药学管理与信息

真实世界数据应用于儿童用药研发监管决策的思考

Thoughts on the Application of Real-world Data in Regulatory Decision-making for Pediatric Drug Development

凌　星[1]，何　洁[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], HE Jie[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：儿童用药因研发周期长、市场规模小及临床试验难度大，形成了高成本与低研发意愿的现状。真实世界研究作为一种新研究方法，有望成为解决儿童用药研发困境的突破口。真实世界数据（RWD）整合了电子健康档案、疾病登记等多源信息，可替代部分传统临床试验，用以支持儿童新药有效性评价、剂量优化、适应证扩展及长期安全性评价，助力完善药品说明书中的儿童用药信息。文章梳理、归纳了国内外 RWD 在儿童用药研发与监管决策中的应用进展，以期探讨并推动我国 RWD 向真实世界证据转化，加快儿童用药研发。

中图分类号：R95　　**文献标志码：**A　　**文章编号：**1001-8255(2026)05-0612-07

关键词：儿童用药；真实世界数据；真实世界研究；监管；社会与管理药学

引用：凌　星, 何　洁, 郭　文. 真实世界数据应用于儿童用药研发监管决策的思考[J]. 中国医药工业杂志, 2026, **57**(5): 612-618. DOI：10.16522/j.cnki.cjph.2026.05.016

据统计[1]，2022 年，我国医疗卫生机构儿科门急诊人次数为 4.69 亿人次，占门急诊总人次数的 7.88%。2023 年，我国 0 ～ 14 周岁儿童人口为 23 063 万，占全国总人口的 16.3%[2]。庞大的儿童群体产生了巨大的用药需求，但儿童用药的临床试验由于伦理审查严格、受试者招募困难等原因，开展困难[3]，进而影响了药品可及性。通过真实世界研究（real world study，RWS）获取儿童用药证据，有望成为摆脱儿童用药困境的突破口。

本文梳理了国内外真实世界数据（real world data，RWD）在儿童用药研发与监管决策中的应用进展，以期推动我国 RWD 向支持监管决策的真实世界证据（real world evidence，RWE）转化，进而加速儿童用药的研发进程和上市步伐。

1　研究方法

系统梳理儿童用药 RWD 应用的监管政策。①登陆 NMPA 官网（https://www.nmpa.gov.cn/）、海南博鳌乐城先行区（https://www.hainanlecheng.com/）、FDA 官网（https://www.fda.gov/）、EMA 官网（https://www.ema.europa.eu/en/homepage）、日本药品医疗器械管理局（Pharmaceuticals and Medical Devices Agency，PMDA）官网（https://www.pmda.go.jp/english/），以“儿童”“真实世界”“真实世界证据”“真实世界数据”为关键词进行检索，筛选纳入政策 31 项。②登陆中英文数据库［中国知网（https://www.cnki.net/）、Web of Science（https://www.webofscience.com）］，用组合关键词（中文用“儿童 / 儿童用药”“真实世界数据 / 真实世界证据”；英文用“pediatric/pediatric drug”“real world data/evidence”）检索，人工筛选出与研究主题高度相关的文献 10 篇。

收稿日期：2025-10-10

作者简介：凌　星，博士研究生，专业方向：医药政策与法规。

通信作者：郭　文，研究员，博士生导师，从事社会与管理药学的研究。

2 我国 RWD 在儿童药品监管决策中的应用进展

2.1 儿童用药 RWS 指导原则

2017 年，中国加入 ICH，ICH 指导原则逐步在中国落地实施。2017 年 8 月，ICH 发布了 ICH E11 补充文件《儿童用药品的临床试验》[4]。2019 年 5 月，NMPA 发布《真实世界证据支持药物研发的基本考虑（征求意见稿）》[5]，公开征求社会各界意见。2019 年 6 月，NMPA 和海南省人民政府联合启动海南临床 RWD 应用试点工作，乐城先行区成为 RWS 的“试验田”。2020 年 1 月，NMPA 发布《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则（试行）》[6]，首次明确指出将 RWE 用于拓展药物适应证人群（如儿童）。2020 年 8 月，NMPA 发布了专门针对儿童用药研发与审评的《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）》[7]，明确了适用的 5 种情形，具体如下。①新活性成分药品上市后研究，用于长期安全性及儿童生长发育影响评价；②数据外推策略，针对境外已批准的儿童适应证、国内仅批准用于成人的药品（如进口原研药 / 仿制药），通过上市后 RWS，验证其应用于中国儿童时的剂量合理性及安全性；③超说明书用药数据转化，利用规范的历史处方数据或前瞻性研究，为国内已上市成人药品拓展儿童适应证提供支持；④对于儿童罕见病及危重症的治疗，以 RWE 替代无法实施的随机对照试验作为历史对照；⑤精准剂量或给药方式调整等其他优化需求。

自 2019 年以来，NMPA 围绕 RWD/RWE 支持药物研发与注册审评，逐步构建并完善了我国相关政策与技术指导体系（表 1）[5-15]，从初期的基础考量扩展至针对儿童用药、中药复方制剂、罕见病等具体领域的指导原则。

近年来，在政策持续支持与医疗技术创新的双重推动下，我国 RWS 应用发展迅速，但也面临着多重挑战，如 RWD 来源与访问受限、隐私问题阻碍数据共享、RWD 标准化方法欠缺等。

2.2 RWD 应用于监管决策的案例

RWD/RWE 在国内药品监管中的应用已取得实质性进展（表 2），包括支持药物获批、优化已上市药品的用法、拓展适用证人群（尤其是儿童患者），以及作为关键证据用于医保准入。NMPA 采纳 RWD/RWE，批准普拉替尼胶囊、注射用盐酸曲拉西利[16]等 10 项药物上市，其中布洛芬注射液[17]、丙酸氟替卡松吸入气雾剂、司库奇尤单抗注射液[18-19]涉及儿童用药领域。

3 国际经验总结

为规范 RWD/RWE 在药品研发与监管决策中的合理应用，美国、欧盟、英国、日本及加拿大等国家和地区的药品监管机构已陆续发布了一系列法律、政策与技术指导文件（表 3）[20-39]。

2008 年，FDA 启动哨点计划，利用电子医疗健康数据对上市产品安全性进行主动监测，加速探索 RWE 用于药品注册上市早期有效性和安全性的评估[40]。

表 1 我国 RWD 相关政策（部分）

Tab.1 Revelant Policies on RWD in China (Part)

发布时间	政策名称	发布机构
2019 年 5 月	《真实世界证据支持药物研发的基本考虑（征求意见稿）》[5]	NMPA 药品审评中心
2020 年 1 月	《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则（试行）》[6]	NMPA
2020 年 8 月	《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）》[7]	NMPA 药品审评中心
2021 年 4 月	《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则（试行）》[8]	NMPA 药品审评中心
2021 年 12 月	《患者报告结局在药物临床研究中应用的指导原则（试行）》[9]	NMPA 药品审评中心
2022 年 4 月	《基于人用经验的中药复方制剂新药临床研发指导原则（试行）》[10]	NMPA 药品审评中心
2022 年 6 月	《罕见疾病药物临床研究统计学指导原则（试行）》[11]	NMPA 药品审评中心
2023 年 2 月	《真实世界证据支持药物注册申请的沟通交流指导原则（试行）》[12]	NMPA 药品审评中心
2023 年 2 月	《药物真实世界研究设计与方案框架指导原则（试行）》[13]	NMPA 药品审评中心
2023 年 3 月	《单臂临床试验设计用于支持抗肿瘤药上市申请的适用性技术指导原则》[14]	NMPA 药品审评中心
2024 年 11 月	《基于疾病登记的真实世界数据应用指导原则（试行）》[15]	NMPA 药品审评中心

表 2　我国通过 RWD 支持药物上市的案例

Tab.2　Case of Drug Approval Supported by RWD in China

药品名称	申报企业名称	适应证	说明
普拉替尼胶囊	蓝图医药（Blueprint Medicines）	非小细胞肺癌	首个使用 RWD 辅助评价获批的创新药
氟轻松玻璃体内植入剂	艾点制药（EyePoint）	慢性非感染性葡萄膜炎	我国基于境外临床试验数据及国内患者临床 RWD 批准的首个进口注册药品，提前获得 NMPA 的上市批复，商业化进程缩短约 1 年半
注射用盐酸曲拉西利	先声药业 / 基一治疗（G1 Therapeutics）	预防广泛期小细胞肺癌患者化疗引起的骨髓抑制	海南临床 RWD 应用试点获批的第 3 个药品品种。基于上市后 RWD 研究，证实其化疗前给药可降低骨髓抑制发生率。依托 RWD 支持医保准入，于 2024 年成功纳入医保目录 [16]
英克司兰钠注射液	诺华制药	高胆固醇血症或混合性血脂异常	以中国人群为主的亚洲III期临床试验及 RWD，进一步验证了英克司兰钠对中国患者具有强效、持久的降脂疗效
布洛芬注射液	—	抗炎、镇痛、解热	通过申请豁免中国儿童临床研究，增加了儿童适应证 [17]
丙酸氟替卡松吸入气雾剂	葛兰素史克	哮喘	通过境外≥ 1 岁儿童患者的临床研究证据，申请扩展中国适用证人群范围
硫培非格司亭注射液	恒瑞	非髓性恶性肿瘤	基于 RWD 前瞻性研究，将原说明书要求的“化疗结束后 48 h 给药”修订为“化疗结束后 24 ～ 48 h 内给药”
贝伐珠单抗注射液	罗氏	非小细胞肺癌	RWE 拓展适应证的代表性品种。从“联合卡铂与紫杉醇的化疗”扩大至“联合以铂类为基础的化疗”
司库奇尤单抗注射液	诺华制药	银屑病	通过 RWD 新增儿童适应证 [18-19]

2018 年，日本 PMDA 建立的日本医疗信息数据库网络（medical information database network，MID-NET）正式运行，整合了 23 家医院自 2009 年以来 490 万患者的诊疗数据。2021 年，PMDA 发布了《使用登记数据系统用于注册申报的基本原则》[39]，明确了 RWD 使用的一般原则，引导申报者利用患者登记数据和医疗信息数据库产出的 RWE 以支持药品监管决策。

加拿大药品及卫生技术局于 2018 年发布《单一药物评估中真实世界证据的应用》[36]，具体阐述了卫生技术评估与监管机构如何在单药技术评估中整合应用 RWE，以评估药物的有效性和安全性。2019 年发布的《优化真实世界证据用于监管决策指南》指出，要加强 RWE 的使用，鼓励医药企业提交高质量的 RWE，旨在扩大常被排除在临床试验之外人群（如儿童）的循证适应证，系统性支持 RWD 在药品全生命周期监管决策中的实践 [41]。

2021 年，英国药品和健康产品管理局发布了 2 项指南，明确在随机对照试验等研究中运用 RWD 支持监管决策的规范。

自 2025 年起，EMA 联合欧盟药物监管网络，着力建立可持续、系统性的 RWD 应用框架，推动 RWD 应用于药品研发、注册、监管、支付、报销等全生命周期的决策过程中 [42]。

国外药品监管体系的政策演进与实施路径对我国药品监管具有启示作用 [43]。欧美地区在 RWD/RWE 的系统性整合、数据基础设施建设以及实际监管案例方面相对成熟。本文重点分析美国和欧盟的情况，了解 RWD 应用于药品监管决策的实施进展。

3.1　美国

2019 年 1 月至 2021 年 6 月，FDA 批准的 116 项申请纳入了 RWE，其中 65 项申请中的 RWE 影响了 FDA 的最终决定，38 项 RWE 信息被纳入药品说明书 [44]。2021 年 1 月至 2022 年 12 月，FDA 批准了 255 项新药申请（new drug applications，NDA）/ 生物制品许可申请（biologics license applications，BLA）。在其中获批的 88 个新分子实体申请中，有 92%提交申请时将 RWE 作为支持注册申报证明材料的一部分，有 16 项申请使用 RWE 来支持首次批准新药的有效性和安全性 [44]。

越来越多的制药企业将 RWE 作为新药首次申请或已上市药物扩展适应证等申请的证据。例如，他克莫司最初获批用于肝移植后的免疫抑制。2021 年 7 月，FDA 基于 RWE 批准其新适应证：预防肺移植后的器官排斥反应 [45]。FDA 支持利用 RWE 扩展药

表 3 支持 RWD 应用的相关政策

Tab.3 Policies Supporting RWD Applications

发布时间	政策名称	英文名称	发布机构
2016 年 12 月	《21 世纪治愈法案》	21st Century Cures Act[20]	美国国会
2017 年 9 月	《处方药使用者付费法案》	Prescription Drug User Fee Act[21]	美国国会
2018 年 7 月	《临床研究中电子健康记录数据使用指南》	Use of Electronic Health Record Data in Clinical Investigations Guidancefor Industry[22]	FDA
2018 年 12 月	《FDA 真实世界证据计划框架》	Framework for FDA's Real-world Evidence Program[23]	FDA
2022 年 9 月	《使用真实世界数据与证据向 FDA 提交药品和生物制品文件》	Submitting Documents Using Real-world Data and Real-world Evidence to FDA for Drug and Biological Products[24]	FDA
2023 年 1 月	《药品和生物制品外部对照试验设计与实施的考量》	Considerations for the Design and Conduct of Externally Controlled Trials for Drug and Biological Products[25]	FDA
2023 年 8 月	《使用真实世界数据和真实世界证据支持药品和生物制品监管决策的考虑因素》	Considerations for the Use of Real-world Data and Real-world evidence to Support Regulatory Decision-making for Drug and Biological Product[26]	FDA
2023 年 12 月	《包含真实世界数据的药物和生物制品提交的数据标准》	Data Standards for Drug and Biological Product Submissions Containing Real-world Data[27]	FDA
2023 年 12 月	《真实世界数据：评估登记以支持药品和生物制品的监管决策》	Real-world Data: Assessing Registries to Support Regulatory Decision-making for Drug and Biological Products[28]	FDA
2024 年 7 月	《真实世界数据：评估电子健康记录与医疗理赔数据以支持药品和生物制品的监管决策》	Real-world Data: Assessing Electronic Health Records and Medical Claims Data to Support Regulatory Decision-making for Drug and Biological Products[29]	FDA
2021 年 10 月	《基于登记库研究的指南》	Guideline on Registry-based Studies[30]	EMA
2022 年 9 月	《使用 HMA-EMA 真实数据源和研究目录的良好实践指南》	Good Practice Guide for the use of the HMA-EMA Catalogues of Real-world Data Sources and Studies[31]	EMA
2022 年 10 月	《HMA-EMA 真实世界数据源和研究目录的元数据列表》	List of Metadata for the HMA-EMA Catalogues of Real-world Data Sources and Studies[32]	EMA
2024 年 12 月	《EMA 提供的真实世界证据指南：支持监管决策》	Guide on Real-world Evidence Provided by EMA: Support for Regulatory Decision-making[33]	EMA
2021 年 12 月	《利用真实世界数据支持监管决策的随机对照试验MHRA指南》	MHRA Guideline on Randomised Controlled Trials Using Real-world Data to Support Regulatory Decisions[34]	英国药品和健康产品管理局
2021 年 12 月	《临床研究中使用真实世界数据支持监管决策的 MHRA 指南》	MHRA Guidance on the Use of Real-world Data in Clinical Studies to Support Regulatory Decisions[35]	英国药品和健康产品管理局
2018 年 4 月	《单一药物评估中真实世界证据的应用》	Use of Real-world Evidence in Single-drug Assessments[36]	加拿大药品及卫生技术局
2019 年 4 月	《优化真实世界证据用于监管决策》	Optimizing the Use of Real-world Evidence to Inform Regulatory Decision-making[37]	加拿大药品及卫生技术局
2020 年 7 月	《开展上市后数据库研究中结局定义验证的基本原则制定》	Development of Basic Principles in Conducting a validation of Outcome Definitions Used in Post-Marketing Database Studies[38]	日本 PDMA
2021 年 3 月	《使用登记数据系统用于注册申报的基本原则》	Basic Principles on Utilization of Registry for Applications[39]	日本 PDMA

物适应证，用于更新和完善药品说明书信息。杜克大学研究[40]显示，RWE 在罕见病与儿童用药领域具有独特的应用价值，可有效突破传统随机对照试验难以实施的困境。通过整合电子健康记录、疾病登记系统及医保数据库等多源数据，RWE 可为监管决策提供重要依据。

3.2 欧盟

2022 年，欧盟 EMA 建立了数据和真实世界数据分析网络（Data Analysis and Real World Interrogation Network，DARWIN EU）。截至 2023 年 2 月，来自 9 个欧盟国家的首批 10 个数据合作伙伴加入该网络。目前，DARWIN EU 已能够协调获取

16 个国家 39 个数据源（包含 1.8 亿患者）的健康数据，每年开展超 100 项的 RWS。所有加入的数据库都会被转换成通用数据模型（common data model，CDM），以统一数据的结构、内容和语义，从而产出具有显著可比性、可重复且快速应用的 RWD[42]。

2023 年 6 月，EMA 在多利益相关方参与的 RWD 质量和 RWE 应用研讨会上，公布了从 2021 年 9 月至 2023 年 2 月适应性许可试点项目的执行情况。该阶段共确定 61 个用于生成 RWE 的研究主题，其中 23%针对儿科领域，充分肯定了 RWD 在推动儿童用药研发方面的潜力。

4　讨论

我国已初步构建了以《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）》[7] 为核心的政策框架。NMPA 基于 RWE 批准布洛芬注射液等在儿童用药的实践，验证了 RWE 在解决儿科用药临床试验可行性难题中的现实价值。

然而，对比我国与其他国家在应用 RWD 加速儿童用药研发与监管决策方面的实践经验可知，欧美等国注重国家级数据基础设施建设，RWD 网络覆盖范围更广，而我国尚缺乏国家级 RWD 网络平台，跨系统数据整合能力存在短板。美国 Sentinel、欧盟 DARWIN EU、日本 MID-NET 等国家级数据系统的建设，实现了跨数据合作方的数据利用，解决了 RWD 在来源访问和跨系统整合中存在的显著限制，丰富并提升了 RWD 来源和质量。

欧美等国的 RWD 在药品审批过程中的应用更充分，我国目前仅少量药品以 RWE 作为支持证据获批，整体应用仍处于试点阶段。FDA 批准的采用 RWE 证明有效性的药物中，有 55%为儿童用药[40]；在欧盟，试点项目中有 23%的研究针对儿科人群[42]。欧美等国会适时发布 RWD 的应用实例信息，对企业予以指导，目前我国尚未发布系统性 RWD 应用实例相关的文件或信息。

5　建议

5.1　构建国家级 RWD 平台体系

建议以海南博鳌乐城试点基础上，扩大试点城市范围，增设国家级 RWD 平台模块。借鉴欧盟 DARWIN EU 网络架构，整合医疗、医药、医保的多源数据，实现数据归一化与通用化处理，提高平台 RWD 的可用性和完整性。

建议从儿童用药领域开始探索，设立“儿童用药数据专项”，制定儿科专用的 RWD 采集标准，优先纳入国家级儿童医学中心、区域儿科诊疗中心等大型综合医院的优势儿科以及新生儿重症监护室来源的数据，确保数据覆盖从新生儿到青少年的全年龄段人群，并能反映儿科罕见病、先天性疾病等特殊用药场景。

5.2　建立监管前置沟通机制

为确保 RWD 能产生符合药品监管要求的科学证据，建议完善监管前置沟通机制。鼓励制药企业在研究设计初期主动向药品监管部门提出沟通申请，就研究方案的核心要素进行预先讨论，沟通重点应包括但不限于：拟使用的 RWD 来源的代表性与可靠性、研究方案的科学合理性、统计分析计划，以及拟生成 RWE 的具体注册与决策用途。开展早期常态化沟通与透明化交流，可就可行性及证据开发目标形成初步共识，提前规避关键试验设计缺陷，提升整体研究效率，最终确保产出的 RWD 符合药品审评的规范性与严谨性要求[40,46]。

5.3　打造 RWE 信息共享生态

建立 RWD 监管决策案例库，专项分类整理儿童用药案例，追踪 RWE 采纳 / 拒绝信息，提炼数据转化为科学证据的经验；搭建跨学科 RWE 信息共享平台，搭建儿科 RWS 协作网络，促进工业界与临床、统计等领域专家协作，为儿童用药 RWS 的开展提供针对性技术指导与专业建议，助力研究质量提升。

打造 RWE 信息共享生态，形成 RWD 持续反馈机制，有助于药品监管机构、制药工业界和学术界深入了解 RWE 可接受的影响因素，提高 RWE 质量，进一步推动 RWD 和 RWE 在产品有效性、安全性监管决策中的应用。

参考文献：

[1]　国家卫生健康委员会．中国卫生健康统计年鉴2023[M]．北京: 中国协和医科大学出版社, 2024.

[2] 国家统计局. 各年龄段人口数[EB/OL]. [2025-06-14]. https://data. stats. gov. cn/ifnormal. htm?u=/files/html/vchart/vchart_002/vchart_002. html&h=730.

[3] 王 璐, 黄 哲. 真实世界证据改善儿童药物临床试验障碍的对策研究[J]. 中国新药杂志, 2022, **31**(19): 1872-1875.

[4] ICH. ICH E11(R1) guideline on clinical investigation of medicinal products in the pediatric population [EB/OL]. [2026-01-26]. https://database. ich. org/sites/default/files/E11_R1_Guideline. pdf.

[5] 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公开征求《真实世界证据支持药物研发的基本考虑》意见的通知[EB/OL]. (2019-05-29)[2026-01-19]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/7e6fb9fc3f066a966a02130f24dbff1c.

[6] 国家药品监督管理局. 国家药监局关于发布真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)的通告[EB/OL]. (2020-01-03)[2026-01-19]. https://www. nmpa. gov. cn/xxgk/ggtg/ypggtg/ypqtggtg/20200107151901190. html.

[7] 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《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)》的通告[EB/OL]. (2020-08-27)[2026-01-20]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/6906389100848948deb49a484197902b.

[8] 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《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2021-04-13)[2026-01-20]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/2a1c437ed54e7b838a7e86f4ac21c539.

[9] 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《患者报告结局在药物临床研发中应用的指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2021-12-27)[2026-01-20]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/c2f79c22e8678241b030c71523eb300c.

[10] 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《基于人用经验的中药复方制剂新药临床研发指导原则(试行)》《基于“三结合”注册审评证据体系下的沟通交流指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2022-04-29)[2026-01-20]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/8a1682a8d37494732f7f441dd11f5af6.

[11] 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《罕见疾病药物临床研究统计学指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2022-06-02)[2026-01-20]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/058e0d665b785e79b7f4f24dc1dc970c.

[12] 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《真实世界证据支持药物注册申请的沟通交流指导原则(试行)》的通告(2023年第6号)[EB/OL]. (2023-02-6)[2026-01-20]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/8b59a85b13019b5084675edc912004f1.

[13] 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《药物真实世界研究设计与方案框架指导原则(试行)》的通告(2023年第5号). [EB/OL]. (2023-02-6)[2026-01-20]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/14aac16a4fc5b5841bc2529988a611cc.

[14] 国家药品监督管理局药品审评中心. 关于发布《单臂临床试验用于支持抗肿瘤药上市申请的适用性技术指导原则》的通告(2023年第13号)[EB/OL]. (2023-03-14)[2026-01-20]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/9f0c25dee6ba6781af809b36cf682eb6.

[15] 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《基于疾病登记的真实世界数据应用指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2024-11-12)[2026-01-20]. https://www. cde. org. cn/main/news/viewInfoCommon/a8d3a782d45feebfcc700e79f3d86326.

[16] 南海网. 患者年省约20万元！海南让这款创新药从“用得上”到“用得起”[EB/OL]. (2025-03-02)[2025-06-18]. https://hainan. ifeng. com/c/8hOVisgbTvF.

[17] 张 豪, 耿 莹, 孙艳喆, 等. 《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)》起草背景及要点内容[J]. 中国临床药理学杂志, 2021, **37**(2): 197-200.

[18] BODEMER C, KASZUBA A, KINGO K, *et al*. Secukinumab demonstrates high efficacy and a favourable safety profile in paediatric patients with severe chronic plaque psoriasis: 52-week results from a phase 3 double-blind randomized, controlled trial [J]. *J Eur Acad Dermatol Venereol*, 2021, **35**(4): 938-947.

[19] 诺华制药. 诺华可善挺®(司库奇尤单抗)在华获批儿童及青少年银屑病适应证[EB/OL]. [2025-06-18]. https://www. novartis. com. cn/news/novartis-cosentyx-secukinumab-approved-in-china-for-the-indication-of-psoriasis-in-children-and-adolescents.

[20] The United States Congress. 21st Century Cures Act(public law 114-255)[EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. congress. gov/114/plaws/publ255/PLAW-114publ255. pdf.

[21] The United States Congress. Food and Drug Administration Reauthorization Act of 2017(FDARA, Public Law 115-52)

[EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. congress. gov/crs-product/R44961?q= % 7B % 22search % 22 % 3A % 22Food+and+Drug+Administration+Reauthorization+Act+of+2017+% 28FDARA% 2C+P. L. +115-52% 29. % 22% 7D&s=2&r=1.

[22] FDA. Use of electronic health record data in clinical investigations: guidance for industry [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. fda. gov/media/97567/download.

[23] FDA. Framework for FDA's real-world evidence program [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. fda. gov/media/120060/download?attachment.

[24] FDA. Submitting documents using real-world data and real-world evidence to FDA for drug and biological products: guidance for industry [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. fda. gov/media/124795/download.

[25] FDA. Considerations for the design and conduct of externally controlled trials for drug and biological products [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. fda. gov/media/164960/download.

[26] FDA. Considerations for the use of real-world data and real-world evidence to support regulatory decision-making for drug and biological products [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. fda. gov/media/171667/download.

[27] FDA. Data standards for drug and biological product submissions containing real-world data [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. fda. gov/media/153341/download.

[28] FDA. Real-world data: assessing registries to support regulatory decision-making for drug and biological products [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. fda. gov/media/154449/download.

[29] FDA. Real-world data: assessing electronic health records and medical claims data to support regulatory decision-making for drug and biological products [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. fda. gov/media/152503/download.

[30] EMA. Guideline on registry-based studies [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. ema. europa. eu/en/documents/scientific-guideline/guideline-registry-based-studies_en. pdf.

[31] EMA. Good practice guide for the use of the HMA-EMA catalogues of real-world data sources and studies [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. ema. europa. eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/good-practice-guide-use-hma-ema-catalogues-real-world-data-sources-studies_en. pdf.

[32] EMA. List of metadata for the HMA-EMA catalogues of real-world data sources and studies [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. ema. europa. eu/en/documents/other/list-metadata-hma-ema-catalogues-real-world-data-sources-studies_en. pdf.

[33] EMA. Guide on real-world evidence provided by EMA: support for regulatory decision-making [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. ema. europa. eu/en/about-us/how-we-work/data-regulation-big-data-other-sources/real-world-evidence.

[34] MHRA. MHRA guideline on randomised controlled trials using real-world data to support regulatory decisions [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. gov. uk/government/publications/mhra-guideline-on-randomised-controlled-trials-using-real-world-data-to-support-regulatory-decisions.

[35] MHRA. MHRA guidance on the use of real-world data in clinical studies to support regulatory decisions [EB/OL]. (2025-07-17) [2026-01-28]. https://www. gov. uk/government/publications/mhra-guidance-on-the-use-of-real-world-data-in-clinical-studies-to-support-regulatory-decisions.

[36] CADTH. Use of real-world evidence in single-drug assessments [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. cda-amc. ca/sites/default/files/pdf/es0323-rwe-in-single-drug-appraisal. pdf.

[37] CADTH. Optimizing the use of real world evidence to inform regulatory decision-making [EB/OL]. [2026-01-28]. https://www. canada. ca/en/health-canada/services/drugs-health-products/drug-products/announcements/optimizing-real-world-evidence-regulatory-decisions. html.

[38] PMDA. Development of basic principles in conducting a validation of outcome definitions used in post-marketing database studies [EB/OL]. (2020-07-31) [2026-01-28]. https://www. pmda. go. jp/files/000270248. pdf.

[39] PMDA. Basic principles on utilization of registry for applications [EB/OL]. (2021-03-23) [2026-01-28]. https://www. pmda. go. jp/files/000240810. pdf.

[40] MAHENDRARATNAM N, MERCON K, GILL M, *et al*. Understanding use of real-world data and real-world evidence to support regulatory decisions on medical product effectiveness [J]. *Clin Pharmacol Ther*, 2022, 111(1): 150-154.

[41] WANG J, CHEN J, ZHAO J, *et al*. Establishment of RWS guidance reflecting contributions of China to regulatory

（下转第 624 页）

［D］. 锦州: 渤海大学硕士论文, 2020.

［8］ 临床医学研究与实践. 医学论文中的多元线性回归分析［EB/OL］. (2023-08-17)［2025-02-26］. https://mp.weixin.qq.com/s/NwxJijzZbb-eicJrqXKQLg.

［9］ 中国证券监督管理委员会. 中国证监会发布《关于深化上市公司并购重组市场改革的意见》［EB/OL］. (2024-09-25)［2025-02-26］. https://www.gov.cn/lianbo/bumen/202409/content_6976331.htm.

（上接第 618 页）

science［J］. *J Biopharm Stat*, 2024, **34**(6): 864-872.

［42］ PRILLA S, GROENEVELD S, PACURARIU A, *et al*. Real-world evidence to support EU regulatory decision making-results from a pilot of regulatory use cases［J］. *Clin Pharmacol Ther,* 2024, **116**(5): 1188-1197.

［43］ 王　雪, 杨　悦. 真实世界证据应用于儿科医药产品研发中的挑战及对策研究［J］. 中国药房, 2021, **32**(10): 1165-1172.

［44］ MOHETAER M, TUERSUN A, LI P, *et al*. Drug review and approval policies based on real-world evidence in china and the United States: a comparative study［J］. *Clin Ther*, 2024, **46**(12): 1059-1068.

［45］ 徐景和. 药械真实世界数据研究应用的若干思考［J］. 中国食品药品监管, 2023, (6): 4-11.

［46］ NISHIOKA K, MAKIMURA T, ISHIGURO A, *et al*. Evolving acceptance and use of RWE for regulatory decision making on the benefit/risk assessment of a drug in Japan［J］. *Clin Pharmacol Ther*, 2022, **111**(1): 35-43.