

# 患者参与药物监管的国际经验与启示<sup>△</sup>

邬镜净<sup>1,2\*</sup>,曾凯欣<sup>1,2</sup>,杨雨菲<sup>1,2</sup>,田梦妍<sup>1</sup>,董方正<sup>1</sup>,张怡萌<sup>1</sup>,李军<sup>1,2</sup>,茅宁莹<sup>1,2#</sup>(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)08-0908-06

DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2025.08.03



**摘要** 目的 为完善我国患者参与药物监管的路径和体系建设提供建议。方法 通过梳理美国、欧盟和日本等国家或地区促进患者参与药物监管的举措和经验,总结国际上患者在药物监管全过程中的角色扮演和作用发挥,再结合我国患者参与药物监管的发展现状和现存挑战,提出完善我国患者参与药物监管路径和体系建设的具体建议。结果与结论 随着国际上不断提升对患者参与药物监管这一策略的重视程度,美国、欧盟和日本等国家或地区在患者参与药物监管方面出台了较为明晰的政策法规并设置了专管部门,形成了多样化的患者参与药物监管的路径和模式,患者可以通过研讨会议或直接参与决策等形式参与到药物监管环节中,用自身经验和专业知识对药物监管流程进行优化。目前,我国的患者参与药物监管工作尚处于以临床价值为导向的药物研发层面,也未出台指导患者参与药物监管的政策文件。建议我国在现有政策体系的基础上,进一步加强患者参与保障体系建设,完善患者参与药物监管的能力建设和路径模式,推动我国患者参与药物监管持续向前发展。

**关键词** 患者参与;药物监管;国际经验;路径;启示

## International experience and enlightenment of patient engagement in drug regulation

WU Jingjing<sup>1,2</sup>, ZENG Kaixin<sup>1,2</sup>, YANG Yufei<sup>1,2</sup>, TIAN Mengyan<sup>1</sup>, DONG Fangzheng<sup>1</sup>, ZHANG Yimeng<sup>1</sup>, LI Jun<sup>1,2</sup>, MAO Ningying<sup>1,2</sup> (1. School of International Medicine Business, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China; 2. Research Center of National Drug Policy & Ecosystem, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China)

**ABSTRACT** **OBJECTIVE** To provide suggestions for improving the path and system construction of patient engagement in drug regulation in China. **METHODS** By reviewing initiatives and experiences from the United States (U. S.), European Union (EU), and Japan in promoting patient engagement, this study summarizes the roles and contributions of patients in the entire drug regulatory process internationally. Combining China's current progress and challenges in patient engagement, specific proposals are formulated to refine regulatory pathways and institutional systems. **RESULTS & CONCLUSIONS** With growing global emphasis on patient engagement as a regulatory strategy, countries or regions such as the U.S., EU, and Japan have established clear policies, designated oversight agencies, and developed diversified pathways for patient engagement. Patients contribute to regulatory processes through advisory meetings, direct decision-making roles, and leveraging lived experiences and expertise to optimize drug evaluation and monitoring. In contrast, China's patient engagement remains primarily limited to clinical value-oriented drug development, lacking formal policy guidance. It is recommended that China, based on its existing policy system, further strengthen the construction of a safeguard system for patient engagement, improve the capacity building and pathway models for patient participation in pharmaceutical regulation, and promote the continuous development of patient engagement in pharmaceutical regulation in our country.

**KEYWORDS** patient engagement; drug regulation; international experience; pathway; enlightenment

随着现代医学对个性化医疗和全流程人文关怀的逐渐重视,在疾病的临床诊断与治疗过程中,患者群体的真实感受愈发重要,“患者参与”的理念也被提出并受到重视,患者在药物监管中的参与作用逐渐被认可<sup>[1]</sup>。

△基金项目 江苏省社科基金一般专项资助项目(No.22JZB002);江苏省高校哲学社会科学研究项目(No.2021SJA0075);江苏高校哲学社会科学研究重大项目(No.2024SJZD128);2024年江苏省研究生科研创新计划(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

“患者参与药物监管”通常是指让患者参与有关其治疗方案、药物管理和整个医疗保健系统的决策过程,这不仅有助于发现药物的潜在风险,改善患者的用药体验,还可以提高药物监管的透明度<sup>[2]</sup>。美国、欧盟和日本等国家或地区的药品监管机构发布了诸多患者参与药物监管的相关政策法规和指导原则,建立了较为完善的患者参与路径和模式,“患者参与”已成为世界主流国家和地区最重视的药物监管策略之一<sup>[3]</sup>。

自2021年以来,国家药品监督管理局药品审评中心已陆续出台了《组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则(试行)》《以患者为中心的药物临床试验设计技术

指导原则(试行)》和《以患者为中心的药物临床试验实施技术指导原则(试行)》等一系列“以患者为中心”的指南文件,开启了“以患者为中心”的新药研发时代。但相较于美国、欧盟和日本等国家或地区的患者参与药物监管工作发展进程,我国的“患者参与”尚未从药品研发阶段深入到药品监管阶段<sup>[4]</sup>,患者参与药物监管的路径和机制仍需进一步探索。因此,本研究通过梳理和总结国际上患者参与药物监管的实践经验,再结合我国在这一领域的发展现状和现存挑战,提出完善我国患者参与药物监管路径和体系建设的具体建议,从而为推动我国患者参与药物监管事业的发展提供参考。

## 1 患者参与药物监管的内涵及重要性

### 1.1 “患者参与”的理念及其发展历程

自18世纪开始,国际上已经开始在医疗决策中纳入患者参与行为,并逐步重视患者在健康决策及就医过程中的感知<sup>[5]</sup>。“患者参与”理念的建立过程是不断满足患者在医疗服务过程中产生的诉求的过程。随着科技的进步和时代的发展,“患者参与”也逐步由医疗过程拓展到更深层次的药物开发和药物监管流程中(图1)。

### 1.2 患者参与药物监管的概念界定

“患者参与”是一个宽泛的术语,目前尚未在全球范围内形成统一标准。不同国家可能会用“participant”“engagement”“involvement”等不同术语来表示患者参与药物监管的层次和程度。以英国和日本为例,最初层级的“participant”是指患者作为受试者参与临床试验;第二层级的“engagement”是指患者在研究完成后可以获取相关研究信息与知识,属于一种事后参与模式;最高层级的“involvement”则是指患者可作为“研究伙伴”参与研究的规划、设计、管理、评估,并且能够参与审查医学实践的解决方案以及医疗保健相关政策的规划、检测和评估等。在美国和加拿大,“involvement”也属于“engagement”的一部分<sup>[6]</sup>。

药物监管领域的患者参与是“患者参与”理念的进一步扩展和延伸,是患者运用自己的专业知识和能力参与到药物开发和监管决策的过程。这里所说的患者可以是个体患者或护理人员,也可以是具有相关专业知识的患者组织的代表,他们以疾病亲历者或护理者的独特身份,根据自身专业知识和能力的不同水平,参与到药物监管全生命周期的不同流程和环节中<sup>[7-8]</sup>(图2)。如在药物研发前期立项准备中,其可以敏锐识别并提供未满足的健康需求,确定“以患者为中心”的研究重点等;

在药物研发过程中,其可以“患者专家”的身份参与临床研究设计等;其还可以利用自身专业能力素质,以患者代表或监管人员的身份参与到药物评估和监管事务中。

### 1.3 患者参与药物监管的重要性

近年来,各国药品监管机构,如美国FDA和欧洲药品监督管理局(European Medicines Agency,EMA)正式提出了“以患者为中心”的概念<sup>[9]</sup>。FDA发布的《“以患者为中心”的药物开发》(“Patient-Focused” Drug Development, PFDD)强调了通过收集患者反馈来指导药物开发的重要性,这一政策也推动了全球范围内药品监管部门对患者参与药物监管的重视。

患者作为药物的直接使用者,能够真实反馈用药过程中的体验,其参与药物监管可以将“以患者为中心”的理念具体化。通过让患者在药物研发和监管过程中发声,可以补充药物监管时所使用的医学和科学信息,促进以患者为中心的医疗产品开发,从而形成全生命周期反馈机制,让药物开发和监管决策更加适应和贴合患者的实际需求<sup>[10]</sup>。

总体而言,患者参与药物监管改善了传统药物监管模式中患者主体缺位的情况,患者由被动参与转化为主动参与药物监管体系建设,增强了患者的知情决策能力,提升了监管系统的透明度和患者对其的信任度,进而促进了政府部门监管能力的提升<sup>[11-12]</sup>。

## 2 患者参与药物监管的国际经验介绍

为促进患者深入参与到药物监管环节,许多国家不断探索并建立了较为完善的患者参与政策制度体系,设计并实施了多种患者参与的路径与模式,取得了良好的成效。

### 2.1 较为完善的顶层规划和监管体系建设

#### 2.1.1 提供患者参与的保障政策和指南支持

完善的政策保障体系是开展患者参与工作的必要基础。为构建坚实的法律框架并提供明确的操作指导以促进患者参与药物监管,各国监管机构颁布了一系列法律法规和政策指导文件(表1),不仅确立了患者参与的法律地位,还明确了患者参与药物监管过程的互动机制。例如,美国于2012年开启了PFDD计划,以更系统地了解患者观点;同时,通过《FDA安全创新法案》(Food and Drug Administration Safety and Innovation Act, FDASIA)和《21世纪治愈法案》等政策明确强调了患者在药物研发和审评过程中的关键作用,并完善了患

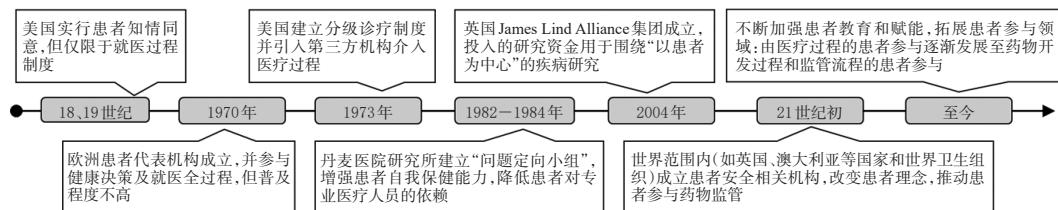


图1 患者参与理念的发展历程



图2 患者参与药物监管全流程及发挥的作用

者参与的保障及指南政策。欧盟的 EC No 726/2004 号法规和日本的《患者参与指南》等,也为患者参与提供了指导和支持。这些政策文件不仅界定了患者参与的目标、原则和执行路径,也反映了监管机构对患者权益的尊重与维护。

### 2.1.2 设置促进患者参与药物监管事务的专门机构或平台

为进一步落实患者参与药物监管工作,许多国家成立了专门负责患者参与的部门,以协调与患者组织之间的合作、招募和培训活动,确保患者的声音能够被纳入药物监管的决策过程。例如,美国 FDA 设立了卫生与组织事务办公室来开展患者代表培训会等系列活动,让患者更好地理解药事相关法律法规,从而更好地掌握与监管方互动的有效沟通策略<sup>[13]</sup>;EMA 成立的患者和消费者工作组 (Patients' and Consumers' Working Party, PCWP) 发挥了信息交流论坛的作用,EMA 可以通过 PCWP 向患者和消费者汇报其开展的各种活动并交换意见和反馈,如药物临床试验、药物警戒和医疗器械监管等方面的活动信息<sup>[14]</sup>;日本药品和医疗器械管理局成立患者参与工作小组,通过收集患者意见来促进患者参与,提升药物监管质量与效率<sup>[15]</sup>;加拿大卫生部健康产品和食品处成立了消费者和公众参与办公室,帮助患者

了解药物监管决策,并确保在决策中考虑患者和消费者的观点<sup>[16]</sup>。

## 2.2 多样化的患者参与药物监管路径和模式

### 2.2.1 提供与患者进行信息传递与沟通交流的渠道

患者作为与病情共存的“专家”,其意见通常能够反映出他们最迫切的健康需求,因此各国监管机构非常重视与患者之间的沟通交流。例如,美国 FDA 会通过开展不同疾病领域的“以患者为中心”的会议,搭建患者与其他利益相关者之间沟通交流的平台,为监管部门提供患者在医疗产品开发、临床试验设计、患者偏好等方面的意见,确保患者的经验、观点、需求和优先事项被获知并纳入药物开发和评估过程中。自 2012 年以来,美国 FDA 已经举办了 211 场特定疾病领域的会议,涉及遗传性血管水肿、亨廷顿舞蹈症和法布雷病等疾病类型,形成了纳入患者意见的会议摘要并公布在官方网页上,供患者、研究人员和制药企业等相关方参考<sup>[17]</sup>。此外,欧盟将患者在整个药物监管生命周期中的观点纳入到科学建议中,其向药品开发人员提供的科学建议中有 20% 是根据患者的意见制定的<sup>[18]</sup>。还有日本设置的患者和公众参与联盟 (Patient and Public Involvement Consortium in Japan, PPIJAPAN) 和加拿大设置的专家咨询委员会等,都是确保患者能够直接与监管机构进行沟通交流的重要渠道。

这些举措不仅为患者提供了表达自己观点的渠道,也为监管机构提供了宝贵的第一手资料,帮助监管机构更好地理解患者的实际需求。

### 2.2.2 建设患者参与药物监管的多样化路径

各国通过建立多种患者参与药物监管路径,鼓励患者更加深入和有效地参与到药物监管决策中。

患者可以通过多种渠道参与到药物监管流程中,提供与监管决策相关的体验数据或专业建议,以优化药物监管体系建设。如美国 FDA 通过患者参与协作组织将患者体验纳入到监管过程中,该组织自 2018 年成立以来已经开展了 19 次主题研讨,以促进与医疗产品监管相关的沟通和提高患者参与活动的质量<sup>[19]</sup>;还通过患者代表计划遴选出可以在政府任职或直接与审查部门人员接触的患者代表,作为特殊政府雇员在 FDA 监管医疗产品

表1 各国出台的患者参与药物监管主要政策内容

国家/地区	发布时间	发布单位	政策/计划名称	主要内容/作用
欧盟	2012年	FDA	FDASIA	认可患者意见的价值并促进患者更早地参与到药品监管过程
	2012年	FDA	PFDD	系统地将患者的意见及需求纳入药物开发和评估中
	2012年	国会	处方药使用者付费法案 V	将患者的观点系统地纳入到药物开发和监管决策中
	2015年	FDA	加强患者参与项目	加强与患者组织、医疗机构和制药公司等利益相关方合作,将患者观点纳入到监管决策中
	2000年	欧洲议会和欧盟理事会	EC No 141/2000	明确孤儿药委员会的成员包含患者组织成员
	2004年	欧洲议会和欧盟理事会	EC No 726/2004	明确EMA管理委员会的成员组成员应包括患者组织代表
	2005年	欧洲议会和欧盟理事会	EMA与患者和消费者组织的互动框架	确定患者参与的4个层次:通知、咨询、参与、合作;首次确认了患者代表担任EMA委员会正式成员的资格
	2006年	欧洲议会和欧盟理事会	EC No 1901/2006	明确儿科委员会的成员中需包括患者代表
加拿大	2010年	欧洲议会和欧盟理事会	EC No 1235/2010	明确药物警戒风险评估委员会的成员需包括患者组织代表
	2017年	患者安全研究所	患者参与患者安全指南	以加拿大各地的支持证据和案例,患者/家属及专家的经验,为患者安全地参与到药物监管实践中提供详细的指南
	2019年	卫生部	公众参与指南	为卫生部工作人员提供了开展公众参与活动的详细信息和指导
日本	2019年	医疗研究发展机构	患者和公众参与指南	从患者和研究者角度明确医学研究和临床试验中的患者和公众参与路径,规定了患者参与活动的要点及患者和公众应用指南模板
	2021年	药品和医疗器械管理局	患者参与指南	明确了2条路径来优化患者参与:积极收集患者声音;加大为患者提供相关资讯的力度

时提供关键建议<sup>[20]</sup>;并设置患者参与咨询委员会,赋予委员会成员在临床研究设计、真实世界数据和政策设计等监管决策上的表决权,表决通过后的提案或建议可供FDA决策时参考<sup>[21]</sup>。该委员会自2017年开设以来已开展了7次会议,并由FDA牵头及时进行政策发布、指南更新和网站功能更新等反馈行动。

在欧盟,患者以“患者代表”或“病情专家”的身份参与到药物监管生命周期的各个方面。在药物上市申请提交前,患者可以代表所在的患者组织参与到EMA的工作中,如作为科学咨询小组的一员,在药物研发过程中通过书面提交和亲自参会的形式提供其疾病治疗领域的科学经验;作为科学委员会的一员,参与科学建议协助程序,为委员会提供药物有关的咨询意见,并系统地审查为公众撰写的关于孤儿药认定的摘要等<sup>[22]</sup>。在药物上市评估和上市后阶段,患者还能以“病情专家”的身份参与专家会议,对特定药品进行讨论与评估<sup>[23]</sup>。

多样化的患者参与路径与形式,不仅提升了患者参与药物监管的质量和效果,也促进了不同利益相关方之间的沟通和理解,为药物监管流程的设计和优化提供了有力支持。

### 2.2.3 加强患者与其他各方的协同合作

在国际实践中,患者与其他各利益相关方间的合作被认为是推动药物创新的关键。EMA将患者、消费者、医护人员等利益相关方连接起来以增加各方互动,如通过欧洲患者权益组织将300多名患者代表纳入欧洲参考网络以建立稳定且强大的患者伙伴关系<sup>[24]</sup>。日本与欧洲患者治疗创新学院合作成立了PPIJAPAN,以推动实现“产业-患者-政府-研究”多方之间的协同合作<sup>[25]</sup>。加拿大建立了由研究人员、政策制定者及患者组成的全国性患者参与网络,共同参与研究过程,并随着时间推移,患者和研究人员之间的信任程度也有了近20%的显著提升,各相关方之间的理解和协作都得到了提高<sup>[26]</sup>。

这些举措不仅促进了各利益相关方之间的信息共享,也通过营造协作环境改善了药品创新环境,为实现更加有效的药物监管体系提供了宝贵的经验和模式。

### 2.3 患者参与药物监管的国际经验总结

综合以上国家或地区的患者参与实践经验,从体系建设角度来看,各国在药物监管领域逐步引入了患者参与的理念,并通过法律法规、战略导向或实施指南等形式加以体现。例如,美国通过《FDASIA法案》和PFDD,将患者需求纳入药物研发和监管的决策过程;欧盟和日本等国家或地区也通过类似的政策框架,推动患者在药物研发和监管中的参与。此外,各个国家或地区成立了专门的机构或平台(如FDA的卫生与组织事务办公室、EMA的患者和消费者工作组等),以协调患者参与事务,确保患者的“声音”能够在药物研发和监管决策中得到重视并发挥作用。

从具体作用发挥角度来看,患者在不同参与模式中的角色和职能存在差异,主要体现在参与方式和程度的不同:(1)部分患者通过公开或非公开会议等形式,与监

管机构及其他相关方分享自身经验和观点。这类参与更多以意见交流为主,其建议通常不直接具备决策作用。(2)另一部分患者则以“患者代表”的身份拥有一定监督和参与决策的权利,可以在政府部门担任职务或作为咨询委员会成员履职,其观点和意见可以为政策制定、产品开发和监管过程提供证据支持(表2)。

表2 基于作用发挥角度的患者参与国际经验总结

患者角色	参与方式	参与方	患者发挥的作用
提供健康需求与体验的患者	非公开会议: (1)电话会议 (2)面对面会议	患者、监管方	(1)提供与其健康需求有关的体验和观点 (2)有助于患者需求的确定、医疗产品的开发、临床试验的设计等,并塑造监管方的监管思维
		公开会议: (1)论坛 (2)研讨会	患者、监管方、其他利益相关方 对患者参与药物监管相关议题、患者疾病经验和医疗产品使用体验观点进行分享交流
		作为政府部门特殊职员	(1)直接与部门审查人员接触 (2)为政策制定、产品开发和监管过程提供科学、专业的建议
提供决策建议的患者	作为咨询委员会的成员	患者代表、监管方、其他利益相关方	拥有会议表决权,为政府决策提供结论性建议

## 3 我国患者参与药物监管工作开展现状

随着国际上对患者参与药物监管探索的不断深入,我国也开始重视这一工作。但通过前期对患者和相关领域内专家的调研情况来看,我国在患者参与药物监管工作的开展程度上还有待提升。为进一步探究我国患者参与药物监管工作的开展现状,本研究对我国患者参与药物监管的政策保障体系建设情况、患者组织赋能程度、患者参与的机会和路径进行梳理,现总结如下。

### 3.1 患者参与药物监管的政策体系有待完善

我国自2017年加入人用药品技术要求国际协调理事会后,与世界各地药品监管机构在“以患者为中心”的理念上逐渐达成共识。但目前国内关于患者参与药物监管的政策内容仍集中在宏观层面的“以患者为中心”,主要聚焦于以临床价值为导向的药物研发领域,如《组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则(试行)》和《关于公开征求〈以患者为中心的罕见疾病药物研发试点工作方案(“关爱计划”)〉申报指南和实施框架意见的通知》等系列文件,尚未出台指导患者参与药物监管的政策,且在现有的政策基础上也缺乏更为细致的操作指南。患者参与药物监管工作开展的深度和广度还有待进一步提升。

### 3.2 患者组织的规范化管理和赋能有待加强

患者组织是推动患者参与工作的重要力量,随着国际上患者组织在药物监管决策中的作用愈发显著,我国越来越多的患者组织也开始积极地参与到药物监管工作中。如“淋巴瘤之家”自发开展患者生活质量及经济负担调查,为药物的研发和上市提供了数据支持,有力推进了治疗药物(泽布替尼)的医保准入<sup>[27]</sup>。但由于我国患者组织的发展和建设体系尚不成熟,目前正式注册的患者组织数量仍然较少,大多数组织以区域或线上的非正式形式存在<sup>[28]</sup>,患者组织的规范化管理和专业化建设程度还有待提升。此外,我国的患者组织在药物研发

设计和监管决策方面的参与度较低,其工作更多聚焦在患者关怀、信息资讯以及公众健康教育等领域,如何加强患者组织在药物监管领域中的作用,仍需进一步探讨和解决。

### 3.3 患者参与药物监管的路径与沟通机制有待建立

目前我国患者主要是以受试者的身份参与临床前研究与临床研究,通过提供患者体验数据来推动研究进展。在药物监管方面,尽管患者和患者组织都有较为强烈的参与意愿<sup>[1]</sup>,但我国尚未建立患者参与药物监管的路径和沟通对话机制,患者的观点和需求难以传达和应用到监管决策当中。相较国外,我国也尚无对患者组织的认定和对患者代表的遴选标准,缺乏开展患者参与药物监管工作的基础。

## 4 国际经验对我国的启示

### 4.1 明确“以患者为中心”的患者参与概念

概念的明晰是开展其他一切工作的基础。“以患者为中心”是在药品全生命周期中需要遵循的尊重患者偏好和满足患者需求的价值理念,患者参与则是这一价值理念的延伸和深入拓展<sup>[29]</sup>。相较于美国、欧盟等国家或地区,我国尚未对患者参与进行概念界定。我国可参考国际上对患者参与的层次划分,明确患者参与的概念,并制定不同层次的患者参与模式与遴选标准,探索多样化的路径与模式,以满足患者不同层次的价值需求,为进一步推动患者参与工作的开展奠定基础。

### 4.2 完善政策制定,加强监管组织体系建设

建议我国在现有的顶层制度框架下,制定患者参与药物监管的政策与指南,逐步完善实施细则,引导患者和相关方在药物监管工作中找准定位,并明确不同层次的患者参与场景,推动各方开展深入交流与合作。在监管组织体系建设方面,建议明确促进患者参与药物监管的责任主体,并完善相关管理机制。如建立专管患者组织相关事务的办公室,由监管方直接面向患者代表或患者组织开展会议研讨、法规培训与政策宣传,促进监管方向患者组织传递信息与定向赋能。

### 4.3 加强对患者组织的支持与能力建设

目前我国对患者组织并没有明确的界定,在患者组织的认定和规范化管理上仍有欠缺。对此,首先建议民政部门加强对疾病类社会组织的支持,明确患者组织的注册标准,对评估、审核通过的患者组织进行合规注册。其次,建议监管部门加强对患者组织的规范化管理,建立全国疾病类患者组织名录,定期与名录内的患者组织开展沟通交流会,设置合理的遴选标准,对名录内的患者组织进行动态更新与维护。此外,为了让患者组织的能力、素质更契合监管方的需求,可对患者组织成员和患者组织整体进行针对性的培训,对不同规模和发展阶段的患者组织建设给予相应的指导和支持。

### 4.4 搭建各相关方之间的沟通协作渠道

我国可借鉴国际经验,建立监管部门与患者正式沟通的通道,如在特定的疾病领域分别设立定期的沟通会议,并通过官方网页公示相关的会议信息。可参考美国

FDA的患者倾听会议模式,在会前公示议程与讨论内容等信息,在会后总结会议内容与患者的代表性意见,并对患者意见的接受与否尽量给予及时反馈。在与患者的沟通交流过程中,建议设置具体的、可操作的流程来指导相关工作开展。此外,建议加强患者与企业等相关方之间的协作,如企业可以在患者组织发展的早期给予一些工作支持和赋能培训,在研究项目申办时积极引入“患者参与”从而推动患者意见在药物监管决策中发挥作用。

### 4.5 设置符合国情的患者参与路径

在明确患者参与界定和层次划分的基础上,建议我国设置患者代表遴选机制。对患者代表的身份和所发挥的作用予以官方认定和实际支持,搭建公开透明的患者代表招募渠道,从疾病领域、诊疗经验、科研素质、沟通表达能力、利益冲突等方面设置患者代表遴选标准,对遴选出的患者代表进行必要的培训和支持。

基于以上遴选机制,设置符合我国国情的、科学合理的患者参与路径。首先,建立患者参与活动的公示和报名渠道,拓展患者获取资讯的路径,让更多患者了解活动开展情况并拥有参与的机会。其次,除倾听并收集患者对疾病的见解和意见外,还可在重要的药物监管政策出台前,与患者代表就政策内容进行充分沟通。如参考我国现有的专家咨询委员会模式,建立由患者代表组成的患者咨询委员会,让患者代表在医药政策、新药审批、药物价格制定、医保准入等方面提供专业建议和意见,并将相应的提案、决策建议呈递给相关部门,以确保患者利益得到充分考虑。最后,在监管部门官方网站上建立患者信息收集和反馈渠道,定期评估和监督患者参与工作成效。

## 5 结语

随着“以患者为中心”价值理念不断地延伸和拓展,患者在药物监管过程中将发挥更加关键的作用。尽管我国已逐步重视患者在药物监管中的参与作用,但与美国、欧盟和日本等患者参与药物监管工作开展较早的国家或地区相比,还面临着政策体系有待优化、患者组织赋能有待加强、患者参与路径有待完善等问题。因此,建议我国借鉴国际上对患者参与药物监管的保障政策和监管体系建设,并参考其多样化的患者参与药物监管路径和模式,明晰患者在药物监管过程中的角色和作用,加强对我国患者组织的支持与能力建设,构建符合我国国情的患者参与药物监管的路径和模式,从而完善我国患者参与药物监管的体系建设。

## 参考文献

- [1] HOOS A, ANDERSON J, BOUTIN M, et al. Partnering with patients in the development and lifecycle of medicines: a call for action[J]. Ther Innov Regul Sci, 2015, 49(6):929-939.
- [2] BRITTEN N. Medication errors: the role of the patient[J]. Br J Clin Pharmacol, 2009, 67(6):646-650.
- [3] Council for International Organizations of Medical Sciences. International Declaration on Patients' Rights and Responsibilities [EB/OL]. 2013 [2021-01-01].

- ces. Patient involvement in the development, regulation and safe use of medicines[R/OL].[2025-01-09]. <https://cioms.ch/publications/product/patient-involvement/>.
- [4] 蒋玉霞,茅宁莹. 欧盟促进患者参与药物研发的实践及对我国的启示[J]. 中国新药杂志,2019,28(19):2312-2318.
- [5] 徐筱蕾,贺宇杉,李军.“患者参与”理念内涵及形成过程概述[J]. 中华医院管理杂志,2018,34(5):396-399.
- [6] Office of Pharmaceutical Industry Research. Thinking about “patient and public involvement” in the healthcare field[EB/OL]. (2023-03-25) [2025-01-09]. <https://www.jpma.or.jp/opir/news/058/01.html>.
- [7] KISH L. Patient engagement is a strategy, not a tool[R/OL]. [2025-01-09]. <https://hl7standards.com/wp-content/themes/vrxari5pwd76ek0nilkdf102400/files/wp-content/uploads/2014/11/hl7standards-patient-engagement-ebook.pdf>.
- [8] The European Patients’ Academy. Guidance for patient involvement in regulatory processes[EB/OL]. (2023-07-18) [2024-09-18]. <https://toolbox.eupati.eu/resources/patient-toolbox/guidance-for-patient-involvement-in-regulatory-processes/>.
- [9] 方中坚,沈家辉,汪颖霞,等. 以患者为中心的临床试验理念及发展趋势探讨[J]. 中国新药杂志,2024,33(13):1356-1361.
- [10] 吴晓蕾,史梦龙,张晨瑶,等. 以患者为中心药物研发相关概念介绍[J]. 中国循证医学杂志,2023,23(12):1472-1477.
- [11] DIA Global Forum. Patient engagement that enables regulatory decisions[EB/OL]. (2023-03-04) [2024-11-05]. <https://globalforum.diaglobal.org/issue/february-2023/patient-engagement-that-enables-regulatory-decisions/>.
- [12] 晏利姣,杨思红,HU X Y,等. 如何在临床实践指南制定过程中保证患者及公众的有效参与[J]. 中国循证心血管医学杂志,2022,14(9):1025-1028.
- [13] FDA. Training and development initiatives[EB/OL]. (2019-04-10)[2024-11-05]. <https://www.fda.gov/science-research/fda-stem-outreach-education-and-engagement/training-and-development-initiatives>.
- [14] EMA. Mandate, objectives and composition of the Patients and Consumers Working Party (PCWP) [EB/OL]. (2019-05-10) [2024-09-18]. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/mandate-objectives-composition-patients-consumers-working-party-pcwp\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/mandate-objectives-composition-patients-consumers-working-party-pcwp_en.pdf).
- [15] PMDA. Patient centricity WG[EB/OL]. (2019-05-01) [2024-09-18]. <https://www.pmda.go.jp/english/rs-sb-std/rs/0022.html>.
- [16] Around the Globe. Assessing the scope of patient engagement in Canada[EB/OL]. [2024-09-18]. <https://globalforum.diaglobal.org/issue/june-2020/assessing-the-scope-of-patient-engagement-in-canada/>.
- [17] FDA. Condition-specific meeting reports and other information related to patients’ experience[EB/OL]. [2024-11-05]. <https://www.fda.gov/industry/prescription-drug-user-fee-amendments/condition-specific-meeting-reports-and-other-information-related-patients-experience>.
- [18] MURPHY A, BERE N, VAMVAKAS S, et al. The added value of patient engagement in early dialogue at EMA: scientific advice as a case study[J]. Front Med (Lausanne), 2022, 8:811855.
- [19] FDA. Patient engagement collaborative [EB/OL]. (2023-08-14)[2024-09-18]. <https://www.fda.gov/patients/learn-about-fda-patient-engagement/patient-engagement-collaborative>.
- [20] FDA. About the FDA patient representative program[EB/OL]. (2023-12-04)[2024-09-18]. <https://www.fda.gov/patients/learn-about-fda-patient-engagement/about-fda-patient-representative-program>.
- [21] FDA. Charter of the Patient Engagement Advisory Committee to the Food and Drug Administration[EB/OL]. (2023-10-05)[2024-09-18].<https://www.fda.gov/advisory-committees/patient-engagement-advisory-committee/charter-patient-engagement-advisory-committee-food-and-drug-administration>.
- [22] EMA. How the European Medicines Agency interacts with patients and consumers[EB/OL]. (2016-02-04) [2024-09-18]. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-how-european-medicines-agency-interacts-patients-consumers\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-how-european-medicines-agency-interacts-patients-consumers_en.pdf).
- [23] EMA. Getting involved in EMA activities as a patient, consumer or career[EB/OL]. (2024-07-11) [2024-11-06]. <https://www.ema.europa.eu/en/partners-networks/patients-consumers/getting-involved-ema-activities-patient-consumer-or-career#overview-of-patient-involvement-along-the-medicines-lifecycle-at-ema-38705>.
- [24] EMA. EU innovation network (EU-IN) [EB/OL]. (2020-06-12)[2024-09-18]. <https://www.ema.europa.eu/en/committees/working-parties-other-groups/eu-innovation-network-eu>.
- [25] PPI Japan. Organization overview[EB/OL]. (2023-01-01) [2024-09-18]. <https://www.ppijapan.org/about>.
- [26] OGOURTSOVA T, GONZALEZ M, ZERBO A, et al. Lessons learned in measuring patient engagement in a Canada-wide childhood disability network[J]. Res Invol Engag, 2024, 10(1):18.
- [27] 人民日报.“淋巴瘤之家”创始人顾洪飞:让患者组织助力政策落地[EB/OL]. (2022-11-19)[2025-01-09]. <https://m.peopledailyhealth.com/articleDetailShare/articleId=8edf7bd3b28e450aba76e4922bfaf29da>.
- [28] 罕见病信息网. 中国患者社群组织参与药物研发的现状[EB/OL]. (2023-03-28)[2024-9-11]. <https://mp.weixin.qq.com/s/r0eW2mVBxjmaH8QR65m0Tg>.
- [29] 范子田.“患者参与”:医疗变革特效药[J]. 中国医院院长,2015,11(3):86-88.

(收稿日期:2024-09-30 修回日期:2025-01-10)

(编辑:林 静)