

我国罕见病药品进口现状及挑战的调研分析^Δ

邬镜净^{1,2*}, 苏沁凝¹, 陶雪怡¹, 杨雨菲^{1,2}, 茅宁莹^{1,2#} (1. 中国药科大学国际医药商学院, 南京 211198; 2. 中国药科大学国家药物政策与医药产业经济研究中心, 南京 211198)

中图分类号 R95 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2025)17-2097-05
DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2025.17.03



摘要 **目的** 分析我国当前罕见病药品进口的现状及所面临的挑战, 为优化罕见病药品进口流程和完善相关政策提供参考。**方法** 对罕见病药品进口环节涉及的政府部门、跨国制药企业、医疗机构和患者组织相关方展开问卷调研和访谈, 探析各方在罕见病药品进口环节的现状及遇到的挑战, 并综合专家意见提出改进建议。**结果** 通过对25家罕见病领域的跨国制药企业相关负责人展开问卷调研, 发现企业进口罕见病药品意愿强烈, 58.33%的企业开展了多元进口模式实践, 但在实际进口过程中面临制度不清晰(54.17%)、实际审批程序复杂(45.83%)、实际审批周期过长(41.67%)等系列问题, 影响了企业进口的积极性。同时, 对13位来自政府部门、医疗机构、制药企业和患者组织的罕见病领域专家展开访谈调研, 发现目前我国在罕见病药品进口的政策设计、审批流程、抽检成本及与监管方的沟通效率等方面存在不足, 医疗特区的药品进口模式也有待完善。**结论** 我国罕见病药品在进口环节还面临着政策制度不完善、监管机制不灵活、沟通渠道缺乏等问题。建议从完善罕见病认定机制、优化进口激励政策和完善监管模式等方面出发, 进一步优化罕见病药品进口流程并完善相关政策。

关键词 罕见病; 药品进口; 政策建议; 中国

Investigation and analysis of the current status and challenges in importing rare disease drugs in China

WU Jingjing^{1,2}, SU Qinning¹, TAO Xueyi¹, YANG Yufei^{1,2}, MAO Ningying^{1,2} (1. School of International Medicine Business, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China; 2. Research Center of National Drug Policy & Pharmaceutical Industry Economics, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China)

ABSTRACT **OBJECTIVE** To analyze the current status and challenges in importing rare disease drugs in China, providing references for optimizing the import process and improving relevant policies. **METHODS** Questionnaires and interviews were conducted with stakeholders involved in rare disease drug importation, including government departments, multinational pharmaceutical enterprises, healthcare institutions, and patient organizations. This explored the current situation and challenges encountered by each party. Expert opinions were synthesized to propose improvement suggestions. **RESULTS** A questionnaire survey of representatives from 25 multinational pharmaceutical companies in the rare disease field revealed that these companies had a strong willingness to import rare disease drugs, with 58.33% of them practicing diverse import models. However, significant challenges hindered this process, including unclear regulations (54.17%), complex approval procedures (45.83%), and excessively long approval cycles (41.67%), negatively impacting their motivation. Meanwhile, interviews with 13 experts from government departments, healthcare institutions, pharmaceutical enterprises, and patient organizations identified deficiencies in policy design, approval processes, sampling inspection costs, and communication efficiency with regulators. Additionally, the drug import model in special medical zones also required improvement. **CONCLUSIONS** The importation of rare disease drugs in China faces challenges such as incomplete policies, inflexible regulatory mechanisms, and insufficient communication channels. It is recommended to enhance the rare disease definition criteria, optimize import incentive policies, and refine regulatory models, so as to further optimize the import process of rare disease drugs and improve relevant policies.

KEYWORDS rare disease; drug importation; policy recommendations; China

Δ 基金项目 国家社会科学基金重大项目(No.15ZDB167); 江苏省社会科学基金一般专项资助项目(No.22JZB002); 2024年江苏省研究生科研创新计划项目(No.KYCX24_1050)

* **第一作者** 硕士研究生。研究方向: 社会与管理药学。E-mail: Wujingjing_0721@163.com

通信作者 教授, 博士生导师。研究方向: 医药产业政策。E-mail: mny523@126.com

罕见病是指患病率很低、很少见的疾病, 一般为慢性病或严重危及生命的疾病^[1], 尚无统一的界定标准。目前已发现的罕见病有10 000多种, 约占人类疾病总数的十分之一^[2-3]。截至2024年, 全球罕见病患者已经超过3亿, 其中近一半的患者是儿童^[4-5]。全世界范围内只

有不到5%的罕见病有药可治^[6]。“无药可用”是全球罕见病患者面临的共同难题之一。

罕见病虽然少见,但在我国的患病人数超过2 000万人^[7]。罕见病药品的可及问题也对我国罕见病保障事业的推进和发展提出了巨大挑战。就我国2批罕见病目录中涉及的207种疾病而言,目前仍有30余种疾病处于“境外有药,境内无药”的状态^[8-9]。在此情形下,药品进口仍是我国罕见病患者最快速、最高效获取药物的方式。于是,我国在中央和地方多个层面出台了一系列政策(如《临床急需药品临时进口工作方案》《氯巴占临时进口工作方案》以及海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区、粤港澳大湾区和北京综合保税区3个罕见病药品保障先行区的配套政策)以加强罕见病药品的供应保障,涵盖了先行区建设、进口税收优惠、进口备案制度、临时急需药品进口管理、药品使用和监管等多方面内容,力图打破笼罩在罕见病药品上的“市场不确定性”^[10],以提升患者用药可及性。但在我国现阶段的罕见病药品进口工作中,仍存在一些“堵点、卡点”影响了其进口效率^[11]。因此,本研究通过开展罕见病制药企业问卷调查和相关领域专家访谈,探析我国罕见病药品进口环节存在的具体问题和挑战,并基于国情对我国罕见病药品进口政策制度和流程设计提供参考建议,以期进一步提升我国罕见病患者的用药可及性。

1 调研对象和方法

1.1 调研对象

罕见病药品进口过程涉及政府监管部门、制药企业、医疗机构及患者群体等多个相关方的参与,且我国罕见病进口药品大多为跨国制药企业研发或引进。因此,本研究选取的调研对象为负责罕见病药品进口管理的药监部门专家、布局罕见病领域的跨国制药企业的相关负责人,以及参与药品进口及使用环节的医疗机构临床专家、患者组织专家。

1.2 调研方法

本研究对位于北京和上海地区的布局罕见病领域的跨国制药企业的相关负责人发布线上调研问卷,问卷题型包括选择题和开放性填空题。调研内容包括企业进口药品的意愿、进口模式、对罕见病药品进口政策的态度和评价以及在进口过程中实际面临的困难。

同时,设计4份访谈提纲,分别对来自政府部门、医疗机构、制药企业和患者组织的罕见病领域专家开展面对面及线上访谈调研。访谈专家纳入标准为:(1)从业年限≥5年;(2)所在机构或部门涉及罕见病药品进口管理及使用环节的关键环节;(3)近3年直接参与罕见病药品进口政策制定、药品引进、临床实践或患者倡导等。其中,针对政府部门专家的访谈提纲主要是“我国罕见病药品进口保障的顶层制度设计、进口规范和流程设置以及管理现状和挑战”;针对医药企业专家的访谈提纲

主要是“对现有罕见病药品进口政策制度的态度和建议、进口环节面临的困难和问题以及在推进罕见病药品进口过程中的需求和挑战”;针对医疗机构专家的访谈提纲主要是“其在罕见病药品保障进程中的作用和在进口环节中的诉求”;针对患者组织专家的访谈提纲主要是“其对罕见病药品进口保障现状的态度以及罕见病药品进口面临的困难等”。

2 结果

2.1 调研对象基本信息

2.1.1 调研企业信息

共25家跨国制药企业的相关负责人参与本次问卷调查。受访者岗位主要是准入部门(35.00%)、政府事务部门(21.00%)、注册部门(12.00%)和市场部门(12.00%)等,受访者均为直接负责和参与企业药品进口管理或决策的关键人员。25家跨国制药企业的业务涉及的罕见疾病类别包括神经系统(20.00%)、抗肿瘤及免疫系统(15.00%)、血液系统(14.00%)、泌尿生殖系统及性激素(12.00%)等。大多数企业(96.00%)在中国有在研或已上市的罕见病药品,药品来源途径包括自主研发、合作开发和海外授权引进。调研企业的基本信息见表1。

表1 调研企业基本信息

调研企业序号	企业业务涉及的罕见疾病类别 ^a	是否有罕见病药品上市的经验或计划	罕见病药品来源
1	C,L,N	是	合作开发、海外授权引进
2	N	是	海外授权引进
3	A,C,D,L,R	是	自主研发、海外授权引进
4	B,C,D,G,L,M,N	是	海外授权引进
5	C,L,N	是	自主研发、合作开发、海外授权引进
6	D,M,N	是	自主研发、海外授权引进
7	N	是	自主研发、海外授权引进
8	B,N	是	合作开发、海外授权引进
9	B,C,D,G,N	是	海外授权引进
10	B,D,G,N,V	是	自主研发、合作开发、海外授权引进
11	N	是	自主研发、海外授权引进
12	B,D,G,L,M,N,S	是	自主研发、合作开发、海外授权引进
13	N	是	自主研发、海外授权引进
14	D,L,R	是	自主研发、海外授权引进
15	A,C,D,L,R	是	自主研发、海外授权引进
16	N	否	自主研发
17	B,D,G,L,V	是	自主研发、合作开发、海外授权引进
18	B,G,L	是	合作开发、海外授权引进
19	B,G	是	自主研发、海外授权引进
20	B,L	是	自主研发、合作开发、海外授权引进
21	B,C,G,M,N,V	是	自主研发、海外授权引进
22	B,J,L,N,R,S	是	自主研发、海外授权引进
23	M	是	自主研发、海外授权引进
24	A,G,L,N	是	自主研发、合作开发、海外授权引进
25	B,G,L,N	是	自主研发、合作开发、海外授权引进

a:涉及类别按照药品的解剖学、治疗学及化学分类系统划分^[12]。

2.1.2 访谈专家信息

共对13位来自政府部门、医疗机构、制药企业和患者组织的罕见病领域专家开展面对面及线上访谈调研。访谈专家信息见表2。

表2 访谈专家信息			
访谈专家编号	访谈对象代称	工作单位	单位性质
1	L某	中国药品监督管理研究会	政府部门
2	Y某	国家药品监督管理局药品审评中心	政府部门
3	W某	中国食品药品检定研究院	政府部门
4	L某	北京罕见病诊疗与保障学会	政府部门
5	G某	德勤控股集团中国有限公司	制药企业
6	Z某	上海医药集团股份有限公司	制药企业
7	H某	上海上药睿尔药品有限公司	制药企业
8	L某	上海琅钰科技(集团)有限公司	制药企业
9	C某	北海康成制药有限公司	制药企业
10	F某	复旦大学附属儿科医院神经内科	医疗机构
11	Z某	北京协和医院药剂科	医疗机构
12	D某	卓蔚宝贝支持中心	患者组织
13	W某	病痛挑战公益基金会	患者组织

2.2 企业问卷调查结果

2.2.1 企业进口罕见病药品的意愿和模式

(1)企业进口罕见病药品的意愿较为强烈:在罕见病药品进口意愿方面,24家(96.00%)跨国制药企业表明有引进境外已上市、境内未上市的罕见病药品的经验或计划,唯一1家企业(4.00%)没有进口计划的原因是该企业的罕见病药品主要来源于自主研发且目前还未上市。由此可知,引进境外已上市、境内未上市的罕见病药品是大多数跨国制药企业的战略目标之一。

(2)企业进口罕见病药品的模式呈多样化:在罕见病药品进口模式方面,常规进口模式仍是主流(79.17%,19/24),其次是海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区引进模式(62.50%,15/24)和粤港澳大湾区的“港澳药械通”引进模式(45.83%,11/24),使用最少的进口模式是临床急需进口(25.00%,6/24)。造成上述局面的原因通常是企业在常规进口模式上更有经验,在特殊进口模式上还在尝试和探索,且特殊进口模式意味着更严苛的审批条件。此外,没有开展罕见病药品进口计划的跨国制药企业也表示,会对以上进口模式保持关注,包括同情用药模式。同时,调研发现大多数企业(58.33%,14/24)在常规进口罕见病药品时,也会同步推进海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区引进和粤港澳大湾区的“港澳药械通”引进。但由于通过这2种模式进口的药品通常仅限在医疗机构内使用,无法满足全体罕见病患者治疗需求,且考虑到对于产品商业化的帮助比较有限,企业会在实际引进环节中对多种模式进行权衡与布局。例如有10家企业(41.67%,10/24)表示会同步推进3~4种进口模式,以帮助患者早日有药可用、帮助医生及早获取药品使用经验,并不断积累真实世界数据。

2.2.2 企业对罕见病药品进口政策的态度和评价

(1)企业对罕见病药品临床试验减免政策较为满意:在指导企业引进罕见病药品在境内进行临床试验方面,中国在2018年5月发布的《关于优化药品注册审评审批有关事宜的公告》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的药品,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”。大多数有进口经验的企业(66.67%,16/24)表示,该项政策对企业引进罕见病药品进行临床试验有帮助,可以大幅提升药品在国内获批上市的速度;但也有企业(20.83%,5/24)表示,境外已上市的药品普遍缺乏华人样本,会被判定存在人种差异,所以该项政策在实践中并不适用;少数企业(12.50%,3/24)对此项政策的感知不明显。

(2)企业对罕见病药品上市审批加速政策较为满意:为加速临床急需罕见病药品的进口,中国在2020年3月发布的《药品注册管理办法》提出“对临床急需的境外已上市、境内未上市的罕见病药品,将审评时限缩短为70 d”。大多数有进口经验的企业(70.83%,17/24)表示,该项政策为企业大幅节省了罕见病药品进口上市注册花费的时间成本,显著缩短了药品进入中国市场的时间;但少数企业(12.50%,3/24)表示,该项政策的落地受到《临床急需境外新药名单》的限制,临床急需药品的认定尚无明确标准,且名单更新缓慢,阻碍了更多境外药品通过该特殊通道进入中国;其余企业(16.67%,4/24)对此项政策感知不明显。

2.2.3 企业在进口罕见病药品过程中面临的困难

尽管我国政府为加强罕见病药品进口出台了诸多政策,但企业在药品进口的实际操作中仍面临许多问题与挑战。从问卷调研结果来看,企业面临的最大问题是相关制度存在不清晰之处(54.17%,13/24),如申请免除临床试验直接获批的标准不够细致,也没有明确的实施办法和指导原则为企业指明方向;其次是实际审批程序复杂(45.83%,11/24)和实际审批周期过长(41.67%,10/24)。部分企业表示,政策理论和实践之间存在差异,在实际进口环节中常常面临药品样本检验批次多、检验周期长等问题。罕见病药品的审批费用较高和进口关税过高也是企业面临的重要挑战。部分企业还提出了在药品进口过程中涉及的审批时限统计不合理、流程节点不清晰(20.83%,5/24)和监管机构的信息公开及沟通机制不健全(20.83%,5/24)等问题,如在审评时限的统计标准方面不能与监管方达成一致,企业与药品审评中心和中国食品药品检定研究院等相关部门的沟通渠道也有待畅通。此外,部分企业表示在引进罕见病药品时还面临以下其他问题(20.83%,5/24):(1)进口药品的生产日期不能早于国内批准日期,导致了库存药品资源的浪费,从而增加了企业生产成本;(2)罕见病药品生产批次少与样品检验需求量大之间的矛盾;(3)部分罕见病药品在境外临床数据充足情况下仍被要求做临床试验且没有加快审批路径。调研结果见图1。

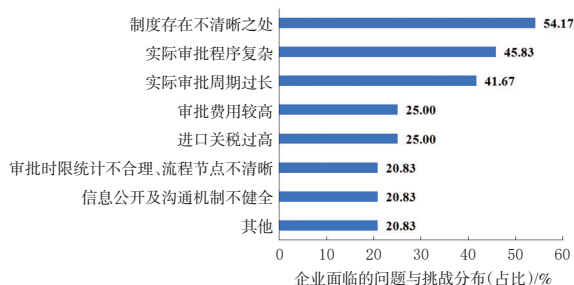


图1 24家企业在罕见病药品进口中面临的主要问题与挑战

2.3 专家访谈结果

2.3.1 企业进口罕见病药品的周期长、成本高昂

从制药企业方来看,罕见病药品的开发通常需要花费比普通新药更高的成本,且罕见病患者人数较少,进口批次也会更少,如按照国内进口抽样检查的标准,则付出的抽检样本量对企业来说是一个较大的负担。以某受访企业的神经免疫罕见病药品为例,其于2021年4月在我国被批准上市后,共进口2批,第一批590支、第二批428支。根据相关要求,该药品每批被抽样120支用于进口检验,而罕见病患者人数较少,进口检测用样品量在进口总量中占较大比例,有时可能超过患者使用数量,给企业带来了较大负担。而且,由于部分罕见病生物药的特殊性,在进行样本采集检测时,可能会经历多次遗传部门的审批,从而延长审批时间。

2.3.2 境外企业进入中国市场的意愿较低

部分访谈企业表示,通过海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区和粤港澳大湾区等医疗特区模式引入境外药品具有较大挑战:在该模式下面对的患者极为有限,相较普通进口模式获益较少且成本较高,投入产出较低,故企业将药品引入中国市场的意愿相对较低;同时,由于中国对罕见病药品境内注册上市的政策宣传不足,国外企业不清楚中国的药品注册流程、支付环境、获利情况,不够了解海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区、粤港澳大湾区等特殊进口模式,这也降低了国外企业进入中国市场的积极性。

2.3.3 医疗机构与企业的临床试验合作沟通意识不强

从医疗机构方来看,其非常愿意和企业在罕见病药品的创新和医学转化方面达成合作,但目前在进口新药的临床试验开展方面,双方提前沟通的意识不强,并表示合作应该在进入临床试验阶段之前甚至更早的时间就开始。

2.3.4 患者面临境内无药、境外购药风险大的难题

从患者方来看,面对“境外有药、境内无药”的严峻形势,其通常会选择自行从海外购药,但这可能会带来较大的风险。如部分境外已上市、境内未上市的抗癫痫药物,在国内是按照麻精药品进行严格管控的,这类药物进口备案很困难,患者只能通过代购获取药品,但这种行为又会面临非法贩毒的法律风险。

2.3.5 监管方对样品检验有较为严格的考量

对于企业在进口环节最常提及的抽检量问题,监管方表示“3倍检验量”的标准是出于对监管的严谨性的考量:1倍样品用于检验;1倍样品用于留样(仲裁检验的凭证);1倍样品用于应对在检验时出现的意外情况,保留重复检测的机会。对于用量较小的罕见病药品,企业也可以基于产品具体情况提出申请,中国食品药品检定研究院视情况灵活开展抽样工作。

同时,监管方在进口样品检验过程中也面临挑战,如开展生物制品的检测时,存在检测项目多、部分项目所需的检测周期较长等情况;当产品情况复杂时,如涉及复杂细胞的培养以及一些动物实验时,检验操作的复杂程度较大;另外,如果送检产品较为分散,也会影响检验效率。而特殊进口模式下的药品检验,仍需根据具体产品特点和国情进行考量。

3 讨论与建议

3.1 优化罕见病药品认定机制,完善进口引入依据

相较于全球认定的罕见病数量,国内已发布的2批罕见病目录所涵盖的病种过少,无法满足国内超2000万罕见病患者的健康需求。这一覆盖缺口导致大量患者面临“境外有药、境内无药”的困境,亟须系统性改进。因此,建议加快罕见病目录的更新,并参考美国和欧盟等国家和地区用流行病学数据对罕见病和罕见病药品界定的方式,通过量化标准为药品研发与准入提供清晰依据,建立并优化基于中国人群流行病学数据的动态定义机制,将患病率、疾病严重程度等客观指标纳入考量,为罕见病药品的资格认定和进口引入提供依据。

3.2 完善罕见病药品进口激励政策

在临床急需境外新药的认定方面,我国还需提高药品清单更新频率,为更多境外罕见病药品的进口提供动力。在进口增值税方面,我国虽然提出对进口罕见病药品减按3%征收进口环节增值税,并发布了3批符合条件的罕见病药品清单,但该清单包含的品种数量有限且更新缓慢。因此,建议进一步扩大税收优惠政策覆盖的罕见病药品品种范围,激励更多罕见病药品从境外引入中国。同时,在审批环节也应进一步提升罕见病药品的优先级,可以参考美国罕见病药品上市享受的多条加速通道^[13],缩短审批时限,降低企业的审批成本。

3.3 提升罕见病药品进口监管灵活性

我国罕见病患者常面临“境外有药、境内无药”的困境,现有进口检验机制存在资源分配不均、审批周期长等问题。对于境外已上市、临床使用较为成熟和安全的罕见病药品,建议建立基于风险评估的分级监管制度,参考美国和欧盟的“互认协议”^[14],将他国监管机构的质量检验报告纳入考量,并结合中国食品药品检定研究院给出的审核情况,进一步改进我国进口罕见病药品的抽检方式和标准,优化检验资源配置。

3.4 充分发挥医疗特区优势,加速境外罕见病药品引入

目前,在海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区和粤港澳大湾区等医疗特区引进模式下,罕见病患者有限导致的企业投入产出比不高等问题仍存在。建议提高特区医疗机构在罕见病领域的诊疗水平,并通过罕见病诊疗协作网搭建患者信息数据库,与协作网涉及医疗机构和相关企业建立合作平台,及时发掘未满足的用药需求。同时,继续加强真实世界研究的机构建设与人才培养,充分发挥先行区“先行先试”作用,吸引更多的国际药械厂商进行合作,及时引入更多境外新药,为罕见病患者用药提供更多的选择。

3.5 加强医疗机构、监管部门与企业间的沟通交流

首先,在罕见病药品进口的早期阶段,企业和医疗机构之间应当在进口新药的临床试验方面提前进行沟通并开展合作,从而促进罕见病药品的创新和医学转化。其次,药品检验部门应当开展与企业的技术交流,合理安排送检时间、次数,根据特殊情况提出检验需求,共同提高检验效率,降低企业的进口成本,尽快让患者获益。最后,在药品进口过程中,为更好地促进相关部门之间的交流,建议定期召开跨部门联席会议(如药监部门、卫生健康委、海关、医保等部门联合办公),以解决罕见病药品在“审批-通关-支付”链条上的梗阻;同时,建立“企业-医疗机构-患者”三方沟通平台,进一步打通患者用药的通道。

3.6 加大进口政策宣传力度,提升境外企业进口积极性

加大我国罕见病药品进口保障政策宣传力度,提升境外企业对我国罕见病药品进口保障环境的认知程度。建议我国政府为制药企业开放政策解读的信息平台,并出台相关流程的指导文件,让更多罕见病药品企业了解中国的药品进口注册流程和支付保障政策,为境外企业开拓中国市场提供重要支撑,从而吸引更多境外罕见病药品进入中国市场,惠及更多罕见病患者。

4 结语

我国罕见病药品进口流程包括前期申请、临床试验、审批标准、进口备案、口岸检验、通关放行和药品使用等多个环节。结合调研内容发现,对于罕见病药品进口,在诸多环节上都存在一些“卡点”和“堵点”,如国内外审批标准不一致、检测成本较高和审批周期较长、企业获益和患者获益之间的平衡考量等,对罕见病药品进口的效率造成了一定影响,也在一定程度上降低了企业引进罕见病药品的积极性。结合相关利益方的专家意见,我国在罕见病药品进口工作方面还应该进一步优化罕见病药品认定机制、完善进口激励政策、提高监管灵活性、发挥医疗特区优势、加强沟通和宣传力度,从而为我国罕见病药品的高效进口及使用提供充分保障。

参考文献

[1] ABOZAID G M, KERR K, MCKNIGHT A, et al. Criteria

to define rare diseases and orphan drugs: a systematic review protocol[J]. *BMJ Open*, 2022, 12(7): e062126.

[2] EDVARD SMITH C I, BERGMAN P, HAGEY D W. Estimating the number of diseases: the concept of rare, ultra-rare, and hyper-rare[J]. *iScience*, 2022, 25(8): 104698.

[3] RAJASIMHA H K, SHIROL P B, RAMAMOORTHY P, et al. Organization for Rare Diseases India (ORDI): addressing the challenges and opportunities for the Indian rare diseases' community[J]. *Genet Res (Camb)*, 2014, 96: e009.

[4] 金敏, 马爱霞. 江苏省罕见病保障政策与孤儿药供应保障模式研究[J]. *中国药物经济学*, 2019, 14(3): 93-101.

[5] 过其祥, 刘云鹏, 朱珈震, 等. 基于 Orphanet 数据库的中国罕见病界定及累积时点患病率测算[J]. *中国新药杂志*, 2025, 34(1): 6-11.

[6] 任淑月, 孙岚, 杜冠华. 重定位策略在罕见病治疗药物中的应用研究进展[J]. *江苏大学学报(医学版)*, 2021, 31(1): 17-22.

[7] 中国罕见病联盟. 中华人民共和国中央人民政府国务院常务会议[EB/OL]. (2019-02-12)[2024-11-13]. <https://www.chard.org.cn/list/news/15/28>.

[8] 第一财经. 30种罕见病“境外有药,境内无药”,进博如何提速罕见病用药保障[EB/OL]. (2024-11-09)[2025-03-25]. <https://m.yicai.com/news/102351030.html>.

[9] 药智网. 第二批罕见病目录: 18种罕见病“境外有药,境内无药”、10+种罕见病新药国内将上市[EB/OL]. (2023-10-17)[2024-10-18]. https://mp.weixin.qq.com/s/OLvPU-VwcGsqLbptA_UFTHQ.

[10] FELLOWS G K, HOLLIS A. Funding innovation for treatment for rare diseases: adopting a cost-based yardstick approach[J]. *Orphanet J Rare Dis*, 2013, 8: 180.

[11] 黄哲, 曲若暄, 兰毅鹏, 等. 罕见病药品进口流程与监管建议研究[J/OL]. *沈阳药科大学学报*, 2023: 1-7(2023-11-09)[2025-03-25]. <https://link.cnki.net/doi/10.14066/j.cnki.cn21-1349/r.2023.0295>.

[12] World Health Organization. Anatomical therapeutic chemical (ATC) classification[EB/OL]. [2025-06-08]. <https://www.who.int/tools/atc-ddd-toolkit/atc-classification>.

[13] 邬镜净, 袁惠琴, 田梦妍, 等. 美国罕见病药物研发激励政策实践及启示: 基于药品全生命周期视角[J]. *中国新药杂志*, 2024, 33(20): 2081-2087.

[14] European Medicines Agency. Mutual recognition agreements (MRA)[EB/OL]. (2025-07-05)[2025-07-11]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/research-development/compliance-research-development/good-manufacturing-practice/mutual-recognition-agreements-mra>.

(收稿日期: 2025-03-07 修回日期: 2025-07-11)

(编辑: 林 静)