



## 解决全球药品短缺及儿童用药安全和可及性问题

### 秘书处的报告

1. 近年来，有记录显示世界大多数地区越来越频繁地面临基本药物短缺。这些短缺药物的共同特点是，它们大多使用时间较长，无专利或难于配制，有严格规定的保存期，或只有很少或唯一的制造商<sup>1</sup>。可注射产品面临短缺的风险尤其大。已经有多项研究对数个国家药品短缺的原因进行了调研，研究认为最主要的可能原因包括：原材料难以获得、生产问题、妨碍竞争、商业决策、新技术的影响、药品价格昂贵、市场零散等。

2. 这些原因与供应系统的特点共同作用，使生产的中断更为恶化。关于实际需求的可获得的数据显然很少，数据质量较差；采购和供应链管理不当，加之大额招标合同未充分定义质量标准，仅单方面强调要获得最低价格；生产商的利润率太低等，所有上述因素都可以导致药品短缺。例如苜星青霉素由于生产和产品质量问题、缺少稳定需求、适应症减少和价格相对较低等问题，数年来经常面临短缺问题<sup>2</sup>。

3. 儿童药物也处于短缺中。许多监管机关的监管能力有限，不能保证儿童药物质量，并且有时药物还不在于儿童中进行临床试验，诊断儿童罕见疾病的能力也存在问题。例如儿童内分泌紊乱在确诊后，可以通过一小组基本药物有效治疗，但这组基本药物大多数是非专利药物，并看来正面临全球短缺。

### 短缺的后果

4. 短缺的负面影响包括不能满足处方要求、处方质量差和药品使用不当。其结果是导致不良健康结局，例如已有证据显示，由于缺少癌症治疗以及在无一线药物时抗生素使用不当造成儿童死亡。二线和三线药物使用不当会引起耐药、治疗方案受到限制及推

<sup>1</sup> Gehrett BK. 给药品短缺开处方。《美国医学会杂志》。2012;307:153-154. doi:10.1001/jama.2011.2000。

<sup>2</sup> Wyber R, Taubert K, Marko S, Kaplan EL. 风湿性心脏病管理中的苜星青霉素 G: 有关干预和改善的质量、可及性和机会的关切。《全球心脏》杂志。2013;8:227-234 DOI: <http://dx.doi.org/10.1016/j.gheart.2013.08.011> (2015 年 12 月 7 日访问)。

高治疗费用。治疗不足和未能提供治疗引起的全球负担仍不清楚；但由于药品短缺呈上升趋势，加上药品的不当使用，使得药品短缺问题变得更加复杂和难以解决。在药品短缺的同时，还有关于劣质、标签不当、伪造和假冒医疗产品进入供应链的报告，这会危害患者健康。

5. 高收入、中等收入和低收入国家都可能由于不同的原因引起供应链相关短缺，但产品的支付系统在任何背景下都可能引发问题。由于支付结构或系统的改变，而刺激使用高价产品，还可能导致低价替代治疗的短缺。刻板、冗长或不充分的招标过程也会助长药品短缺，但可以设法限制独家投标的供应风险（例如处罚不供药行为），还需要通过研究来确定在不同背景下这些策略在缓解短缺上能发挥多大效果。

## 国家限制短缺的方法

6. 现已尝试过数项策略来避免和减少短缺。在专门规划内部和高收入国家的国家层面已建立多个报告系统。例如，欧盟成员国的生产商有义务提前告知卫生当局可能会出现短缺情况。综合使用通报系统和系统监管、报销办法，并有系统地临床使用供应不足的产品，可能会对卫生系统有利。目前尚不明确强制性与自愿性的通报孰优孰劣，以及应由谁担任通报任务，而对于监管能力和信息系统都较薄弱的国家来说能否应用这些方法仍是个问题。

7. 还可通过其它方法管理严重短缺，预防未来短缺和减少短缺对于向病人提供医疗服务的影响，具体包括：使用在线信息系统为直接向卫生当局报告短缺信息提供便利；协调生产方；在某些情况下，使用特殊流程进行市场授权。还有一些国家开展了鼓励生产和注册供应不足药物的非专利药的活动。

8. 可调研和探索全球审查单个药品供应情况通报信息的汇总和分享机制。药品供应是跨国业务，为了供应到位而建立综合评估系统并在将来建立全球监测系统，可以帮助提前预测和发现短缺，并帮助建立联合快速应对机制，鼓励国家、国际社会和其它相关利益攸关方合作开展联合快速应对工作。

9. 采取定价干预措施也能减少短缺。在澳大利亚，生产商可以要求在市场有限的情况下将产品价格定得更高。<sup>1</sup>美国的肿瘤产品价格根据2003年《医疗保健处方药、改进和现代化法案》降低之后，有人建议设定一些产品的最低价，来促进肿瘤产品供应情况的改善和持续供应。

---

<sup>1</sup> 参见澳大利亚政府卫生部，药品福利计划，<http://www.pbs.gov.au/info/industry/pricing/pbs-items/fact-sheet-requesting-a-change-to-an-existing-price>（2015年12月7日访问）。

10. 制定积极主动的策略，采取行动确认和维持对卫生保健至关重要且易于短缺的药品的供应非常重要。鼓励非专利药生产商生产符合利益的药物，作为通常改善药品供应的市场方法，在降低价格和增加可负担性上显示了巨大的优越性。过于低廉的价格可能导致生产商撤离市场，而供替代的新产品的过高价格可能让这些新产品获得优先供应，从而导致市场中重要且价格低廉的药品量下降。限制竞争也会导致供应问题。

## 新的降低短缺风险战略

11. 在全球层面，可以查明已报告短缺或存在短缺风险的一组基本药物，并对如何达成确保持续生产和供应的国际协议进行调研。例如，如果不使用甲氨蝶呤，对许多肿瘤和免疫状况的成功治疗就会受到严重影响，但有报告称该产品供应不足。一般国际协议要解决的问题包括：能否作出一份多年度的全球预先购买承诺？达成一致且具有商业吸引力的全球最低价是否有利于将药物保留在市场上？如何确定这一价格？

## 儿童药物

12. 2007 年卫生大会通过了关于更合适的儿童药物的 WHA60.20 号决议，要求秘书处引入该主题新的工作规划。其结果包括建立世卫组织儿童基本药物标准清单（于 2015 年 4 月更新），制定儿童药物全球标准配方，通过世卫组织国际临床试验注册平台确认儿童临床试验，公布一些儿童药物价格信息，明确遗漏药品，比如包含一定剂量治疗儿童结核成分的固定剂量复合制剂。

13. 世卫组织及其伙伴成功应对了儿童结核治疗药物短缺。随着 2010 年结核治疗指南的改版，制药业以申报试验成本问题、市场小和对市场知之甚少等为理由，不愿投资和重新开发治疗儿童结核的药物。国际药品采购机制（UNITAID）的终结儿童结核加速治疗项目（STEP TB）为降低风险投资了相关试验，并与生产商合作保证按规定申报。该项目还与结核病负担较重的国家和主要采购方合作，来改善确认实际需求的能力。

14. 每种产品（或一组相似产品）的短缺都是不同原因导致的，要改正相关原因需要采取具体且有针对性的干预措施。包括乙型和丙型肝炎、疟疾在内的其它儿童产品也被列入世卫组织艾滋病/艾滋病毒资格预审规划的感兴趣问题，同时会继续实施干预措施来保证从生产到国家供应链全过程药物的可获得性。

15. 儿科药品监管者网络是为了促进监管机关合作监管儿童药物而成立的。一些高收入国家已经制定儿童药物相关法律来完善和促进适用产品开发，但低收入和中等收入国家

还没有制定类似法律。该网络的继续发展，以及继续为各国妥善监管儿童药物和鼓励研发提供相关能力建设支持仍有其价值。

16. 儿童药物与同类成人药物相比价格普遍更高。在某种程度上，这一价格差别可能是儿童药物特殊剂型的更高开发成本和需要进行更多临床试验造成的。为了更深入了解研发成本，需要就如何建立公平和可负担的儿童药物价格开展建设性对话。

17. 了解药物开发成本对罕见和遗传性的儿童疾病（通常被归类为罕见病）特别重要。许多针对遗传疾病的新型有效产品正逐渐上市，但价格极为昂贵。另外，在根据全球疾病负担确定真正的罕见病与监管机关为激励生产商研发和生产而确定罕见病之间，仍存在一定程度上的混淆。有一些证据证明这些激励已被利用，导致高价格和可及性问题。国家是否要把这些产品作为医疗保险方案的可获得产品，对药品预算的影响非常大。

18. 总之，许多药物的市场需求可能需要更积极的管理。现在只有有限的数据用于指导许多儿童疾病药物的生产和采购决策。同时，卫生保健工作人员通过临时制备来提供有效的医疗服务虽然可短期内解决问题，但可能由于产品质量差而存在风险。卫生保健工作者可能对儿童药物可获得性和价值的预期和信心有限，因此不鼓励使用这些药物。

### **努力建立系统化方法来预防和管理基本药物短缺**

19. 一些可选行动可能会全面或具体地缓解儿童药物短缺问题。具体如下：

- (a) 实行全球化的通报系统和应对机制；
- (b) 适当评估以确定存在风险的产品；
- (c) 商定减少具体短缺的全球行动协议；
- (d) 就易短缺基本药物扩大监管合作；
- (e) 包括确定最低数量和公平价格等内容的保存易短缺基本药物的集中谈判；
- (f) 分析和理解罕见儿童疾病药物的研发成本；
- (g) 扩大儿科药品监管者网络的活动，以促进适当立法，增强监管策略和能力及儿童药物监测等；

(h) 继续促进对所有年龄儿童符合伦理和适宜的临床试验；

(i) 与伙伴合作确保包括罕见病药物在内的儿童药物的适当需求。

20. 为了实现可持续发展目标 3（让不同年龄段的所有人都过上健康的生活，促进他们的福祉）中药物可及性的相关具体目标，以及为完成千年发展目标的未完成议程，需要对本报告所描述的因素采取协同行动。继续以零敲碎打的方式处理短缺问题，特别是市场因素引起的短缺问题，会大大限制实现公平获得基本药物的能力；需要采取更积极的全球范围的行动来构建基本药物市场。

### **执行委员会的行动**

21. 请执委会注意本报告。

= = =