境外新药品种名单》、《国家短缺药品清单》，以及国家集中采购品种等协同衔接，如明确区分成人与儿童集中采购品种的招标需求，将《清单》内的儿童药品单独作为一个组别进行评估和采购；优化儿童用药差比价规则，更加合理地考虑其特殊性，例如研发成本、市场需求较小等因素，从而避免因价格过低而影响企业的生产和供应积极性等。③加强《清单》中品种的信息公开，除公示通用名、剂型、规格信息外，还要公示具体品种鼓励研发的深层原因，从而促进企业积极投入研发和生产。

参考文献：

[1] 张花香, 王晓玲, 华雪蔚, 等. 中国儿童用药的政策文本研究 [J]. 中国医药工业杂志, 2023, **54**(2): 283-288.

[2] 王 欣, 薛佳怡, 李小芬. 鼓励政策支持下我国儿童用药上市批准情况分析 [J]. 中国新药与临床杂志, 2023, **42**(6): 337-342.

[3] 国家药品监督管理局药品审评中心.《儿童用药（化学药品）药学开发指导原则（试行）》[EB/OL]. (2020-12-31)[2024-11-29]. https://www.cde.org.cn/zdyz/fullsearchpage.

[4] 国家卫生健康委员会. 关于印发第五批鼓励研发申报儿童药品清单的通知 [EB/OL]. (2024-08-30)[2024-11-25]. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202409/content_6973293.htm.

[5] 王 乾, 杨浩宇, 蒋 丰, 等. 我国《鼓励研发申报儿童药品清单》的政策实施效果及优化 [J]. 中国医药工业杂志, 2023, **54**(8): 1269-1272.

[6] 李 燕, 李三妮, 张 萌, 等. 新生儿用药现况及鼓励研发药品清单调研 [J]. 儿科药学杂志, 2023, **29**(11): 1-5.

[7] 顾坚磊, 江建平, 田 园, 等. 人工智能技术的应用: 罕见病临床决策系统的需求、现状与挑战 [J]. 第二军医大学学报, 2018, **39**(8): 819-825.

[8] 澎湃新闻. 癫痫患儿家属代购氯巴占被诉贩毒案一审宣判："铁马冰河"免于刑事处罚 [EB/OL]. (2023-03-31)[2024-11-29]. https://www.thepaper.cn/newsDetail_forward_22523663.

