

指引企业通往成功之路 →

企业家之窗

2023年10月20日

·北京医药行业协会主办·

第 **10** 期 (总第275期)

导读

三部门发文调整麻醉药品和精神药品目录

国家医保局：集采中选仿制药与原研药在疗效和安全性上相当

国家卫健委发布全国医药领域腐败问题集中整治工作有关问答

中央制定反腐败5年规划，倒逼药企探索新商业模式及创新路径

构建“一清单、两优化”服务机制，上海加速打造世界级生物医药产业集群

多维度发力破解创新药商业化难题

目 录

CONTENTS

政策信息

- 1 第二批罕见病目录公布 获得性血友病等 86 种罕见病被新纳入
- 2 三部门发文调整麻醉药品和精神药品目录
- 3 国家医保局:集采中选仿制药与原研药在疗效和安全性上相当

行业动态

- 4 国家药监局召开药品智能制造研讨会
- 4 北京经开区再添“新药智造”产业新地标 北科建亦庄科创园正式开园运营

合规专栏

- 5 国家卫健委发布全国医药领域腐败问题集中整治工作有关问答

产业大势

- 8 中央制定反腐败 5 年规划 倒逼药企探索新商业模式及创新路径

- 11 构建“一清单、两优化”服务机制 上海加速打造世界级生物医药产业集群

市场分析

- 15 第九批国采 原研药投标预判
- 17 多维度发力破解创新药商业化难题

药企管理

- 19 取消距离限制等“松绑”政策密集出台 零售药店如何抢占发展红利

综合资讯

- 封三 总生存率 100% 罕见病基因疗法获 FDA 优先审评

第二批罕见病目录公布 获得性血友病等 86 种罕见病被新纳入

近日,国家卫生健康委、科技部、工业和信息化部等六部门联合发布了《第二批罕见病目录》,新纳入 86 种罕见病,包括软骨发育不全、原发性生长激素缺乏症、获得性血友病、成人斯蒂尔病等。

据了解,2018 年,《第一批罕见病目录》正式发布,纳入 121 种罕见病。这是一个里程碑式的政策节点,意味着中国成为以目录形式管理罕见病的国家。在长达 5 年的等待后,国家目录终于再次更新,《第二批罕见病目录》包含了 86 种罕见疾病。目前目录已覆盖 207 种罕见病。

罕见病的诊治一直存在确诊难、治疗方法少、可用药品少、社会重视程度不高等困难。将罕见病纳入国家目录并持续更新,可让作为少数群体的罕见病患者被看见、被关注、被关心,极大地推动罕见病的筛查诊治。

罕见病病患占比一般在万分之一以下,研发新药投入大、风险高、原创难、周期长,因此国产罕见病创新药十分罕见。据了解,近年来,在利好政策

的推动下,很多药企也开始不断加大对罕见病药物的开发。如晟斯生物作为罕见病新药研制取得突破性成果的企业,与浦东一批创新药企共同进入罕见病新药研制的新赛道。晟斯生物四个国际水准的血友病创新药研制,带动罕见病领域的新药创新规划布局,在晟斯血友病长效药、再鼎可穿戴医疗设备和傅利叶康复机器人治疗罕见病方面,走在前列。

金赛药业也表示,其始终关注着罕见病群体,一方面是推进罕见病临床研究,另一方面则是积极支持国内罕见病学术组织的工作开展。据悉,其一直在积极开展生长激素治疗小胖威利综合征临床研究,同时还在支持该综合征成立临床规范化多学科诊疗协作联盟。

根据数据统计,罕见病药物获批上市速度也逐渐加快。截至 2023 年 6 月 30 日共约有 50 款新药头次获得中国国家药监局(NMPA)批准上市,约有 30 多款新药在我国迎来了新适应症。其中罕见病药物为获批第二多的

三部门发文调整麻醉药品和精神药品目录

日前,国家药监局、公安部、国家卫生健康委联合发布关于调整麻醉药品和精神药品目录的公告,将泰吉利定列入麻醉药品目录,将地达西尼、依托咪酯(在中国境内批准上市的含依托咪酯的药品制剂除外)列入第二类精神药品目录,将莫达非尼由第一类精神药品调整为第二类精神药品。公告自2023年10月1日起施行。

根据《麻醉药品和精神药品管理条例》,麻醉药品和精神药品是指列入麻醉药品目录、精神药品目录(以下简称目录)的药品和其他物质。精神药品分为第一类精神药品和第二类精神药品。目录由国务院药品监督管理部门会同国务院公安部门、国务院卫生主管部门制定、调整并公布。

我国对麻醉药品和精神药品等实行特殊管理。《麻醉药品和精神药品管理条例》对麻醉药品药用原植物的种植,麻醉药品和精神药品的实验研究、生产、经营、使用、储存、运输等活动以及监督管理作出了规定。按照规定,麻醉药品和第一类精神药品不得零售。经所在地设区的市级药品监督管理部门批准,实行统一进货、统一配送、统一管理的药品零售连锁企业可以从事第二类精神药品零售业务。第二类精神药品零售企业应当凭执业医师出具的处方,按规定剂量销售第二类精神药品,并将处方保存2年备查;禁止超剂量或者无处方销售第二类精神药品;不得向未成年人销售第二类精神药品。

(信息来源:中国医药报)

创新药,包括头次批准上市的7款及3款成功扩大适应症,为我国罕见病患者带来福音。

对于本次86种罕见病被新近纳入,又将带来怎样的变化和影响?有业内人士表示,这无疑会带来多方面“利好”:首先这些罕见病能获得临床专家

关注,推动更多医疗资源倾斜和相应诊疗方案出台;其次药物研发、审批、上市也会加速,支付保障也会进一步完善;更重要的是,罕见病患者的身份可以得到更广泛的社会认可,“这将有效、及时帮助他们获得医疗资源和社会救助。”

(信息来源:制药网)

国家医保局：

集采中选仿制药与原研药在疗效和安全性上相当

10月17日，国家医保局召开新闻发布会，公布了第二、三批国家组织药品集中采购中选仿制药临床疗效和安全性真实世界研究结果。结果显示，此次研究选取的23个具有代表性集采中选仿制药，与原研药在临床疗效与安全性上相当。

据介绍，受国家医保局委托，宣武医院自2021年6月起，牵头全国16个省份的29家医疗机构，对第二、三批国家组织集采中选的23个有代表性的仿制药开展了历时两年的临床疗效和安全性真实世界研究，共涉及38个厂牌、14万例患者样本。

此次被纳入真实世界研究的23个药品，含头孢地尼、头孢克洛、阿奇霉素等7个抗感染药物，替吉奥、阿扎胞苷、阿比特龙等6个抗肿瘤药物，二甲双胍、格列美脲、北布司他等4个代谢类疾病治疗药物，阿哌沙班、替格瑞洛、缬沙坦等3个心脑血管疾病治疗药品，舍曲林、左乙拉西坦注射用浓溶液等2个精神类疾病治疗药物以及奥美拉唑这一消化系统疾病治疗药物。会上，真实世界研究课题组长、首都医科大学宣武医院药学部主任张兰表示，此次真实世界研究的临床疗效和安全性评价指标在选

择上力争做到科学严谨。针对不同药品不同的适应症与药理特性，课题组多维度选取了相关指标，以更准确地反映药物的临床疗效和安全性，如采用细菌清除率、临床症状改善率等指标评价抗感染药物的有效性，采用无病生存期、复发率、转移率等指标评价抗肿瘤药物的有效性等。张兰表示，根据本次研究结果，总体上可得出结论：集采中选仿制药的临床疗效和安全性与原研药相当。

据了解，此前国家医保局就曾指导宣武医院等20家医疗机构对第一批集采的14个中选药品开展临床疗效和安全性真实世界研究，涉及心脑血管、神经精神、慢性乙肝、肿瘤等疾病治疗药物和麻醉剂等5大类药品。研究表明，在临床真实诊疗环境中，上述14个集采中选仿制药与原研药在临床疗效和使用上等效，不良反应无统计学差异。截至目前，我国已经开展了8批国家组织药品集中采购，累计采购333个品种药品，极大降低了患者用药负担。据悉，国家医保局将继续针对集采中选产品开展真实世界研究评价，让广大群众真正用上质优价宜的放心药。

（信息来源：21 经济网）

国家药监局召开药品智能制造研讨会

近日,国家药监局药品监管司召开药品智能制造研讨会。会议邀请行业协会专家介绍了药品智能制造应用场景及发展前沿,邀请药品监管部门专家介绍了医药产业数字化生产和数字化监管发展趋势,部分与会企业负责人分享了药品生产、质控等方面探索实施信息化、自动化的经验和体会。工业与信息化部消费品司有关负责同志介绍了“十四五”医药工业发展规划相关内容,分析了当前医药行业推进数字化、智能化改造的重点和难点。会议指出,药品智能制造是

实现制药行业提质增效、转型升级、创新发展的新动能,是促进我国从制药大国向制药强国转变、实现高质量发展的必由之路。会议强调,作为药品质量安全的责任主体,药品上市许可持有人应当加大信息化建设投入,用技术手段提升质量管理、消除风险隐患。药品监管部门要与时俱进,创新监管手段和方法,让“智慧监管”和“智能制造”有机融合,在实现药品监管现代化的同时,助力医药产业高质量发展。

(信息来源:国家药监局网站)

北京经开区再添“**新药智造**”产业新地标 北科建亦庄科创园正式开园运营

近日,“亦庄腾飞·药启未来”医药健康产业生态融合发展大会在北京经开区的北科建亦庄科创园成功举办,会上进行集中签约,发布“生物医药产业要素智汇平台”,这也标志着北科建亦庄科创园正式开园运营,经开区再添“新药智造”产业新地标。

此次大会由北京市科学技术委员会、中关村科技园管理委员会、北京市科学技术协会、北京经开区管理委员会指导,由北京北科亦创科技有限公司、中关村社会组织联合会、亦庄科技

商会联合主办。

大会现场,北科建亦庄科创园正式发布“生物医药产业要素智汇平台”。该平台将立足服务北京国际科技创新中心“三城一区”主平台建设和北京经开区全球“新药智造”产业高地建设目标,着力打造创新链、延伸产业链、融通服务链,从“政策直通、技术前沿、产业投资、市场准入、模式创新”等维度,构建医药健康产业新生态。

会上,园区与国内领先的医疗器械 CDMO 服务企业北京中关村水木医

国家卫健委发布全国医药领域腐败问题 集中整治工作有关问答

一、开展集中整治的工作背景以及目的是什么？

答：医药领域是维护人民群众健康的主阵地，关系到广大人民群众最关心、最直接、最现实的健康权益。党中央高度重视医药事业的高质量发展，将保障人民健康放在优先发展的战略位置。党的十八大以来，医药卫生行业聚焦影响人民健康的重大疾病和主要问题，加快实施健康中国战略，推动医药、医疗、医保持续高水平发展，促进优质医疗资源扩容和区域均衡布局。医务工作者肩负救死扶伤，维护人民

群众健康的神圣职责。长期以来，广大医务人员响应党的号召，践行“敬佑生命、救死扶伤、甘于奉献、大爱无疆”的新时期职业精神，在疾病预防诊疗康复护理、医学技术创新发展等方面发挥了不可替代的重要作用并取得丰硕成果，得到全社会理解、支持和尊重。对广大医务工作者的辛勤劳动和奉献应予充分肯定。

加强医药领域反腐工作是促进医药行业高质量发展的重要内容，是完善医药治理体系建设的重要组成部分。多年来，国家卫生健康委作为纠正医药购销领域和医疗服务中不正之风

疗科技有限公司、北京协和建昊医药技术开发有限责任公司（中国医学科学院新药安全评价研究中心）、清华大学海峡研究院 CTC 国际医疗技术创新转化中心等 6 家合作机构进行战略签约，共建“医疗健康创新发展合作伙伴关系”，为“生物医药产业要素智汇平台”开启创新服务新起点。此外，园区还与北京蓝天多维科技有限公司、上海黛美医疗科技有限公司等首批入驻的 7 家企业进行集体签约。

目前，经开区正加快建设全球“新药智造”产业高地，已聚集生物技术和大健康产业的企业 4200 余家，涵

盖了创新研发、技术转化、产业化落地等全产业链上下游关键环节。随着正式开园运营，北京北科亦创科技有限公司相关负责人表示：“未来，北科建亦庄科创园将聚焦细胞和基因治疗以及高端医疗装备两大细分领域，为入园科技企业提供适配的创新空间载体与完善的配套服务体系。重点围绕生物医药产业要素集聚，从优化增值服务，强化市场创新协同，以生物医药标杆园区为目标，为经开区打造具有全球影响力的‘新药智造’产业高地贡献力量。”

（信息来源：北京亦庄）

部际联席机制牵头单位,会同相关部门不断加强行业作风建设,将体系构建、制度建设与落实廉洁从业九项准则等相结合,坚决纠治行业不正之风,取得了显著改善。伴随全面从严治党、党风廉政建设和反腐败斗争取得历史性成就,医药领域行业风气持续向好。但同时,医药领域腐败问题依然存在,特别是近年来查处的一些“关键少数”、关键岗位人员,利用权力寻租、大肆收受回扣、行贿受贿等案件,严重稀释了医药事业改革发展红利,蚕食了人民群众权益,既掣肘医疗、医保、医药事业改革发展,又影响了行业形象,也危害了医药卫生领域绝大多数人的利益。

为进一步促进医药事业发展进步,保障人民群众健康权益,国家卫生健康委同教育部、公安部、审计署、国务院国资委、市场监管总局、国家医保局、国家中医药局、国家疾控局、国家药监局等9部门共同启动了为期1年的全国医药领域腐败问题集中整治工作,以问题为导向,聚焦医药行业“关键少数”和关键岗位,坚决整治违规违纪违法,构建风清气正的行业氛围,为医药卫生事业高质量发展提供保障。

二、此次开展集中整治工作的主要原则有哪些考虑?

答:当前,医药领域腐败问题纠治难度不断加大,需要医药购销全链条上涉及的各部门增强工作合力、开展联合治理,需要将系统治理观念贯彻

工作始终。因此,本次集中整治明确了三项工作原则:

一是全面覆盖、聚焦重点。此次整治涵盖了医药行业生产、流通、销售、使用、报销的全链条,以及医药领域行政管理部门、行业学(协)会、医疗卫生机构、医药生产经营企业、医保基金等全领域,实现医药领域全覆盖。在整治的重点上,聚焦“关键少数”、关键岗位,尤其是利用医药领域权力寻租、“带金销售”、利益输送等不法行为。

二是集中突破、纠建并举。针对“关键少数”、关键岗位的腐败问题进行重点突破,对重点问题、典型案件进行调查核实、处置处理、通报剖析,形成全国性集中整治医药领域腐败问题的高压态势。坚持线索处置、问题整改、行业治理相结合,健全规章制度、完善治理机制、规范行业监管,注重加强长效机制建设,实现医药领域腐败问题治理系统化、规范化、常态化。

三是统一实施、分级负责。严格落实工作责任,确保集中整治工作的各项要求任务落地见效。在全国医药领域腐败问题集中整治工作协作机制的统一领导下,相关职能部门和地方切实承担集中整治的主体责任,分级负责、抓好落实。纳入整治范围的机构、单位承担直接责任,负责落实上级主管部门对集中整治工作的各项具体要求,严格落实好集中整治的各项工作任务。

此次集中整治将按照上述原则,对医药行业开展全链条全领域全覆盖

的系统治理,破解行业监管中的系统性问题,扎实推进医药领域行业治理,确保整治工作取得成效。

三、针对当前医药领域出现的腐败问题,开展集中整治的重点内容和措施有哪些?

答:此次集中整治的内容重点在六个方面:一是医药领域行政管理部门以权寻租;二是医疗卫生机构内“关键少数”和关键岗位,以及药品、器械、耗材等方面的“带金销售”;三是接受医药领域行政部门管理指导的社会组织利用工作便利牟取利益;四是涉及医保基金使用的有关问题;五是医药生产企业在购销领域的不法行为;六是医务人员违反《医疗机构工作人员廉洁从业九项准则》。通过采取自查自纠、集中整治、总结整改等措施,对医药行业的突出腐败问题,进行全领域、全链条、全覆盖的系统治理,建立完善一系列长效机制,确保工作取得实效。

四、集中整治工作部署以来,有什么工作进展,下一步工作有什么打算?

答:今年7月初,国家卫生健康委同9部门联合印发了有关文件,聚焦解决当前医药领域腐败的突出问题,以及医药购销和医疗服务全链条中容易产生问题的关键环节,明确了此次集中整治的总体要求、整治内容、工作步骤和工作要求。7月12日,国家

卫生健康委等10部门召开了全国医药领域腐败问题集中整治工作会议,聚焦医药领域生产、供应、销售、使用、报销等重点环节和“关键少数”,对集中整治工作进行了重点部署,各地各部门4000余人参加了会议。7月28日,中央纪委国家监委召开了配合开展集中整治工作的视频会议,就聚焦医药领域“关键少数”,加强监督执纪执法,在纪检监察系统内进行了部署。同时,国家卫生健康委在官方网站首页上线了“互联网+”行风评议平台,建立和畅通面向社会的信息沟通渠道。

根据工作部署,各省份均已建立了地方医药领域腐败问题集中整治工作机制,制订印发地方工作方案,并召开会议进行部署安排。各地有关单位迅速开展自查自纠,处置有关问题,公布多起案例,形成严的基调和氛围,反腐已在医药行业内形成广泛共识,集中整治的各项工作正在稳步开展。

下一步,集中整治将根据总体安排,持续推进,加大对工作的指导调度,加大对典型问题处置及通报力度,确保整治工作成效。

五、部分学术会议以近期反腐形势为由宣布暂停或延期举办,是否为集中整治的工作要求?

我们注意到媒体反映一些学术会议在医药领域反腐的形势下,宣布暂停、延期,但同时我们也了解到一些学术会议正常进行、未受影响。医药行业

中央制定反腐败 5 年规划 倒逼药企探索新商业模式及创新路径

近日，中共中央办公厅印发了《中央反腐败协调小组工作规划（2023~2027 年）》，《规划》对以零容忍态度严惩腐败作出部署，紧盯重点问题、重点对象、重点领域，把严的基调、严的措施、严的氛围长期坚持下去。

《规划》明确遏制增量、清除存量的思路举措，重点查处不收敛不收手、胆大妄为的腐败分子，更加有力遏制增量，分类施策清除存量。突出重点领域，坚决清理风险隐患大的行业性、系统性、地域性腐败。其中，医药领域的腐败将被深化整治。此外，《规划》明确推动反腐败向基层延伸，聚焦教育医

疗、食品药品安全等领域。

可见，尽管目前全国医药领域腐败问题集中整治正向全领域、全链条、全覆盖纵深推进，但是作为事关人民群众获得感、幸福感、安全感的医疗、医药等行业，未来仍将是党和国家反腐败重点聚焦的领域。

对此，有券商医药行业分析师表示，今年医药反腐重点在于查处人民群众极不满意的医疗服务中收红包、医药购销中吃回扣行为，紧盯关键少数人。目前，从落实情况来看，已经查处了一大批医疗管理和服务人员，取得了明显成效。

的学术会议是学术交流、经验分享、促进医药技术进步和创新发展的平台，按照国家有关规定，规范开展的学术会议和正常医学活动是要大力支持、积极鼓励的。需要整治的是那些无中生有、编造虚假学术会议的名头，进行违法违规利益输送，或者违规将学术会议赞助费私分的不法行为。

六、近期网上出现“阜外医院徐波”“江苏常州乳腺外科专家”等腐败案例，其内容是否属实？

我们关注到网上出现的有关信息。经了解，中国医学科学院阜外医院

介入导管室主任徐波因涉嫌严重违纪违法问题，由中央纪委国家监委驻国家卫生健康委纪检监察组、山西省长治市监委立案审查调查。目前，该案件尚在办理中。经与办案部门沟通咨询，网传其“利用动手术、进耗材、参与医疗设备采购招标的机会，收受贿赂高达 12 亿元”等信息与目前案件调查掌握情况严重不符，为虚假信息。

关于“常州市著名乳腺外科专家朱某某被抓，家里共查出 1.5 亿”的信息，当地有关部门已通过常州主流媒体针对网络传播的失实信息进行了说明。（信息来源：转化医学网）

“虽然反腐行动可能会涉及到一些医术高明的医务人员,可能会暂时影响医疗机构的正常运行,也会引发资本市场相关板块波动。但是,反

腐不能投鼠忌器,心慈手软,刮骨疗伤能够换来长期的肌体健康,人民健康权能得到完整的落实。”上述分析师说。

严格加强药品监管

医疗体系的健康运行,事关人民群众的幸福感和安全感以及健康权力。

随着经济快速发展和老龄化趋势加剧,人民群众对医疗服务需求快速增加,深入整治医疗领域腐败是我国卫生健康事业发展的必然阶段,也是全面推进健康中国战略、净化行业生态、维护群众切身利益的必然要求。

从此次中央反腐败5年规划也可以看到,深化整治医疗、医药领域腐败将成为制度化、常态化趋势。

《规划》明确,突出重点领域,深化整治金融、国有企业、政法等权力集中、资金密集、资源富集领域和粮食购销、高等学校、体育、医药等领域的腐败,有效防范化解腐败风险及关联性经济社会风险。推动反腐败向基层延伸,聚焦就业创业、教育医疗、养老社保、生态环保、安全生产、食品药品安全、执法司法等领域,切实增强人民群众的获得感、幸福感、安全感。

可见,《规划》明确的未来反腐重点领域,医疗、医药在列。而今年7月启动的全国医药领域腐败问题集中整治工作,更是掀起了“史上最强医药反腐风暴”,时间跨度为期一年,针对医

药领域生产、供应、销售、使用、报销等重点环节和“关键少数”,坚持标本兼治、纠建并举,深入开展医药行业全领域、全链条、全覆盖的系统治理。

可以说此次集中整治也是对《规划》提出的各种治理措施与思路的实战演练。

医药购销环节,一直以来“带金销售”问题严重,而商业贿赂更是渗透全链条各环节。《规划》提出,强化巡视、审计、统计、财会等监督成果运用,严肃查处巡视、审计、财会、统计等监督中发现的涉嫌腐败问题,充分发挥审计等在反腐治乱中的重要作用。完善对行贿人的联合惩戒机制,建立行贿人“黑名单”制度,综合运用纪律、法律、行政、经济等手段,形成不敢行贿“围猎”的震慑。

针对重点环节和关键少数,《规划》明确要健全防治腐败滋生蔓延的体制机制,抓住政策制定、决策程序、审批监管、执法司法等关键权力,健全监督制度体系,减少权力对微观经济活动的不当干预。

上述分析师指出,当前医药企业和医疗机构在合规体系建设上仍然面

临一些不足之处,主要包括以下三方面:一是,合规意识不足。部分医药企业和医院对合规的重视程度不够,缺乏足够的合规意识和文化,导致合规体系建设滞后;二是,合规制度不完善。医药企业和医院的合规制度和规范尚不完善,需要进一步建立健全相关制度和规范,以确保企业和医院的合规运营;三是,合规监管不力。医药企业和医院的合规监管力度有待加

强,需要进一步完善监管机制,提高监管效能和水平。

“国家层面持续强调医药反腐的重要性,这也要求企业层面要加强合规销售,还是要‘法’字当头,以现行的法律法规政策作为销售依据。”上述分析师强调,这对于加强药品全生命周期管理,全面加强药品监管能力建设,促进医药产业高质量发展和实现药品监管中国式现代化意义重大。

反腐倒逼企业加强创新

随着《规划》的出台,将加快建立党和国家多层次、多部门常态化协同监管机制,针对医疗医药行业全领域、全链条、全覆盖的持续高压反腐败也将成为新常态。对广大医药企业来说,只有全方位合规经营才能可持续健康发展,整个行业生态才能走上良性发展轨道。

毕马威中国生命科学行业主管合伙人于子龙日前表示,反腐是行业规范化推进中的重要举措,对行业良性发展有推动作用,倒逼企业在源头加强创新。同时,这对企业未来商业推广模式会带来一定变化,企业未来会加速用更多数字化手段去进行市场活动,同时,企业也会更加关注患者教育和以患者为中心。

但是商业推广的本质仍然是价值传递,企业应积极思考经济价值传递之外,非经济价值的传递方式和企业

可以发挥的角色,对医院、对医生、对医保,通过新的价值传递模式提升产品认知、品牌形象和形成产品之外的差异化竞争优势。在医院端,医生也会通过国家鼓励的多点执业等渠道增加自己的收入,也因此会更加注重个人的品牌建设,甚至会促使一些医生向民营医院流入。

“对于医药企业来说,尤其是内资之前合规管理比较薄弱的公司,应该梳理内部的合规内控管理体系,补足自己薄弱的环节,积极探索和转化商业模式,正真为临床和患者带去价值。”于子龙说,对于合规已经比较成熟的外资企业来讲,可以通过数据分析,找出以往市场营销环节中不合理的费用,优化未来的市场资源投入。

致同咨询生命科学与健康行业领导合伙人、致同咨询融资与并购财务顾问服务合伙人董慧慧表示,(下转第15页)

构建“一清单、两优化”服务机制 上海加速打造世界级生物医药产业集群

生物医药是上海重点发展的三大先导产业之一,也是保障人民群众生命健康的支柱产业。上海作为我国现代医药产业的发祥地和我国生物医药产业创新高地,产业发展要素齐备,产业生态完善,国际影响力日益提升。

2023 上海国际生物医药产业周将于今年 10 月 16 日~20 日举办。上海市经济信息化委主任吴金城介绍,上海作为我国现代生物医药的发源地,现在也正在打造生物医药产业的

创新高地,上海积极落实国家战略,加快打造具有国际影响力的世界级生物医药产业集群,全市生物医药产业增长非常快,连续三年增长量都在千亿以上。

“上海生物医药发展 30 年历程,通过 30 年的探索实践,特别是进入新时代以来,我们体会到生物医药产业的发展主要依托创新要素、临床资源、金融资源、人才资源等共同来推动生物医药产业的创新发展。”吴金城说。

锚定生物医药产业“核爆点”

近年来,上海生物医药创新要素集聚,推动创新成果在全国领先。

吴金城介绍,2019 年以来,上海 1 类创新药累计获批 17 个,约占全国 1/4; 第三类创新医疗器械累计注册获批 23 项,约占全国 1/6,实现从“创仿结合”转型到“首发引领”,涌现出一批全球首研新药、全国首发细胞治疗新药、国际一流医疗器械等。国际前 20 位的药械企业中有 80% 将中国区或研发生产总部设在上海,全国前 20 家企业有 16 家在上海布局,全球十大 CRO、CMO 企业已有 70% 在上海运营;在细胞与基因治疗、合成生物学、医疗机器人、

AI+制药、高端医疗影像等领域已形成优势赛道、优势产业集群。

今年生物医药产业周,将进一步集聚全球科技创新资源,激发科技创新思想,对标国际一流前沿,瞄准产业发展趋势,以深入实施创新驱动发展战略,更好锚定生物医药产业“核爆点”。

同时,激活临床要素,加强转化动能。上海临床要素富集,全市仅三甲医院就有 36 家,其中 17 家医院独立设置临床研究中心,6 家医院作为依托单位建设“国家临床医学研究中心”。

通过产业周平台对接,将有助于更多一线临床需求满足更多产业研发

需要,更多创新成果为临床熟知,更多临床资源能够用于新药研发,促进建立以产品上市为导向的临床试验管理机制,深化探索临床试验加速器、产医融合创新基地,树立多中心临床试验的上海标杆,培育国际化专业临床服务合同研究组织,将上海丰富的临床资源转化为推动产业发展的新动能,全面构建“研发+临床+制造+应用”的全产业链支撑体系,形成一切服务于人民健康福祉的发展共识。

此外,将强化金融支撑,助力产业对接。上海积极发挥国际金融中心建设和科创板制度优势,强化金融支撑作用,赋能生物医药产业发展。截至今年上半年,上海生物医药融资规模和上市企业数量全国第一。产业周将搭建良好的沟通交流与资源对接平台,充分利用上海在生物医药金融方面的

集聚优势,持续发力打通金融支持实体经济的“最先一公里”和“最后一公里”,推动上海生物医药产业创新发展。

除此之外,积累人才要素,夯实第一资源也是一大关键。人才是生物医药产业发展的第一资源。上海现有生物医药产业从业人员 28 万人,其中国家级人才超过 1000 位,高水平人才占全国 1/5 以上。十余所生物医药产业相关高校和科研院所,持续支撑上海生物医药产业人才培养和科技研发创新,为产业高质量发展提供不竭动力。

“作为全球生物医药产业的重要活动,产业周平台将全面展现上海生物医药创新高地的独特魅力,吸引集聚海内外生物医药高层次人才近悦远来,构筑战略科学家、一流科技领军人才、青年科技人才、卓越工程师人才梯队,夯实产业发展核心力量。”吴金城说。

营造“热带雨林”产业生态

一流产业生态是生物医药产业发展的坚实保障。当前,上海也在牢牢把握全球生物医药产业发展的大方向、大趋势,强化前瞻谋划,瞄准高端化、智能化、国际化方向,积极推动创新链、产业链、资金链、人才链、空间链“五链”深度融合,全力营造“热带雨林”般的生物医药产业发展生态,为生物医药产业的高质量发展提供无限生机。

那么,上海要打造“热带雨林”般

生物医药产业生态,需要在哪些方面布局发力?对此,上海市经济信息化委副主任刘平介绍,首先,为了形成“热带雨林”建设的政策合力,我们建立健全跨部门协同的联动机制,加快打通产业发展难点堵点。

今年以来正式实施《上海市生物医药研发用物品进口试点方案》2.0 版,持续扩容《张江科学城入境特殊试点单位名单》,提升进口便利化程度;

推动建立《上海市生物医药“新优药械”产品目录》，对纳入目录的药械产品及其企业在入院应用、医保目录推荐、商保设计等方面提供支持；对外发布《上海市进一步完善多元支付机制支持创新药械发展的若干措施》，积极开发新型商业保险，完善医保支付机制。

“今后市生物医药产业发展领导小组，将继续发挥好产业统筹协调职能，对创新产品的研发、临床、生产、上市、入院等重点领域、关键环节进行深入调查研究，继续提出前瞻性、可行性、有效性解决措施和行动方案。”刘平说。

其次，为了更好构建“热带雨林”生态，上海将发力前沿赛道，强化科技创新策源功能，激发高质量发展的澎湃动力。当前，上海已聚集 1400 余家生物医药企业、100 多个专业服务平台，在生命组学、表观遗传学、合成生物、基因编辑与细胞治疗等前沿领域

已有多项研究成果入选“中国生命科学十大进展”及 Nature、Science 和 Cell 顶尖期刊。在产业周期期间，上海将发布促进合成生物、基因治疗、医疗机器人三个前沿领域的行动方案。

此外，为了实现“热带雨林”的扩容，在上海落实“好企业不缺用地，好产业不缺空间”。积极拓展产业空间，推动企业集群式发展，持续构建全市以张江为引领的“1+5+X”产业空间格局，推进“智造空间建设行动计划”，有序开工建设生物医药标准厂房总规模近 500 万平方米，其中，2023 年开工约 180 万平方米。

“在强化原始创新能力提升、关键技术突破的同时，要实现高质量成果转化、前瞻新兴产业引领、高品质生态打造。通过市、区二级政策叠加，形成各区产业特色互补的空间格局。”刘平说。

全方位做好配套支持

创新是推动生物医药产业高质量发展核心动力。目前，想要将上海打造成世界级产业集群，也需要高度重视生物医药科技创新工作，持续抓好创新策源能力提升。

上海市药品监督管理局副局长张清指出，上海市药监部门一直积极支持创新药械发展，会同国家药监局药和械两个长三角分中心，进一步聚焦

重点产品项目，通过提前介入和跟踪服务，引导企业少走“弯路”，缩短创新药械上市进程，帮助这些产品加快落地。具体采用两个机制：一清单、两优化。

“一清单”就是围绕本市重点研发项目，建立生物医药领域重点研制品种项目清单。“这些基本都是对临床急需包括罕见病、儿童用药包括高端仿

制药，还会有一些列入市委市政府重点工作的项目进度，定期进行动态更新，积极争取国家药品、医疗器械审评部门合力服务推进清单项目落地。清单目录会及时进行更新，持续进行“专人专班、提前介入、全程服务、专业指导”的原则去建立这个清单。”张清说。对列入清单的品种上海有“两优化”，即优化服务方式、优化工作程序。

在优化服务方式上，落实专人专班跟进，在不同的环节，比如在临床研究、生产许可、上市许可、检查检验等各个环节紧密对接。一方面，聚焦一些创新产品，列入清单的品种，跨前服务指导，协调开展“并联审评、同步核查”，压缩等待时间；同时，通过主动调研摸清一些头部企业及独角兽企业具体项目的情况，帮助企业破解难题；

另外，积极主动争取参与联合核查任务。“一清单”就是围绕本市重点研发项目，建立生物医药领域重点研制品种项目清单。这些基本都是对临床急需包括罕见病、儿童用药包括高端仿制药，部分还会列入市委市政府重点工作的项目进度，定期进行动态更新。上海会积极争取国家药品、医疗器械审评部门合力服务推进清单项目落地。清单目录会及时进行更新，持续进行“专人专班、提前介入、全程服务、专业指导”的原则建立这一清单。

对列入清单的品种上海有“两优化”，即优化服务方式、优化工作程序。

在优化服务方式上，落实专人专班跟进，在不同的环节，比如在临床研

究、生产许可、上市许可、检查检验等各个环节紧密对接。一方面，聚焦一些创新产品，列入清单的品种，跨前服务指导，协调开展“并联审评、同步核查”，压缩等待时间；同时，通过主动调研摸清一些头部企业及独角兽企业具体项目的情况，帮助企业破解难题；另外，积极主动争取参与联合核查任务。现场核查是创新药上市非常重要的一个环节，上海药监积极主动争取多承担这些核查项目，截至目前，已完成400多个品种现场核查工作。

在优化工作程序上，通过“预查预检”“全程网办”注册相关都可以全程网办，对于特殊项目可以“容缺受理”“即到即审”等一系列举措，通过这些优化程序，尤其对清单品种可以优先安排注册抽样、生产现场核查以及临床试验核查。

通过“一清单、两优化”的创新服务机制，推动上海创新药械尽快上市。“今年已经有4个1类创新药获批，今年Ⅲ类创新医疗器械获批7个，目前暂居全国第一。此外，今年本市另有7项产品进入国家创新医疗器械特别审查程序，这些品种都在服务清单上。”张清说，下一步，将持续紧紧围绕上海促进生物医药产业发展的相关要求，积极争取国家药品审评中心、长三角分中心的支持，在守牢药品安全底线的基础上，进一步推进服务创新机制，确保创新药械安全、有效，质量可控，助力打造上海成为生物医药产业高地。

(信息来源:21 经济网)

第九批国采 原研药投标预判

第九批国采又涉及很多外企的原研药，外企对国采的态度一直倍受关注。本文即对第九批国采涉及的原研药连同此前八批情况一并做一分析。本文提及的国采原研药均指化药原研药，不包括第六批的生物药(胰岛素专项)国采。

01 中选率

据不完全统计，前八批国采共涉及 264 个化药原研药，参与投标(报价)237 个，中选 35 个，投标率 90%，中选率 15%。第九批国采共涉及 25 个原研药，如按前八批投标率和中选率推算的话，第九批国采将有 22 个原研药参与投标，3 个中选。

前八批国采投标率最高的是第二

批和第四批，都在 95% 以上，重在参与。投标率最低的是 4+7 扩围和第八批，都只有 75% 左右。中选率最高的是 4+7 扩围和第五批，都在 20% 以上，中选率分别为 38% 和 23%，不来便罢，既然来了就在不突破集团框架的情况下给个实实在在的报价，尽量争取中选。这两批也是历次国采原研药中选数量最多的，分别中选了 12 个(第五批)和

(上接第 10 页)药企除了常规必做的作业例如制订并执行严格的内部控制制度，重视市场营销和推广方式的合规性，积极探索新的商业模式和创新路径来提高竞争力，加强与监管部门的沟通并根据需要及时进行调整等措施之外，更重要的是要抓住这轮行业洗牌的机会，重塑自己的销售体系和销售人员的战略方向。

医药反腐的目的是破旧立新，给真正在乎销售体系搭建以及将医药行

业的学术研究与医院的临床研究之间更好结合的有市场顶层观念的销售人员重新布局的机会。

“我们相信，在行业有机会得以重塑后，竞争和博弈的规则从水面下的潜规则变成更加专业的规范的合法的规则后，那些真正懂课题设置、市场渠道管理和品牌管理的销售和市场人才反而将能得到更好的机会，避免像过去那样被劣币驱逐良币。”董慧慧说。(信息来源:21 经济网)

8个(4+7扩围)。

一是因众多外企想改变4+7被淘汰的惨状,尽量扳回一局。二是因第五批不但涉及原研药数量最多(58个),而且注射剂也最多(53个),注射剂因绝大部分在院内销售,所以原研药也不会轻易放弃。中选率最低的是第三~第四两批,都不足10%,分别只有7%和5%,中选的品种数也最少,分别只有3个和2个。

面对首批国采和注射剂这一新剂型(第五批),主办方和企业都尚处探索阶段,外企尚未形成观望的一致态度,还是以争取市场为主。但在首批和第五批(注射剂开始集中登场)之后,原研药都不约而同地进入观望,中选品种数大幅减少。

02 企业

第九批国采涉及原研药最多的是日本的第一三共,共涉及4个原研药,即奥美沙坦酯氢氯噻嗪片、奥美沙坦酯氨氯地平片、赛洛多辛胶囊和西他沙星片。辉瑞、默沙东、礼来、辉凌和日本武田并列第二,都涉及2个原研药,如辉瑞的枸橼酸西地那非口崩片(万艾可)、阿奇霉素混悬液,默沙东的注射用磷酸特地唑胺、卡泊芬净注射剂。赛诺菲、阿斯利康、费森尤斯卡比、日本卫材和葛兰素史克等都只涉及1个原研药。

在第九批涉及的原研药企业中,前八批国采中选最多的是赛诺菲,共有4个中选,如4+7扩围的硫酸氢氯吡格雷片(波立维)和厄贝沙坦氢氯噻

嗪片(安博诺)、第四批的氨磺必利片(索里昂)和注射用奥沙利铂(乐沙定)。阿斯利康、费森尤斯卡比、日本卫材此前都有2个中选。

03 市场份额

第九批国采涉及的原研药中,2022年在全国公立医疗机构市场份额最大的是优时比的拉考沙胺口服溶液,几乎垄断市场。>90%的有4个,即盐酸托莫西汀口服溶液(98.39%,礼来)、奥美沙坦酯氢氯噻嗪片(95.05%,第一三共)、伊伐布雷定片(91.14%,施维雅)和拉莫西汀胶囊(90.34%,礼来)。>70%的有2个,即盐酸胺碘酮注射液(84.57%,赛诺菲)、帕罗西汀肠溶缓释片(72.35%,GSK)。±50%的有3个,即奥美沙坦酯氨氯地平片(52.67%,第一三共)、来那度胺胶囊(51.76%,施贵宝)、乌拉地尔注射液(49.95%,武田)。竞争最激烈的当属辉凌的特利加压素注射剂,共有13家企业符合条件,如海南的皇隆、中玉、通用三洋、普利和江苏的南京康舟、南京星银、苏州天马等。其次是礼来的盐酸托莫西汀口服溶液,有12家同台竞争。

符合条件企业数达10家的有3个,即奥美沙坦酯氢氯噻嗪片(第一三共)、来那度胺胶囊(施贵宝)和雷贝拉唑肠溶片(卫材)。

药品集中采购坚定不移地推进,非中选产品使用量受到的限制只会越来越严。第九批国采标期之长创历史之最,长达4年之久,注射剂将更纠结。

(内容来源:赛柏蓝)

多维度发力破解创新药商业化难题

三医联动政策下,创新药价值如何体现?在医保驱动下,创新药企面临降价压力,如何在创新药的价格和价值之间寻找平衡,促进医药产业持续健康发展?

日前,在2023年中国药学会创新药价值挖掘与综合评价分会上,相关专家围绕上述热点话题展开了一场别开生面的讨论。他们认为,创新药价格最终将回归临床价值,只有满足临床需求的“真创新”才是创新药的最终出路。而在医保承压的状态下,商业保险将在未来发挥更大作用。

创新药上市后“入院难”有所缓解

近年来,随着药品审评审批制度改革不断深化,我国医药产业进入创新时代。暨南大学南方药物经济学研究所所长蒋杰介绍,在鼓励创新的大背景下,将有越来越多的创新药加速上市。如何让患者用得起、用得上创新药,成为业界共同关注的问题。

医保具有强大的支付能力,同时能保证药品的采购量,进入医保药品目录成为创新药实现快速放量的主要方式。我国从2018年起连续开展国家医保药品目录调整工作,为新药准入腾挪空间,诸多高价药品通过国家医保谈判降价进入医保。据统计,2018年至2022年,首次通过医保谈判进入目录的药价平均降幅均超过50%。

新药从获批上市到纳入医保药品目录的时间也明显缩短。2021年发布的《中国医保药品管理改革进展与成效蓝皮书》显示,2017年医保药品目录调入品种从上市到进入医保需要4年

至9年时间,2019年这一用时缩短至1年至8年,2020年进一步压缩至0.5年至5年。到了2021年,医保药品目录新增的67个药品中,有27个实现“当年上市、当年入保”。

“许多药品从以往‘先进医院,后进医保’逐渐转变为‘先进医保,再进医院’。”上海市卫生和健康发展研究中心的王海银介绍。

一大批创新药“以价格折扣换取市场空间”,通过医保谈判,降价进入医保药品目录,加快商业化进程,极大提升了药品可及性。然而,进入医保药品目录并不意味着创新药商业化成功,新药入院随即成为摆在企业和医院面前的另一大难题。上海市卫生和健康发展研究中心进行的一项针对新药入院的调研显示,在12家样本医院中,2021年新入院国谈药品平均数量为21个。“部分药品出现‘入院难’现象,主要是受到医院控费、药占比考核等因素限制。”王海银说。

综合评价识别高价值创新

创新药物的涌现和快速进入医保,一方面为患者提供了更多救命救急的治疗选择,另一方面也对医保部门科学评估药品价值提出更高要求。如何遴选综合价值高的药品准入至医院中?“这就需要开展药品临床综合评价。”王海银说。

王海银介绍,药品临床综合评价是药品供应保障决策的重要技术工具,从安全性、有效性、经济性、创新性、适宜性、可及性6个维度开展科学规范的整合分析与综合研判,其评价结果可直接或附条件转化为基本临床用药管理的相关政策结果。例如,创新性评价应当突出填补临床治疗空白、解决临床未满足的需求、满足患者急需诊疗需求和推动国内自主研发等创新价值判断。适宜性则主要包括技术特点适宜性、药品使用适宜性、药品监管适宜性,如产品在院内是否易于储存、服药时间间隔等是否方便患者等。

蒋杰表示,创新药“入院”的关键,是以临床需求为导向,促进药品回归临

床价值。对于能够缩短住院时长等有显著疗效的药品,医院方面愿意承受较高的准入价格。在他看来,进行药品临床综合评价就是为了识别出真正有价值的创新药,力求达到推动药品采购与供应保障、提高药学服务和安全合理用药水平、控制不合理药品费用支出的效果。

王海银认为,随着我国医药产业整体创新水平的提高,人们对原创新药有了更多期待。目前,真正高价值的原创新药在我国仍是少数。为此,各地持续出台政策,鼓励高质量、高水平创新。今年7月,上海市医保局等多部门联合印发《上海市进一步完善多元支付机制支持创新药械发展的若干措施》(以下简称《若干措施》),提出加大创新药械医保支付支持力度等一系列措施。例如,在DRG/DIP支付方面对创新药械予以倾斜,提高新技术应用病例支付标准,新技术应用高倍率病例不设控制比例;推广电子处方流转平台应用,促进国家谈判创新药快速落地等。

探索发挥商业保险作用

在医保谈判等系列举措下,我国药品降价效果显著。但对于创新药来说,过低的价格会导致企业难以快速收回前期研发成本。如何在提升药物可及性和持续鼓励创新之间寻找平衡点,是促进医药产业健康发展的关键。

在武汉大学董辅初经济社会发展研究院王健教授看来,医保药品目录动态调整为提升创新药可及性提供了很好的基础和渠道,但是医保基金有限,所覆盖的药品也有限,因而,发挥商业保险的补充作用或将成为鼓励创

取消距离限制等“松绑”政策密集出台 零售药店如何抢占发展红利

近日,河北省药监局、医保局、政务服务管理办公室联合印发《关于推进药品零售连锁化发展的若干政策措施》,取消了零售药店医保定点协议中关于服务人口和距离限制。原零售药店医保定点协议要求“主城区服务 3000 人口和周边 500 米范围内无医保定点协议药店,非主城区或非人群密集区半径 1 公里范围内无同类定点零售药店”,修

改后变为:“按照区域布局情况,合理规划、因地制宜,参考人群密集程度、地区边远程度等进行定点申报。”

从零售药店开通医保统筹报销,到定点药房取消距离限制,支持整合药品零售企业,医保定点、统筹、支付等政策体系调整正向院外市场全面倾斜,门诊统筹管理趋势再显,定点零售药房面对政策红利如何应答?

新药发展的另一大突破口。

2020 年中国银保监会等 13 部门制定的《关于促进社会服务领域商业保险发展的意见》提出,力争到 2025 年,商业健康保险市场规模超过 2 万亿元。王健介绍,我国目前的商业健康保险市场规模只有 8800 亿元,其中,医疗保险只有 2000 亿元左右。这意味着,在多层次医疗保障体系下,我国商业健康保险仍有很大增长空间。

作为基本医保与商保衔接的补充型医保,城市定制型商业医疗保险(俗称“惠民保”)拓展了医疗保障体系的广度和深度。凭借门槛低、保费低等优势,“惠民保”逐渐进入消费者视野。王健以成都的“惠蓉保”举例,2023 年“惠蓉保”参保人数突破 430 万人。“惠蓉保”与基本医疗保险紧密衔接,其保障内容不仅涵盖医保药品目录内的医疗

费用,还包括医保药品目录外的 20 种肿瘤及罕见病的高额自费药品费用,最高保障额度 100 万元,大大降低了参保人的自费比例。

与此同时,商业健康保险领域的实践探索也日益广泛。上海出台的《若干措施》就明确要求,促进商业健康保险发展,对创新药械形成多方共担支付机制,通过完善后端支付机制,稳定前端产业市场预期。“在其提出的 28 条规定中,有 16 条涉及促进商业健康保险规范发展,可见政府部门对创新支付方式的重视。”王海银说。

与会专家普遍认为,未来,在商业保险和相关政策的支持下,创新药将形成与之价值相匹配的市场定价,从而促进行业发展进入“高研发投入-高市场回报-高研发投入”的良性循环。

(信息来源:中国医药报)

院外市场迎来更大红利

近年来,国家和各省份陆续制定出台新的政策规范,对药品零售企业行政许可提出新的指导意见。本次《措施》除了取消定点药店距离限制之外,明确提出支持药品零售连锁企业利用参股、重组、兼并、合作等方式整合其他药品零售企业(单体零售药店),引进全国排名靠前的大型药品零售连锁企业入冀发展。

以往,为了防止药店扎堆经营,各省市都曾对定点药店距离作出限制,50~350米不等的药店限制,带来种种不便。药店之间距离过远,导致药店无法在市场条件下充分竞争,不便于居民购药,服务水平参差不齐的中小型药店盘踞社区,限制了药店优化服务的能力。

为了改变以上现象,自2020年开始,北京、江苏、上海、天津等地逐步放开了零售药店筹建审批,药店间隔的限制。新政出台,有利于激发医药零售覆盖范围的进一步扩大。连锁药房进

入当地市场,龙头药店的优质药品和服务更能吸引患者到零售药房购药,分散购药需求,有利于打破地方垄断,重新优化配置市场要素,激发新的市场活力。

放开定点药店距离限制的倾斜举措在医保支付层面已有预热。今年四月,上海发布举措,参保人员凭社区卫生服务中心电子处方,在定点零售药店购买医保目录内药品的费用,纳入门诊统筹报销范围。同年九月,深圳取消了医保个人账户在定点零售药店购买非处方药、家庭成员共济使用等方面的“门槛”,参保人医保个人账户只要有余额,即可按国家、广东省及本市规定的范围使用。

加大医保定点零售药店数量和覆盖,提升医保支付能力,二者双管齐下。在可见的未来,零售药房为主体的药品零售终端将会进一步抢占药品份额,承接更多外流处方药品种。

利好政策落地 药店仍面临挑战

据国家医保局2023年下半年例行新闻发布会公布数据,截至今年8月,已有25个省份约14.14万家定点零售药店开通了门诊统筹报销服务,累计结算1.74亿人次,结算医保基金69.36亿元。

药店领域的市场前景和机会正在不断扩大。一方面,集中采购、医药分离、门诊统筹等政策的推进,促进药店行业的规范化和健康发展,同时也将为药店提供更多的政策支持和市场机遇,由此带来的处方外流趋势也将提高

总生存率 100% 见病基因疗法获 FDA 优先审评

10月2日,Rocket Pharma 宣布旗下基因疗法 RP-L201 (marnetegrane autotemcel) 用于治疗严重白细胞黏附缺陷症-I型(LAD-I)的生物制剂许可申请已获 FDA 受理,并被授予优先审评资格。PDUFA 日期为 2024 年 3 月 31 日。

LAD-I 是一种罕见的遗传性免疫疾病,由编码 $\beta 2$ 整合素成分 CD18 的 ITGB2 基因突变引起。CD18 是一种能够促进白细胞黏附以及从血管外渗以对抗感染的关键蛋白。LAD-I 患者容易出现反复且致命的感染,如果不进行异基因造血干细胞移植,儿童时期就会丧命。

RP-L201 含有自体造血干细胞,这些干细胞已经利用慢病毒载体进行了基因改造,能够使 ITGB2 基因正常表达。

RP-L201 治疗 LAD-I 患者的全球性 I/II 期研究达到了所有主要终点和次要终点。数据显示,接受 RP-L201 治疗 12 个月(以及整个随访期间)后,患者(12~24 岁,9 例)的总体生存率为 100%。与治疗前相比,患者严重感染发生率大幅下降,LAD-I 相关皮肤损伤症状消退,伤口修复能力也有所恢复。此外,RP-L201 耐受性良好。

(信息来源:医药魔方)

药店的销售额和盈利能力;另一方面,受国家经济稳健增长、国民健康需求持续提升以及人口老龄化的影响,医药零售行业整体规模呈现稳健增长。

对于终端门店来说,普通药房升级成为医保统筹药店后,零售药房合规化、专业化要求不断提高,龙头药店优势凸显。药店领域会越来越向品牌化、连锁化、规模化发展,资源会愈发向头部企业倾斜。而连锁企业规模扩大后,议价能力提高,有望在药品采购价格上取得优势,从而在药品推荐上更具优势。

在此背景下,随着医药零售行业连锁化率和市场集中度的持续提升,中小

药店面临的挑战较大。为了更好地经营门诊统筹药店,中小药店企业需要投入更高的运营成本,其中就包括升级门店信息化系统和相关硬件。在医保药店的集中洗牌下,中小药店或将扛不住运营成本、自身议价能力不足与集采造成的药品毛利下降等压力,加盟当地龙头连锁企业,从而获得更好门店运营优势。

受集采、医保等政策影响,药品的毛利一直持续走低,再加上门诊统筹药店政策的大面积推广,资源向头部企业集中,独立中小定点药店和规模一般的连锁药店企业依然会陷入“内卷”。定点药店要能持续生存,还需进一步适应磨合。(信息来源:21 经济网)



团结 创新
引领 服务



地址：北京市丰台区方庄南路158号三层东区

邮编：100079

电话：办公室：67680116

会员部：67680539

培训部：67681759

综合部：67686729

网站：www.bppa.org.cn

E-mail：yyxh8996@sina.com