

国家药品监督管理局药品审评中心 海南省药品监督管理局 海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区管理局 开展药品真实世界研究工作实施办法

根据 2019 年海南省人民政府办公厅和国家药品监督管理局综合司制定《海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区真实世界数据应用试点工作实施方案》，为扎实推进海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区的药品真实世界数据应用试点工作（以下简称药品真实世界研究），建立顺畅的药品真实世界研究沟通协调机制，经研究，国家药品监督管理局药品审评中心（以下简称药审中心）、海南省药品监督管理局（以下简称海南省局）和海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区管理局（以下简称乐城局）共同修订本实施办法。

一、各方职责

（一）药审中心成立试点品种沟通交流工作组。负责组织协调真实世界研究和注册申报有关技术问题的沟通交流，与海南省局对接相关工作、提供技术支持等事项。

（二）海南省局成立内部工作专班。负责对申请试点品种研究方案进行初审，对真实世界研究及注册申报有关技术问题与药审中心沟通，答复申请人相关咨询问题，组织召开沟通交流会议，督促申请人开展研究和落实有关要求等，在官方网站开设相关专栏和沟通窗口，收集、汇总、发布问题

汇编。

（三）乐城局成立内部工作专班。负责协助海南省局收集试点品种申请人提出的问题、召开沟通交流会、督促申请人开展研究和落实有关要求等。在申请人申报前协助申请人向海南省局咨询有关技术方面问题，并提供有关服务，在官方网站开设相关服务专栏。

二、申报试点程序

（一）申请。获批在乐城医疗机构使用的临床急需进口药品，其持有人或经持有人授权的代理人有意愿在乐城开展药品真实世界研究试点，并有注册申报目的的，按照确定的标准和格式，向海南省局或乐城局提交申请和方案，乐城局收到申请人的申请和方案应及时报送海南省局。

（二）初审。海南省局组织技术审评部门对申请人申报方案进行初步审核，符合初审相关要求的报药审中心，不符合要求的退回申请人。初步审核工作一般在收到方案之日起15个工作日内完成。

（三）审核。药审中心对海南省局报送的申请人申报方案及时组织研究，一般在收到方案之日起30个工作日内完成审核，将意见反馈海南省局。

（四）纳入试点。经药审中心审核符合要求的，海南省局书面通知申请人纳入试点。

（五）开展研究。申请人按经审核同意的试点方案开展

药品真实世界研究，海南省局对申请人开展情况进行督促和监督检查。在检查中发现涉及真实性问题的，海南省局应立即调查和处理，并将相关情况及时报告药审中心。如方案关键要素有重大变更的，申请人应及时提出沟通交流申请。

（六）申报注册。申请人完成药品真实世界研究后，向药审中心提出沟通交流申请，双方就研究结果达成共识后申报注册。

（七）审评。药审中心按规定程序、标准开展审评。

三、沟通交流程序

（一）提出申请。申请人可在提交试点方案后、药品真实世界研究开展中、注册申报前、注册审评中，均可填写《沟通交流申请表》，向海南省局提出沟通交流申请。必要时药审中心可主动提出召开沟通交流会议。

（二）审核申请。海南省局对申请人的申请进行审核，海南省局对已经明确的问题可直接答复申请人，并做好沟通交流记录。

（三）转报申请。对于研究方案、注册要求或其他海南省局认为需药审中心指导解答的问题，海南省局汇总整理后以公文形式报送药审中心。

（四）确定沟通交流。药审中心对申请人沟通交流申请进行研究，可以采用公文形式回复海南省局，海南省局及时书面答复申请人。对于不适合公文回复的问题，需要与申请

人进行面对面沟通交流的，通知海南省局组织安排沟通交流会议。

（五）组织沟通交流。海南省局通知申请人召开沟通交流会议，乐城局协助办理有关会务。一般应提前 2 天通知申请人。

（六）研究进度反馈。申请人自药品纳入试点后至获批上市前，每季度向海南省药监局、乐城管理局书面反馈研究情况一次。

四、退出程序

对于以下情形的申请人应退出真实世界研究试点。

1.因非不可抗力原因，申请人在获得同意后超过 3 个月未开展药品真实世界研究工作；或超过 3 个月以上中断研究，且没有继续开展研究的计划；

2.申请人未按经审核的方案开展研究，研究方案有重大变更未及时报告；

3.由于各种情况，原试点方案无法继续执行，又无可替代新方案的；

4.研究数据存在真实性问题；

5.申请人有违反药品管理法律法规行为，药监部门认为有必要退出的情况；

6.申请人主动放弃开展药品真实世界研究工作的。

按以下程序办理退出手续：

（一）存在以上第 1~5 种情形的，由海南省局书面通知申请人退出海南博鳌乐城医疗旅游先行区药品真实世界研究应用试点，并向药审中心书面报告，必要时提前与药审中心沟通。

（二）第 6 种情形，由申请人向海南省局提出书面申请，海南省局书面通知申请人退出药品真实世界研究应用试点，并向药审中心书面报告。

五、保障措施

（一）加强培训。药审中心每年对海南省局和乐城局业务人员培训两次，保证方案初审的水平。药审中心可安排人员来海南授课，也可接收海南省局、乐城局派人员到药审中心进行 5 个工作日以内的短期培训。

（二）加强联络。药审中心、海南省局和乐城局联系人之间保持良好的沟通渠道，及时互通信息，沟通交流工作情况、存在问题及改进建议。

（三）支持沟通交流。药审中心充分发挥技术支持和审核指导作用，对于试点品种相关的沟通交流实行灵活、动态管理。对于海南省局转报的药品真实世界研究相关问题，药审中心及时研究并形成明确的反馈意见。对于药品真实世界研究的沟通交流会议，保证双方沟通交流充分，药审中心视工作需要可协调业内专家共同参会讨论。

（四）加强沟通交流管理。沟通交流工作应当严格遵守

法律法规、工作纪律和廉政纪律，保守国家秘密和申请人的秘密，会议期间不允许录音录像。

（五）总结推进。国家药监局药审中心、海南省药监局、乐城管理局每年召开药品真实世界研究推进会一次，听取试点企业工作汇报，总结试点经验与成果，制定工作计划。

附件

海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区药品真实世界数据 应用试点品种沟通交流申请表

药品名称		剂型	
规格		首次上市国家(年)	
已获批国家/地区		境外获批适应症	
试点品种生产地		海南落地时间	
<p>1、品种概述</p> <p>2、简述已有临床证据：</p> <p>3、在海南落地使用情况：</p> <p>4、拟开展研究设计及样本量：</p> <p>5、真实世界数据来源：</p> <p>6、研究人群：</p> <p>7、对照组：</p> <p>8、主要终点：</p> <p>9、国内相关疾病自然史或流行病史资料：</p> <p>10、拟咨询问题：</p> <p>11、申请人观点及支持性资料*：</p> <p style="text-align: right;">申请人（盖章）：</p> <p style="text-align: right;">日期： 年 月 日</p>			

*相关支持性资料可作为附件。