DOI 10.15302/J-SSCAE-2023.05.003

我国医药产业发展态势分析及展望

孔菲[1,2,3]，曹原[2,3]，徐明[2,3]，李海燕[1]，乔杰[1,3*]

（1. 北京大学第三医院医学创新研究院，北京 100191；2. 北京大学医学部学科建设办公室，北京 100191；
3. 北京大学临床医学高等研究院，北京 100191）

摘要：医药产业发展是保障人民生命健康的基石。本文较为全面深入地比较了国内外医药产业的发展态势，分析指出医药产业市场全球总规模及在各国的战略地位正不断提升，同时我国医药产业发展前景广阔，潜在市场空间大。在此基础上，进一步梳理探讨我国医药产业发展前景及驱动因素，包括人口结构改变及健康意识的提高、全球竞争性压力增加、政府对医药产业的持续投入以及头部企业研发投入自主加大。而后，文章从医疗实践角度出发，就精准性、安全性、时效性、可负担性和政策保障性五个方面提出了医药产业面临的挑战。进一步对应面临的挑战，提出了针对性的对策建议。研究提出，要集中力量建设并维护精细化大型人群队列及数据平台；抓紧推动我国国际领先的前沿技术领域发展，并支持其研发转化，推动其占据医药研发原始创新高地；推动医药研发产业化进程和推广应用，在研发和临床实验阶段鼓励“产学研”结合、在评审阶段增强同技术发展相符的评审能力、在促进创新产品推广阶段增强知识产权等保障服务能力；面对医疗应用，需要完善多层级医疗保障渠道，从患者实际需求出发减轻患者自费负担；对于整体行业而言，需要增强政策保障全链条性及实施效率，有效激发医疗行业的发展动力。以期为我国医药产业后续投入、政策制定和发展决策提供参考依据。

关键词：医药产业；医药研发；优先战略；驱动因素；全链条保障

中图分类号：R9　　**文献标识码：**A

Analysis and Prospect of the Pharmaceutical Industry Development Trend in China

Kong Fei[1,2,3], Cao Yuan[2,3], Xu Ming[2,3], Li Haiyan[1], Qiao Jie[1,3*]

(1. Institute of Medical Innovation Research, Peking University Third Hospital, Beijing 100191, China; 2. Subject Construction Office, Peking University Health Science Center, Beijing 100191, China; 3. Institute of Advanced Clinical Medicine, Beijing 100191, China)

Abstract: The development of the pharmaceutical industry is the cornerstone for safeguarding people’s lives and health. This study is based on a macro perspective and provides a comprehensive and in-depth comparison of the development trend of the pharmaceutical industry in China and abroad. It is pointed out that the global market size and strategic position of the pharmaceutical industry in various countries are constantly improving. Meanwhile, the development prospect of China’s pharmaceutical industry is broad, and the potential market space is large. On this basis, we further explore the development prospects and driving factors of China’s pharmaceutical industry, including changes in population structure and increased health awareness, increasing global competitive pressure, sustained government investment and support for the pharmaceutical industry, and increase in research and development

收稿日期：2023-08-16；**修回日期：**2023-09-20

通讯作者：*乔杰，北京大学第三医院主任医师、教授，中国工程院院士，主要研究方向为生殖内分泌疾病诊疗与辅助生殖技术；
E-mail: jie.qiao@263.net

资助项目：中国工程院咨询项目“生命健康领域自立自强科技创新体系与能力提升战略研究”(2022-XBZD-16)

本刊网址：www.engineering.org.cn/ch/journal/sscae

(R & D) investment by leading enterprises. Moreover, from the perspective of medical practice, we propose the challenges faced by the pharmaceutical industry in five aspects: precision, safety, timeliness, affordability, and policy guarantee. Furthermore, in response to the challenges we face, we propose the following targeted countermeasures: (1) building and maintaining a refined large-population-based cohort and data platform while providing sustained support; (2) accelerating the R & D and transformation of China's internationally leading technologies in the pharmaceutical industry to strengthen original innovation and seize the market; (3) promoting the industrialization of pharmaceutical R & D by encouraging industry–education–research integration in the R & D and clinical trials stage, strengthening the evaluation ability in the evaluation stage, and improving guarantee services such as intellectual property protection in the promotion stage of innovative products; (4) improving multi-level medical security channels to strive for more sources of support and reduce the burden of self-payment for patients; and (5) enhancing the full chain of policy protection and implementation efficiency to effectively stimulate the development momentum of the medical industry. This study aims to provide a reference for the subsequent investment, policy formulation, and development decisions of China's pharmaceutical industry.
Keywords: pharmaceutical industry; pharmaceutical research and development; priority strategies; drivers; full chain guarantee

一、前言

党的二十大报告明确提出，推进健康中国建设，要把保障人民健康放在优先发展的战略位置，完善人民健康促进政策。医药产业发展是维护生命健康的核心支柱，从1895年伦琴发现X射线引发的医学诊断革命，到循证医学、精准医学和高清医学的迭代演进，医学新方法、新设备、新药品的创新研发极大地提高了临床医疗的救治水平和服务能力，促进了人类对自身健康的掌控感和获得感。当下，医药领域市场内涵庞大：具有品牌效应的医疗服务、不断提出运行新模式的医疗商业，以及临床医疗器械、原料药、品种及销售驱动的仿制药、科技创新驱动的创新药、生物制品、非处方药和保健品等产品覆盖了生命健康保障预防、诊断、治疗、康复全流程。而与此同时，需要注意的是，人类自身和社会发展历史一直都处于同各种慢性病或新发突发未知疾病做抗争的发展轨迹中，疾病大流行和全球化演变对世界格局的冲击不断要求各国应努力实现自立自强，剖析并增强自身应对疾病防控诊治的能力。

目前我国医药市场发展报告以产业白皮书为主，侧重分析研发管线及各细分领域的市场占比等，与医药研发密切相关的技术常以技术报告形式分条列举，未从医药研发、服务、转化保障等全链条进行介绍。在此背景下，本文立足宏观视角，首先列举和比较全球、特别是发达国家医药产业发展战略特色及全链条支撑保障情况，在简要展望我国医药领域发展前景的基础上分析发展背后涉及的人口、经济等多方面驱动因素。进一步从患者角度出发，指出我国医药产业发展面临的挑战并提出针对性建议，以期为我国医药领域后续投入、政策制定和发展决策提供参考依据，满足人民健康高质量需求。

二、国际医药产业发展态势

随着全球经济的不断发展，医疗科技的持续突破，世界各地人民健康意识的不断增强以及人均可支配收入的增长，全球医药行业市场总规模一直保持稳定上升态势。2020年，全球医药行业市场规模逼近1.4万亿美元，预计到2027年将达到1.9万亿美元，其中肿瘤和免疫领域将实现最高绝对增长。从增速角度来看，受新型冠状病毒感染疫情影响，2019年至今，全球医药市场增速每年都存在较大波动，预计从2024年开始，医药行业市场规模有望恢复到4%~5%这一增速水平[1]。长期而言，世界各国近年来更加强调将医药领域发展作为国家战略的重要意义，近年来，各国不断出台相关文件并有侧重地围绕自身发展目标进行从技术研发支撑到成果转化、审批、定价、知识产权保护等政策保障的全链条支撑体系（见表1）。

（一）美国强调重点领域的创新突破，注重为医药创新全链条提供充分的保障

《21世纪治愈法案》是美国政府为新药开发立法的又一个里程碑，不仅进一步推动了美国食品药品监督管理局（FDA）对新药评审的改革，也赋予了美国国立卫生研究院（NIH）更多的研究资源，有利于促进基础医疗研究的发展。2021年4月，美国政府提议拟成立“高级健康研究计划局”（ARPA-H）[2]，该部门依托NIH进行运作，申请预算为65亿美元。ARPA-H是一个系统性的、从分子到社会全面覆盖的机构，对突破性技术和广泛适用

表1 医药产业发展保障支撑体系的国际比较

支撑体系	美国	日本	英国	德国	中国
研发支撑	以NIH为主的体系，包括临床和转化医学中心、国家实验室和研究型医院等	广泛的学科领域布局和庞大的人才队伍建设助力生物医学前沿研发	通过机构改革，优化科研资助与管理体系，强化生物医药基础研究和核心技术攻关，注重推动国际合作	大学、研究机构、制药公司形成数十处生物产业集群	从人才培养、技术攻关和国际合作等方面助力研发
成果转化	支持癌症、孤儿药及脑部疾病研发和转化	“官产学研”合作网络，形成了密集的生物技术产业园区	发挥知名生物技术产业园区的集群效应，加强（中小）企业研发资助	设置专门项目支持生物医药初创企业，促进生物医药转化	鼓励“产业园”“高新区”等产业研发-转化聚集发展
审评审批	以FDA为核心的全球范围内领先的、最严格药品审评审批体系，同时正不断改革审批程序以服务药械研发	推动创新药国际同步开发，设立新药特殊审评渠道，沟通咨询机制，助力研发降本增效	高效、科学、灵活、全生命周期的临床试验科学性审查和伦理审查	欧盟范围内趋向统一的临床试验审批和创新药上市注册的集中程序	药审改革推动创新药的全球同步开发和在中国注册上市
定价与市场准入	创新药垄断定价与医疗卫生支付改革	对创新药与仿制药灵活定价	基于英国国家卫生与临床优化研究所（NICE）开展的卫生技术评估，制定药物目录，实施药品补偿政策	法定保险和私人保险双元并立、政府干预与市场调节相结合的医疗保险，多机制调控药价	国家医保药品目录准入谈判，加速新药准入，强化鼓励创新的价值导向；同时以降价药为突破口进行供给侧改革，严格准入标准，建立稳定的公共卫生投入机制
知识产权保护	与医药产业适应的专利保护、数据保护、专利期补偿等制度	根据创新程度给予差异化的保护力度	“药品补充保护证书制度”（SPC）等延长创新药的保护，对儿科用药还有特殊优待	趋于完善的药品知识产权保护与欧盟“药品补充保护证明制度”	加强医药集中采购领域知识产权保护
数字化创新	在政策引领下，加快医疗信息化的发展进程和数字医疗产品的创新应用	—	注重建立开放性的临床试验数据平台	参考《欧洲药物战略》立法、加强监管机构交流、推动人工智能的应用，以实现数字化创新	建设信息化基础设施支撑体系，推进数字健康融合、“互联网+医药”新生态创新发展体系建设等

的平台、配置、资源和解决方案进行关键投资，专注于促进公平和迅速将突破转化为切实解决所有患者实际问题的方案，倡导健康和医学创新的文化理念[3]。具体来看，ARPA-H是以1958年成立的美国国防部高级研究计划局（DARPA）为模板，借鉴其筛选机制和运行机制，ARPA-H不会让项目申请提案进入长周期和复杂的同行评审过程等，负责人拥有较大的权力来做出融资决策。ARPA-H通过资助高风险的创新项目来加快医疗技术的发展，尤其关注癌症、糖尿病和阿尔茨海默病的防治，同时追求其他能够重塑健康研究的变革性创新[4]。2022年，美国政府出台《国家生物技术和生物制造计划》，同时宣布提供20多亿美元的资金推进这项行政命令。2023年，进一步形成《美国生物技术和生物制造的明确目标》，为实现生物经济发展制定具体目标[5]。

（二）日本确立“生物产业立国”战略，将生物技术产业作为国家核心产业予以政策扶持

日本于2019年6月提出《集成创新战略2019》，强调推动跨领域、跨部门的合作创新，加强官民合作等，这是继2002年推出《生物技术战略大纲》和2008年推出《促进生物技术创新根本性强化措施》战略之后，再次推出国家生物技术发展新战略。当前，日本在基因工程、发酵工程、生物环保、生物能源等多个生物技术领域形成了独特优势。2020年、2021年，又分别发布《生物战略2020》基本措施版和市场领域措施版，聚焦疫情防控与正常经济秩序恢复，确保到2030年成为世界最先进的生物经济社会[6]。另外，日本十分重视“官产学研”合作网络，形成了密集的生物技术产业园区。

（三）英国政府主导为企业搭建基础设施、明确价格管理政策

英国生命科学办公室于2017年8月出台《生命科学产业战略》，在推进英国国家医疗服务体系（NHS）与行业的互动和创新、强化企业发展与基础设施建设、促进慈善机构与NHS开展项目合作、支持数据的共享与合作、加强科学研究与成果转化等方面，提出了英国推进生命科学产业发展的战略政策[7]。2018年，进一步出台《产业战略：生命科学部门协定》，推出系列重大创新项目和配套措施，以确保英国生命科学领域创新在全球的领先地位[8]，如支持健康队列、数字病理学和放射学计划等系列项目，构建生命科学领域创新生态系统，同时鼓励企业产业合作伙伴对研发进行投资。对于后者，英国一直十分重视，鼓励创新型药企进入英国并鼓励在英国保留药物研发部门，用专利发明收入申请较低的公司税[9]。在价格管理方面，基于NICE开展的卫生技术评估实施药品补偿政策，引导制药企业生产的创新理念与方向[10]。

（四）德国在欧盟与国家框架下构建医药产业良好发展生态，鼓励实现创新和数字化转型

德国在促进医药产业发展上形成了良好的生态系统，已在欧盟范围内趋向形成了统一的临床试验审批、创新药上市注册的集中程序以及药品知识产权保护。在全国范围内有超过1000家政府资助的研究机构和超过500家制药企业。2020年发布的《欧洲药物战略》鼓励实现数字化创新，通过修订药物立法，适应科学发展和技术变革，纳入基因组学或个性化药物、数据分析和数字工具等的应用，如真实世界数据开发、授权和使用等；加强监管机构和其他机构交流，增强证据生成方面的合作。推动高性能计算和人工智能的使用，建立了1×10^7个跨国界基因组的安全访问联盟。同年发布的《国家生物经济战略》主要用于开发可持续发展议程框架内的生物经济解决方案、发掘生态系统内生物经济的潜力、扩展和应用生物学知识、持续调整经济资源基础、打造领先的创新基地、强化社会参与及国内国际的合作等，从而探究生物领域新知识，通过加强生物过程和系统的利用并结合数字化等相关领域的尖端技术，挖掘可持续经济的新潜力。与此同时，大力推进生物原料在工业生产中的应用，更多替代化石原料，创造新的有利于可持续发展的产品[11]。德国卫生部将未来十年视作“国家癌症防治的十年”，并有配套政策以优先开展肿瘤学研究；“高技术战略2025”中还确定了将感染性疾病作为产业的发展重点[12]。

三、我国医药产业的发展前景与需求

2021年，《中华人民共和国国民经济和社会发展第十四个五年规划和2035年远景目标纲要》明确提出，发展壮大生物技术产业，做大做强生物经济[13]。《“十四五”医药工业发展规划》首次提出支持企业立足本土资源和优势，面向全球市场，紧盯新靶点、新机制药物开展研发布局，积极引领创新[9]。当前，我国创新药发展水平处于新兴发展市场的中间梯队，仍需要在政策引导下推动技术转化与产研结合，旨在引领从创新药模式（“fast follow”）到快速追踪医药模式（“first-in-class”）的自主化新药研发，跟进世界领先水平。

（一）我国医药产业发展前景广阔，潜在市场空间大

“十三五”时期，生物医药产业已成为国家重点发展的战略性产业，规模以上医药工业增加值年均增长9.5%，高出工业整体增速4.2个百分点；47个国产创新药上市，产业创新取得新突破；首次上市药品超过200个，278个药品通过一致性评价，供应

保障取得新进展；多条技术路线生产的新型冠状病毒疫苗实现产业化；出口交货值年均增加14.8%，国际化发展迈出新步伐[14]。

“十四五”时期，进一步围绕以人民健康为中心，加快国际国内双循环建设、产业高质量发展，将生物医药产业提升到“国家优先产业”战略高度，全面加快生物医药强国建设步伐。2022年，我国药品医械市场占全球比重稳步提升：药品市场占世界药品市场比重从2015年的17.6%提高到2022年的20.3%；医疗器械销售额占全球器械销售额比例从2019年的20.9%提高到2022年的27.5%[15]。2022年，我国医药制造业发展增速以及数字健康企业融资等受政策调控等阶段性改革已经放缓，以创新研发为依托的可持续发展模式将是医药市场发展更大的助推器。

此外，我国医疗卫生支出占国内生产总值的比重在新的发展阶段稳中有进，虽然与一些发达国家仍存在明显差距（见图1），但是作为仅次于美国的全球第二大药品消费市场，未来我国医药潜在市场空间依然很大，并且随着医疗体制改革的持续推进和医疗保障制度的完善，医药制造整体会处于稳定发展状态。

（二）我国医药产业发展受多因素综合驱动

近年来，我国医药产业同大健康产业结合紧密。在医疗服务、医药制造、药械流通和医药监管等多方努力下，医药行业极大地促进了经济、产品技术研发和产业链完善。在此，进一步梳理探讨医药产业稳定快速发展背后的被动或主动驱动因素，有利于更清晰地认识和应对外部环境变化，前瞻性布局政策保障措施，避免因监管措施频繁变动或缩紧对医药研发、投入、融资等的稳定性造成影响。

1. 我国人口老龄化及健康意识的提高

随着经济社会的快速发展和生活模式的改变，我国育龄妇女的平均生育年龄不断延后，出生人口数自2017年起逐年降低。同时，随着人民生活水平的提高和医疗技术的不断进步，我国人口平均寿命不断延长，导致老年人口占比持续增加。截至2022年年底，我国65周岁及以上老年人达2.1亿，占全国总人口数量的14.9%[16]。虽然医学科技在不断进步，但脑血管病、心脏病、糖尿病、呼吸疾病、恶性肿瘤等重大慢性疾病和新发突发未知传染病对老年人口生命健康的威胁依然不减，慢性疾病并发症及照护压力等对社会、家庭和患者身心而言都是很大的负担。另一方面，得益于我国经济水平的不断提高和健康科普宣教的普及，人民的健康意识得到了很大程度的增强，更加期盼得到更有效、更优质的医疗服务。以上这些现实情况和需求都不断推动和要求我国医药市场的扩大和发展。

2. 全球竞争性增加的压力

从新型冠状病毒感染疫情应对过程可以看到，

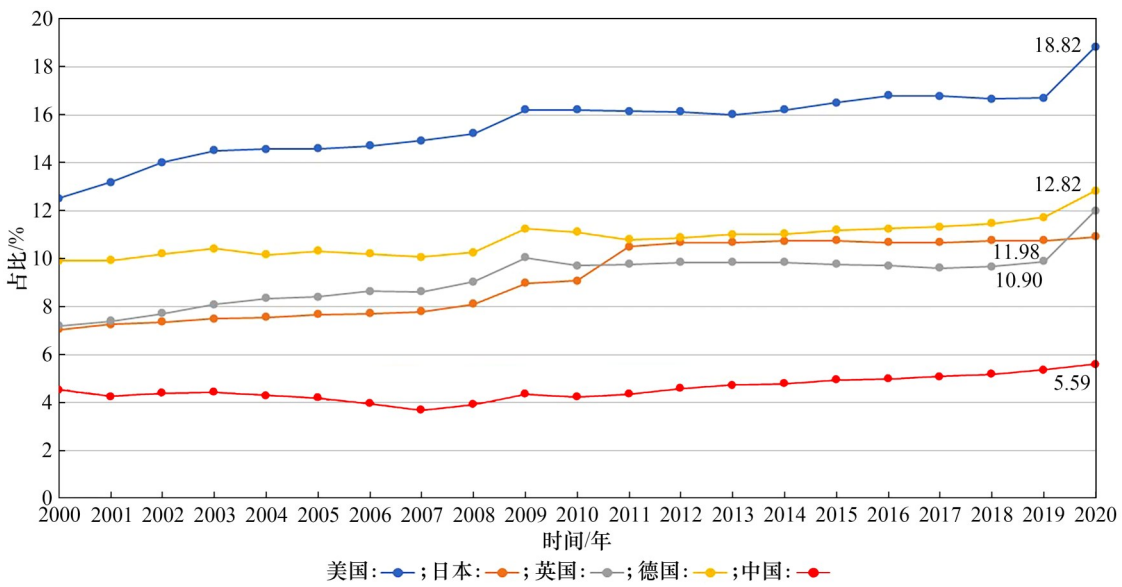

图1 2000—2020年医疗卫生支出占国内生产总值比重的国际比较

注：资料来源于世界银行（更新于2023年4月）。

国际公共卫生事件可以在很大程度上影响全球的医药产业供应链。全球政治经济波动也会直接或间接导致合作环境不利、各类产品进出口压力增加等。鉴于此，包括我国在内的世界各国都有意识地开启了“自立自强+合作共享”的双轮驱动模式。特别是就“自立自强”而言，我国正有意识地将生命健康等关乎人民切实利益的高质量研发、高效率生产等各环节技术掌握在自己手中。

3. 政府对医药领域的持续投入及保障

2013—2020年，我国财政卫生支出从8279.90亿元增加到19201.22亿元，政府不断加大对基本医疗保障和疾病预防控制等的投入力度。“十四五”时期，医药工业增加值占全部工业的比重将从“十一五”的3%提高到5%左右[14]，将进一步带动我国医药市场稳步增长。在政策保障方面，医药产业政策利好，如支持社会办医，为其放宽准入标准，更加重视审核软件能力等；针对医药企业，各省市也相继出台政策扶持医药行业发展，包括产业园规划、专项资金、用地政策、缴税优惠和研发转化保障措施等，鼓励医药企业投入研发，提高自身竞争力，保障可持续发展。

4. 头部企业直面挑战，自主加大研发投入

我国药企自2019年起，开始出现在美国《制药经理人》杂志（PharmExec）公布的“全球制药企业50强”榜单上，2023年我国共有4家药企上榜[17]。目前，医疗制造行业监管力度加强，技术壁垒不断提升，行业正在逐渐转型，医药产业产品开发转向高附加值，技术水平和创新研发能力大幅提升。目前，加速创新药物研发，已经成为全球共识，我国创新药企的研发强度中位数为15%，已接近国际水平。药械企业，特别是头部企业也有意识地积极同科研机构、高等院校及其附属医院等其他创新主体进行对接和联合攻关，充分利用我国临床资源优势。总体来看，我国药企具备良好的发展潜力，今后将逐渐显现其竞争力。

四、我国医药产业发展面临的挑战

医药产业是大健康产业的基石。而医药领域具有构成复杂、产业链长、技术壁垒和投入成本高、研发周期长等特点，最重要的是其服务对象是人民生命健康这一底线需求。在高水平科技自立自强的要求下，从百姓视角出发，针对国人疾病特点研发形成精准有效、安全、及时和可负担的创新药械产品仍面临不少挑战。

（一）精准性方面：基于中国人群的精准医学大型队列和数据平台建设仍处于起步阶段

不同遗传背景、不同代谢水平甚至不同饮食习惯的人群在疾病临床表型和致病靶点上都可能会存在异质性，针对欧美人群有效的药物靶点在中国人群中可能并不是最有效的。而与之冲突的现实是，我国拥有世界上最多最大的临床资源，但却缺少基于中国人群精准医学大型队列与数据平台、原创诊疗标准、高级别循证医学指南和临床路径等。“十三五”时期，国家重点研发计划投入约2.9亿元建设我国大型人群队列（其中自然人群队列约2亿元），以此作为支撑“精准医学研究”目标实现的基础平台，我国百万人以上的自然人群队列和出生队列及其生物样本库的建设已初见成效。但是还存在持续性不足、投入相对少、质量控制不足、数据共享不畅、没有配套制度保障使用者利益和缺乏成果分配措施等问题，后续这些队列在维护以及数据挖掘利用产出方面仍然值得考量。

（二）安全性方面：原始创新能力、技术工艺及质量控制水平有待提高

我国药企在原研药物研发、仿制工艺及多中心临床研究质量的整体水平上还有较大的提升空间。首先，长久来看，原研药对于临床治疗而言更受患者青睐，其在临床疗效及安全性、生产工艺和制剂技术水平、适用的纯度和所用的赋形剂上有较强优势。在研制流程上，原研药要通过对成千上万种化合物层层筛选和严格的临床试验才得以获准上市，而有效便捷的药物筛选方法和改良技术等对安全性高、特异性高、灵敏度高的药物靶点获得是重要基础。特别是有些疾病会同时影响多个身体系统，这就需要研发人员针对多个目标来开发药物，同时，开发更为准确的实验模型和评估方法来测试模拟药物在人体内发生的变化也是药物研发在安全性上面临的挑战。另外，原研药即使在上市后也还需进一步在更大的人群中开展真实世界的临床研究以进一步观察其临床疗效和安全性，这个过程需要花费15年甚至更久的研发时间和数亿美元，而在如此高

成本压力下，应特别关注对药物临床试验质量的监督把控。而对于减小国家支付医药压力发挥较大作用的仿制药，为了从根本上提升其质量，国家药监部门自2012年提出了“仿制药质量和疗效一致性评价”的系统性工程，并在2015年加大工作力度，但是不同厂家的辅料包材等质量控制水平依然需要进一步提升。另外，对于孕产妇、婴幼儿、罕见病等特殊人群在药物研发上的支持和对其使用安全性和供应风险等的管控需要进一步加强。

（三）时效性方面：药械研发及审批周期长

一种药物特别是创新药从研发到进入临床使用周期之长众所周知。近年来，我国在缩短药械审批工作周期上取得了一些进展，但在政策上还有调整和改革的空间，仍需畅通政策梗阻。“十三五”期间，我国临床试验申报受理数量为2.4万件，同比增长了3倍；而临床试验审批数量为0.8万件，同比增长了0.6倍[14]。例如，干细胞类制品，我国早在2004年12月就下发了第一个干细胞药物临床实验批件，但至今没有一个获准上市，只有一个进入了临床三期。药监部门在专业审评人员数量、审批规则途径等方面需要加强力量、灵活机制，突破审批周期长的困境。

（四）可负担性方面：创新药企业研发支出投入大、患者用药支付压力大

目前，我国药品研发总投入规模居世界第二位，占国内生产总值比重与全球生物医药领先国家相当，研发管线和上市新药的数量已经进入第二梯队[18]。研发实力通过高研发投入维持，但持续性有待考量，并且只有10%左右的候选化合物能够进入临床试验阶段，约1%左右能够最终获得上市许可。另外，不同企业产品管线不同，市场预期存在较大差别。在国际化方面，出口结构升级慢，高附加值产品专利申请获批和国际竞争优势不强，对企业争取增加收入和增大国际市场覆盖程度来说是挑战。对患者而言，带量采购、医保改革等措施给患者带去了切实利益，但是现有医保体系在基金筹措方面上升空间有限，新型药物、进口器械和诊疗技术高成本医疗费用可报销比例小或难以覆盖。例如，目前国内低值耗材基本完成了国产替代，但约有三分之一的品类国产替代率不足50%，而这些国产替代率比较低的大部分品类进口展品往往售价较高；2015—2020年，国内医疗器械进口产品销售额占医疗器械市场整体约三分之一。

（五）政策保障性方面：医药行业管理链条长、对象多、专业性强，对管理部门水平要求高

医药行业覆盖第一、二、三产业[19]。医药原料种植生产、药械研发制造及流通、医疗机构诊疗服务甚至康养服务等都有赖于但绝不限于医疗卫生管理部门的政策制定和互联互通式的有效监管；同时，政策执行和监管对象性质复杂，包括公/私营医院、各类性质的药械企业、高等院校研究所以及其他行政管理部门等；另外，医药行业各环节专业性强，主要管理者如果没有足够的一线从业经验或对医药行业发展规律的长期研究，即便有领域专家的建言献策，最后形成的制度和政策也往往是意图很好，但推行起来实施难度大或不能广泛适用；更为重要的是，政策管理一方面需要起到监管作用，另一方面更需要服务于医药行业发展，从百姓和国家需要出发解决难题。“精准性”“安全性”“时效性”以及“可负担性”方面的挑战都不同程度上需要政策管理的先行引领。

五、对策建议

医药产业发展长久以来得到了国家重视，在政府、企业、高校科研院所、医疗机构的共同努力下，医疗、医保、医药三医联动，推动医疗保障体系从“以治病为中心”向“以健康为中心”加快转型。近两年，“十四五”医疗装备产业、生物经济、医药工业、技术要素等专项规划陆续发布，详尽总结和阐述了过往经验，分析了目前存在的问题和未来的发展方向，如能切实落地，将显著推动我国医药事业长足发展。在此，结合我国医药产业发展面临的挑战，提出以下优先发展事项。

（一）集中力量建设并维护精细化大型人群队列及数据平台

长期稳定支持高质量人群队列的跟踪随访和生物样本库维护对临床策略和高级别循证指南的产出具有重要的科学意义。而长期稳定支持的重要体现之一就是要有稳定的资金多方筹措来源，不能是间

歇式的支持。特别是应该加强对现有队列，如中国慢性病前瞻性队列（CKB）等成熟队列的维护，保持其运行活力，继续深入挖掘和利用。同时对于高质量队列的生物样本建议设立项目，一次性完成多组学检测。在遴选建设新的大规模、高质量队列时，要同步作为试点，打通疾控–医疗体系登记系统数据闸口，避免后续数据利用不畅的问题。总之，以服务精准医学为目标的我国大型人群队列和数据平台还需要进一步在发起前下定决心、充分肯定后续的使用价值、做好全面顶层设计、集合多方力量持续投入，避免出现数据有量无质、有进无处的情况发生。在实际对标上，建议借鉴英国国家生物样本库（UKbiobank）建设经验，该样本库是协同科研与产业基金，采用商业化运作模式建立形成的，在样本采集流程、生物标志物检测和数据管理等方面具有突出优势，其包含50万人的脱氧核糖核酸（DNA）测序数据、疾病诊疗和健康评估信息，对加快新药精准研发和临床治疗验证、推动进入精准医疗时代，并由此避免过度医疗具有重大意义。

（二）抓紧推动当前我国国际领先前沿技术领域发展，加快占据医药研发原始创新高地

前沿技术是医药创新研发的源头。信息技术、多模态影像技术、人工智能技术等在很大程度上推动了医药研发过程提质增效，大大提高了产品的对外技术壁垒，也为传统医学手段难以治疗的重大疾病诊疗带来了新的希望。因此，抓紧推动前沿生物技术研发，并及时跟踪和梳理我国现有的国际领先前沿技术，推动技术转化应用对于我国占据医药研发原始创新高地和抢占市场具有重要意义。以“细胞可塑性”领域为例，继“体细胞核移植”“诱导性多能干细胞技术”之后，我国科研工作者目前已经系统建立了采用化学小分子调控细胞可塑性的第三代技术，称为“化学重编程”。与前两代技术依赖于内源重编程因子不同，“化学重编程”不仅解决了前两代技术所存在的调控因子不明确、调控效应不可控等缺陷，而且显著降低了前两代技术采用转基因等方法带来的安全性风险，成为了目前最具临床转化应用前景的精准调控细胞可塑性技术。建议将这一技术前沿优势与我国临床医疗资源优势相结合以加速抢占领先地位。

（三）推动医药研发产业化进程，促进创新产品推广应用

在研发和临床实验阶段，鼓励“产学研”结合工作模式目前已初见成效，但是不同企业的研发效率和临床试验质量，以及各层级概念验证中心的服务内涵、广度和实际起到的作用还有待考量。在评审阶段，评审制度需要进一步完善，增强同技术发展相符的评审能力及力量，加快创新药等审评流程，避免因管理迟滞错失创新产品或技术服务领先性。2020年1月7日，国家药监局发布了《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则（试行）》，成为依据真实世界研究进行药物研发和评审的里程碑。2023年2月16日，中国国家药监局药品审评中心又发布了《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）》和《药物真实世界研究设计与方案框架指导原则（试行）》，明确了使用真实世界证据支持注册申请时，沟通交流要讨论的核心问题、会议资料要求等，这些将真实世界证据作为有效性和安全性评价的关键证据对于提高研发效率和质量、提高评审科学性、支持药物监管决策具有重要作用。同时，在促进创新产品推广应用时，知识产权等保障服务机制要进一步完善，国际化合作和联合攻关环境要适度宽松。

（四）完善多层级医疗保障渠道，从患者实际需求出发减轻患者自费负担

医保基金筹措上升空间有限，虽然对医疗保险使用进行监管发挥了规范化作用，但更重要的是要争取更多的来源保障，如鼓励带动发挥商保作用，联动支持。另外，不同地区、不同医院性质（如民营医院）的医保报销比例不同，建议建立一致标准以减少公立医院的服务压力，并给困难患者群体更大的保障。在报销范围上，新型药物、诊疗技术等成本高的医疗费用支持力度应加大，将医保资金切实用于患者自身难以负担的重大疾病上。对于新进入医药的技术服务，建议从监管层面明确范围和管理要求，避免各医疗机构自行制定规则从而对患者造成困惑。

（五）增强政策保障全链条性及实施效率，有效激发医疗行业的发展动力，切实服务百姓

我国对医药行业的优先发展方向进行了良好的

顶层设计和规划指导，但医药行业节点多，覆盖面广，在基于顶层设计进一步制定具体落实的制度政策时，主体管理负责部门应集合考量征求其他多部门意见形成系列全链条保障支持办法，如公立医院在按指导推进研究型医院建设过程中，就同时需要考虑人事保障制度改革。对于国家已经发文的改革审批制度，相关部门应快速反应、提高实施效率，如落地加快对新药上市和干细胞制品审批等。同时，对于在政策中没有具体给出的实施细则，可形成政府参与、鼓励行业自行设定和探讨的工作机制，并留出容错空间。在积极良好政策监管环境下切实服务百姓健康是政府、医疗机构和企业的共同愿景。

利益冲突声明

本文作者在此声明彼此之间不存在任何利益冲突或财务冲突。

Received date: August 16, 2023; **Revised date:** September 20, 2023

Corresponding author: Qiao Jie is a professor and chief physician from the Peking University Third Hospital, and a member of Chinese Academy of Engineering. Her major research fields include the diagnosis and treatment of reproductive endocrine diseases, and assisted reproductive technologies. E-mail: jie.qiao@263.net

Funding project: Chinese Academy of Engineering project “Research on the Self-reliance and Self-improvement of Technology Innovation System and Capability Enhancement Strategy in the Field of Life and Health” (2022-XBZD-16)

参考文献

[1] IQVIA. The global use of medicines 2023 [R/OL]. [2023-02-15]. https://www. iqvia. com/fr-fr/library/presentations/the-global-use-of-medicines-2023.

[2] NIH. Proposed adcanced research prohects agency for health [EB/OL]. (2021-08-11)[2023-08-10]. https://www.nibib.nih.gov/arpa-h-listening-session.

[3] Collins F S, Schwetz T, Tabak L A, et al. ARPA-H: Accelerating biomedical breakthroughs [J]. Science, 2021, 373(6551): 165–167.

[4] 马晓玲. 美国建设生物医药创新高地的实践及对我国的启示 [J]. 中国科学院院刊, 2023, 38(2): 294–301.
Ma X L. The practice of building biopharmaceutical innovation heights in the United States and its enlightenment for China [J]. Journal of the Chinese Academy of Sciences, 2023, 38(2): 294–301.

[5] The White House Office of Science and Technology Policy. Bold goals for U.S. biotechnology and biomanufacturing [EB/OL]. (2023-03)[2023-08-10]. https://www.whitehouse.gov/wp-content/uploads/2023/03/Bold-Goals-for-U.S.-Biotechnology-and-Biomanufacturing-Harnessing-Research-and-Development-To-Further-Societal-Goals-FINAL.pdf.

[6] 董兰军. 日本生物技术产业创新发展分析 [J]. 高科技与产业化, 2021, 27(10): 46–48.
Dong L J. Analysis of innovation and development in Japan’s biotechnology industry [J]. High-Technology and Industrialization, 2021, 27(10): 46–48.

[7] 康捷, 袁永, 胡海鹏. 英国生物医药产业创新发展现状、经验及启示 [J]. 特区经济, 2022 (8): 46–49.
Kang J, Yuan Y, Hu H P. The current situation, experience and inspiration of innovative development in the UK biopharmaceutical industry [J]. Special Zone Economy, 2022 (8): 46–49.

[8] HM Government. Industrial strategy: Life sciences sector deal 2 [EB/OL]. [2023-08-10]. https://assets. publishing. service. gov. uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/761588/life-sciences-sector-deal-2-web-ready-version.pdf.

[9] The Lancet Oncology. UK pharmaceutical industry under threat [J]. The Lancet Oncology, 2014, 15(7): 667.

[10] 李洁, Qian D. NHS 制度背景下英国医药产业政策体系探析与启示 [J]. 中国卫生事业管理, 2016, 33(11): 806–843.
Li J, Qian D. Analysis and enlightenment on the policy system of the UK pharmaceutical industry under the background of NHS system [J]. China’s Health Administration, 2016, 33 (11): 806–843.

[11] Nationale Bioökonomiestrategie für eine nachhaltige, kreislauforientierte und starke Wirtschaft. Pressemitteilung des BMBF vom 15.01.2020, Nr.003/2020 [EB/OL]. (2020-01-15)[2023-08-10]. https://www. bmbf. de/bmbf/shareddocs/pressemitteilungen/de/nationale-biooekonomiestrategi-entierte-und-starke-wirtschaft.html.

[12] GTAI. The pharmaceutical industry in Germany [EB/OL]. [2021-01-27][2023-02-15]. https://www.gtai.de/en/invest/industries/healthcare-market-germany/pharmaceutical-industry.

[13] 中华人民共和国全国人民代表大会. 中华人民共和国国民经济和社会发展第十四个五年规划和2035年远景目标纲要 [EB/OL]. (2021-03-16)[2023-08-10]. http://www.gov.cn/xinwen/2021-03/13/content_5592681.htm.
The National People’s Congress of the PRC. Outline of The 14th Five Year Plan (2021—2025) for national economic and social development and vision 2035 of the People’s Republic of China [EB/OL]. (2021-03-16)[2023-08-10]. http://www.gov.cn/xinwen/2021-03/13/content_5592681.htm.

[14] 中华人民共和国工业和信息化部. “十四五”医药工业发展规划 [EB/OL]. (2022-07-06)[2023-08-10]. https://www.miit.gov.cn/.
Ministry of Industry and Information Technology of the People’s Republic of China. The 14th Five Year Plan for the development of the pharmaceutical industry [EB/OL]. (2022-07-06) [2023-08-10]. https://www.miit.gov.cn/.

[15] 正略咨询. 医药制造行业2023年度蓝皮书 [EB/OL]. (2021-03-16) [2023-08-10]. https://m.163.com/dy/article/HUIVL8J80538CYKL.html.
Zhenglue Consulting. 2023 blue book for the pharmaceutical manufacturing industry [EB/OL]. (2021-03-16)[2023-08-10]. https://m.163.com/dy/article/HUIVL8J80538CYKL.html.

[16] 国家统计局. 第七次人口普查主要数据 [EB/OL]. (2023-04-21) [2023-08-10]. http://www.stats.gov.cn/.
National Bureau of Statistics. Main data of the seventh population census [EB/OL]. (2023-04-21)[2023-08-10]. http://www.stats.gov.cn/.

[17] 美国制药经理人. 2023全球药企排名TOP50 [EB/OL]. (2023-06-19) [2023-08-10]. https://baijiahao.baidu.com/s?id=1769118100188890

4634&wfr=spider&for=pc.
Pharmaceutical Executive. 2023 top 50 global pharmaceutical companies ranking [EB/OL]. (2023-06-19)[2023-08-10]. https://baijiahao.baidu.com/s?id=1769118100188904634&wfr=spider&for=pc.

[18] 中国医药创新促进会, 中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会. 构建中国医药创新生态系统系列报告第一篇: 2015—2020年发展回顾及未来展望 [R]. 北京: 中国医药创新促进会, 中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会, 2021.
China Pharmaceutical Innovation Promotion Association, China Association of Foreign Investment Enterprises Pharmaceutical Research and Development Industry Committee (RDPAC). Building a Chinese medical innovation ecosystem series report part 1: Development review and future prospects from 2015 to 2020 [R].Beijing: China Pharmaceutical Innovation Promotion Association, China Association of Foreign Investment Enterprises Pharmaceutical Research and Development Industry Committee (RDPAC), 2021.

[19] 国家统计局. 健康产业统计分类(2019) [EB/OL]. (2019-04-01) [2023-08-10]. https://www.gov.cn/gongbao/content/2019/content_5421550.htm.
National Bureau of Statistics. Classification of health industry statistics (2019) [EB/OL]. (2019-04-01)[2023-08-10]. https://www.gov.cn/gongbao/content/2019/content_5421550.htm.