

中图分类号: R95 文献标志码: A 文章编号: 1006-4931(2023)22-0030-05
doi:10.3969/j.issn.1006-4931.2023.22.006



我国医疗器械可及性制度现状分析与展望*

李 晶

(国家药品监督管理局高级研修学院, 北京 100073)

摘要:目的 为完善我国医疗器械可及性制度提出建议。方法 分析我国医疗器械可及性的影响因素及相关制度发展现状,就制度发展提出建议。结果 在紧急情形下影响医疗器械可及性的主要因素有新产品的快速审批和未上市产品的直接使用。目前,以审批方式实现可及性的相关制度有医疗器械应急审批、优先审批、创新医疗器械特别审查、附条件审批等,非审批方式有医疗器械拓展性应用和医疗器械紧急使用授权制度。现有方式实现可及性,存在制度定位与紧急情形不完全匹配、制度路径不足以应对紧急情形、制度手段不能满足紧急情形需要等不足。结论 我国现行制度在应对突发事件等紧急情形时,不能完全解决医疗器械可及性问题。建议医疗器械可及性相关制度上升到法律层面并完善相关细则。

关键词: 医疗器械;可及性;审评审批制度;突发事件;药品监管

Current Status and Prospect of Medical Device Accessibility System in China

LI Jing

(National Medical Products Administration Institute of Executive Development, Beijing, China 100073)

Abstract: **Objective** To provide suggestions for improving the accessibility system of medical devices in China. **Methods** The factors affecting the accessibility of medical devices and the current development status of relevant systems in China were analyzed, and suggestions for the development of systems were put forward. **Results** The main factors affecting the accessibility of medical devices in emergencies included the rapid approval of new products and direct use of products not launched. At present, the relevant systems of medical devices for realizing accessibility through approval included the emergency approval, priority approval, special review of innovative medical devices, conditional approval and so on; while the relevant systems for realizing accessibility not through approval included the expansion application and authorization systems for emergency use. The present systems for realizing accessibility had some shortcomings such as incomplete matching of system positioning with emergencies, imperfect system paths to respond to emergencies and inadequate means to meet the needs of emergencies. **Conclusion** The present system in China cannot completely solve the accessibility problem of medical devices when dealing with emergencies. It is suggested that the relevant systems of medical device accessibility should be legal, and the relevant detailed rules should be improved.

Key words: medical device; accessibility; review and approval system; emergency; drug administration

可及性是描述公共卫生服务发达程度常用概念,常用于药品医疗器械产品、残疾人福利、养老保险、社会护理等卫生服务机制的研究中,以形容获取这些产品或服务的难易程度^[1-5]。医疗器械的可及性,是指人们在一定的物质条件下可以方便、快捷、经济地获取到所需的医疗器械。目前以日常情况下药品可及性的研究居多,如孙琪等^[6]、许淑红等^[7]从政策层面提出了提升儿童用药可及性的建议;郑秉文等^[8]系统梳理了国内罕见病用药保障政策及实践经验;陈红斗等^[9]分析了抗肿瘤药物的可及性和应用,发现医疗器械可及性相关研究偏少。然而在突发公共卫生事件或存在其他严重威胁公众健康的紧急事件时,医疗器械可及性的制度储备显得尤其重要^[10]。本研究在分析我国医疗器械可及性制度建设进展的基础上,探讨了在突发公共卫生事件或存在其他严重威胁公众健康的紧急事件等特

殊情形下实现医疗器械可及性的问题,并对其制度的完善和发展提出了建议。

1 我国医疗器械可及性制度

1.1 理论提出

“可及”已成为健全基本公共服务体系的核心目标^[11]。2019年实施的《药品管理法》已在第三条中写入“可及”,将其作为与“安全、有效”同等重要的目标。药品可及性入法,实质上反映了药品监管目标从仅强调“安全有效”到“可及可用与安全有效并重”的转变。日常药物的可及性与知识产权保护、药价机制、消费者支付能力及供应链等因素均有关系^[12]。但目前对于专利制度实现药物可及性的作用仍有较大争议^[13]。有学者认为,“除专利制度之外,刑事司法审判制度、药品注册审批制度、医疗保险制度等配套制度均将在解决药物可及性问题上发挥积极作用”^[14]。对于医疗器械可及

*基金项目:国家重点研发计划课题[2018YFC1603703-01]。

第一作者:李晶,女,博士研究生,讲师,研究方向为食品药品监管及应急管理,(电子信箱)lj@nmpaied.org.cn。

性,尽管目前尚无官方文件或法律法规的直接规定,但2021年修订实施的《医疗器械监督管理条例》(以下简称《条例》)已规定了与之相关的若干制度。

对于医疗器械的管理,《条例》第一条中有直接规定,“安全有效”一直是传统的管理目标,并构建了确保该目标得以实现的法规体系和配套制度。随着人们对健康需求的关注度越来越高,“安全有效”已不足以完全概括医疗器械的管理目标,需用“可及”加以补充。“可及”是对“安全有效”的延续和超越。“安全有效”更关注单个产品的质量和风险,为微观目标。“可及”更关注整个产业的量级和规模,为宏观目标。一定的行业规模、充足的产品数量、合理的类别结构、快捷的配送系统是实现医疗器械可及性不可或缺的前提。我国医疗器械行业产业在经历了前期的发展积累后,特别是在经历了一些突发公共卫生事件的洗礼后,应进一步加强医疗器械可及性制度的建设。

1.2 影响因素

世界卫生组织曾将基本药物的可及性定义为“患者或消费者能够在合理的距离内方便地在医疗机构获得,并在经济上可负担”,并指出影响公众获得药品的4个因素是药品的合理选择与使用、可承受的药品价格、持续的资金支持和可靠的供应体系^[15]。在非紧急情形下,这些因素也会影响到医疗器械的可及性。但在紧急情形下,医疗器械可及性的影响因素主要有以下2个。

1)新产品的快速审批。应对突发的公共卫生事件或其他危及公众健康的紧急事件时,往往严重依赖于新的医疗产品,如对症的新药、针对性的疫苗或医疗器械等。医疗器械新产品要快速审批上市,也要解决审批程序和审评标准等关键问题。短期内要快速实现新产品的可及性,一是依靠简化审批程序减少中间环节,二是在程序不减少的前提下压缩各个审评环节的时间,三是豁免和放宽某方面的审评标准。3种途径共同的目的均为通过压缩产品审评用时实现产品快速审批上市,以满足紧急需要。

2)未上市产品的直接使用。一些新产品在初步验证有效后经特定授权直接用于临床一线,往往更能满足可及性需求。未上市产品的授权使用是紧急情形下的非常之举,它不是一项新产品的注册审批,因此无需历经整个常规审批流程。对于已上市的医疗器械产品,如果经紧急授权后适用于新的适应证或拓展了新的适用范围,也有利于紧急情形下可及性的满足。

2 建设现状

2.1 以审批方式实现

2.1.1 医疗器械应急审批程序

2009年8月,我国发布了首版《医疗器械应急审批

程序》(以下简称《审批程序》),旨在有效预防、及时控制和消除突发公共卫生事件的危害,确保突发公共卫生事件应急所需医疗器械尽快完成审批。2021年12月,修订后的《审批程序》发布实施。其中规定,突发公共卫生事件应急所需,且在我国境内尚无同类产品上市,或虽在我国境内已有同类产品上市,但产品供应不能满足突发公共卫生事件应急处理需要,并经国家药品监督管理局(简称国家药监局)确认的境内第三类和进口第二类、第三类医疗器械的审批,均适用该程序。应急审批主要解决的是突发公共卫生事件中的器械可及可用的问题,因而属于医疗器械可及性制度的一部分。

突发公共卫生事件发生后,国家药监部门按统一指挥、早期介入、随到随审、科学审批的原则进行应急审批工作。应急审批程序的启动及终止时间点由国家药监局根据突发公共卫生事件的情形和发展情况决定。该程序是唯一明确适用于突发公共卫生事件应对的审批程序,但审评审批的步骤并未减少,标准也未降低,其主要通过压缩各步骤用时以应对突发公共卫生事件。

2.1.2 医疗器械优先审批程序

根据2016年10月发布的《医疗器械优先审批程序》,可对符合条件的境内第三类及进口第二类和第三类医疗器械产品实行优先审批。该程序主要适用于罕见病、肿瘤、老年人或儿童特有或多发疾病使用的医疗器械,国内无同品种产品上市的临床急需器械及列入国家科技重大专项或国家重点研发计划的医疗器械。对于符合规定的,根据申请时间单独排序,优先安排技术审评、注册质量管理体系核查和行政审批。这里的优先审批是相对常规审批而言的,从内容上看,它是通过“插队”单列的方式加快审评步伐,进而满足罕见病及特殊人群的用械需求。通过优先审批程序,能在一定程度上解决一些特定种类疾病、老年人和儿童特发病所用的医疗器械或列入相关国家科技计划的医疗器械的可及可用问题,但它对紧急情形下实现医疗器械的可及性助益不大。

2.1.3 创新医疗器械特别审查程序

2014年3月发布的《创新医疗器械特别审批程序》(2018年修订后更新为《创新医疗器械特别审查程序》)主要适用于创新医疗器械的特别审批。该程序为技术国际领先、产品工作原理或作用机理国内首创、完成前期研究且样品定型的创新医疗器械产品开辟“绿色通道”,在要求不降低、程序不减少的前提下,由国家药监部门早期介入和实地指导,从而加快技术具有创新性、产品具有首创性并有较大临床应用价值的创新医疗器械上市步伐。该程序对于创新医疗器械的条件设置了较高的要求,主要是为了鼓励医疗器械研发创

新和促进新技术新产品的发展,有利于满足人们对高品质医疗器械的需求,促进了创新医疗器械的可及性。但该“绿色通道”仍然难以实现紧急情形下的医疗器械可及性。

2.1.4 医疗器械附条件审批制度

医疗器械附条件审批,是指对于治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段疾病的医疗器械,在充分考虑产品上市前后研究数据平衡性和综合评价产品上市的风险收益后,认为该医疗器械确有疗效且能发挥临床价值时予以附条件审批上市的制度。审批时的附带条件,一是继续完成上市前临床试验;二是开展新的上市后临床研究;三是补充上市后产品的临床使用信息。附条件批准上市的目的,是增加患严重危及生命且尚无有效治疗手段疾病患者及时使用新器械的机会。因此,即使该医疗器械未完成全部的临床评价活动,亦可附条件审批上市,但申请人、注册人在申报产品注册申请过程中及附条件批准上市后,应按既定临床试验方案继续开展临床试验和完成其他研究工作。在2021年版《条例》正式确立医疗器械附条件审批制度前,国家药监局医疗器械技术审评中心就已发布了一个指导性的文件^[16]。可见,医疗器械附条件审批的优势在于产品审批时能先豁免上市前的部分临床试验活动,将常规审批前应完成的临床试验活动转移到持证后进行。附条件审批制度的确立,有利于满足罕见病患者、严重危及生命且尚无有效治疗手段疾病患者的需求,促进了一些特定器械的可及性。

2.2 非审批方式实现

2.2.1 医疗器械临床拓展性应用

医疗器械拓展性临床试验,是指患有危及生命且尚无有效治疗手段疾病的患者,可在开展临床试验的机构内使用尚未批准上市的医疗器械的活动和过程。2019年8月,国家药监局发布了相关征求意见稿。

2019年10月,上海率先发布了《上海市试点开展医疗器械拓展性临床试验的实施意见》,规定对患危及生命且尚无有效治疗手段疾病的受试者,经知情同意后可在符合条件的试点临床试验机构内,使用初步观察可能获益、临床试验结果显示有效的试验用医疗器械。该意见适用于未入组的受试者,即该患者由于临床试验机构已按临床试验方案完成病例的入选,已不能参加正在开展的临床试验。随着2021年版《条例》第二十九条的出台,医疗器械拓展性临床试验制度正式得以确立。

临床拓展性应用对医疗器械可及性的贡献在于其拓宽了一些身患严重疾病但却无有效治疗手段疾病患者的求生途径,尽管使用的不是已审批上市的医疗器械,但对这种临床急需的紧急情形仍有重要意义。其实

质上是一种在医疗器械临床试验机构内针对未上市器械的紧急授权使用制度。

2.2.2 医疗器械紧急使用授权制度

2021年版《条例》第十九条第二款规定,出现特别重大突发公共卫生事件或其他严重威胁公众健康的紧急事件时,国务院卫生主管部门可根据预防、控制事件的需要提出紧急使用医疗器械的建议,经国务院药品监督管理部门组织论证同意后可以一定范围和期限内紧急使用。这是在医疗器械行政法规的层面对医疗器械紧急使用授权制度赋予法律地位。

医疗器械紧急使用授权制度在国外已得到广泛且长期应用,但在我国才刚刚起步。该制度针对紧急情形下医疗器械可及性的实现问题给出了解决办法,即让未审批的产品在一定条件下先使用,或让已审批上市的产品拓展新的适用范围。它产生的可及性强度较大,且覆盖的群体数量多,在现行医疗器械可及性制度中具有一定的优势和特色。

3 现行制度实现可及性的不足

通过对医疗器械应急审批、优先审批、创新医疗器械特别审查、临床拓展性应用和附条件审批等现行医疗器械可及性制度的比较分析,可发现其适用对象和可及性的路径均不同(见表1),且在应对紧急情形时均有较大的不足,主要体现为以下3点。

1)制度定位与紧急情形不完全匹配。五项制度中,只有医疗器械应急审批才是明确适用于突发公共卫生事件的产品审批制度,其余4项制度的定位或为解决罕见病或特殊人群多发病,或为推动创新技术在医疗器械中的应用,或为临床危重症患者提供试验用医疗器械。其中,医疗器械临床拓展性应用和附条件审批虽均以“严重危及生命且尚无有效治疗手段疾病的医疗器械”为适用对象,但这些危重病症只对个别或部分相关患者构成紧急状况,因此,这两项制度对于解决大范围的紧急情形下的医疗器械可及性作用有限。

2)制度路径不足以应对紧急情形。5项制度中,应急审批、优先审批和创新医疗器械的特别审查,均是采用加快审评路径来加强医疗器械的可及性。从程序要求上看,3项审批制度共同的要求是“程序不减少、标准不降低”,均为通过提高各环节的工作效率以节省时间,从而实现医疗器械的可及。在突发公共卫生事件和严重危及公众健康的紧急事件中,严格要求应急审批的每项程序均不能减少,审评标准均不能变,其实不利于紧急事态的控制。医疗器械临床拓展性应用虽允许特定患者在临床试验机构内直接使用试验用的医疗器械,但其受到临床试验活动的巨大限制,也不足以应对大范围内的紧急情形。另外,医疗器械附条件审批虽灵

表 1 医疗器械可及性相关制度比较

Tab. 1 Comparison of systems related to the accessibility of medical devices

制度	适用对象	可及性路径
医疗器械应急审批程序	突发公共卫生事件应急所需,且在我国境内尚无同类产品上市,或虽在我国境内已有同类产品上市,但产品供应不能满足突发公共卫生事件应急处理需要,并经国家药品监督管理局确认的医疗器械	加快审评
医疗器械优先审批程序	符合下列条件之一的境内第三类和进口第二类、第三类医疗器械注册申请实施优先审批: (一)符合下列情形之一的医疗器械:1)诊断或治疗罕见病,且具有明显临床优势;2)诊断或治疗恶性肿瘤,且具有明显临床优势;3)诊断或治疗老年人特有和多发疾病,且目前尚无有效诊断或治疗手段;4)专用于儿童,且具有明显临床优势;5)临床急需,且在我国尚无同品种产品获准注册的医疗器械 (二)列入国家科技重大专项或国家重点研发计划的医疗器械 (三)其他应当优先审批的医疗器械	加快审评
创新医疗器械特别审查程序	(一)申请人通过其主导的技术创新活动,在中国依法拥有产品核心技术发明专利权,或依法通过受让取得在中国发明专利权或其使用权,创新医疗器械特别审查申请时间距专利授权公告日不超过 5 年;或核心技术发明专利申请已由国务院专利行政部门公开,并由国家知识产权局专利检索咨询中心出具检索报告,报告载明产品核心技术方案具备新颖性和创造性 (二)申请人已完成产品的前期研究并具有基本定型产品,研究过程真实和受控,研究数据完整和可溯源 (三)产品主要工作原理或作用机理为国内首创,产品性能或安全性与同类产品比较有根本性改进,技术上处于国际领先水平,且具有显著的临床应用价值	加快审评
医疗器械附条件审批	严重危及生命且尚无有效治疗手段疾病的医疗器械	豁免部分临床评价要求
医疗器械临床拓展性应用	正在开展临床试验的用于治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段疾病的医疗器械	授权使用,安全性数据可用于注册申请

活地采取了豁免部分临床评价活动的方式来加强医疗器械的可及性,但它仍受到冗长审批程序的限制,审批耗时较长,几乎不能助力紧急情形应对。

3)制度手段不能满足紧急情形的需要。五项制度中,仅 1 项为授权使用制度,其余 4 项均为产品审批制度,说明强化医疗器械可及性的直接手段还不多。换言之,这四项制度仅解决了产品的审评问题,并不能完全解决紧急情形下医疗器械的可及性问题。凡属审批,一般均有较复杂的流程和严格的标准。而紧急情形下的可及性以及及时可用为首要要求。故 5 项制度均有缺陷。因此,应探索在紧急情形下直接授权使用未上市医疗器械的可行性,以充实应对紧急情形所需的制度手段。

4 我国医疗器械可及性制度的发展展望

4.1 “可及性”逐渐获得明确法律地位

尽管现行《条例》中并未明确规定可及性,但却在诸多新制度中体现了可及性的要求。《条例》将满足临床的各种需求作为一个重大目标,分门别类地设计了相应的配套制度。这也表明,“可用可及”有望在未来成为与“安全有效”并行的医疗器械监管目标,在将来有望出台的《医疗器械管理法》中可参照现行《药品管理法》规定可及性的做法,在法律层面规定医疗器械可及性的内容。

4.2 现行医疗器械可及性制度将逐步完善

现行《医疗器械注册与备案管理办法》已将应急审批和创新医疗器械特别审查程序、医疗器械优先审批

程序等制度作为特殊注册程序统一规定,为医疗器械可及性的满足提供了制度条件。这些制度出台较早,实践经验也较丰富。其他诸如附条件审批、紧急使用授权、拓展性临床试验等制度由于出台较晚,对应的细则内容还需进一步丰富,这将进一步推动我国医疗器械可及性制度的逐步完善。

4.3 实现可及性的方式将更丰富

当前医疗器械法规体系实现可及性的方式以审批方式为主,辅以部分非审批方式。随着医疗器械监管科学的发展,真实世界数据将在审评审批中发挥更大作用。医疗器械可及性的实现手段将反映监管科学发展的成果,以非审批方式促进可及性的制度将更多。在医疗器械高速发展的推动下,扩大的产业规模、丰富的类别、增加的数量、亲民的价格及友好的使用体验均将提升医疗器械的可及性。在现代医药物流技术的支撑下,医疗器械应急保障制度将助力可及性的实现。

参考文献

[1] 徐陆欣怡,王 妮,尹适成,等. 我国罕见病药品的可及性及采购使用现状研究[J]. 中国卫生政策研究,2022,15(2): 60-64.
[2] 李从容,王 萍. 医疗服务可及性对老年人慢性病治疗影响研究[J]. 中国卫生事业管理,2020,37(8):592-595.
[3] 冯 献,李 瑾. 乡村公共文化服务可及性:指标体系设计与评价应用[J]. 图书馆,2020(11):20-26.
[4] 梁土坤. 个体差异、企业特征、制度保护与流动人口社会保