

2025年2月

前沿视点 VIEW POINT



目录

放射性配体疗法的高效患者转诊路径	01
概述	01
有效患者转诊途径的重要性	02
各国特有的转诊途径	05
高效RLT转诊过程的潜在方法	09
各国潜在的解决方案	11
从其他治疗领域的经验中学习	12
FDA Project FrontRunner 对肿瘤药物开发的影响	14
导读	14
如何利用Project FrontRunner 进行高级试验设计	15
HCC Project Frontrunner案例研究	16
展望未来	18
2025年全球健康进展指标	19
重建对医疗和科学的信任	20
推进全民医疗覆盖	20
缩小初级医疗服务差距	21
解决长期存在但未解决的医疗问题	23
为全球患者提供合适的医疗	24
向“上游”推进疾病拦截	25
推进人工智能在药物开发中的应用	25
2025年制药与生物技术行业的安全与监管合规性趋势及预测	27

放射性配体疗法的高效患者转诊路径

概述

高效转诊对创新和复杂治疗的重要性

肿瘤治疗是一个复杂的协调过程，患者必须与各医护团队（如护理科、肿瘤科和其他专科）合作来管理病情。这一过程包括但不限于确定医疗地点、安排预约、转移病历和核实保险。患者在这一过程中的任何阶段都可能面临挑战，导致治疗启动延迟，进而影响患者结局。

对于创新疗法，肿瘤护理的高效协调面临更大的挑战，这些方法通常需要新的复杂转诊模式。例如CAR-T疗法是一种利用基因改造T细胞来治疗某些癌症的创新疗法，但由于患者转诊过程中的障碍，及时启动治疗面临诸多挑战。缺乏高效的患者转诊流程会导致治疗启动的较大延迟。一项2020年的分析表明，癌症治疗延迟一个月会使七种癌症的死亡风险增加6-13%。

类似地，针对CAR-T疗法的临床试验和真实世界数据的研究发现，治疗延迟会导致过高的死亡率。

随着越来越多的靶向创新疗法进入癌症治疗，及时建立标准化、高效且便于操作的患者转诊路径是减少患者治疗连续性差距的必要条件。

放射性配体治疗(RLT)是一个需要复杂规划和医疗系统全面准备的肿瘤疗法，高效的患者转诊系统可以帮助确保患者及时获得这种治疗。转移性去势抵抗性前列腺癌(mCRPC)患者的RLT转诊路径包括七个步骤：诊断mCRPC、转诊至RLT中心、资格测试、治疗资格评估、治疗决策、开始治疗以及持续的随访和监测。这些步骤的执行因国家和地区而异，每个步骤都有多个障碍限制了流程效率。IQVIA Oncology Dynamics报告的初步数据显示了其中一个障碍。在mCRPC二线治疗中，2024年第二季度只有24%到35%的前列腺癌患者进行了PSMA成像，这种成像是用来评估前列腺癌细胞上常见的表面蛋白，以此来评估患者的RLT资格。并非所有国家目前都提供RLT治疗，随着RLT治疗的普及，这些检测率需要得到监测。从已有的RLT患者转诊路径中获得的经验不仅对该治疗领域有益，还能为未来其他复杂创新疗法的引入提供借鉴。

各个国家RLT转诊患者路径的障碍

通过对德国、意大利、法国和中国的医护人员(HCP)进行访谈，评估了mCRPC患者的RLT转诊过程，以了解当前的转诊路径、相关障碍和潜在解决方案。选择这些国家是为了从具有RLT使用经验的欧盟成员国和具有RLT临床试验经验的亚洲国家的视角，提供早期见解和前瞻性观点。截至2024年10月，RLT尚未在中国获得监管批准用于mCRPC治疗。通过和HCP的访谈，了解医生如何将患者转诊到临床试验中，从而帮助制定未来RLT批准后的转诊路径。

在所有地区都发现了一些高效转诊的常见障碍。这些障碍包括标准化转诊路径的缺乏、不同利益相关者群体（如泌尿科医生、肿瘤科医生、核医学科医生）的角色和责任不明确，以及RLT基础设施和能力有限，特别是用于资格测试的PSMA PET-CT扫描承载量不够。德国、法国和中国的HCP还提出，整个治疗过程中转诊的HCP参与有限，导致在核医学医生进行的RLT治疗期间和之后，转诊HCP对患者治疗连续性的支持不足。

国家特有的障碍包括：德国复杂的转诊申请流程，RLT评估前使用PSMA PET-CT进行放射性配体成像(RLI)的报销有限甚至没有报销。意大利患者入院和资格评估过程中的RLI利用效率低以及缺乏转诊网络。法国由于缺乏标准化的转诊流程，医生在何时将患者转诊接受RLT方面存在差异。尽管RLT用于早期治疗，但一些医生将其作为最后的选择。法国医生还指出缺乏对现有转诊路径的可见性或理解。中国医生们也指出了类似的问题；然而，这种情况目前仅限于用于临床试验入组的转诊路径，RLT正在这些试验中使用。

这些国家的患者转诊路径的差异导致从转诊到治疗启动所需的时间有所不同。这一时间线在一个国家内部也可能有很大差异，但一般来说，德国的HCP指出至少需要7周，而在法国和中国，这个时间接近8-9周，意大利大约为11周。虽然这些区在患者数量、医疗基础设施和RLT的承载量方面存在显著差异，但治疗启动时间表可能根据患者所在地的不同而在7到11周之间变化。除了缩短从转诊到治疗启动的时间差距之外，确保各国在相似的时间范围内实施RLT将减少患者在不同地区之间的差异，并有可能改善患者结局。

改进RLT转诊路径的潜在方法

解决现有的障碍对于确保及时的治疗至关重要。在各国之间以及从其他治疗领域借鉴有关RLT转诊的经验和方法，可以减少治疗延误，改善患者结局。

基于与HCP的访谈和对当前障碍的评估，提出了几种建议以建立清晰和高效的RLT患者转诊路径：

患者入院和评估阶段

- 确保所有相关的RLI试剂、成像设备以及其他资格测试都可用（最好在单一转诊中心）
- 高效进行PET/CT成像，并清晰地将结果传达给患者和相关医生，以避免在治疗早期阶段的重复检测
- 利用区域网络生成数据，提高信息透明度，通过定期的数据收集和评估了解RLT治疗和转诊需求
- 简化向多学科团队（MDT）/肿瘤委员会（TB）提交申请的流程，采用标准化的要求（例如，通过数字平台上传/共享所有必需的检测结果），并确保诊断信息被整合并随时可供标准化审查（例如，HCP可访问的数字格式）
- 确定时间表，以便核医学决策者（核医学科医生、泌尿肿瘤科医生、泌尿科医生、肿瘤科医生）迅速决定是否开始治疗，并在专家和患者之间建立及时的沟通流程

RLT治疗阶段

- 在资格审查后立即（或尽快）启动治疗，并适当规划RLT的订购和交付
- 确保有足够的床位可以立即开始治疗，包括在当地法规允许的情况下使用门诊或“当日出院”
- 在治疗过程中促进与转诊医生或相关利益相关方（例如，治疗协调员）的共同管理，并在治疗后回转诊以监测毒性

虽然尚未制定出RLT患者转诊过程的理想时间表，但各国之间的差异和现有障碍表明还有改进的空间。这些方法有可能根据国家和医院的初始情况不同压缩一到四周的治疗启动时间。为了实施这些解决方案，整个医疗系统的利益相关者需要共同努力。以下行动可以优化RLT患者转诊路径：

- 建立和规范国家指南和协议，明确患者接受RLT治疗的资格评估标准和时间表，并在治疗后随访以评估疗效

- 为有资格接受RLT的患者建立国家患者转诊流程并使之标准化
- 为RLT床位和RLI提供资金，并增加管理患者治疗过程的工作人员
- 通过积极参与患者转诊网络，提高RLI和RLT中心的知名度
- 监测和评估国家RLT患者转诊路径，确保各国之间分享最佳实践
- 简化MDT/TB的申请流程
- 增强HCP对患者转诊流程的培训
- 加强HCP之间的沟通协议

有效患者转诊途径的重要性

高效患者转诊路径的挑战

高效的患者转诊路径在各类疾病领域都面临挑战，可能导致治疗启动的延迟，及患者结局不理想。

肿瘤治疗是一个复杂的协调过程，患者必须与各医疗团队（包括护理科、肿瘤科和其他专科）合作，以管理其病情。这些团队在协同工作和实现最佳患者健康结局方面的能力有所不同。治疗过程中的一个关键组成部分是患者转诊路径，这通常涉及多个步骤，通常始于初级医护人员（PCP）将患者转诊至超出PCP范围的专科医生或治疗中心。一项研究分析了疾病未知的转诊率，显示从PCP转诊到专科医生的患者中，完成预约（即成功转诊）的比例低至34.8%，这表明存在显著的障碍，阻碍患者获得专科治疗。影响因素包括低预约率、科室之间程序的差异，以及患者到院问题，如长时间等待和地理位置的远近。

在肿瘤治疗中，尤其是需要新范式的创新疗法，高效协调方面的挑战尤为突出。例如CAR-T，这是一种创新的癌症疗法，利用基因改造的T细胞治疗某些癌症。这种复杂且创新的疗法对患者大有裨益，但在患者转诊路径上面临挑战。由于涉及多个不同的科室人员，同时还受到后勤和医疗能力限制的影响，转诊和治疗过程可能会很长且复杂。

缺乏高效的患者转诊过程会导致治疗启动的长时间延迟。2020年对七种癌症类型和三种疗法的分析发现，癌症治疗延迟一个月可能增加6-13%的死亡风险，“延迟越长，危害越大”。类似地，针对CAR-T的临床试验和真实世界证据数据的

研究发现，治疗延迟导致过高的死亡率，因为一些患者在接受治疗前就去世了，而剩余的患者在疾病进程进入晚期才接受治疗，降低了治疗效果。此外，减少延迟还能改善生存率。

随着更多创新且复杂的疗法进入肿瘤治疗范式，患者转诊路径需要被仔细研究，以发现障碍和最佳实践。在这些新疗法的早期阶段解决高效路径的障碍，有助于帮助患者避免治疗延迟和潜在的患者结局欠佳。

放射性配体疗法助力改善患者结局

从机理上讲，RLTs使用的配体专门针对表达特定生物标志物的癌细胞，配以放射性核素，对这些癌细胞或肿瘤微环境细胞进行细胞毒性辐射，同时对周围健康细胞影响最小。使用放射性配体成像诊断生物标志物可以确定适合进行RLT治疗的患者。RLT已经在改善癌症治疗方面取得了进展，包括在治疗选择有限的情况下，如PSMA阳性转移性去势抵抗前列腺癌和SSTR阳性胃肠胰神经内分泌肿瘤方面，改善其治疗效果。RLT也正被研究用于其他各种晚期癌症的可能性，预计在不久的将来需求会增加。

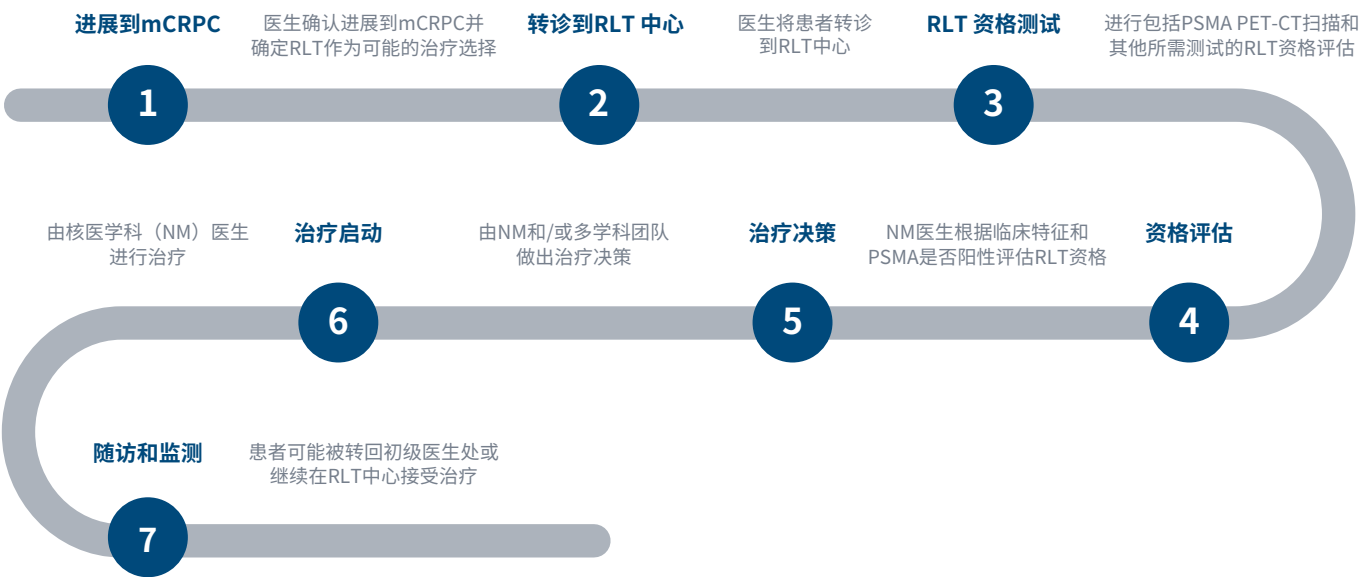
整合和使用RLT进行癌症治疗，需要复杂的基础设施和高水平的承载量。IQVIA Institute的研究明确了影响RLT成功整合的五个主要因素——诊断能力、患者转诊流程、RLT中心/床位数量、监管框架和患者院外监测指南以及熟练的劳动力。特

别患者转诊流程对于确保RLT的及时实施至关重要，这是本研究的重点。需要建立标准化、高效、透明且简单明了的转诊路径，以确保患者能够获得治疗。

本报告的研究重点是转诊路径，针对的是mCRPC患者。RLT的转诊路径通常包括七个关键步骤。首先，医生确认患者病情进展到mCRPC，并考虑RLT作为可能的治疗方案。然后，患者被转诊到能够进行RLI和RLT的中心。接下来进行PSMA PET-CT扫描、血液检查和肾脏显像等测试，以确定患者是否符合RLT的条件。一旦这些测试完成，由包括肿瘤科和核医学科在内的医生团队评估结果并做出治疗决定。如果患者符合条件，将开始RLT治疗，并在整个过程中对患者进行密切监测。(图1)

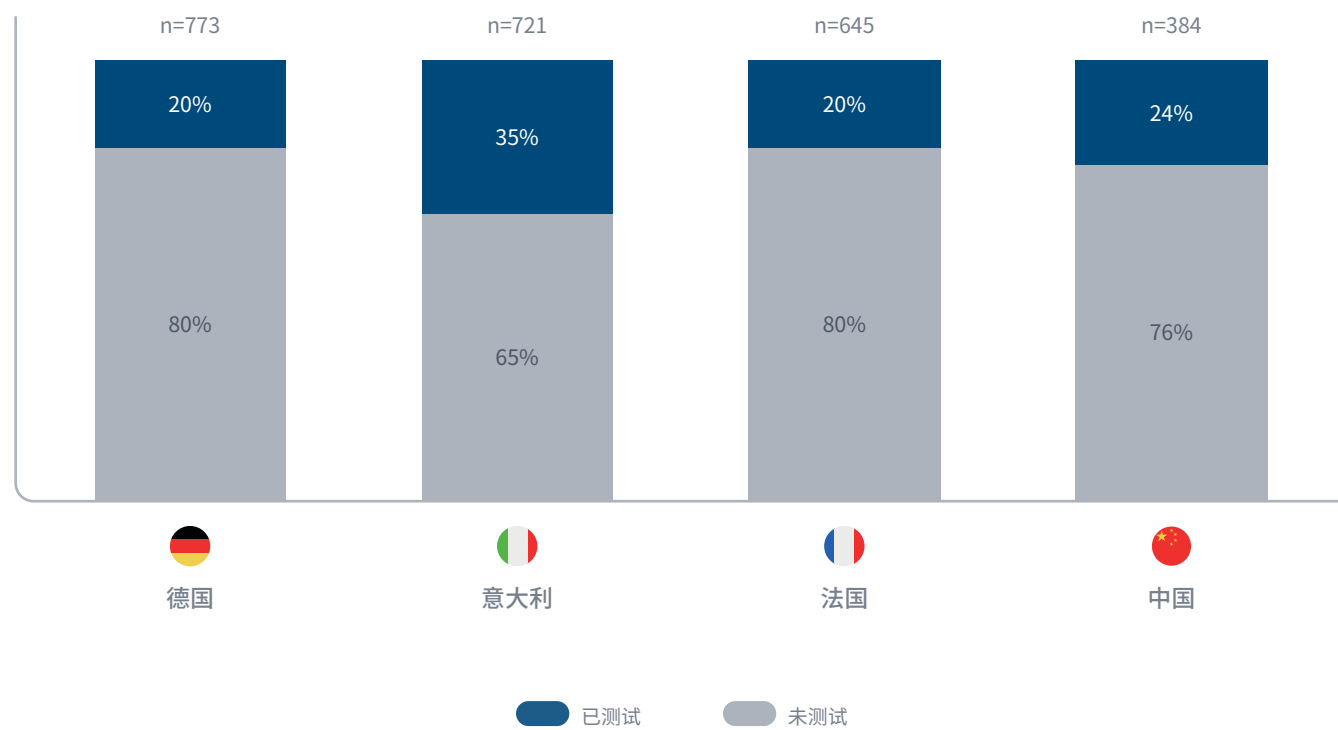
这些步骤的执行在各个国家和地区有所不同。此外，每一步都有某些障碍限制了该过程的效率。例如，IQVIA Oncology Dynamics报告的数据显示，在mCRPC的二线治疗中，2024年第二季度只有24%到35%的前列腺癌患者进行了PSMA成像，这种成像是用来评估前列腺癌细胞上常见的表面蛋白，以此来评估患者的RLT资格(图2)。并非所有国家目前都提供RLT治疗，但随着RLT治疗的推广，这些检测率应该被监测。从已有的RLT患者转诊路径中获得的经验不仅对该治疗领域有益，还可以为未来其他复杂创新疗法的引入提供借鉴。

图1：mCRPC患者接受RLT治疗的简要转诊路径



数据来源：IQVIA Strategy Consulting HCP Interviews Aug 2024, IQVIA Institute Oct 2024.

图2：2024年第二季度各国mCRPC二线治疗PSMA测试率



数据来源：IQVIA Oncology Dynamics Q2 2024.



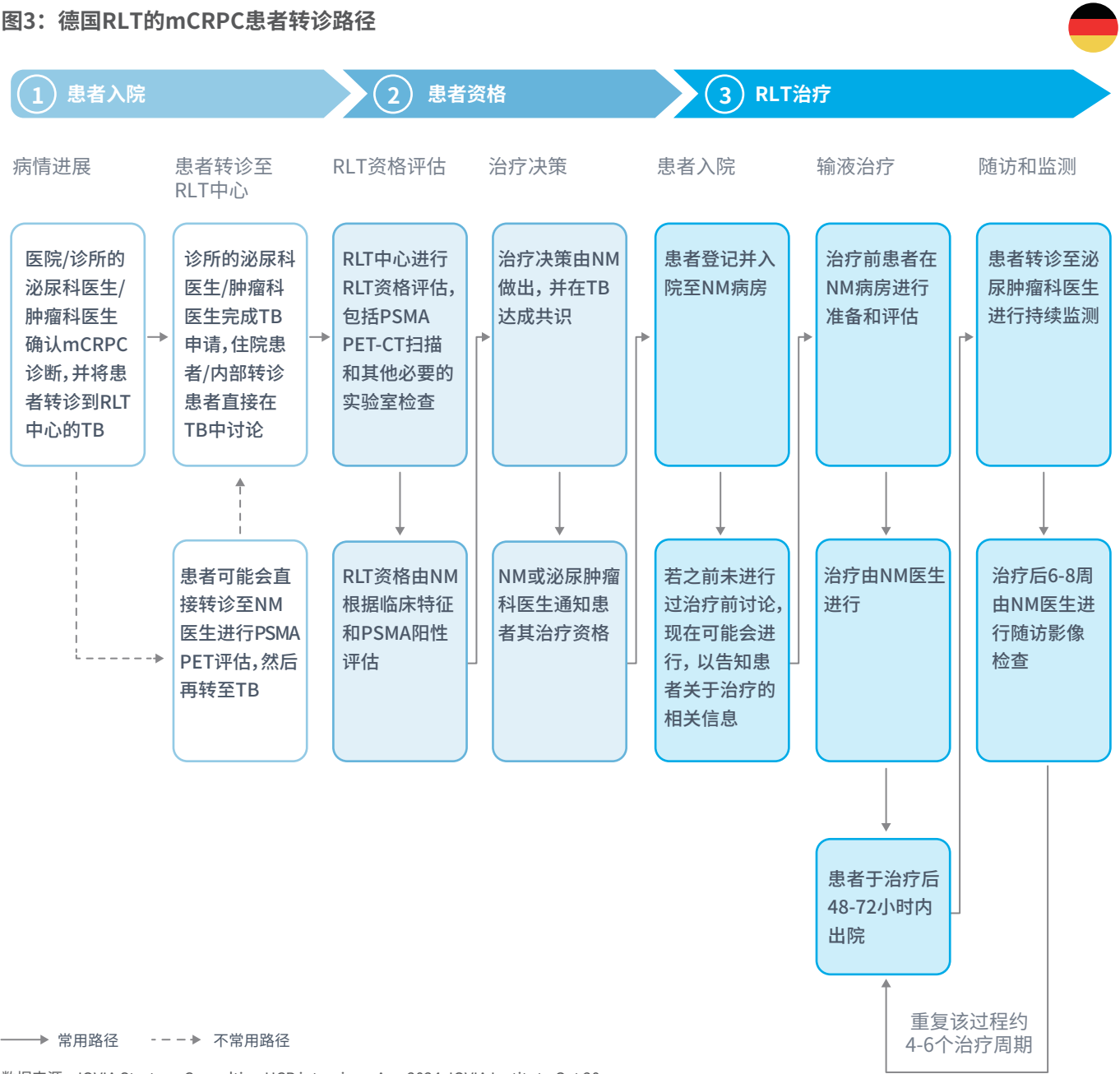
各国特有的转诊途径

目前，RLT患者转诊路径缺乏标准化，各国的流程差异显著。评估各国的转诊流程有助于识别现有的障碍，并寻找能够在各国应用的解决方案。为评估当前RLT患者转诊路径及相关障碍，2023和2024年IQVIA对德国、意大利、法国和中国的泌尿科医生、肿瘤科医生、核医学科医生和护士进行了访谈（关于每个国家的利益相关者和其他细节，请参见附录）。

德国

据德国受访的HCP的反馈，从mCRPC诊断到RLT用性评估再到首次RLT输液治疗至少需要七周，但可能因RLI/RLT承载量和TB申请流程变得更长。德国在RLT适用性评估和检测方面有一套结构化的患者入院机制。然而，仍有改进的空间以减少患者的延误。主要精力应集中在进一步简化患者入院流程，包括通过高效的日程安排和加快患者准备时间来提高PSMA PET-CT扫描仪的承载量，以及简化TB申请流程。（图3）

图3：德国RLT的mCRPC患者转诊路径



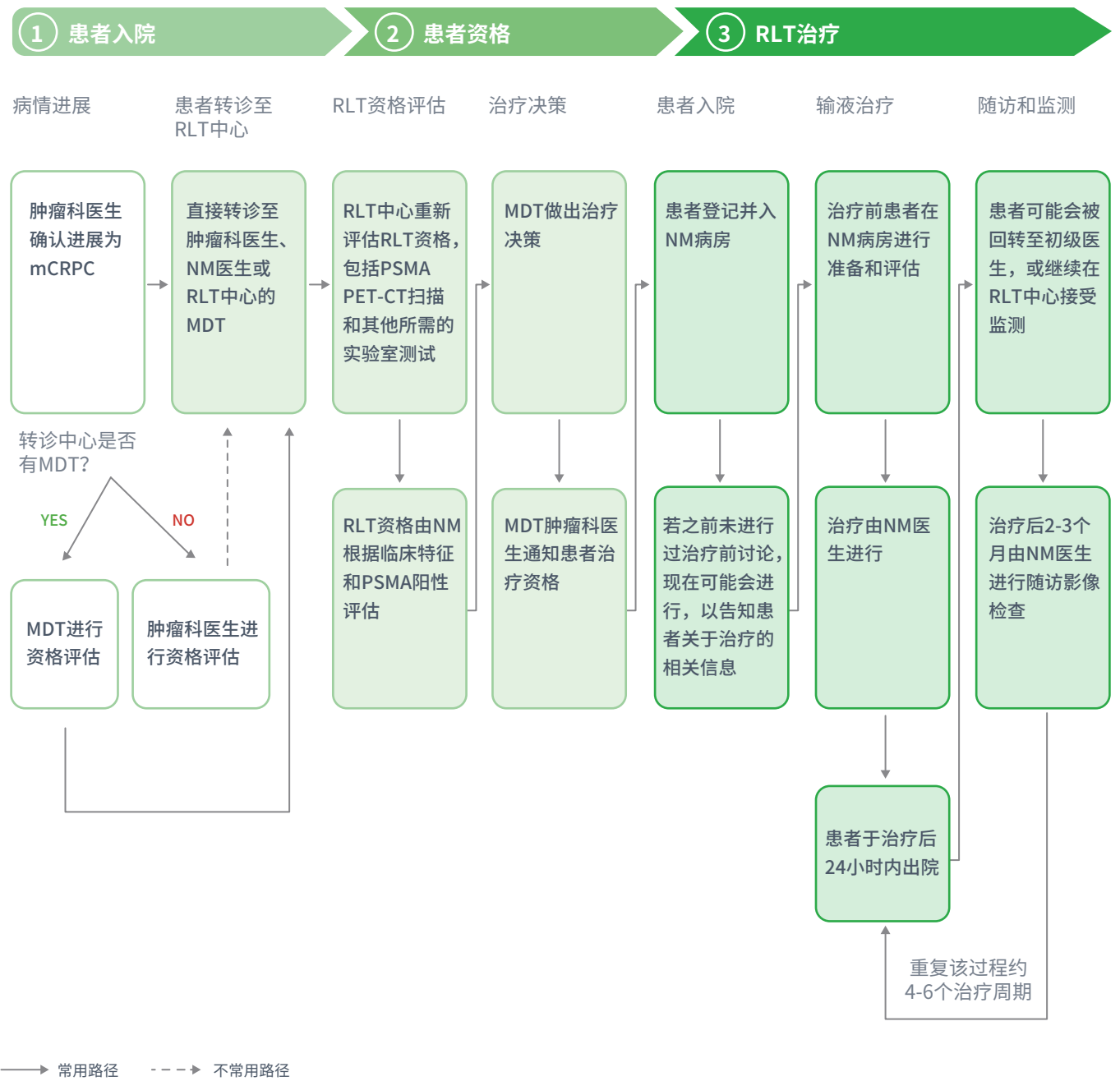
数据来源：IQVIA Strategy Consulting HCP interviews Aug 2024, IQVIA Institute Oct 20

意大利

根据意大利受访的HCP反馈，从mCRPC诊断到RLT适用性评估再到首次RLT输液治疗至少需要将近1周的时间，但随着RLT的普及，这一时间有望缩短。在意大利，优化患者旅程中的RLI使用对于减少患者在RLT适用性测试期间(1-2个月)

的等待时间至关重要。明确和细化临床指南可以确保RLI被适当使用，从而提高PSMA PET-CT扫描的承载量。此外，还需要评估区域转诊网络以改善整体转诊流程。(图4)

图4：意大利RLT治疗的mCRPC患者转诊路径



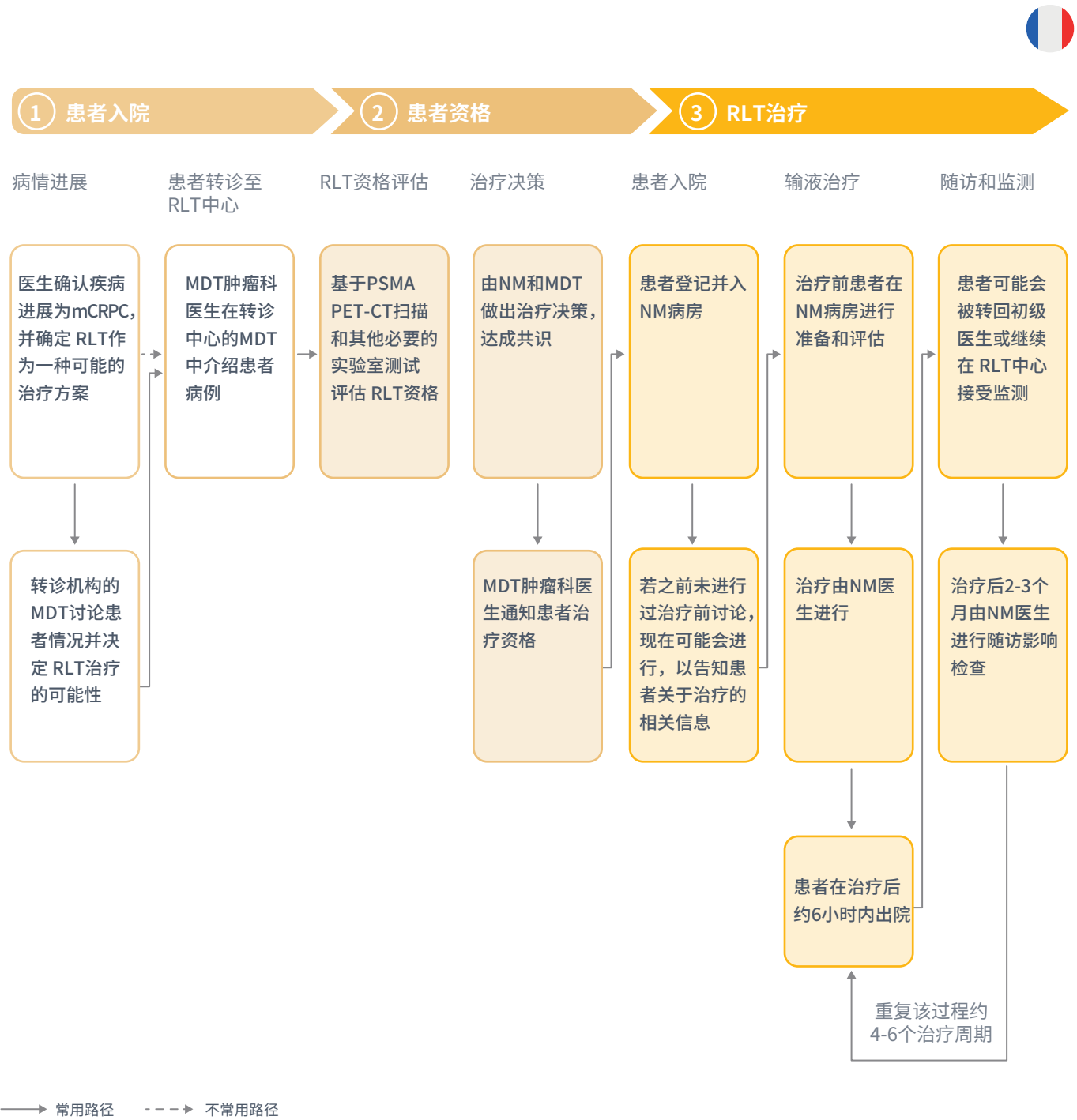
数据来源：IQVIA Strategy Consulting HCP interviews Aug 2024, IQVIA Institute Oct 20

法国

根据法国受访的HCP，从mCRPC诊断到RLT资格评估再到首次RLT输液治疗的过程至少需要近九周。过度依赖个人关

系进行适用性评估和重新评估，突显了需要一个标准化和透明的转诊流程，以确保患者能够公平及时地获得治疗。(图5)

图5：法国RLT治疗的mCRPC患者转诊路径



数据来源：IQVIA Strategy Consulting HCP interviews Aug 2024, IQVIA Institute Oct 20

中国

背景

截至2024年10月，RLT尚未在中国获得监管批准用于治疗mCRPC。2023年8-10月期间我们进行了HCP访谈，以了解泌尿科医生和核医学科医生如何将患者转诊到正在进行RLI和RLT研究的临床试验中。访谈目的是为未来的RLT上市做准备，并找出中国转诊流程中的差异。这些访谈是具有前瞻性的，目的是发现未来转诊路径中的潜在障碍（图6）。

访谈中发现的主要障碍是医生和患者对RLT作为mCRPC治疗选项的认识不足。然而，在过去一年中随着RLT即将上市，泌尿科医生和核医学科医生目前对RLT的临床应用有了更多的了解，并且更愿意推荐符合条件的患者接受这种治疗。

中国高效患者转诊的主要障碍

通过HCP访谈确定了中国高效患者转诊过程中的四个主要障碍(图6)：

a. 对RLT和现有转诊路径的了解不足

问题：泌尿科医生对RLT了解不够，主要是因为核医学科提供的教育资源不足。例如，医生和医院通常缺乏或不熟悉包括RLT临床启动、医院要求和出院协议在内的标准化患者管理模式。在没有核医学科的中心，这种差距更加明显，因为这些中心无法提供RLT所需的重要培训和专业知识。

影响：泌尿科医生的知识不足限制了RLT在患者治疗中的有效整合和利用。

b. 不同利益相关方的角色和责任不明确

问题：如果患者在同一机构内从泌尿科转诊到核医学科，泌尿科医生通常对与核医学科医生的合作比较敏感。此外，他们可能由于对合作和治疗连续性的担忧而犹豫不决，不愿将患者转诊到其他医院的核医学科。

影响：由于部门之间的实际或可能存在的竞争，或者担心RLT研究中心的治疗质量和连续性，医生可能不愿意转诊患者。因此，患者可能无法获得最高效或及时的RLT治疗。

c. 缺乏正式的转诊路径

问题：由于RLT尚未在中国获批，转诊路径尚未正式化。如果这种情况持续下去，随着RLT变得越来越普及，泌尿科医生将面临一些挑战，诸如如何明确各自的职责，以及如何确保整个转诊流程顺畅进行。

影响：缺乏指导可能导致医生和医院人员之间的混乱，他们可能不知道正确的转诊流程、合适的联系人或如何在整个转诊过程中确保高质量的患者治疗。利益相关方需要在RLT广泛可用之前，提前制定周密的转诊路径。否则，可能会出现患者治疗不一致和治疗延误的风险。

d. 转诊HCP在整个患者治疗过程中的参与度低

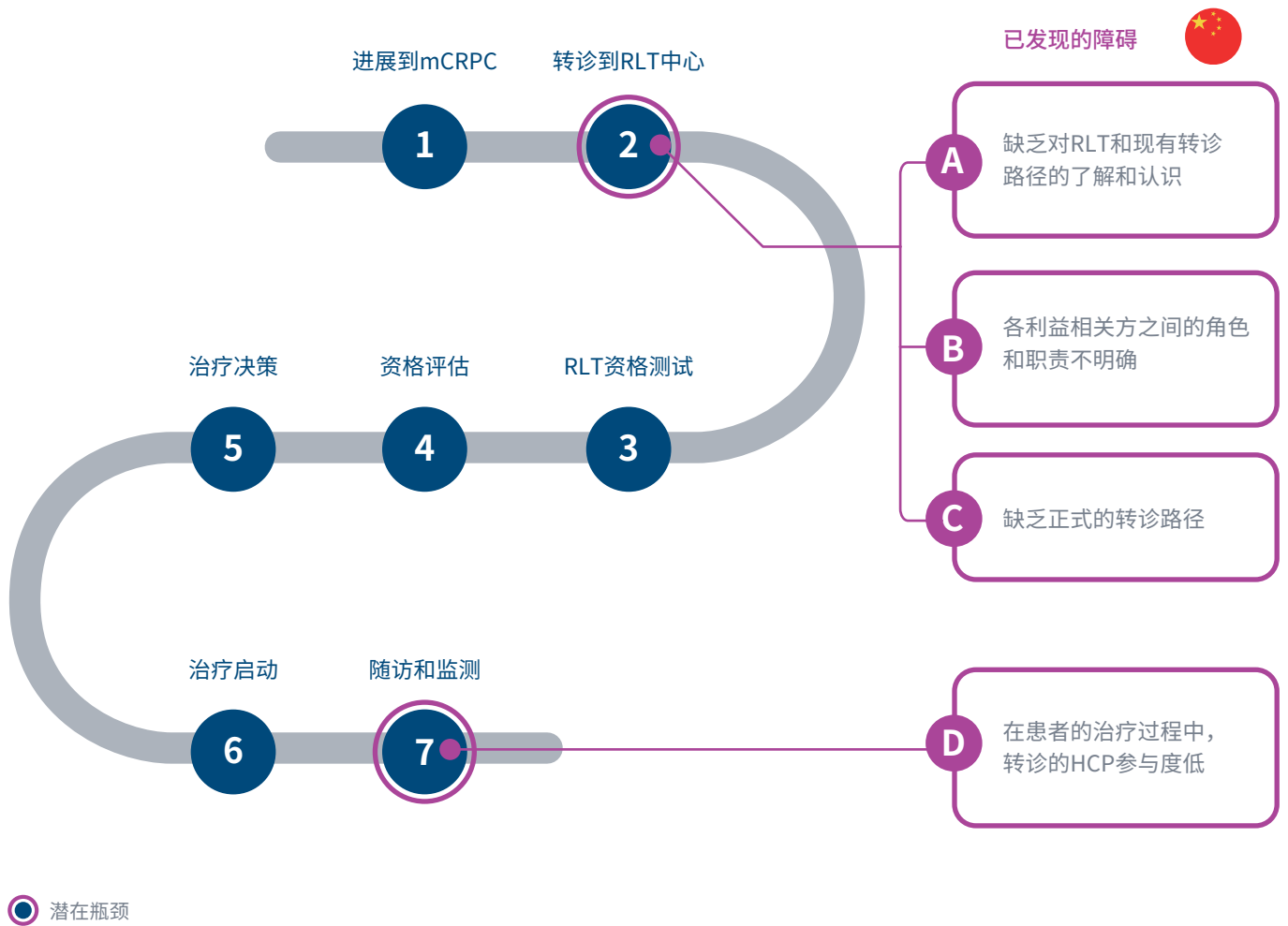
问题：泌尿科医生和医院往往犹豫是否将患者转诊到专门的部门或其他研究机构进行RLT治疗。这种犹豫部分是因为担心失去对需要长期管理的患者的监测。

影响：许多泌尿科医生与患者建立了长期关系，这有助于建立信任和连续的治疗。当前的转诊流程可能会破坏这种关系，并对患者在其他地方接受的治疗质量产生不确定性，除非泌尿科医生在整个转诊过程中保持积极参与。泌尿科医生可能会因为担心破坏这种关系而延迟转诊患者，这可能导致患者结局不理想。

总结

RLT尚未在中国获批或上市，目前仅通过临床试验提供。HCP访谈确定了一些关键障碍，可能会在RLT获批后阻碍其成功整合到癌症治疗中。这些障碍包括泌尿科医生对RLT和现有转诊路径的了解不足，以及不同利益相关方（如核医学科医生和泌尿科医生）之间角色和职责不明确。由于患者通常与泌尿科医生关系密切，医生不愿意将患者转诊到专科中心或同一中心的其他部门，担心失去对患者的监督和破坏患者治疗的连续性。建立清晰、透明的转诊路径，并在每个步骤中指定医生角色，可能有助于缓解这些担忧。此外，拉近转诊医生与RLT中心医生之间的关系，可以建立医生之间的信任，提高他们将患者转诊到专科中心接受RLT的意愿。

图6：中国患者转诊RLT的关键障碍



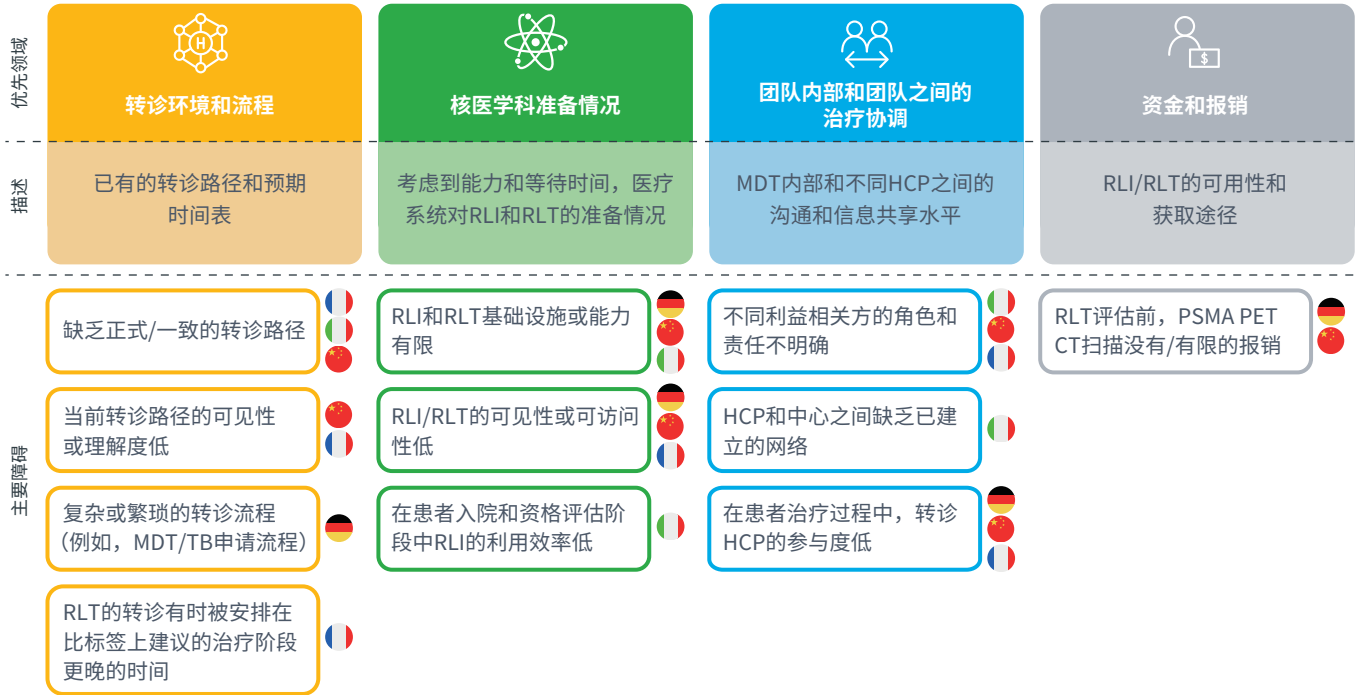
数据来源：IQVIA Strategy Consulting HCP Interviews Aug 2024, IQVIA Institute Oct 2024.

高效RLT转诊过程的潜在方法

RLT转诊流程障碍可以分为四类：转诊环境和流程、核医学科准备、团队内外的治疗协调以及RLT治疗的资金和报销（图7）。虽然每个国家面临的障碍各不相同，但也有一些共同问题，包括缺乏正式和标准化的转诊路径、当前转诊路径的可见性或理解度低以及不同利益相关方的角色和职责不明确。为了确定需要重点关注的障碍，每个障碍都被映射到一个2x2评估矩阵上，以评估解决障碍所需的努力和对转诊路径效率的影响（图8）。

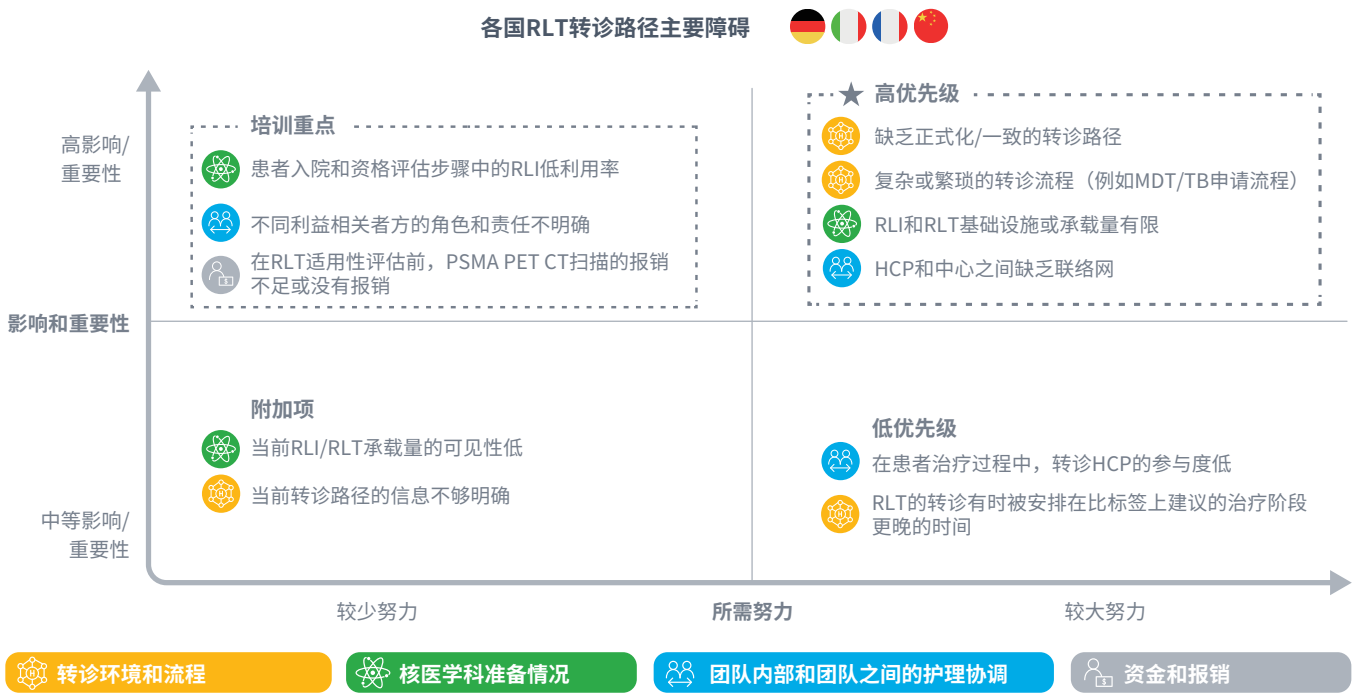
通过这项工作，出现了四个关键优先领域——建立正式和一致的转诊路径、简化现有复杂的转诊申请流程（例如在MDT资格评估期间）、优化RLI和RLT基础设施和能力，以及创建连接转诊HCP和能够实施RLT的中心的转诊网络。成功实施这些措施有望对RLT的交付和mCRPC患者的结局产生积极影响。其他高影响的解决方案包括更多的教育和培训，确保在患者入院和资格评估的过程中，能够高效地使用RLI。

图7：德国、意大利、法国和中国放射性同位素治疗流程中的关键障碍总结



数据来源：IQVIA Strategy Consulting HCP Interviews Aug 2024, IQVIA Institute Oct 2024.

图8：根据影响和所需努力对RLT转诊路径的障碍排序



数据来源：IQVIA Strategy Consulting HCP Interviews Aug 2024, IQVIA Institute Oct 2024.

各国潜在的解决方案（图 9）

患者入院和评估

确保所有相关的RLI试剂、成像设备以及其他资格测试随时可用（最好在单一转诊中心）

鉴于RLI在确定RLT治疗资格中的重要性，尽快进行这一程序可以减少治疗启动的时间。获取RLI需要评估使用的患者数量，因为随着RLT使用的增加，需要增强现有的RLI承载量以满足潜在的需求增加。此外，还需要进行物流调度，以确保为进展到mCRPC的患者规划可用的RLI。

解决的障碍：RLI 有限的承载量。

高效进行PET/CT成像，并清晰地将结果传达给患者和其他相关医生，以避免在治疗早期阶段重复检测

PSMA PET-CT 扫描仪的承载量是及时评估RLT适用性的最大障碍之一。开发一个高效使用RLI的系统（例如，在诊断期间进行扫描，那么在评估患者RLT资格时可能不再需要另一份PET CT 扫描）。这样可以确保合理地使用RLI 预约时间，从而能够测试更多患者。

解决的障碍：患者入院和资格评估过程中RLI 的低利用效率。

利用区域网络通过定期的数据收集和评估了解RLT治疗的承载量和转诊需求

建立转诊和治疗中心的区域联络网，定期评估RLT承载量和转诊流程/要求。这类数据的收集和评估可以帮助提前规划和应对未来需求，改进整体流程，并确保科室间的定期沟通。

解决的障碍：HCP 和中心之间缺乏联络。

简化MDT/TB的申请流程，采用标准化要求（例如，通过数字平台上传/共享所有必要的测试结果），确保诊断信息整合并随时可供标准化审查（例如，以所有HCPs都可访问的数字格式）

因为MDT/TB申请的复杂性和缺乏标准化的流程，患者适用性评估过程的时间可能会延长。简化这一系统流程，如具有标准格式和数据共享的数字平台，可以减轻医生的负担并缩短评估时间。

解决的障碍：复杂或繁琐的转诊流程（例如，MDT/TB 申请流程）。

确定RLT决策者（核医学科医生、泌尿肿瘤科专家、泌尿科医生、肿瘤科专家）在治疗启动决策方面的快速决策时间线，并确保专家与患者之间的及时沟通

当所有相关数据和信息都提交后，明确的决策时间线和标准流程可以减少启动治疗的延迟。一旦患者被确定为符合条件，就需要立即开始与患者进行沟通。

解决的障碍：缺乏正式 / 一致的转诊路径。

RLT 治疗

在资格审查后立即（或尽快）启动治疗，并适当规划RLT的订购和交付

规划RLT最好在资格审查后立即开始，以便在患者被认为有资格后立即（或尽快）启动治疗。这就需要定期对治疗能力进行系统评估，并让利益相关方参与其中，以规划排期和RLT订购流程。

解决的障碍：缺乏正式 / 一致的转诊路径。

确保有足够的床位可以立即开始治疗，包括在当地法规允许的情况下使用门诊/“当日出院”

像RLI一样，缺乏足够床位是RLT管理中的一个主要限制因素。围绕高效床位使用的明确指南，包括门诊/“当日出院”以及提前规划和安排可以优化这一过程。随着RLT需求的增加，可能需要额外投资。

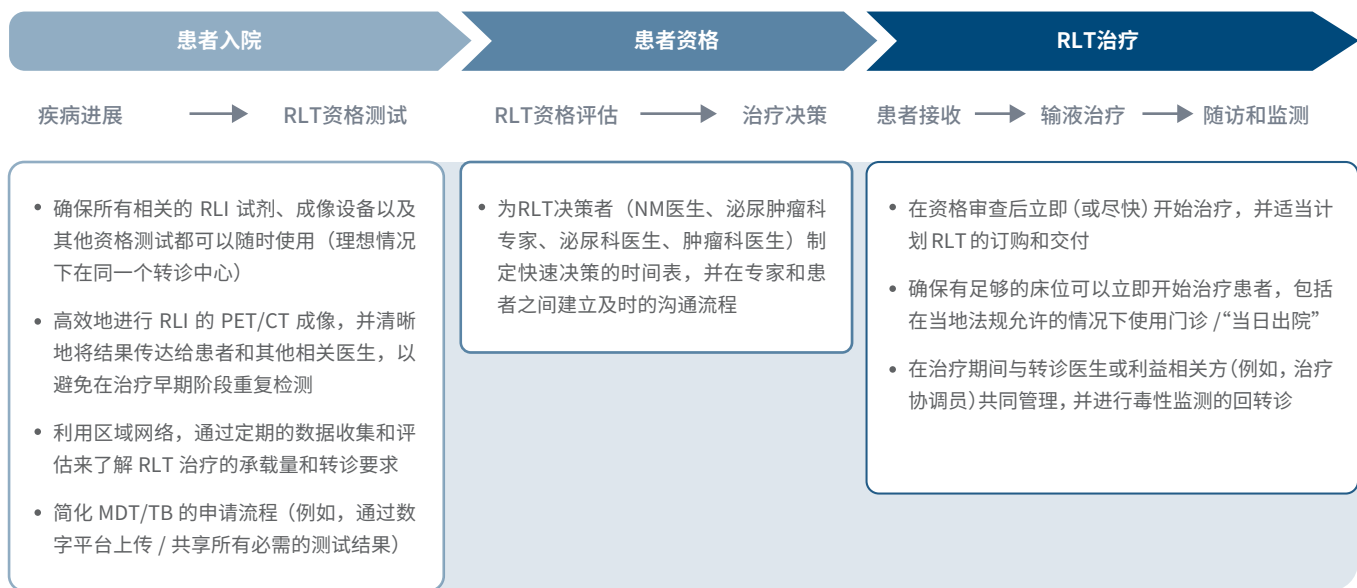
解决的障碍：RLT 基础设施或承载量有限。

在治疗过程中和所有输液周期完成后，与转诊医生或相关利益相关方（例如，治疗协调员）共同管理，并在监测毒性时进行回转诊

在治疗过程中和所有输液周期完成后，患者将与来自不同科室的多名HCP互动。确保HCP之间有效的沟通渠道，以便他们能协同管理患者的治疗，对于监控毒性反应和提升整体患者体验至关重要。这需要制定一个系统的共同管理流程，并明确各方职责。美国的一个成功案例是社区服务项目，如患者引导员，他们作为治疗协调员，旨在消除患者障碍并增加获得治疗的机会。尽管患者引导员的角色仍在不断发展，但他们在协助患者及其护理人员方面发挥了重要作用，比如安排预约、协调往返治疗中心的交通和住宿，并确保持续的患者治疗。

解决的障碍：不同利益相关方的角色和责任不明确，HCP 和中心之间缺乏沟通网络。

图9：提高各国RLT转诊路径效率的潜在方法



数据来源：IQVIA Strategy Consulting HCP Interviews Aug 2024, IQVIA Institute Oct 2024.

从其他治疗领域的经验中学习

建立有效的转诊医生和治疗医生之间的协作系统

其他创新疗法，如CAR-T，面临着与RLT类似的挑战。患者通过了一个以社区肿瘤学专家为转诊医生、以CAR T医生负责治疗给药的复杂路径。CAT-T治疗高效的转诊和治疗路径包括以下关键要素：

- 转诊医生和治疗中心肿瘤医生之间的紧密协调，包括提供患者的既往治疗记录。这包括治疗中心医生和转诊医生之间的直接联系。
- 区域联络网内的定期会议，讨论患者是否需要 CAR-T 治疗。
- 明确的指导方针，规定何时应在转诊医生和治疗医生之间进行沟通，以便有充足的时间进行规划。
- 明确的转诊、治疗和治疗后随访的职责和时间线。
- 由治疗中心医生主持的针对转诊医生的教育和意识提升的培训。

与资助机构合作，投资以支持患者转诊过程和数据收集的能力和人员配备

与国家/地区卫生部门等机构合作，明确评估能力和人员需求，确保患者顺利接受治疗。例如，患者协调员可以帮助提前规划和安排，同时进行随访和数据收集，从而减轻其他HCP的负担。

解决方案的潜在影响

实施这些解决方案可以将mCRPC诊断到治疗启动的时间缩短一到四周，具体取决于国家和医院的初始情况。

这些解决方案可以缓解几个主要障碍，并简化整个患者转诊过程。例如，法国和意大利可以通过改进整体过程，将mCRPC诊断到第一次RLT输液的时间缩短两到四周。德国的路径相对更高效，但通过额外的改进，特别是RLI承载量和TB申请流程，也可能缩短一到两周。

提升RLT患者转诊路径的措施

开发高效的患者转诊路径对于像RLT这样尚未广泛应用的复杂治疗，可以将患者治疗的延误减少一到四周。以下措施可以有助于优化RLT患者转诊路径：

- 建立标准化国家临床指南和协议，明确RLT治疗的患者资格评估的临床标准和时间表
 - 在欧盟/全球层面规范临床指南，以明确RLT的使用标准，使HCP有一致的流程，确保所有符合治疗资格的患者被识别并开始治疗
 - **主要利益相关方：**转诊医院和RLT中心的HCP、护士和其他不同科室成员，如病理科专家和参与前列腺癌治疗和研究的专家。跨专业的医学学会（如核医学科、泌尿肿瘤）。
- 为符合RLT资格的患者建立标准化国家患者转诊流程
 - 在欧盟/全球层面规范RLT转诊指南，以确保HCP之间的一致流程，消除不确定性并减少患者入院时间。并根据当地情况考虑在国家层面进行调整。
 - **主要利益相关方：**转诊医院和RLT中心的HCP、护士、医院管理员和其他治疗团队成员，如放射技师，医疗排程员和患者引导员。跨专业的医学学会（核医学科、泌尿肿瘤）和患者团体。
- 确定RLT床位和RLI额外承载量的资金来源，并为管理患者转诊过程的额外人员提供资金
 - 确定当前和未来RLT需求的关键人员和基础设施要求
 - 制定额外人员、RLI和RLT床位需求的预算，并在国家/地区层面确定资金来源。
 - **主要利益相关者：**HCP和医院管理人员，制定扩展RLI/RLT使用的框架/预算。与国家或超国家资金机构（如卫生部、欧盟委员会）合作以获得资金。
- 通过积极参与患者转诊网络提高RLI和RLT中心的可见性
 - 鼓励RLI和RLT的中心与转诊网络保持定期沟通，有效管理和利用其能力。
 - 建立医生和患者容易访问的国家/地区信息网站，方便医生和患者访问，以标示最近的RLI/RLT中心，包括当前等待时间、承载量和MDT/TB申请的时间线等信息。
 - **主要利益相关者：**区域转诊网络、负责RLT的医院和HCP，通过透明的协调和数据共享，提高RLI和RLT的容

量可见性。行业利益相关方也可以通过透明的信息共享为建立国家/地区信息网站做出贡献。

- 监测和评估国家RLT患者转诊路径，确保各国间分享最佳实践经验
 - 实施常规收集和分析有关RLT转诊过程及相关结果的真实世界证据（RWE）数据，以确定成功的方法和需要改进的领域。
 - **主要利益相关者：**区域转诊网络、HCP和医院管理员需要持续沟通，收集和分析当前RLT患者旅程的RWE数据，确保RLI和RLT中心的承载量、转诊时间表、结果数据是最新的，并易于访问。

简化MDT/TB申请流程

- 通过标准化表格和程序以及实施数字化系统来减少行政负担，以便更快速和更高效地审查病例。

主要利益相关方：医院管理人员、电子健康记录公司以及MDT/TB委员会成员，可以指导开发一个完善、用户友好且高效的数字平台。

增强HCP关于患者转诊过程的培训

- 定期为医疗专业人员举办培训课程，以提高他们对RLT转诊程序的理解和对具备RLT治疗能力的专业中心的了解。

主要利益相关方：RLT中心和转诊网络可以定期为HCP举办培训，增强他们对RLT转诊程序的理解，并在建立后引入工具，如国家/地区信息网站，以帮助轻松识别提供RLT的中心。

加强HCP之间的沟通协议

- 建立标准化的沟通协议和数字平台，以促进患者医疗信息的无缝交换。这确保了在治疗周期中患者在其HCP和RLT中心之间转换时的治疗连续性。

主要利益相关方：所有利益相关者，包括转诊和RLT中心的HCP、患者、医院管理员以及其他治疗团队成员（如放射技师）都需要积极参与，培养开放和定期沟通的文化。应制定标准化协议建立这一沟通过程。

更多信息，敬请垂询

Carina Zhang

IQVIA艾昆纬肿瘤和血液医学部负责人，高级医学总监

carina.zhang@iqvia.com

FDA Project FrontRunner 对肿瘤药物开发的影响

导读

在与癌症的持续战斗中，尽早获得有前景的新疗法对改善患者结局有深远影响。FDA的Project FrontRunner旨在加快时间表，将药物开发提前到治疗的早期阶段，确保患者能更快地获得有效的治疗。

本白皮书探讨了FDA推动早期研究所做的努力，强调了它们的潜力，以加深我们对疗效的理解、增加对于标准治疗的对照，并缩短了将有效的新疗法引入临床的时间。我们还将讨论如何设计出高质量的随机对照试验（RCT），以生成监管机构期望的高质量证据，并通过案例研究说明这些原则。

此外，我们将提供一些实用建议，解释如何在开发过程中及早与FDA沟通，利用加速审批途径和不断发展的指导方针，让患者能够更快地从突破性治疗中受益。

将FDA计划纳入早期试验设计

了解FDA新兴计划（如指导剂量优化的Project Optimus和指导癌症治疗早期审批的Project FrontRunner）如何影响早期临床试验策略是非常重要的。这些计划促进以更结构化的方式确定合适的剂量，并选择最佳患者群体在治疗早期进行评估。

早期肿瘤治疗开发的一个常见起点是剂量递增。虽然传统的3+3设计仍然存在，但越来越多的申办方转向贝叶斯最佳区间（BOIN）或贝叶斯逻辑回归模型（BLRM）方法，以更高效地找到二期推荐剂量。在确定这个合适的剂量后，下一步通常是进行剂量扩展研究。这些队列有助于在特定肿瘤类型中确认疗效信号，并细化治疗的风险-疗效概况。一旦出现有利的指征，申办方可以利用Project FrontRunner原则考虑在早期治疗中评估该疗法。

FDA肿瘤卓越中心的更广泛背景

Project Frontrunner是FDA肿瘤卓越中心（OCE）发起的30多个计划之一。这些计划共有一个统一的目标：通过创新和协作推进以患者为中心的监管决策。主要亮点包括：

- **临床试验中的多样性：**鼓励包容性招募，以确保治疗在不同人群中的有效性。
- **剂量优化：**优化剂量策略，以平衡疗效和安全性。
- **真实世界证据整合：**利用真实世界研究中的数据来提供试验结果并支持监管提交。

这些计划反映了FDA在保持严格的安全和疗效标准的同时，致力于推动创新。

Project FrontRunner的目的

FrontRunner项目对传统的药物开发模式提出了挑战，传统模式历来是在晚期治疗环境中引入新的肿瘤疗法 -- 通常是针对那些已经没有其他选择的患者。相反，这一计划将重点转移到治疗早期，特别是晚期或转移性疾病中。其目标是为患者提供更早接触创新治疗的机会，生成支持疗效风险评估的有力临床证据，并鼓励申办方与监管机构和利益相关方密切合作来促进协同创新。通过使药物开发人员能够在更先进的环境中进行早期试验，FDA旨在重新定义癌症治疗的路径，改善医疗结局。

Project FrontRunner的关键要素

随机对照试验（RCT）

FDA的Project FrontRunner旨在通过在早期治疗中推广随机对照试验（RCT）的使用，而不是在晚期患者群体中使用传统的单臂试验，来改善新癌症疗法的证据基础。与后线治疗不同，早期治疗患者群体数量相对较大，且有标准治疗（SOC）作为对照，这使得RCT更加可行和实用。如2023年FDA草案指南《支持癌症治疗药物加速审批的临床试验考量》中所建议，有两种将RCT纳入癌症药物开发的途径，均旨在支持加速审批的监管路径：

- **两次试验方法：**一次试验关注早期终点，如应答率，另一次试验关注长期结果，如无进展生存期（PFS）或总生存期（OS）。

- **单次试验设计：**结合早期终点的中期分析支持加速审批，并继续监测长期疗效作为最终分析，从而简化为全面审批。

这代表了申办方需要进行范式转变，优先考虑稳健的试验设计以符合这些不断发展的监管期望。

非治愈性情况

FDA的Project FrontRunner的初始重点是针对无法治愈的晚期/转移性疾病。FDA在2022年的指南《非治愈性的癌症临床试验资格标准》中定义了此类非治愈性情况。要在此情况下为临床经验有限的新疗法发起早期临床研究，FDA强调需要充分告知患者并取得同意并提供严格的非临床数据，以确保患者了解潜在的风险和疗效，同时使申办方能够收集有价值的见解，为未来的开发提供信息。

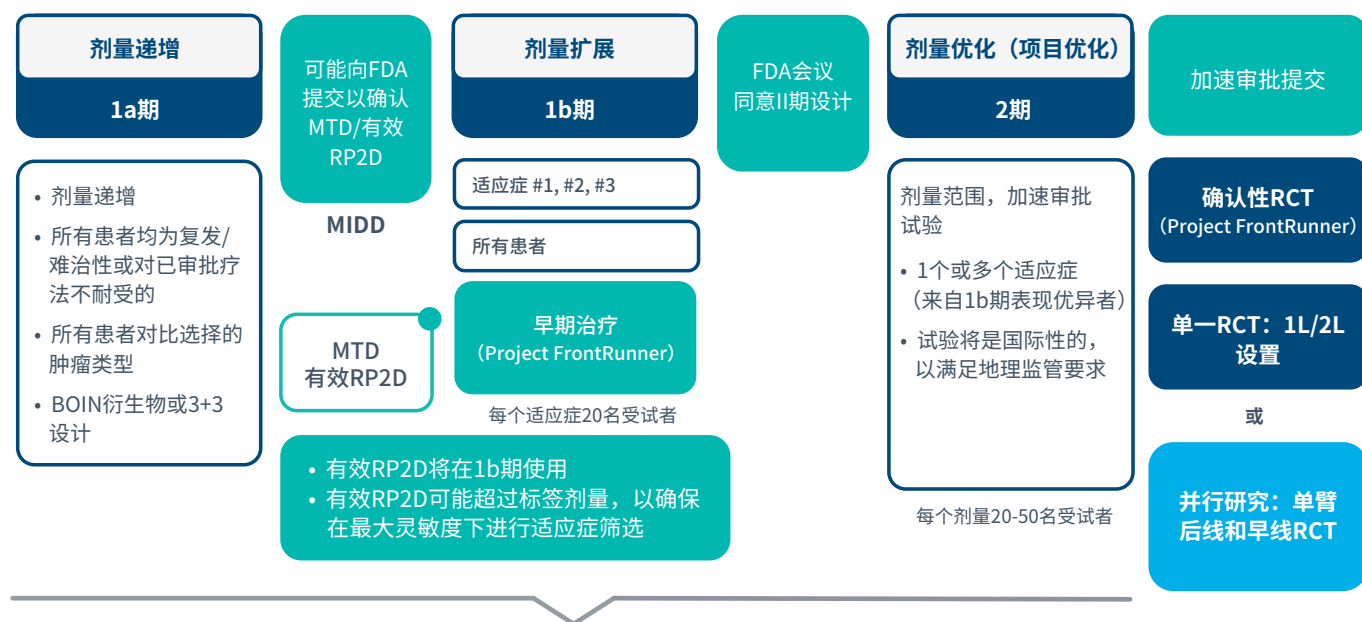
如何利用 Project FrontRunner 进行高级试验设计

适应性设计和主方案变得越来越重要，使研究能够随着数据的产生而发展：

- **适应性设计：**在早期开发阶段（如剂量扩展部分），无缝地将晚期患者群体的安全剂量研究转移到早期患者群体。
- **主方案（篮子试验或伞形试验或混合试验）：**同时评估多种肿瘤类型和/或多种新方案（单独或联合）以及标准治疗对照的后线治疗和早期治疗。

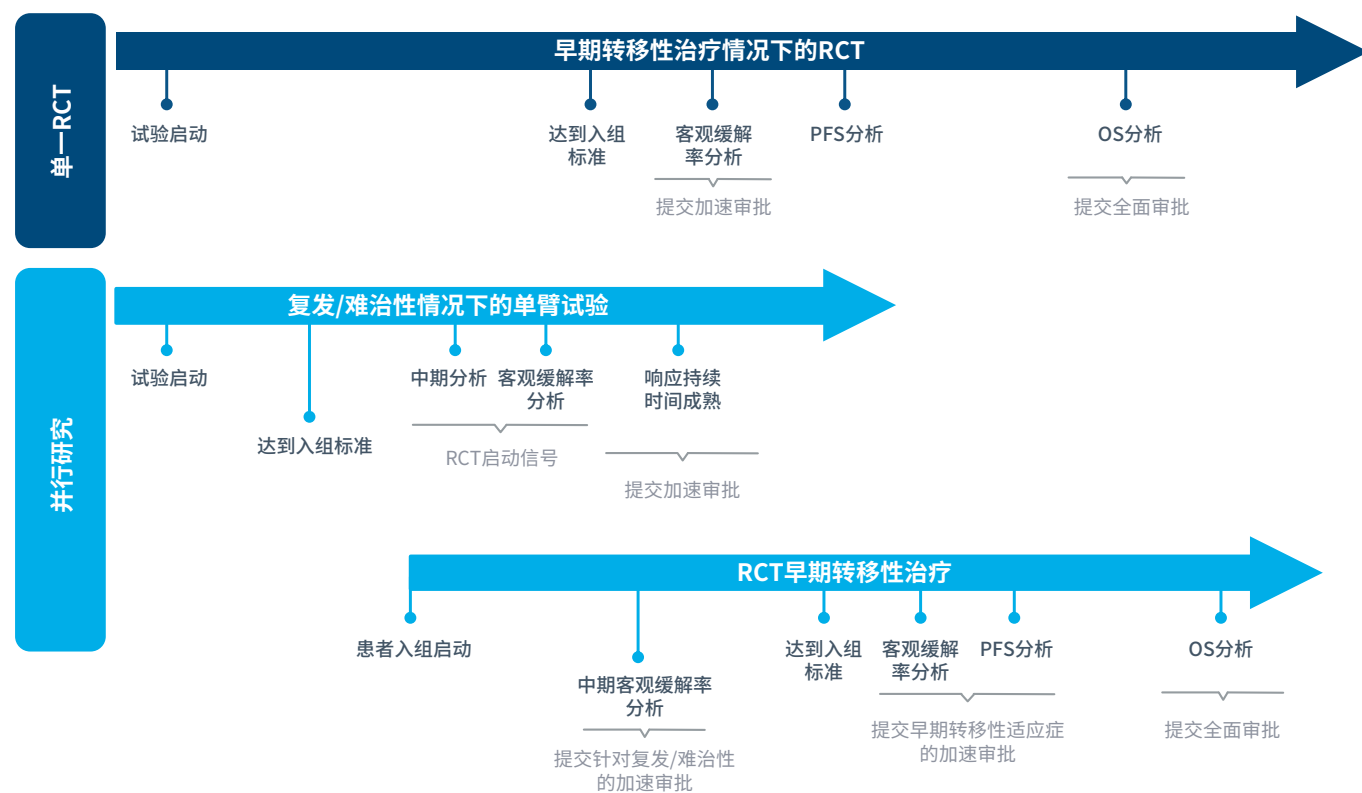
通过在单一试验中回答多个问题，加速决策过程，使招募合适患者变得更加容易，并在更短时间内生成更强有力的证据。

图1：将剂量优化纳入早期肿瘤学研究



患者选择基于建模和模拟；结合临床前和临床数据

图2：早期转移情况下的审批策略



Project FrontRunner 概述了两种早期评估的常规路径：

1. 单一RCT方案

在此情况下，单一RCT在一线或二线治疗中将新药剂与标准治疗进行比较。基于早期终点（如总反应率(ORR)）的中期分析，如果达到预定的阈值，可能允许加速审批。该设计随后继续评估PFS和OS以获得全面审批。

2. 连续研究方案

另一种方法是启动一项单臂、后线治疗进行中期 ORR 分析，同时启动早期RCT。如果后线治疗显示出良好的结果，并行的早期试验已经在进行中，则可能会加速早期上市的进程。这种方法可以在整个治疗范围内生成数据，增强安全性和疗效，并增加优化剂量和患者选择的可能性。

随着早期阶段的研究进展，入组规模和时间表会根据疗法的表现和统计要求而有所不同。剂量递增队列可能招募20-30名患者，而优化队列通常每剂量招募约20名患者。扩

展队列通常每个适应症包含20-30名患者。对于规模较大的随机早期研究，样本量取决于目标ORR、所需的置信区间和基本假设。

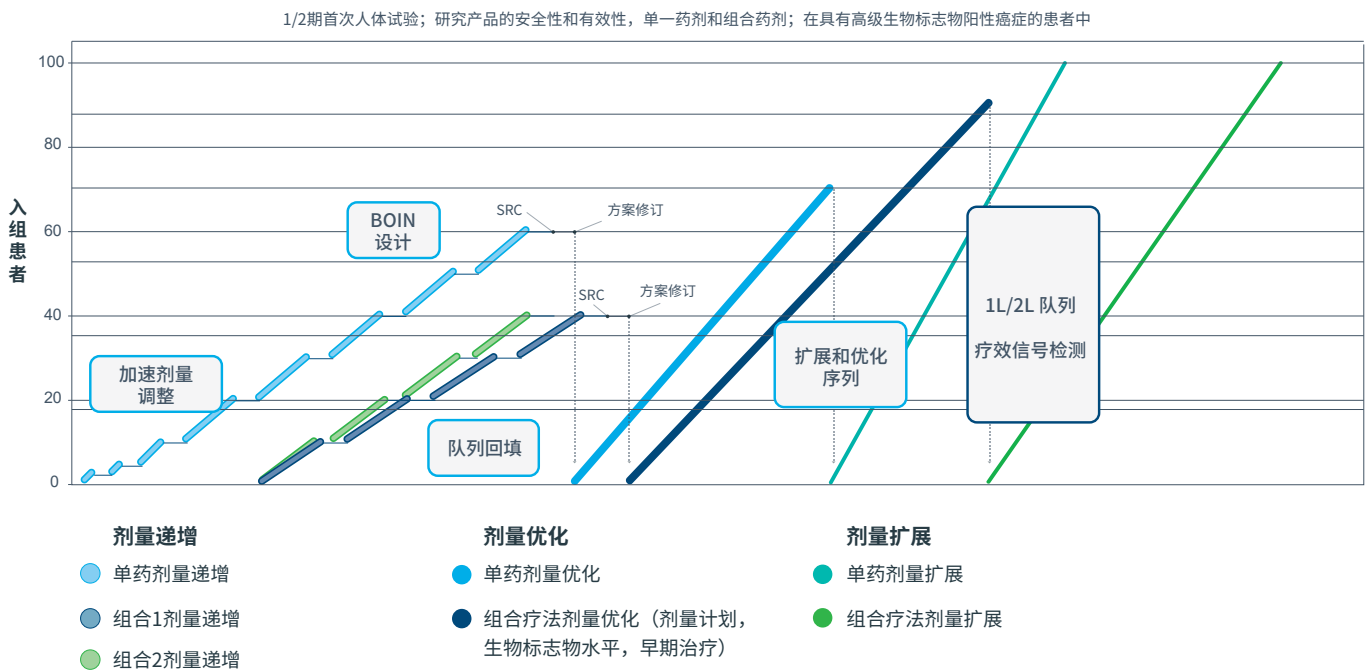
通过整合这些不断发展的策略——剂量递增、优化和扩展，申办方可以将自己定位为无缝过渡到符合Project FrontRunner原则的早期试验阶段。

IQVIA艾昆纬已经为申办方在这些途径上提供了支持，包括设计和执行研究所需的战略洞察力和运营能力，从而推动有前景的疗法在治疗领域占据更有利的位置。

HCC Project Frontrunner案例研究

一家中国生物科技公司希望将一种新型双特异性抗体用于肝细胞癌 (HCC) 的一线治疗——这是一个雄心勃勃的目标，因为新型肿瘤治疗通常只有在标准治疗失败后才会引入。中国晚期患者的初步数据显示约40-45%的良好应答率，促使申办方追求更符合FDA的Project FrontRunner原则的加速策略。

图3：早期评估路径示例



为了将其候选药物推进到更早的治疗阶段，申办方找到 IQVIA 的肿瘤卓越中心、医学事务和药物开发团队共同制定了一个全面的计划，以符合 FDA 指导方针并支持快速决策：

- **监管和战略指导：**IQVIA 提供了有关美国监管方面的见解，建议申办方如何利用其后线治疗结果为早期评估奠定基础。
- **研究设计和终点选择：**团队与申办方密切合作，确定合适的患者群体，优化剂量策略，并建立与 Project FrontRunner 目标一致的有意义的终点。
- **提交准备：**借鉴 IQVIA 的经验，申办方制定了一套稳健的 FDA 简述材料，综合了从试验设计到监管策略的所有建议，形成连贯的提交材料。

在 IQVIA 的指导下，申办方成功地推动候选药物提前进入开发阶段，为患者更快地获得突破性疗法奠定了基础。在 FDA 评估他们提交的申请时，这一合作凸显了战略规划、量身定制的监管指导和创新的研究设计在推动肿瘤领域发展方面的力量。通过摒弃传统的后线治疗研究方法，采用 Project FrontRunner 的原则，申办方有机会改变癌症治疗格局，更快地为患者提供改变生命的疗法。

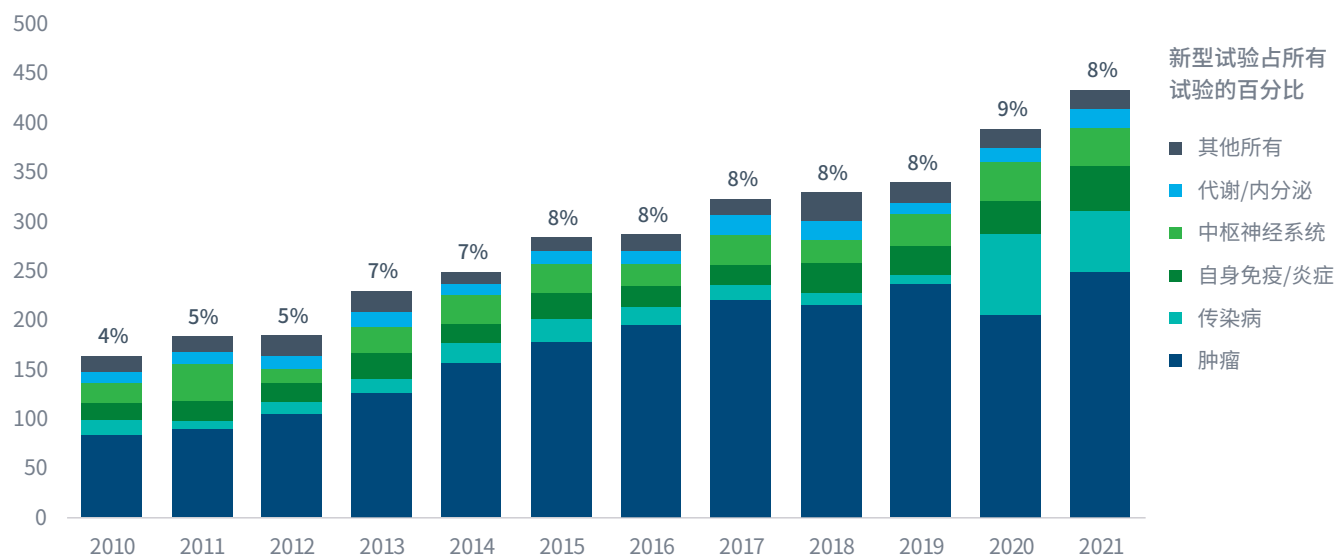
灵活高效的临床试验框架

近年来，监管机构开始接受新的试验方法，特别是适应性设计和主方案，以简化和增强药物开发过程。适应性设计允许根据新出现的数据对试验参数进行实时调整，而主方案（通常是肿瘤研究中的篮子试验）则能在单一研究框架内同时探索多种肿瘤类型。

截至 2021 年的行业数据显示，尽管“新型”试验（即适应性设计或主方案设计）占比保持稳定，但此类试验的总数显著增加。即使在 COVID-19 大流行期间，呼吸系统研究中主方案和适应性设计数量激增，这一趋势仍然持续。与疫情初期相比，这些创新方法并未减少，反而继续获得认可。在肿瘤早期阶段研究，采用某种形式的适应性设计、主方案或两者兼有的研究已成为常态。

这一转变突显了灵活、高效的试验框架的重要性，这些框架与 Project FrontRunner 等举措无缝契合。采用这些方法进行肿瘤治疗开发，使申办方能够更快地向患者提供有前景的疗法，满足监管标准，并简化审批过程。

图4：2010-2021年各治疗领域新型试验趋势分析



展望未来

Project FrontRunner 虽然前景光明，但也面临挑战。一个显著问题是如何在国际监管机构之间实现一致性，特别是在全球性试验中，不同地区的要求可能差异很大。申办方必须仔细应对这些复杂性，以确保试验的广泛可行性。

根据早期阶段的数据来为大规模临床试验提供资金支持是有难度的。申办方需要尽早与监管机构密切合作，并清晰阐明其开发计划，以获得投资者信心并确保必要的资源。另一个重要挑战是在没有或仅有有限临床安全性和疗效数据的情况下，在早期治疗阶段对新药进行单药试验，而不是作为标准治疗的附加疗法。

此外，另一个需要克服的障碍是在一线治疗中使用未经证实的新疗法时，如何找到愿意参与试验的患者。如果在 Project FrontRunner 随机对照研究中包含剂量优化，这将为研究者增加一项额外的教育任务，即需要向患者充分解释可能在一线治疗中评估的较低有效剂量。

尽管面临这些挑战，Project FrontRunner 在肿瘤领域仍然是一个机会，随着该计划被采用和实施，预计将有更多案例和案例研究出现。通过专注于为患者提供更早获得创新治疗的机会，Project FrontRunner 有能力：

- 改变癌症患者的标准治疗
- 加快药物开发和审批时间
- 促进申办方、监管机构和利益相关方之间的协作生态系统

IQVIA 在应对这些复杂流程方面拥有丰富经验，是申办方能够最大发挥 Project FrontRunner 潜力的重要合作伙伴。随着更多数据和成功案例的出现，Project FrontRunner 会被更广泛地采用，巩固其在未来肿瘤治疗方面的角色。

该举措与创新试验设计和监管重点的契合，为更快、更有效的癌症治疗打开了大门。对于申办方、患者和更广泛的医疗社区来说，这是在抗癌斗争中迈出的有意义的一步。

更多信息，敬请垂询

Carina Zhang

IQVIA 艾昆纬肿瘤和血液医学部负责人，高级医学总监

carina.zhang@iqvia.com

2025年全球健康进展指标

2025年全球医疗健康的前景较为乐观。世界终于完全摆脱了COVID-19大流行的负担。有证据表明：国际各方的持续努力为全球的医疗系统和人口发展提供了有利机会。然而，新疾病的出现、宏观经济和地缘政治的压力以及许多长期存在的问题仍然阻碍着全球健康的进步。

本报告着眼于众多机遇和挑战中的一部分，包含为改善健康和促进健康结局而正在进行的努力，并确定了我们将关注的七个关键指标，以衡量2025年期间全球是否取得了进展。这些不是对未来的预测，而是一些具体的可衡量的进展指标，并将于年底进行回顾。这些指标有些是难以及时衡量的，有些是间接的进展指标。尽管如此，建立一套客观的衡量标准，供所有利益相关方评估进展是很有帮助的，特别是在未来一年将面对巨大机遇和不确定性的情况下。尽管许多医疗健康的进步往往需要数年甚至数十年的时间才能实现，但此次在短短一年内设定的期限，不仅凸显了人类健康问题的紧迫性，还强调了长期进程中里程碑的重要性。这一举措增强了各利益相关方的责任感，使他们即使在最终目标仍需多年努力的情况下，也能在短期内取得实质性进展。

1. 重建对医疗和科学的信任：过去五年中，公众对科学和医疗机构及专业人士的信任度下降，这是全球医疗进步的新挑战。恢复公众信任水平是改善医疗系统运作和影响力的基础。衡量2025年进展的一个指标是成年人对医生和医院的“非常”信任度，将从2024年初的40%提高到至少50%。另一个指标是，认为科学对社会有积极影响的人比例将不再下降。

2. 推进全民医疗覆盖：距离实现联合国可持续发展目标（包括实现全民医疗覆盖）只剩五年时间，仍有许多工作需要完成。即使这些目标未能完全实现，但不断向这些目标迈进也将为全球个人和民众带来益处。这需要在全球疫情结束后进行重置，也意味着更高水平的投资、实施已制定但未完全启动的计划，以及政府和医疗系统领导者的持续承诺。至2025年底，将全民医疗服务覆盖指数提高到75/100将是这一领域进展的重要标志。

3. 缩小初级医疗服务差距：有效的医疗系统的关键在于强大且坚韧的初级医疗服务。然而，即使在高收入国家，也可

能存在差距，而大多数中低收入国家仍远未能为其全部人口提供全面的初级医疗服务。缩小初级医疗服务差距是推进全球医疗发展的前提。进展的指标包括各国已制定的计或改革，这些计划和改革旨在扩大初级医疗服务，包括明确增加初级医务人员数量。在初级医疗环境中扩展数字健康技术的使用也将是短期进展的标志，进而为所有人带来长期利益。

4. 解决长期存在但未解决的医疗问题：一些重要的并且被分析和讨论了十多年都难以解决的医疗问题，目前取得的进展也很少。抗生素耐药性和疫情防范就是两个例子。2025年要在这些领域取得实质性和有意义的进展，而不仅仅只是进一步的讨论和承诺却没有实际行动，这将为全球健康带来极大的益处。例如，美国国会通过 PASTEUR 法案——或类似的刺激新型抗生素投资的努力——或欧盟采取行动扩展其支持投资的机制，都将是进展的标志。而2025年《大流行病防范条约》的最终决议将结束此长期而重要的讨论，并释放更多努力来加强对未来病原威胁的准备。

5. 为全球患者提供合适的医疗：尽管存在安全、有效、低成本的诊断和治疗方式，但非传染性疾病仍然给全球医疗系统带来了日益增加的负担。例如高血压，大多数国家抗高血压药物的使用量远低于最佳水平。为合适的患者提供合适的医疗仍然是推进全球健康的一个简单但强有力的目标。在治疗高血压方面，2025年的进展衡量标准将包括人均抗高血压药物限定每日剂量增加5%，以缩小中等收入国家与全球平均水平之间的使用差距。

6. 向“上游”推进疾病拦截：尽管近年来越来越多的关注点放在“健康”和“预防”上，但大多数医疗资源和重点仍然集中在治疗疾病和临终关怀上。通过人工智能（AI）等新方法对人类生物学和疾病病因学的理解正在逐步深入，帮助研究人员向“上游”推进，专注于疾病预防。虽然许多努力仍处于基础科学研究领域，但对全球医疗的长期转型具有巨大潜在帮助。2025年的一个进展指标将是，关于“疾病预防”的发表论文数量比2024年增加50%或更多。

7. 推动AI在药物研发中的应用：随着AI在生命科学领域应用的不断扩大，人们对未来五年内可能出现的药物数量和质量充满了期待。目前通过AI开发的试验性药物已经进入了临床前或临床测试阶段，预计至少有一种完全通过AI发现的药物将获得监管批准。2025年这一领域将会有很多活动，这对全球健康来说是一个积极的信号，因为当前未满足的医疗需求可以被更快、更有效和更安全地解决。随着时间的推移，这些益处将惠及全球人口，推动全民健康生活的进步。

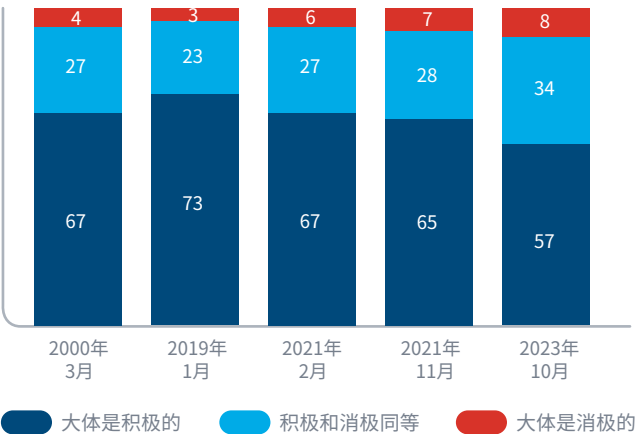
本报告中的七个重点领域并非旨在全面覆盖，而是指出我们可能看到的进展，这些进展代表了全球医疗健康的更广泛进步。使用客观和明确的进展指标——或使用间接或替代性的指标来衡量进展——都可以帮助所有利益相关方在2025年底回顾取得的成就和可能错失的机会。如实现所有这些预期将为全球个人和民众的健康带来变革性的益处。

1. 重建对医疗和科学的信任

信任是患者与医生，或是民众与医疗系统之间健康互动的关键。如果患者不信任医生，他们可能会拒绝必要的治疗。历史上，医生和医院在社会中享有很高的声誉，这反映了患者和公众对他们的信任。

然而，最近在美国进行的调查显示，患者和公民对医生、医院和卫生当局的信任正在下降。COVID-19疫情显然是导致这种信任下降的一个重要因素。一项对582,634名成年人进行的调查表明，在疫情期间，人们对医生和医院的信任度下降。较低的信任水平也导致了较低的疫苗接种意愿，恢复信任成为公共卫生的当务之急。另一项调查发现，美国人对科学的信任度也在下降，现在只有14%的人认为科学对社会的影响大体是积极的（图1）。

图1：科学对社会的影响



数据来源：Survey of U.S. adults conducted Sept. 25-October 1, 2023

导致公众信任度下降的根本原因尚不完全清楚。虽然COVID-19疫情加剧了信任度的严重降低，但疫情很可能不是不信任的触发因素和加速器，而不是根本原因。如果将信任度下降归咎于疫情期间的错误信息和社交媒体对错误信息的放大，似乎也不准确，这就好像假设了公共卫生领域有一套绝对、客观的事实和真理。然而，科学证据的本质是不断变化的，它需要经过持续的专家评审和公众讨论。因此，认为有一套不变的公共卫生真理是不符合科学本质的。

COVID-19疫情引发了领导者和公共卫生各机构的更深层次危机。公共信任的建立不应依赖于单向的专家沟通和强制推行所谓的“科学真理”，而应通过开放的辩论、严谨的对话和深入的探讨来实现。特别是在面对由未知来源的新病原体引发的严重疫情时，我们必须认识到科学的流动性和证据的不断演变，从而以更加灵活和包容的态度应对挑战。公共卫生机构试图限制某些关于疫情问题和措施的讨论（例如SARS-CoV-2病原体的起源、口罩的有效性、六英尺社交距离令、公立学校停课以及关于自然免疫和功能增益研究的争议），但这些尝试随着时间的推移逐渐失效了。

想要恢复对公共卫生的信任需要倾听的能力、促进诚实开放对话的能力以及在与不同背景的对象互动时的情感投入。公共卫生机构和当局需要从根本上重新思考他们的教育理念和沟通原则，才能重建信任。如果在这一领域没有进展，未来几年全球健康的进步将受到严重限制、延迟甚至倒退。2025年，各国无论收入水平如何，都需要紧急优先解决这些问题。

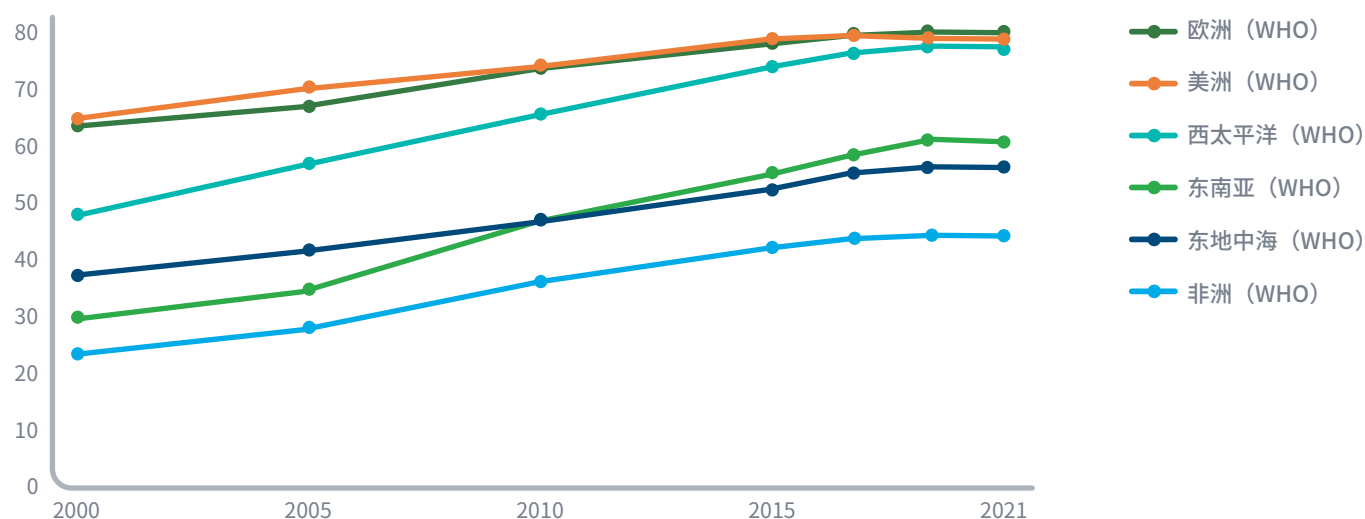
2. 推进全民医疗覆盖

联合国的可持续发展目标（SDG）第3项“确保健康生活并促进各年龄段人群福祉”包含了许多改善健康结局的目标和指标。其中“实现全民医疗覆盖，包括财务风险保护、获得优质基础医疗服务以及获得安全、有效、优质和可负担的基础药物和疫苗”的目标是SDG的重要组成部分，为实现所有人获得基本医疗服务的打下基础。

全民医疗覆盖的缺乏不仅是美国的问题，也是许多低收入和中等收入国家（LMICs）的问题。随着各国从疫情的影响中恢复，需要大量投资和创新来确保全民医疗覆盖，非洲和南亚的LMICs将面临重大挑战在2030年前实现全民医疗覆盖。

衡量SDG目标进展的一个实用指标是世界卫生组织（WHO）开发的全民医疗覆盖（UHC）服务覆盖指数。该指数衡量了生育、孕产妇、新生儿和儿童健康，传染病和非传染性疾病，以及服务能力和获取基础医疗服务覆盖的情况。全球范围内，UHC服务覆盖指数从2000年的45/100增加到2021年的68/100，该指数过去20年的变化在不同地区差异很大（图2）。

图2：2000-2021年按WHO地区划分的UHC服务覆盖指数



数据来源：Our World in Data <https://ourworldindata.org/grapher/universal-health-coverage-index?tab=chart>

在COVID-19疫情爆发之前，该指数在大多数WHO地区保持在一个相对稳定的水平。

推动全球医疗进步与扩大和改善UHC密切相关。如果一个国家在医疗基础设施、服务、技术和资源方面的投资没有达到或超过其经济发展的速度，实现联合国SDG将变得更加困难。优化资源分配和使用，减少浪费、腐败和低价值活动的支出，对医疗系统至关重要。自2012年联合国大会通过决议，敦促各国加快UHC进展，并于2015年计划将2030年实现UHC作为SDG的一部分，虽然取得了许多进展，但尚未达到目标。

想要加速UHC的进展，需要加速已经计划和部分实施的项目，从疫情中全面恢复，并保持持续的投资水平。在一年内，可以实现可观的进步，从而改善全球医疗状况。

3. 缩小初级医疗服务差距

高质量、运作良好的初级医疗是医疗系统的基石。大量证据表明，初级医疗——无论是通过初级医护人员还是社区卫生系统提供——对于构建一个稳健且可持续的医疗体系至关重要。这样的体系能够确保积极的健康结果、高效的服务提供以及医疗资源的公平获取初级医疗通过提供个性化、以家庭为中心和社区导向的护理，预防、治疗和缓解常见疾病，对大众健康和个人健康都至关重要。

世界上许多国家采用了不同的模式和方法来推广初级医疗。英国和斯堪的纳维亚地区（包括丹麦、瑞典、挪威等国家）的初级医疗模式为每个居民配备一名初级医护人员，作为所有医疗服务的守门人和协调者，这种模式在连续性护理、降低医疗成本和改善健康结局方面显示出独特的优势。在英国，一项关于初级和二级医护连续性护理的系统评价得出结论，连续性护理越高，死亡率越低。如在挪威，连续性的全科医疗与较低的死亡率、较少的急性住院和较低的非工作时间急诊服务使用相关。相反，在初级医疗服务有限或分散的医疗系统中，如美国的医疗系统，专科护理和初级护理之间存在不平衡。

2021年美国有28.7%的成年人和13.6%的儿童没有常规的医疗资源。随着初级医护人员短缺问题的加剧，初级医疗差距正在扩大。

美国的初级医护人员数量不断下降，初级医护人员供不应求，反映出相对于其他专科收入不足、初级医护人员的行政负担过重以及医学院和住院医师培训期间对初级健康专科缺乏尊重。预计美国初级医护人员的短缺将继续增加。美国卫生资源和服务管理局预计，至2036年，美国将有68,020名初级医护人员的短缺。美国医学院协会预计，至2036年，美国初级医护人员的短缺将在20,200至40,400名之间。

导致美国初级医护人员短缺的原因不仅是因为医疗系统分散、以市场为导向，更主要是由于商业保险和个人自付等原因。即使在高收入国家，由纳税人承担的全民医疗系统也面临

初级医护人员队伍的系统性短缺，因为越来越多的医护人员由于压力增大、情绪困扰、士气低落和倦怠而离开。在低收入和中等收入国家，扩大卫生工作队伍的需求更为迫切。WHO 估计，至2030年，全球将缺少1000万名卫生工作者，主要集中在低收入和中低收入国家。

一些国家为了应对老龄化人口和慢性病的增加，开始增强初级医疗，建立分散的社区护理中心并增加初级医护人员数量。例如，英国呼吁从“医院到社区”的战略转变，建立新的邻里健康中心，使其更贴近家庭和社区。该计划旨在让所有患者在同一地方见到家庭医生、地区护士、护理人员、物理治疗师、健康访视员或心理健康专员。丹麦的新医疗结构改革通过创建17个新的地方健康委员会，并在未来10年内增加40%以上的初级医疗医生使医疗服务更贴近丹麦公民。

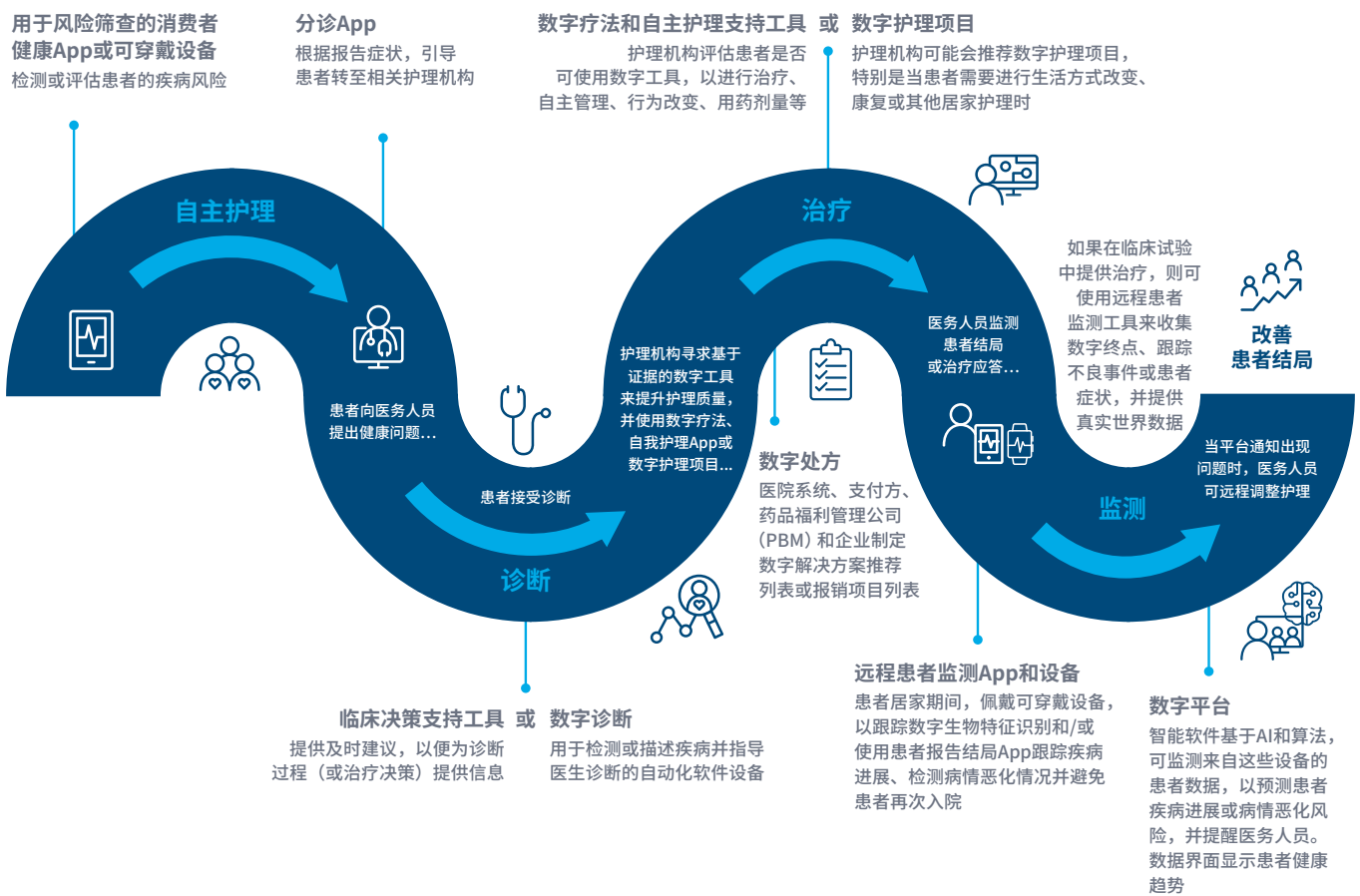
全球范围内，扩大医务工作者一直是联合国和WHO的重点，包括2016年发布的《医疗就业与经济增长高级别委员会》建议，提出了在战略发展目标背景下改革医务工作者的建议。

这些建议包括：制定劳动力市场政策和投资以促进需求；最大限度地增加女性参与劳动力的机会；扩大教育和培训项目；更加关注预防和初级医疗；以及利用高效益的信息和通信技术。

数字健康工具可以显著提高医疗服务的效率，因为它们越来越复杂、基于证据、而且可以在初级医疗中被使用。它们从自我诊断到筛查和诊断支持，再到在初级医疗或专科医生指导下治疗，持续的监测和技术进步可以帮助缩小初级医疗的差距。(图3)

缩小初级医疗差距是每个卫生系统的当务之急，需要长期的策划、投资和关注。衡量这一领域进展的指标包括正在进行的项目和计划的清晰度，旨在扩大初级保健劳动力，采用基于技术的方法提高服务效率，并将资源重新分配到这一核心支柱上。只有通过这些努力，全球医疗健康才能进步，使初级医疗充分发挥其对卫生系统和患者的价值。

图3：数字领域的诊断、治疗和监测



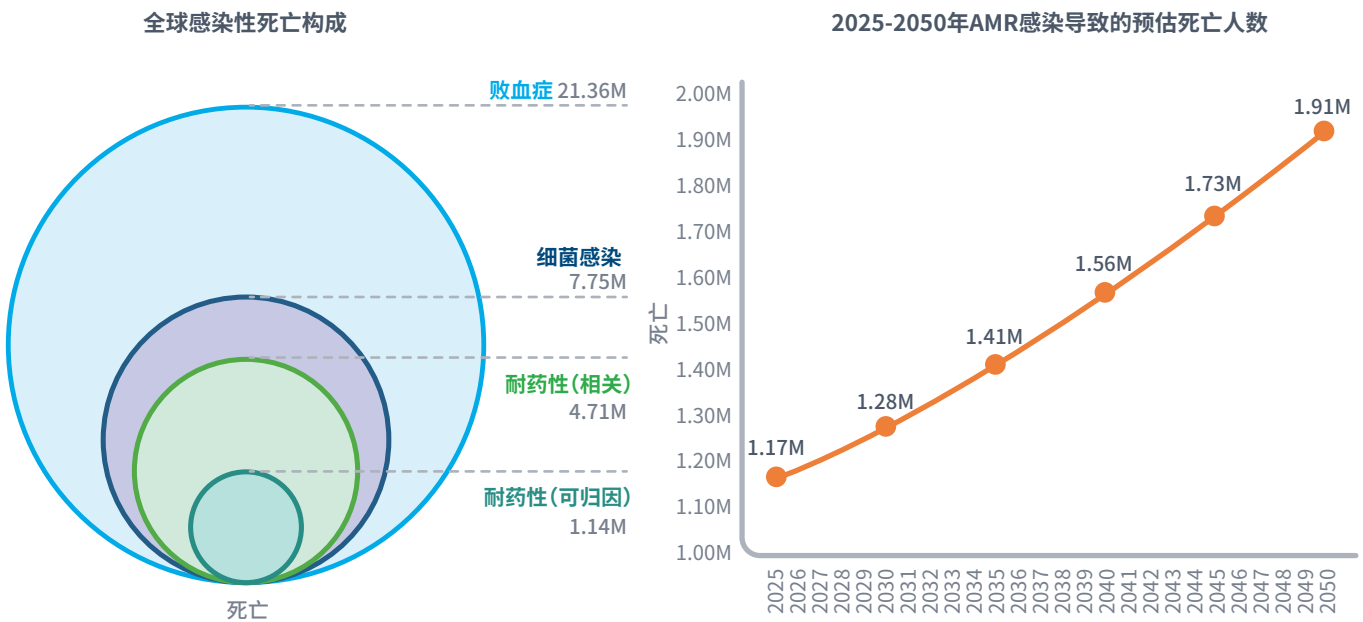
数据来源：Digital Health Trends 2024, IQVIA Institute, June 2024.

4. 解决长期存在但未解决的医疗问题

尽管各方公认这些问题的紧迫性，也确实存在重大未解决的需求，这些需求阻碍了全球医疗的进步，但多年来甚至几十年来取得的进展十分有限。在众所周知且研究充分的领域中，有两个重要例子是抗生素耐药性和疫情防范。在这两种情况下，全球各地的利益相关方都投入了大量努力，试图在这些复杂且多因素的问题上取得全球范围内切实的进展，虽然普遍认为进展缓慢，解决方案难以实现。

几十年来，微生物病原体和传染病的严重性日益加剧的威胁已广为人知，人们进行了充分的研究。公共卫生当局、研究人员和医疗生态系统中的利益相关方一直呼吁采取行动应对这些威胁，包括已知疾病和常用抗生素相关的抗生素耐药性 (AMR) 问题，以及对新出现或再次出现的传染病的担忧。健康指标与评估研究所估计，每年有超过100万人死亡，仅仅是因为细菌对治疗产生了耐药性（直接归因于耐药性死亡），预计到2050年，因AMR死亡的人数将达到近200万（图4）。此外，在2025年至2050年期间，通过改善严重感染疾病的治疗结合抗生素的使用，可以预防9200万例感染性死亡（包括涉及AMR的死亡和由药物敏感病原体引起的死亡）。

图4：全球感染性死亡构成和AMR感染导致的预估死亡人数



数据来源：Our World in Data <https://ourworldindata.org/grapher/universal-health-coverage-index?tab=chart>

关于激励策略的讨论已经进行了十多年，目的是鼓励对新型抗生素的发现和开发进行投资，但所有公共卫生利益相关方都认为还有更多工作需要完成。事实上，2024年联合国大会AMR高层会议制定了一套明确的目标和行动，包括到2030年每年由于细菌AMR相关的人类死亡减少10%。

与此同时，COVID-19提升了在全球范围内解决疫情防范问题的紧迫性，涉及的领域包括协调监测工作、修订国际卫生条例、支持技术转让协议和疫苗的本地生产，以及对健康工作者的培训。尽管这些领域取得了很大进展，但拟议的《世卫组织大流行病防范条约》最终未完成签署。该条约原计划通过各国政府和全社会的共同参与，以及在国内和国际间持续和充足的官方财政投资来促进最高级别的承诺。

2025年需要关注的重要指标包括立法和行动进展，以建立新的抗生素订购模式，将新抗生素的定价和报销与销售量脱钩。美国国会一直在推动《根除耐药性先锋抗生素订购法案》（PASTEUR 法案），该法案得到了两党的支持，但仍需最终立法。英国和瑞典已经推进了基于订购的抗生素采购试点项目。欧盟也在推进系统建设，为新抗生素提供收入保障。

疫情防范进展的一个重要指标是可否达成并批准一项全球协议，确保在大流行期间将一定比例的产品（特别是疫苗和药物）分配给WHO，以便分发到所有国家。

5. 为全球患者提供合适的医疗

世界各国在其卫生系统中都面临着可持续性、公平性和平等获取的问题。医疗和健康服务的过度使用和不足使用并存，导致健康和福祉不均衡。1917年，《柳叶刀》发表了一系列论文，研究了全球医疗和健康服务的过度使用和不足使用的程度，强调了不当医疗的驱动因素，并提供了一个框架，以同时解决过度使用和不足使用的问题，从而实现适当医疗。100多年后，医疗和健康服务的过度使用和不足使用问题仍然是卫生系统面临的主要挑战，这些系统需要在适当的时间为适当的患者提供适当的医疗，并遏制不当使用。

一个值得关注的领域是有效且低成本的疗法在治疗高血压方面的不足使用。高血压是最主要的死亡和致残风险因素之一，而且问题日益严重。从1990年到2019年，高血压患者

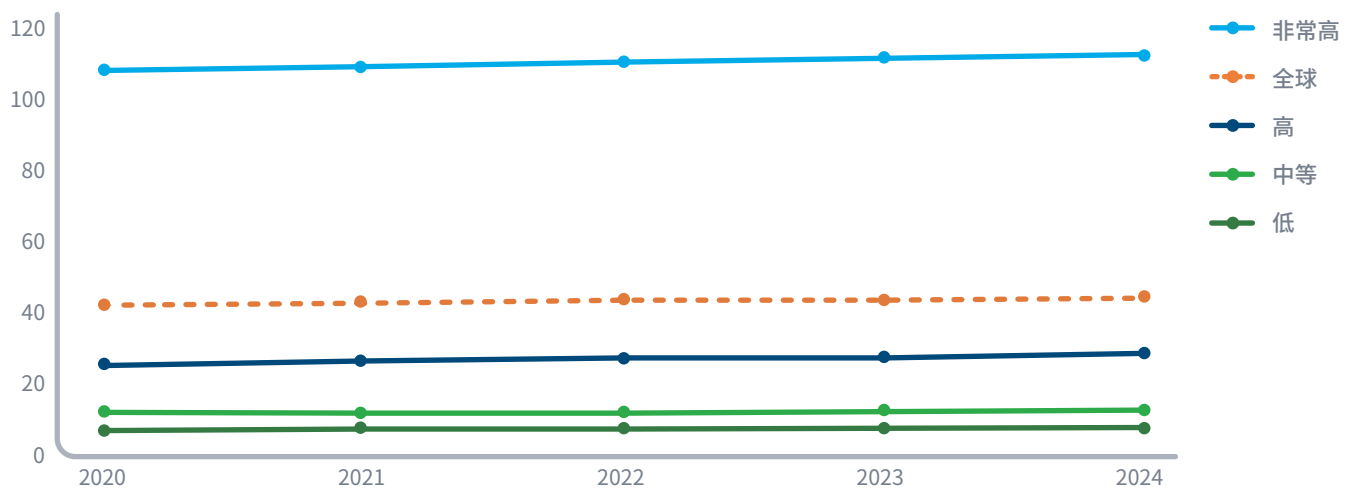
人数从6.5亿增加到13亿。在30-79岁高血压患者中，就有54%被诊断出患有高血压，42%正在接受治疗，仅21%被认为高血压得到了控制。

高血压的诊断和治疗不足尤其令人担忧，其诊断过程简单且费用低廉，并且有许多低成本且有效的仿制药可以治疗高血压，但很少有国家能够有效地进行这些治疗。WHO 的《全球高血压报告》指出，如果将全球高血压控制率提高到50%，可以在2023至2050年间预防7600万例死亡。治疗高血压是实现SDG的最重要措施之一，可将主要非传染性疾病导致的过早死亡率减少三分之一。

自WHO《基本药物清单》创立以来，抗高血压药物一直是其中的主要药物，并且被认为是慢病管理的关键。然而，这些药物在全球的使用存在巨大差异。例如，根据IQVIA MIDAS数据库对药品销售的追踪，2024年全球人均使用高血压药物的平均值为45个限定每日剂量（DDD）。然而，这一数值在“人类发展指数”（HDI）非常高的国家为每人114个DDD，而在HDI较低的国家则为每人8个DDD。（图5）

自2020年以来，低HDI国家的抗高血压药物使用量增加了15%，几乎是所有国家平均增幅的三倍。然而差距依然显著，对公共卫生的影响仍在持续。低收入和中等收入国家的复方抗高血压药物使用量相对于非复方药物有所增加，这可能是由于复方药物在提高依从性和效果方面更具优势，但其使用量仍远低于高收入国家。

图5：2020-2024年按HDI划分的人均高血压药物DDD



数据来源：IQVIA MIDAS, Jun 2024; United Nations Development Programme, Mar 2024; IQVIA Institute, Jan 2025.

实现抗高血压药物的适当使用将是全球医疗健康的一大进步，并且是全球公共卫生利益相关方的共同目标。保持对其重要性的认识，并确保高水平的诊断和低成本治疗药物的可用性将继续是优先事项。将高效的高血压治疗带给患者只是众多慢性病中的一个例子，在这些慢性病中，为患者提供合适的药物仍然是全球性的挑战，而逐年取得的进展可以作为患者医疗健康提升的成功标志。

6. 向“上游”推进疾病拦截

在过去十年中，“疾病拦截”的概念在医学科学中逐渐兴起。疾病拦截是指疾病已经开始但尚无临床表现的情况，如果不进行干预，疾病将发展为全面的疾病。在这种情况下，有一个明确的拦截机会窗口，并且干预措施是高度个性化的，而不像初级或次级预防那样广泛应用于整个群体。这一概念在癌症和神经退行性疾病等广泛的病症中具有相关性，因为从初始的无症状信号到临床表现的疾病，治疗窗口可能存在显著差异。疾病拦截与初级预防明显不同，初级预防可能涉及一般的疾病暴露风险，但没有个体治疗的窗口。

在患者出现症状之前进行疾病拦截的目标非常有前景，几乎是革命性的。通过在疾病进展的“上游”进行干预，有可能在疾病升级之前根除或阻止其发展，从而减轻患者和医护人员的治疗负担，并减少医疗系统和社会的成本。(图6)

图6：重新思考疾病进展和拦截作用



数据来源：IQVIA Institute, Jan 2025.

然而，也需要考虑社会和伦理问题。例如，如果对某些疾病的易感性有了了解，但干预机会有限，这就引发了关于了解这种信息价值的问题。疾病拦截的思路与支持“健康”策略的趋势是一致的，而不是依赖个性化医学和基因组技术的“疾病”策略，在这种策略中，疾病干预是基于对患者独特生物学、基因特征和人类状况的分析。

疾病拦截也被应用于英国迄今为止最大的流行病学研究，涉及500万人，约占总人口的十分之一。该项目名为“我们的未来健康”，旨在发现和测试更有效的预防、早期检测和治疗疾病的方法。它计划收集和链接多个与健康相关的信息来源，包括基因数据，覆盖一个真正能反映英国人口的500万人样本群体。

应对慢性病发病率的上升需要理解这些疾病的根本原因，将研究重点放在诊断和治疗上，以便更早地拦截疾病。借助新兴的AI应用，这一领域显示出巨大的进步潜力，将有利于全球医疗健康，包括发病率特别高的低收入和中等收入国家。

近年来，关于疾病拦截的研究，无论是针对特定疾病还是一般性研究，都在稳步增加，尽管仍是一个较小的健康研究领域。PubMed 报告称，2024年有124篇相关论文发表，而2019年为47篇。未来几年，随着这一领域研究数量的指数级增长，将成为推动全球健康进步的一个重要指标。

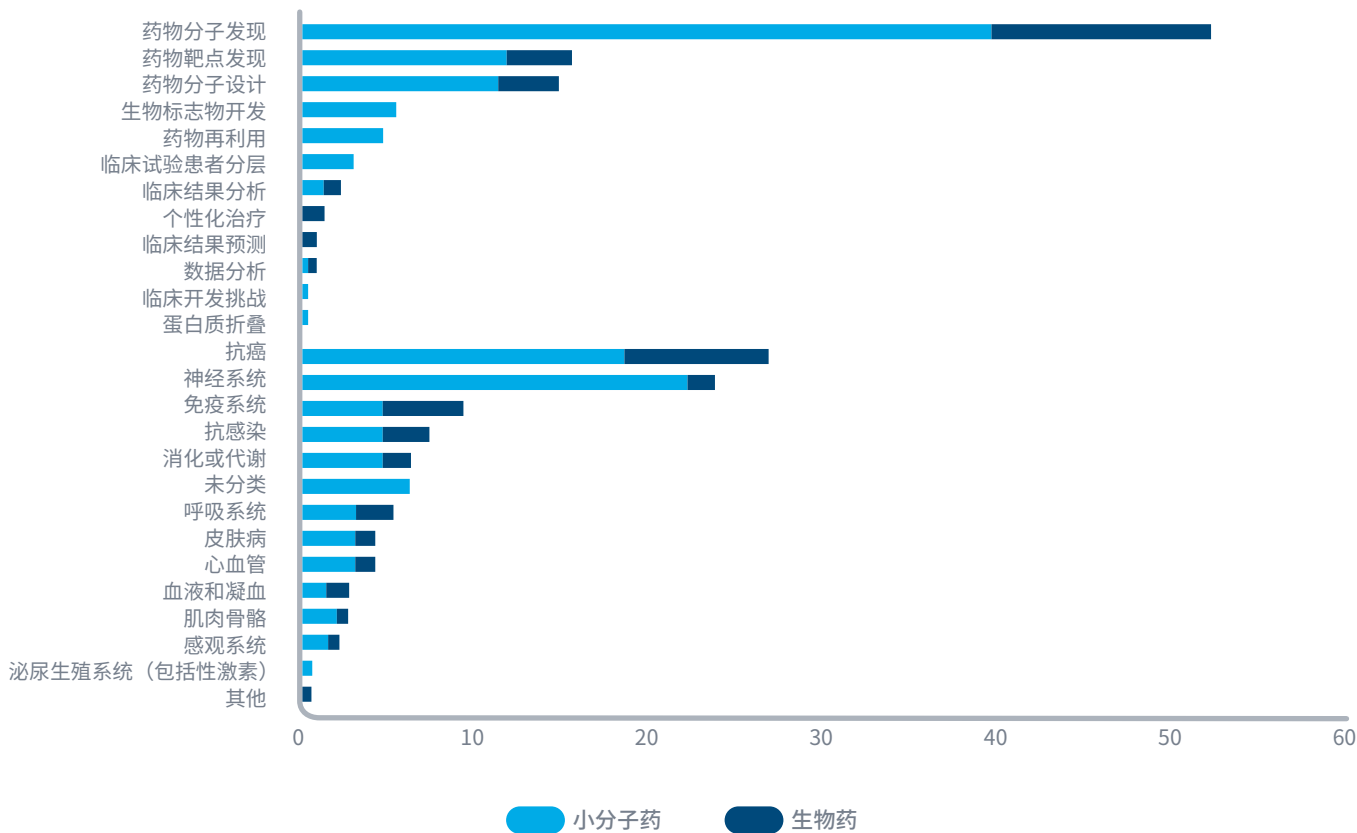
7. 推进人工智能在药物开发中的应用

AI有望彻底改变医疗健康的各个方面，尤其是药物发现和开发，具有多维度的潜在应用，包括蛋白质折叠、药物靶点识别、药物分子发现和设计、使用人类细胞的数字孪生体评估新药候选物的反应、生物标志物识别、药物再利用、临床试验患者分层、临床结果分析等多个领域。

最近一项针对在研和获批药物横断面的研究发现，AI在164种在研药物和一种已获批药物的开发中被使用。最常见的应用是机器学习(28%)和深度学习(17%)。AI被用于12种不同的目的，最常见的是药物分子发现(76%)。总体而言，AI在药物开发中的应用主要集中在早期阶段，尤其是抗癌和神经治疗领域(图7)。

AI在小分子药物中的应用比在生物药中更为常见。这反映了一个挑战，即生物药开发中的可用数据在本质上与小分子化学品的数据有根本差异。一部分与定义生物终点的相关性和为ML模型提供有意义标签的困难有关；同时，另一部分与我们目前对复杂生物系统的基本性质缺乏理解有关。

图7：人工智能的使用目的



数据来源：Druedahl LC, Price WN, Minssen T, Sarpatwari A. Use of Artificial Intelligence in Drug Development. JAMA Netw Open. 2024;7(5):e2414139. doi:10.1001/jamanetworkopen.2024.14139.

在许多情况下，由于生物变异、标签依赖于精确的检测设置、标签之间的相互依赖性以及命名方案的不一致等原因，很难对生命科学数据进行标记。导致药物开发过程中应用AI极具挑战性。只有当研究人员能够在体内测量和捕捉相关的生物终点时，AI才能显著推进该过程，并有效地应用当前可用的计算算法，提高化合物在临床中的疗效和安全性。

尽管AI在药物开发中的应用正在扩大，但AI辅助药物的监管批准进展较慢，全球应用程度各不相同。美国、欧洲、中国、巴西和日本的监管机构已加大力度，创建框架、指南和流程，以审查和监管AI在药物开发和批准中的应用。这些努力面临许多挑战，包括数据质量和可靠性、技术限制、人才短缺和缺乏标准。

在未来一年，药物发现和研发中应用AI的程度将增加，监管机构也将进一步提供指导。这些进展为全球医疗健康带来了巨大希望，因为更多针对罕见病或其他重大未满足领域的疗法将从研发管线中涌现，并满足监管要求获得批准。

更多信息，敬请垂询

Danning Luan

IQVIA艾昆纬中国管理咨询和市场洞察业务咨询顾问

danning.luan@iqvia.com

2025年制药与生物技术行业的安全与监管合规性趋势及预测

导读

随着药品安全和监管合规环境不断发展以适应更复杂的治疗法，药品赞助商正在考虑如何应对日益增长的全球需求、不断变化的患者需求以及包括人工智能在内的大量新技术蓬勃发展带来的机遇。虽然在短期内应对这些同时发生的转变可能会让人应接不暇；但从长远来看，改进的技术整合将有助于开发更多以患者为中心的解决方案，同时有助于从容应对越来越多的患者和医疗保健提供者的质询需求。当回顾目前所采取的方式方法时，不妨想一想可以通过哪些创新技术和举措来缓解资源方面的压力，同时改进现有的工作流程。

最近，艾昆纬主办了一次网络研讨会，专家小组讨论了药物警戒 (PV)、医学信息 (MI) 和生命周期管理 (LCM) 领域的最新进展。本白皮书将从安全性、监管和技术这三个维度，展望预测以上三大主题在 2025 年可能出现的发展变化。

专家小组成员：



PATRICK BRADY, PharmD
Global Head, Therapeutic Innovation
& Regulatory Science,
IQVIA



MARCELA MIÑO
Global Head, Lifecycle Management
& Regulatory Affairs,
IQVIA



SIMON JOHNS
Director, Medical Information
and Marketed Product Safety,
IQVIA



SABIKA RIZVI, Ph.D.
Director, Aggregate Reporting &
Benefit Risk Management Services,
IQVIA



ANA PEDRO JESUÍNO
Associate Director,
Marketed Product Safety,
IQVIA

2024年，您所在的专业领域有哪些让人惊叹的发展？

SABIKA RIZVI: 2024 年对于药物安全服务领域，尤其是细分领域的安全服务，如定期汇总报告撰写、文献以及声明管理服务来说是极具变化的一年。我们惊讶地发现，这类服务请求的需求激增，尤其是本地文献检索、本地汇总报告撰写以及本地风险管理这三个方面。过去，考虑到这类工作的复杂性，此类活动的外包服务一直受到限制。然而，在高成本压力和全球经济环境变化的背景下，赞助商现在正在寻找更具成本效益的解决方案，以管理高质量和合规性更高的区域 PV 服务。

对于这些细分领域，考虑到技术复杂性和对人工专业知识及医学判断的高度依赖，人们往往对新技术的尝试持犹豫态度。但 2024 年，我们观察到赞助商开始要求使用先进的技术平台，通过技术来驱动低成本且可靠的解决方案。

SIMON JOHNS: 我们观察到，从医疗保健者、患者和消费者的角度来看，后疫情时代对医学信息 (MI) 的影响持续存在，通过数字渠道以自助服务模式获取医学信息的趋势显著增加。此外，我们看到制药公司将医学信息视为其唯一剩余的内向沟通渠道。因此，医学信息接收到的质询范围更广、数量更多。

ANA PEDRO JESUÍNO: 整体而言，我们惊叹于技术整合的速度。把技术引入 PV 领域，有助于整合真实世界数据，不仅能确保数据更加精准，而且还为如何在整个制药行业更加广泛地利用相关技术以应对各种复杂的变化开创了先例。现在，我们不仅可以更加深入地理解收到的数据，还可以更加快速地收集和分析更多信息。

PATRICK BRADY: 2024 年，FDA 与不同的利益相关方召开了临床试验创新工作研讨会。他们启动了 CDER 临床试验创新中心 (C3TI)，并且发布了产品开发主协议指导草案。EMA 目前正在通过“加快欧盟临床试验”计划来鼓励临床试验创新。已有诸多利益相关方都参与其中，EMA 在“如何使欧洲成为富有吸引力的临床研究环境？”这一问题上发挥了领导作用。令人鼓舞的是，各地的监管机构纷纷采取措施吸引临床研究。

在创新方面，生成式人工智能（GenAI）显然是现在该领域最热门的话题之一。您认为AI在2025年将扮演一个什么样的角色？

JOHNS: 2025年在MI领域，AI将继续增强而不是取代人与人之间的互动。AI的技术优势将用于提高生产效率以及改善客户参与度。例如：我们可能会收到大量低复杂度的MI质询问题。这时如果借助AI，不仅可以让人工专员专注于处理更加复杂的质询，还可以提高客户参与度。

MARCELA MIÑO: 我发现，上市后的三大重要领域呈现出一个明显的趋势。首先，全球范围内获取监管情报，这一点对于维持有效许可证而言至关重要，实时了解监管要求的变化可以确保持续合规。其次是文档编写自动化，某些技术已经可以实现这一功能，该趋势在2025年将持续。第三个方面则是战略规划。AI将有助于整个产品组合的实时状态更新，从而更快地做出决策，并高效地规划上市后的变化。医学事务专员通过简易的程序可确定向卫生当局提交申请的最佳方式。

BRADY: 已有多家监管机构发表了数篇论文，就AI在药物开发领域中的应用展开讨论。

令人鼓舞的是，监管机构认可并接受在药物开发各个阶段运用AI。赞助商和制药公司必须密切关注监管框架的发展变化，这一点十分重要。

有监管机构表示，他们愿意采取基于风险的方法。比如考虑在药物开发的整个生命周期中运用AI，某些在早期阶段的应用（如用AI筛选药物库或靶点），监管机构对这部分AI使用的监管兴趣较小。基于风险的方法在药物开发接近患者阶段时将发挥较大作用，例如使用AI进行患者识别、诊断、安全筛查或制定治疗建议。

可采取基于风险的方法、仔细考量监管透明度或可解释性，并寻找机会与监管机构会面，沟通AI在药物开发过程中的使用。

PEDRO JESUÍNO: 如果说2024年是AI的成长之年，那么2025年我们将看到AI逐渐走向成熟。AI在PV方面的应用将持续演变和扩展，包括更多的AI自动化和集成化。预计PV系统在提高AI的数字化程度的同时还将探索机器学习的潜力。这可以应用于PV案例处理，通过自动化处理所收集到的数据并将不良事件自动生成报告，这样可最大限度减少人为失误，同时可以实现更准确、更及时地报告。

此外，我们还可通过与患者在安全方面的互动以及与医务人员在报告方面的互动，拉近与患者的距离。我们希望以

精简的方式来运用这些工具，从而使患者更接近我们。一旦患者能够使用这些MI工具，报告方可实时获取此类信息。

RIZVI: 在PV和安全模式研究方面，AI已经开始发挥关键作用。AI有助于精简运营流程、降低成本，同时提高运营效率。目前，AI正被用于光学字符识别(OCR)，它不仅自动输入字符，还可以省却人工操作。神经网络机器翻译(NMT)不仅可以降低全球案例处理成本，而且还可以快速翻译文献案例。自然语言处理(NLP)则可以更加快速地查阅摘要信息和文本正文。

目前，人们正逐渐利用新技术和AI改进LCM流程。这将对新药临床前研究中的化学、生产和控制过程(CMC)的准备工作提交程序产生哪些影响？

MIÑO: AI将从一开始就对CMC变更流程产生影响。所有严格遵循生产规范和文档规范的制药公司只需出具一份名为“变更控制”的文件即可启动CMC变更流程。该文件旨在评估拟议变更事项的影响。对于监管员而言，评估变更控制事项非常耗时，因为他们可能需要评估这些变更对全球多个许可证的影响。而AI可大大缩短评估时间，从而形成有效的提交策略。我们可以确定是否应当把拟议的变更事项提交给卫生当局，确定卫生当局对同一款产品的评估是否还存在其他任何变更事项，以及确定相关代理费用和提交流程所涉及的总体成本。此外，AI不仅可以自动收集特定国家的相关要求，还可以编写需要提交的相关文档，由此缩短操作周期，加快推进有效实施CMC变更的时间框架。

2025年，全球监管机构将朝着提交流程协调化迈进，对此您怎么看？此举可能对新兴市场加快审批流程产生怎样的影响？

BRADY: 目前，有几项举措将会影响到未来文件提交的处理方式。正如Accumulux项目和FDA的上市许可后快速免疫安全监测系统(PRISM)所反映的那样：信息的动态交换正在向使用云技术的方向发展。尽管需要具备某些条件才能确保对数据和知识产权加以保护，但我们正朝着更多基于云技术的监管提交和互动这一方向发展，此类技术的发展进步可以让我们在整个产品开发过程中以及在整个LCM过程中实时交换信息。

在协调性方面，更多监管机构加入了ICH并采用电子通用技术文件(eCTD)。这非常有助于我们采取一种更加协调的方式提交监管资料以及与监管机构进行互动。

制药公司可以采取哪些措施更好地调整运营，以便符合不断变化的地方监管要求？在确保符合不同地区的合规性要求方面，本地药物警戒负责人(QPPV)将发挥怎样的作用？

PEDRO JESUÍNO: 本地QPPV在确保公司符合本地要求的同时也在遵循全球流程方面发挥关键作用。本地QPPV必须了解如何把这些合规预期整合到本地报告要求中。当确定如何将技术和效率引入数据收集方法和安全监测协议时，制药公司应当依靠本地QPPV的专业知识来符合全球、本地或区域层面所有的监管标准。国际化的制药公司应当支持本地QPPV与监管机构保持联络并建立联系。

目前，您采用了哪些技术创新举措来加强跨团队之间的协作？

RIZVI: 艾昆纬通过采用并实施一流的技术来加强团队之间的协作。我们充分发挥团队成员的专业知识与技术之间的智能平衡作用，尤其是在依赖人工干预和医疗判断的职能部门中。由于源数据在不同的职能部门之间会出现差异，因此，若要实现高品质的交付成果，跨职能部门之间的相互配合至关重要。

我们通过一个电子平台，使不同利益相关者之间的输入和接触点无缝连接。专业服务自动化为不同职能部门管理核心业务流程提供便捷，从而促进综合项目管理、监督和运营。我们还通过多个非常强大的文档协作平台实现协同输入、审阅和批准文档。当涉及到安全和监管方面的跨职能协作时，我们的监管情报数据库就会应监管要求和区域要求，提供一个性能强大且全面的一站式综合平台，以减少人工操作。

您认为制药公司将会如何利用全渠道系统，特别是在 MI 管理方面？在 AI 驱动型平台、呼叫中心和数字渠道中保持合规性，可能会面临哪些挑战？

JOHNS: 我认为全渠道系统帮助制药公司为客户（包括医护人员、患者和消费者）提供了多种可选择的方案。确保向客户提供符合其具体需求、以客户为中心的解决方案（其中包括便于客户接触 MI 的时间点）。全渠道不仅有助于提高互动，而且可以确保解决方案（质询满意度）符合每一位客户的具体要求。

在通过实施AI解决方案来保持合规性的挑战方面，我们必须提前准备好适当的防护措施，以确保AI只访问制药公司批准的内容，并对AI生成的任何提示性回复进行控制。要做到这一点，就必须保持人工监督，并确保经批准的回复符合制药公司和监管部门的要求，这可以降低AI搜索未经批准的

内容和从未经批准的互联网来源提供信息的风险。此外，必须以符合数据隐私的方式处理与质询相关的任何机密信息。

针对获批后的相关工作，您认为2025年AI和数据分析将如何推动获批后的LCM工作，比如注册续期和标签变更？

MIÑO: 在对比、起草和实施标签变更事项时运用新技术和AI，可节省时间和成本以及减少人为失误。上市后，AI还可以根据最新的监管指南，协助我们审阅宣传资料。

您认为2025年监管机构是否会在AI运用方面制定更加严格的指导政策？

BRADY: FDA已公开谈论在药物开发过程中运用AI，并且还谈到了在药物安全领域中运用AI。我们看到有监管机构提出了初步预期，这些初步预期往往是监管机构出台指导政策的前奏。至于针对药物开发及整个生命周期过程中运用AI而出台相关的指导政策，我估计他们将利用基于风险的方法以及围绕透明度和可解释性来制定的政策有关。

始终符合监管政策并非易事，我们看到许多组织通过选择合作伙伴来减轻这一负担。您认为2025年应如何来实现这一目标？

PEDRO JESUÍNO: 合格的合作伙伴应提供结合人类专业知识和综合技术平台的PV服务，从而更加便捷地收集信息进行案例处理。这包括AI、机器学习和自然语言处理。这些技术有助于加强数据处理、信号检测和风险管理，并为风险管理工具提供有价值的输入，从而更加有效地对PV系统进行管理。合作伙伴则应当能够根据每家制药公司的具体需求来定制解决方案并且能够预测监管更新可能引发的各种变化。

更多信息，敬请垂询

Tom Wu

IQVIA艾昆纬亚太区数据科学及统计、药物警戒、医学撰写总监

tom.wu@iqvia.com

Mona Zhao

IQVIA艾昆纬药物警戒部项目管理团队副总监

mona.zhao@iqvia.com

Fangli Shu

IQVIA艾昆纬药物警戒部安全运营副总监

fangli.shu@iqvia.com

关于 IQVIA

IQVIA 艾昆纬 (纽交所代码: IQV) 是全球领先的临床研究服务、商业洞察和医疗健康智能解决方案提供商, 专注于为生命科学和医疗健康行业提供服务。

IQVIA Connected Intelligence™ 以高质量的医疗健康数据、高级分析、前沿技术和广泛的专业领域知识以及IQVIA医疗级人工智能为基础, 连接医疗生态的各个环节。IQVIA拥有约88,000名员工, 包含医疗健康、生命科学、数据科学、数字化和卓越运营等各领域专家, 足迹遍布100多个国家和地区, 助力客户加速创新医疗的临床开发和商业化进程, 以更好的医疗成果惠及患者。

IQVIA 致力于保护全球患者个人隐私, 通过多元化隐私增强技术和保障措施, 以及大数据分析信息, 帮助医疗健康行业利益相关方识别疾病模式, 有效开展精准疗法, 改善治疗效果。IQVIA的洞察和执行能力能够帮助生物科技公司、医疗器械和制药公司、医学研究者、政府机构、支付方以及其他医疗利益相关方深入了解疾病、人类行为和科技进步, 共同朝着治愈各类疾病的方向迈进。

敬请关注
IQVIA艾昆纬
官方微信



扫一扫
关注IQVIA艾昆纬
视频号



更多详情, 请登录官网www.IQVIA.com查询

IQVIA 艾昆纬中国

上海

艾昆纬医药科技(上海)有限公司

上海市浦东新区耀龙路1359号
晶耀商务广场1幢9楼
+86 21 2422 8888

艾昆纬企业管理咨询(上海)有限公司

上海市浦东新区耀龙路1359号
晶耀商务广场1幢9楼
+86 21 3325 2288

北京

艾昆纬医药科技(上海)有限公司北京分公司

北京市朝阳区建国门外大街乙12号
汇京双子座西塔8层
+86 10 89197599

艾昆纬企业管理咨询(上海)有限公司北京分公司

北京市朝阳区建国门外大街乙12号
汇京双子座西塔8层
+86 10 89197599

大连

艾昆纬医药发展(大连)有限公司

辽宁省大连市高新技术产业园区
汇贤园1号楼10层10-02/04
+86 411 8498 8188

广州

艾昆纬医药科技(上海)有限公司广州分公司

广东省广州市越秀区越华路112号
珠江国际大厦4401-4403
+86 20 2829 5799

