

# 基于国际视角的我国儿童基本药物遴选策略初探<sup>△</sup>

孙云龙\*, 赖欣, 田磊<sup>#</sup>(中国药科大学国际医药商学院, 南京 211198)

中图分类号 R95 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2025)21-2621-06

DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2025.21.01



**摘要** 目的 为更新完善我国现行基本药物目录体系, 制定儿童专属基本药物目录, 鼓励儿童用药研发生产, 提高儿童用药可及性、安全性提供参考依据及实施路径。方法 采用对比分析与描述性分析方法, 对第9版《WHO儿童基本药物目录》(WHO EMLc)的药物分类、剂型规格、疾病谱覆盖及特殊标识等进行统计分析, 并与2018年版《国家基本药物目录》(NEML)以及2016—2024年国家卫生健康委员会发布的5批《鼓励研发申报儿童药品清单》进行比较, 综合评估第9版WHO EMLc药物在我国的可获得性。结果与结论 两类目录差异较为明显, 总体重合药物有101种, 占第9版WHO EMLc药物总量的27.98%。第9版WHO EMLc相较于2018年版NEML, 在儿童适宜药物种类多样性、剂型适配性及规格精准性等方面优势显著;《鼓励研发申报儿童药品清单》一定程度上填补了我国儿童用药的空缺, 丰富了儿童用药品种和剂型选择, 但其中未上市的药物占近80%, 仍存在研发转化率偏低、政策激励效果不足等问题。建议结合我国国情, 借鉴WHO和发达国家、地区儿童药物遴选经验, 建立分级分类的儿童专属基本药物目录, 加大对儿童适宜药物剂型、规格研发的支持力度, 强化申报、审评、采购等全周期政策倾斜, 鼓励开展儿童用药循证医学实践, 加快儿童基本药物研发、上市及遴选进程, 保障儿童用药可获得性。

**关键词** WHO儿童基本药物目录; 国家基本药物目录; 儿童用药; 药物遴选

## Preliminary exploration of the selection strategy for essential medicines for children in China from an international perspective

SUN Yunlong, LAI Xin, TIAN Lei (School of International Pharmaceutical Business, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China)

**ABSTRACT** **OBJECTIVE** To offer references and implementation paths for updating and enhancing the China's current essential medicines list system, formulating a specific list of essential medicines for children in China, promoting the research and development of pediatric medications, and improving the accessibility and safety of pediatric medications for children. **METHODS** Comparative and descriptive analysis was utilized to statistically analyze the classification, dosage forms, specifications, disease spectrum, and symbolic annotations of the 9th edition of the *WHO Model List of Essential Medicines for Children* (WHO EMLc). Differences were compared among WHO EMLc, the 2018 *National Essential Medicines List* (NEML), and five batches of the *List of Encouraged R&D and Declaration of Pediatric Drugs* issued by the National Health Commission from 2016 to 2024. The availability of drugs in the 9th edition of WHO EMLc in China was discussed. **RESULTS & CONCLUSIONS** The differences between the two lists were relatively substantial. A total of 101 drugs overlapped, accounting for 27.98% of the total number of drugs in the 9th edition of the WHO EMLc. Compared with the 2018 NEML, the 9th edition of the WHO EMLc showed notable advantages in the diversity of pediatric-appropriate drug types, dosage form adaptability, and specification precision. The *List of Encouraged R&D and Declaration of Pediatric Drugs*, to some extent, had filled the gap in China's pediatric medications, enriching the variety of drug types and dosage forms for children. However, nearly 80% of the drugs on the list were not yet marketed, still facing problems such as a low R&D conversion rate and insufficient policy incentive effects. It is recommended to establish a tiered and classified pediatric essential medicines list based on China's national conditions, drawing on the selection experience of the WHO and developed countries/regions; strengthen support for the R&D of appropriate pediatric dosage forms and specifications; implement policy preferences throughout the entire cycle of application, review and procurement; encourage evidence-based pediatric practices, accelerate the R&D, market launch, and selection processes of pediatric essential medicines, and ensure the accessibility of pediatric medicines.

△基金项目 国家自然科学基金项目(No.72274217)

\*第一作者 助理研究员, 硕士。研究方向: 医药教育管理、药物经济学。E-mail:cputyunlongsun@163.com

#通信作者 副教授, 博士生导师, 博士。研究方向: 药物经济学评价、医药卫生政策。E-mail:cputianlei@163.com

**KEYWORDS** WHO Model List of Essential Medicines for Children; National Essential Medicines List; pediatric medication; drug selection

儿童健康是经济社会可持续发展的重要保障。第七次全国人口普查数据显示,我国0~14岁儿童占比17.95%,基数庞大;然而,近年来我国儿童人口增速和占比持续下降<sup>[1]</sup>,2023年我国育龄妇女总和生育率在1.0左右<sup>[2]</sup>,明显低于国际公认的总和生育率(1.5)的“高度敏感警戒线”。党的二十大报告明确指出要建立生育支持政策体系,降低生育、养育、教育成本,而保障儿童基本用药是其中落实生育支持政策的关键一环。2021年,国家卫生健康委员会在《国家基本药物目录管理办法(修订草案)》公开征求意见中首次单独列出儿童药品目录,《“健康中国2030”规划纲要》《健康儿童行动提升计划(2021—2025年)》《“十四五”医药工业发展规划》等政策文件均强调了国家对儿童用药保障工作的高度重视。近年来,虽然我国已出台若干政策促进儿童适宜药品的研发和申报审评,2018年版《国家基本药物目录》(*National Essential Medicines List*, NEML)<sup>[3]</sup>相比上一版也新增了儿童用药分类和部分剂型规格,但仍未推出专门的儿童基本药物目录,这难以满足儿童临床用药需求和药物供应保障。基于此,本研究拟通过对比第9版《WHO儿童基本药物目录》(*WHO Model List of Essential Medicines for Children*, WHO EMLc)和2018年版NEML在药物类别、剂型适配性、规格精准性的差异,并对我国《鼓励研发申报儿童药品清单》(以下简称《清单》)药品设置及上市情况进行分析,总结当前我国在保障儿童基本用药方面存在的不足,同时借鉴WHO和发达国家、地区药物遴选经验,为完善我国儿童用药保障制度和制定儿童基本药物目录提供循证决策依据和可行性建议。

## 1 资料与方法

### 1.1 资料来源

本研究相关药品数据来源于WHO官方发布的第8版WHO EMLc(2021年)<sup>[4]</sup>、第9版WHO EMLc(2023年)<sup>[5]</sup>、国家卫生健康委员会发布的2018年版NEML、国家卫生健康委员会等多部门联合发布的5批《清单》、2016—2024年国家药品监督管理局(National Medical Products Administration, NMPA)记录的药品本位码信息库(含国产药品及进口药品)、2013年版《中国国家处方集(儿童版)》(*Chinese National Formulary for Children*, CNFc)、2020年版《中华人民共和国药典临床用药须知(化学药和生物制品卷)》、WHO 2010年发布的《儿童标准处方集》(*WHO Model Formulary for Children*, WMFc)、美国华盛顿大学健康指标与评估研究所主导的全球疾病负担(Global Burden of Disease, GBD)数据库(2021年数据版本)<sup>[6]</sup>。

## 1.2 数据处理

利用Excel软件分别制作第8版、第9版WHO EMLc和2018年版NEML所含药物的数据库,采用描述性方法,横向对比两类目录的药物构成差异;基于GBD数据库中2021年的数据,筛选全球和我国0~14岁儿童中发病率与患病率较高的疾病,在两类目录中查找各自对应的治疗药物,并进行药物类别、剂型适配性、规格精准性等比较;以药品通用名和编码本位码为检索词,在NMPA官网中检索我国《清单》中药品的上市情况;在CNFc和《中华人民共和国药典临床用药须知(化学药和生物制品卷)》中查找药物的具体用法用量,比较第9版WHO EMLc和2018年版NEML中药物规格设置的合理性。

## 2 结果

### 2.1 第9版WHO EMLc更新变化情况分析

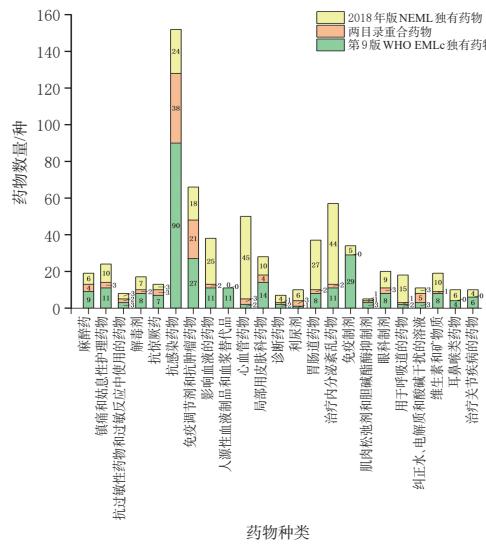
为保障全球儿童用药,WHO从2007年开始在成人基本药物目录的基础上制定了儿童基本药物目录,并形成每2年循证更新机制,现已于2023年更新至第9版。第9版WHO EMLc相较第8版新增药物12种,新增剂型48种,新增适应证的药物16种;删减药物3种,删减配方(formulation,此处指药物的配制处方,包括剂型和规格)药物23种。

从药物品种变化情况来看,第9版WHO EMLc高度关注药物的安全性和有效性,为确保收录药物具备充分的临床证据,删除了少量临床治疗效果证据不足或儿童不适宜的药物,并对其提出建议和跟踪审查,如精神分裂症等精神疾病在12岁以下儿童中很少见,现有临床证据不足以支撑原有精神类药物继续被基本药物目录纳入<sup>[7]</sup>,因此第9版WHO EMLc删除了此类药物。从药物适应证变化情况来看,第9版WHO EMLc更加关注儿童疾病谱的变化情况,根据最新临床研究情况,扩展了目录中现有的药物适应证,如对多种已收录的抗肿瘤药物新增组织细胞增生症的适应证。从药物剂型规格变化情况来看,第9版WHO EMLc充分考虑了儿童服药依从性差的特点,丰富了目录中剂型种类,如新增了饼干糊状物等多种适宜儿童分剂量使用的剂型及直肠凝胶等依从性更高的剂型,并对药物规格进行了新增和细化,以确保儿童用药的易用性和给药的准确性。此外,第9版WHO EMLc更加注重药物上市后的再评价工作,基于循证医学证据删除或替换了一些治疗效果不佳的儿童药物配方,例如为优化制剂治疗效果,删除了抗结核病药物阿米卡星注射液100 mg:2 mL规格,保留了250 mg:2 mL规格。

## 2.2 第9版WHO EMLc与2018年版NEML儿童可用药物收录情况比较

### 2.2.1 两类目录中儿童可用药物分布情况比较

2018年版NEML(化学药物和生物制品)主要依据临床药理学分类,共计收录417种药物(已去重)。为更好地对比两类目录,本研究剔除2018年版NEML中部分明显不适宜儿童使用的药物(如妇产科用药等)8种,剩余409种药物按照第9版WHO EMLc分类标准进行重新归类。第9版WHO EMLc共收录361种药物(已去重)。考虑到同一种药物在不同类别下的药理作用不同,在对比两类目录时,先分别计算各类别下的药物重合数目,再进行总和。结果显示,两类目录总体重合药物101种,占第9版WHO EMLc药物总量的27.98%;第9版WHO EMLc独有药物中,有20类的独有率(各类别独有药物数/该类别药物总数×100%)超过70%。两类目录重合药物数量和各自独有药物数量见图1。



注:有5类药物在2018年版NEML中的收录数量为0,故未被计入选图,分别为抗偏头痛药物、治疗性食品、防腐剂和消毒剂、腹膜透析溶液、牙科制剂。

图1 第9版WHO EMLc和2018年版NEML中儿童可用药物分布对比

总体来看,两类目录的药物重合率较低,差异较为明显。其中,第9版WHO EMLc中的抗感染药物、免疫制剂等类别的数量明显多于2018年版NEML;而2018年版NEML中的心血管药物、治疗内分泌紊乱药物、胃肠道药物等类别的数量明显多于第9版WHO EMLc,这可能与成人、儿童疾病谱的差异有关<sup>[8]</sup>。在剂型方面,第9版WHO EMLc儿童适宜剂型更加丰富和全面,包含多种适宜分剂量服用的刻痕片和口服液;而2018年版NEML收录的主要为普通片剂和胶囊,对儿童服药依从性较高的口服液体制剂明显纳入不足。在重合药物中,第9版WHO EMLc收录的口服液剂型药物有23种,

2018年版NEML则仅有4种,如第9版WHO EMLc收录了奥美拉唑和氯雷他定口服液,而2018年版NEML未收录。在规格方面,两类目录共同收录的药物规格总数相近,但部分药物在第9版WHO EMLc中的规格更丰富、细致且最小规格更小,而2018年版NEML仅考虑到少量儿童常用药的特殊性,大量药物仍缺乏儿童适用规格。如2018年版NEML中羟基脲片剂仅有1种规格(第9版WHO EMLc收录有6种规格),拉莫三嗪片剂的最小规格为25 mg(第9版WHO EMLc则收录了更小规格2 mg)。两类目录重合药物都有的剂型有9种,分别为注射剂、片剂、口服液、注射用无菌粉末、胶囊、乳膏剂、滴眼液、缓释片、分散片;第9版WHO EMLc包含的重合药物多为固体口服剂型、水悬浮剂、栓剂、鼻喷雾剂等独有剂型,其中仅片剂就包含了分散片、刻痕片、咀嚼片、速释片等多种独有的儿童适宜剂型。

### 2.2.2 两类目录中儿童高发(患)病率疾病治疗药物比较

本文结合疾病谱覆盖情况,通过检索GBD数据库,筛选出2021年全球和我国0~14岁儿童共有的5类高发病率疾病(上呼吸道感染、腹泻病、口腔疾病、真菌性皮肤病、中耳炎)和高患病率疾病(口腔疾病、血红蛋白病、头痛症、结核病、肠道线虫病),检索CNFc和WMFc查找出对应的治疗药物,并统计两类目录各自的覆盖情况(图2)。在药物数量方面,2018年版NEML收录的疾病治疗药物数量少于第9版WHO EMLc(腹泻病、头痛症除外),这在一定程度反映出该目录对儿童基本用药需求的保障不足。在药物剂型方面,第9版WHO EMLc收录的各类儿童高发疾病治疗药物均考虑了儿童特殊用药需求,共涵盖了口服液、刻痕片等34种儿童适宜剂型,且每种药物剂型种类丰富,如结核病治疗药物涵盖了9种儿童适宜剂型。相较而言,2018年版NEML收录的治疗药物剂型以普通片剂、胶囊等成人常用剂型为主,难以满足儿童分剂量、易吞咽的需求。在药物规格方面,两类目录共同覆盖的治疗药物规格总数差异较小,且第9版WHO EMLc收录的药物规格更小、更全面,如抗结核病药物乙胺丁醇片剂在2018年版NEML中仅有250 mg这一规格,而第9版WHO EMLc则收录了400 mg和100 mg两种规格,考虑了各年龄/体重段儿童服药剂量的不同需求。此外,本统计分析还发现,第9版WHO EMLc对全球儿童各类高发疾病均有对应治疗药物,而2018年版NEML对我国儿童高发疾病治疗药物的收录并不全面,甚至某些儿童高发疾病(如口腔疾病)在目录中无对应的治疗药物。

### 2.2.3 对两类目录中的符号标记情况比较

对两类目录中的符号标记情况对比分析发现,2018年版NEML作为主要面向成人的基本药物目录,采用单

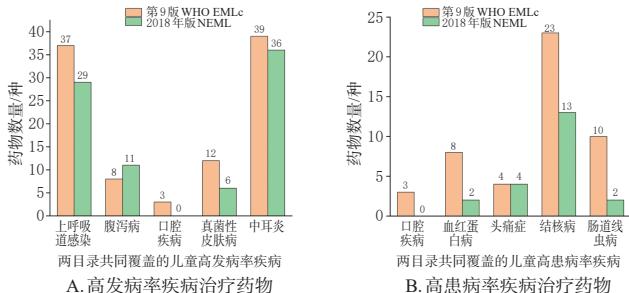


图2 第9版WHO EMLc和2018年版NEML中儿童共有高发(患)病率疾病治疗药物对比

一符号标注体系,如“△”表示需专科医师指导使用;此外,该版NEML暂未建立儿童用药专用标记符号,仅在“备注”栏中简略提及儿童适用性。第9版WHO EMLc则有科学系统的符号标注体系,采用多维字母、符号编码标注儿童药物用法说明,如“□”表示药物不同形式的替代疗法,“[a]”表示药物使用年龄限制,“\*”表示药物特殊使用说明。这种标注方式实现了对儿童用药的精准指引,更有利于保障儿童的用药安全。

### 2.3 《清单》分析以及与第9版WHO EMLc的比较

针对我国儿童专用药物及其特定剂型规格匮乏、医药企业儿童药物研发缺乏明确指导方向的现实情况,为更好地满足儿童临床用药需求、提升儿童用药可及性、保障儿童健康权益,国家卫生健康委员会于2016年起定期发布《清单》,截至本文投稿时已累计发布5批。目前,所有批次《清单》共涵盖15个药物类别,其中数量较多的有抗微生物药、心血管药物、治疗精神障碍药物及抗肿瘤药物。为填补国内儿童紧缺药物空白,《清单》收录了较多的罕见病药物,如前4批已上市的30种药物中有15种为罕见病药物。同时,为提升儿童服药依从性,《清单》对大部分鼓励研发药物的剂型和规格提出了具体要求:在剂型方面,《清单》着重鼓励口服液体制剂的研发,涵盖了30种口服溶液剂和10种口服混悬剂;在规格方面,《清单》注重对已有药物规格进行细化,如2018年版NEML收录的环磷酰胺片剂规格仅有50 mg,《清单》中细化至25 mg,更符合儿童临床用药剂量要求;在上市情况方面,通过检索NMPA官网发现,历次《清单》中药物品种和剂型仍未上市的药物占近80%,这在一定程度反映出儿童药物研发仍面临诸多现实困难,鼓励政策的实施效果仍未充分显现。5批《清单》药物上市情况如表1所示。

将《清单》与第9版WHO EMLc对比发现,两者重合药物有42种,其中剂型和规格均重合的药物有5种。这5种药物目前国内均已获批上市,但其相应的剂型、规格尚未被2018年版NEML收录。本研究进一步对《清单》中药物品种、剂型对比分析发现,《清单》中收录的儿童心血管药物和精神类药物在第9版WHO EMLc中未

表1 5批《清单》药物上市情况

类型	《清单》药物数量/种	占比%
剂型未上市	59	38.82
剂型已上市,规格未上市	18	11.84
剂型和规格均已上市	13	8.55
药物未上市	62	40.79
总计	152	100

注:统计时去除了水合氯醛和长春(花)碱,前者仅有剂型信息并无规格信息,后者仅有原料药上市并无制剂上市,故未纳入到上市药物归类统计中。

被收录或已被删除。在剂型方面,第9版WHO EMLc收录了各类适宜儿童服用的口服制剂,而《清单》中药物的剂型则以普通片剂和注射剂为主,更多儿童适宜的口服液及其他新型剂型仍未被纳入。

### 3 讨论

#### 3.1 2018年版NEML不能充分满足儿童用药需求

2023年我国儿科门诊人次达到4.7亿,总出院人次达到1 885万<sup>[9]</sup>,而同期通过优先审评审批程序、缩短上市周期的儿童用药仅有26种<sup>[10]</sup>,儿童专用药物仍然较少,相对应的剂型、规格缺乏问题仍未缓解<sup>[11]</sup>。同时,儿童的生理结构、功能发育等与成人不同,特别是吞咽能力、味觉偏好及剂量敏感性均与成人存在显著差异<sup>[12]</sup>,而我国现行的NEML主要面向成人,对儿童基本用药需求的考量十分有限。以儿童常用的抗感染药物为例,该类药物在第9版WHO EMLc中的独有率达70.31%,数量远多于2018年版NEML。此外,对于第9版WHO EMLc多有收录的儿童口服液体剂型和体外给药剂型,2018年版NEML也较为缺乏,且笔者通过查阅CNFC发现,2018年版NEML中许多药物缺少儿童服用剂量标准,容易导致临床用药剂量差错、超说明书用药,甚至引发不良反应。

#### 3.2 《清单》对儿童基本药物研发激励效果不足

在我国儿童用药匮乏的大背景下,《清单》等一系列鼓励儿童药物研发政策的发布取得了一定成效,为后续遴选儿童基本药物提供了更多选择。但从上市情况来看,《清单》中大部分药物和剂型还未上市,纳入的儿童适宜剂型、规格也较少,特别是对于一些儿童临床急需的基本药物的侧重有限,如《清单》中的心血管药物、激素及影响内分泌药物占比较大,对儿童高需求病种(如呼吸系统疾病等)治疗药物适宜剂型开发的关注较少。同时,《清单》与医保支付、基本药物目录联动机制尚不健全,导致医院采购意愿低,影响了企业投入研发的积极性。此外,我国近年来出台的一系列鼓励儿童药物研发政策的系统性、连贯性和精准性仍有待提高,相较欧美国家的“强制+激励”组合式政策,我国现行政策工具较为单一,侧重激励措施,缺乏强制研发义务条款与刚性约束,导致企业开展儿科用药研究的内生动力不足<sup>[13]</sup>。

### 3.3 WHO EMLc 和国际成熟经验为我国制定儿童基本药物目录提供了重要参考

在遴选原则方面,WHO EMLc 基于疾病谱系、流行病学特征和公共卫生优先原则,既优先考虑收录能够满足更多儿童健康需求的药物,又通过强制规范要求收录药物的剂型和规格应与不同年龄段儿童的治疗需求和便利性相匹配,这种机制有效解决了全球儿童用药的可及性低与适宜性差的问题,为我国提供了可借鉴的政策经验<sup>[7]</sup>。在国际经验借鉴方面,一些发达国家和地区已形成各具特色、行之有效的儿童药物遴选、评估及监管范式,如欧盟通过在欧洲药品管理局下设儿科药品委员会,负责对儿科用药计划的提交、审核、研究开展、延期或豁免进行全周期监管,注重药品全生命周期和动态调整理念,并创新性地将“强制-激励”复合政策工具进行整合<sup>[14]</sup>;日本厚生劳动省专设儿科用药工作小组,负责将药物数据拓展应用于儿科,通过建立儿童用药数据拓展机制指导企业研发和补充说明书,并采用境外临床数据互认策略,简化药品研发与评审过程,加速其本土化应用进程<sup>[15]</sup>;美国通过立法创新形成了特色的儿童药物监管体系,如美国《最佳儿童药物法案》创设的儿科独占期激励机制与《儿科研究公平法案》确立的强制儿科评估制度一并形成政策合力,辅之以儿科评审委员会、儿科研究协作组等专业机构的技术支撑,共同构建起覆盖研发、审批、上市后监测的全链条监管网络<sup>[13]</sup>。这些创新制度在提升儿童药物可及性、促进儿科临床研究规范化方面展现出显著成效,为我国优化儿童药物政策提供了多维度的参考样本。

### 3.4 我国不能照搬 WHO EMLc 和发达国家遴选经验

WHO EMLc 及发达国家儿童药物政策体系虽在保障儿童药物可及性、安全性与适用性等方面具有示范价值,但其政策框架均基于全球或区域经济发展水平、疾病负担分布及临床需求特征构建,与我国国情、儿童疾病谱特征及用药需求存在显著差异。这种差异主要体现在以下3个方面:其一,儿童疾病谱系差异导致药物遴选标准有错位。如WHO EMLc 针对贫困国家和地区儿童严重营养不良问题设置的即食治疗性食品干预方案,与我国当前儿童营养健康管理重点并不契合。其二,高成本药物纳入的可行性制约。部分药物及其儿童适宜剂型、规格研发周期长、难度大且成本较高,患儿经济负担较重,短期内不易全部纳入作为保障我国儿童基础性用药的基本药物目录中。以WHO EMLc 收录的新型抗肿瘤药物非格司亭为例,虽然该药的治疗效果显著,但其高昂的单剂价格若未经药物经济学评估直接纳入儿童基本药物目录,可能会增加医保基金压力,亦不符合“突出基本、防治必需”的基本药物目录定位原则。其

三,我国与发达国家在创新药物研发方面存在技术水平差距。如在人源性血浆制品等领域,受限于临床研究数据匮乏及企业研发动力不足等因素,我国在短期内难以实现与国际先进水平同步<sup>[16]</sup>。基于上述现实约束,后续制定儿童基本药物目录时,应结合我国当前基本国情和供应保障能力,选择性吸收国际经验中的共性要素,以规避因机械套用国际经验导致的政策失灵风险。

## 4 建议

### 4.1 借鉴 WHO EMLc 的遴选方法和原则

在遴选程序方面,WHO 专门设有儿童基本药物遴选专家委员会,保证药物从调整申请、专家征询到目录出台全程的专业权威和公开透明。我国也应构建儿童基本药物专属评审通道和公开透明的遴选程序,组建由儿科医生、临床药师、公共卫生专家和药物经济学家等组成的多领域跨学科的儿童用药专家委员会,并引入 WHO 儿童基本药物评价工具,结合我国儿童疾病谱,优先在 2018 年版 NEML 基础上遴选适宜的儿童基本药物。在遴选原则上,WHO EMLc 有完善的循证医学决策机制,坚持“疾病负担、循证证据、成本-效益”三原则,注重依据药物临床疗效、儿童群体药代动力学等特征性数据进行系统评估,同时重点考量药物的全年龄段适用性,以及治疗疾病的优先级。对此,建议我国建立健全儿童用药循证数据库,以儿童疾病谱为核心导向,充分考虑药物的有效性、安全性及成本-效益优势,优化儿童基本药物目录结构,并优先纳入 WHO EMLc 中已经验证的安全有效的药物,保障药物覆盖的完整性与实际应用价值;同时,我国还应参考 WHO EMLc 2 年更新 1 次的周期,结合儿童疾病谱变迁特征,建立目录定期动态调整机制,增设“临床急需药物快速审评通道”,针对已获批但未纳入目录的儿童急需药物缩短评审周期,解决目录更新滞后问题。

### 4.2 借鉴 WHO EMLc 药物收录原则

第 9 版 WHO EMLc 相较 2018 年版 NEML 收录的药物剂型更加丰富和全面,规格也更为细化,且还配有科学系统的用药符号标注体系,更符合儿童临床用药的安全标准;对此,建议我国深度借鉴第 9 版 WHO EMLc 的技术规范,对 WHO EMLc 中儿童适宜剂型规格进行优先评估分析,适当提升与 WHO EMLc 的重合率。一方面应强化药物剂型安全性、适配性与用药精准性,如借鉴 WHO EMLc 做法,优先收录新生儿直肠栓剂、带刻痕分散片、带刻度口服液等儿童专用剂型,禁用乙醇/糖浆添加剂;另一方面应强化剂型-规格互补性,对同一药物提供多种剂型及梯度规格,以适配不同年龄段、不同体重儿童的精准化需求。此外,建议我国借鉴国外成熟做法,强制要求企业在新药申报时同步提交儿童口服剂型

及小剂量制剂研发方案,丰富儿童临床药物选择,提高儿童服药的依从性和剂量的准确性。在药品风险管控方面,建议我国引入WHO EMLc多样化的符号标注体系和AWaRe分类原则(Access, Watch and Reserve——可用、慎用、备用),并结合我国儿童体质进行本土化适配,标注儿童药物的用法用量和风险等级,详细说明儿童的适用年龄、体重区间、禁忌证及替代方案等。

### 4.3 加大对儿童基本药物政策支持力度

我国现行《清单》对儿童需求量大、保证基本用药需求的药物的支持力度还不够,企业研发动力不足、生产供应不稳定等问题依然存在。因此,后续《清单》制定时,应优先纳入更多儿童基本药物的剂型规格,出台多维度政策,加速成人成熟药物向儿童适应证的拓展,逐步构建“成人-儿童”药物研发转化链条。在政府层面,应构建覆盖研发、生产、供应、安全监管的全链条政策支持体系。在研发端,应简化儿童药物注册和审评流程,建立儿童药物多中心临床试验协作平台,延长数据保护期,鼓励医疗机构、科研院所和企业开展儿童药物临床试验,并配套财政补贴、减免税收、设立专项资金、明确市场独占权等激励措施。在生产端和供应端,应推动药企与儿科医疗机构合作建立转化平台,加速临床需求向产品转化;同时,建议将儿童基本药物纳入省级药物储备目录,对短缺品种实施定点生产与财政兜底采购,通过政策干预稳定市场供应。在药品监管端,临床用药监管部门应建立健全儿童用药不良反应主动监测系统和安全性再评价体系,鼓励药企积极开展儿童用药循证实践,完善儿童用药安全信息,为后续儿童基本药物目录遴选提供更多安全有效的药物选择。

总之,我国儿童基本药物保障在目录体系、剂型适配及政策激励等方面与国际仍存在差距,但差距正逐渐缩小,我国已具备制定儿童专属基本药物目录的政策条件和客观基础。WHO EMLc作为专为儿童设置的基本药物目录,对我国未来补足儿童药物目录空缺短板具有较大的参考意义。后续需立足国情、借鉴国际经验,强化全周期政策协同,加大儿童药物研发投入和支持力度,更好地保障儿童用药的安全、有效、经济和方便。

### 参考文献

- [1] 国家统计局,联合国儿童基金会,联合国人口基金. 2020年中国儿童人口状况事实与数据[EB/OL].[2024-12-18]. [https://www.stats.gov.cn/zs/tjwh/tjkw/tjzl/202304/t20230419\\_1938814.html](https://www.stats.gov.cn/zs/tjwh/tjkw/tjzl/202304/t20230419_1938814.html).
- [2] 梁建章,黄文政,何亚福,等.中国生育成本报告2024版[EB/OL]. [2024-12-18]. <https://caoss.org.cn/upload/file/24031812405831.pdf>.
- [3] 国家卫生健康委员会.国家基本药物目录:2018年版[EB/OL]. [2024-12-18]. <https://www.gov.cn/fuwu/2018-10/30/5335721/files/e7473e46d9b24aadad3eb25127ffd986.pdf>.
- [4] WHO. WHO model list of essential medicines for children: 8th list[EB/OL]. [2024-12-18]. <https://www.who.int/publications/i/item/WHO-MHP-HPS-EML-2021.03>.
- [5] WHO. WHO model list of essential medicines for children: 9th list[EB/OL]. [2024-12-18]. <https://www.who.int/publications/i/item/WHO-MHP-HPS-EML-2023.03>.
- [6] IHME. Global burden of disease 2021: findings from the GBD 2021 study[EB/OL]. [2024-12-18]. <https://www.healthdata.org/research-analysis>.
- [7] WHO. Executive summary of the report of the 24th WHO expert committee on selection and use of essential medicines[EB/OL]. [2024-12-18]. <https://www.who.int/publications/i/item/WHO-MHP-HPS-EML-2023.01>.
- [8] EDELMAN C M, MEADOW S R, et al. Childhood disease and disorder[EB/OL]. [2024-12-18]. <https://www.britannica.com/science/childhood-diseases-and-disorders>.
- [9] 国家卫生健康委员会. 2023中国卫生健康统计年鉴[M]. 北京:中国协和医科大学出版社,2023:124-134.
- [10] 国家药品监督管理局.2023年度药品审评报告[EB/OL]. [2024-12-18]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/20240204154334141.html>.
- [11] 潘锋.改善儿童用药管理,保障儿童用药安全[J].妇儿健康导刊,2023(6):4-5.
- [12] SHAH B A, PATEL A S, PATEL B, et al. Mini-tablet drug delivery system for pediatric dosage form (PDF): a review of manufacturing perspectives[J/OL]. Int J Drug Dev Res, 2018, 10[2024-12-18]. <https://www.semanticscholar.org/paper/Mini-Tablet-Drug-Delivery-System-for-Pediatric-Form-Shah-Patel/9314923741d964dcc71df74f43762a8f9-d6c0df6>.
- [13] 李勇,胡培杰,张乐彤.国内外儿童用药研发现状及激励政策比较[J].中国药物评价,2023,40(1):12-16.
- [14] 李秀丽,李丹,瞿礼萍,等.欧盟儿科药品管理条例系统解析[J].中国药学杂志,2024,59(12):1165-1170.
- [15] 丁锦希,任宏业,蒋蓉.日本临床急需儿童药品政策法规及启示研究[J].现代商贸工业,2016,37(13):125-126.
- [16] 蒋长永,董方玉,陈晨,等.中国血浆蛋白制品的展望[J].中国输血杂志,2022,35(2):227-232.

(收稿日期:2025-01-20 修回日期:2025-06-22)

(编辑:刘明伟)