

## 附件

### 2020 真实世界证据研究和应用交流会议题背景

#### 一、真实世界证据相关法规指南和研究工作的进展情况

目前,国内外药品医疗器械监管机构美国已启动了真实世界证据在监管工作中应用的相关探索。美国 FDA 在《21 世纪治愈法案》的推动下,在 2017-2019 年先后发布了《使用真实世界证据以支持医疗器械监管决策》、《临床研究中使用电子健康档案数据指南》和《真实世界证据计划的框架》、《使用真实世界数据和真实世界证据向 FDA 提交有关药物和生物制剂的文件——工业指南(指导草案)》等文件。2018 年 4 月,加拿大 Health Canada 启动了“加强药品/医疗器械真实世界证据利用”项目,2019 年 4 月发布《明确处方药生命周期真实世界数据/证据质量核心要素》。2015 年 12 月,欧洲 EMA 在其 2020 五年计划中提及利用真实世界数据在药品审评环节等相关内容。

2019 年 4 月,国家药监局启动中国药品监管科学行动计划,把“真实世界数据用于医疗器械临床评价的方法学研究”列为九个首批启动的行动计划项目之一,标志着中国药品医疗器械监管部门正式启动将 RWD/RWE 用于审评审批方面的探索与研究。2019 年 5 月,国家局药审中心起草并发布了《真实世界证据支持药物研发的基本考虑(征求意见稿)》;2019 年 12 月 13 日,国家药监局器审中心组织起草并发布了《真实世界数据用于医疗器械临床评价技术指导原则(征求意见稿)》;2020 年 1 月 7 日,国家局组织制定并发布了《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》。2020 年 5 月 18 日,国家局药审中心起草并发布了《真实世界证据支持儿童药物研发与审评的技术指导原则(征求意见稿)》。2020 年 8 月 3 日,国家局药审中心起草并发布了《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则(征求意见稿)》。

这部分议题,我们计划邀请国内外监管机构专家介绍相关法规与研究工作的背景、要求和进展情况。讲题包括:

- 中国药品监管机构真实世界证据研究相关情况介绍
- 真实世界证据研究在药品审评工作中的相关情况介绍
- 国外监管机构关于真实世界数据和证据应用的情况介绍(美国/欧洲/日本)(远程)

## 二、真实世界数据产生真实世界证据的方法学讨论

从真实世界数据到真实世界证据,从临床设计开始,数据的采集和清洗、数据的统计分析和适用性分析等,以及数据共享和安全伦理等考虑,相关领域的方法学讨论目前已成为热门的学术研究方向。

这部分议题,我们计划邀请学术机构专家介绍相关研究工作的进展与挑战。讲题包括:

- 数据共享平台建设
- 真实世界证据的评价
- 真实世界数据环境建设
- 采用真实世界数据开展观察性研究的设计原则

## 三、真实世界数据/证据的相关探索和实践分享

2019年,国家药品监督管理局与海南省人民政府联合开展海南临床真实世界数据应用试点工作。2020年3月,首个利用海南博鳌乐城真实世界数据进行注册申报的进口医疗器械产品获批上市。

此外,国内外制药工业界在真实世界数据和证据的应用方面,走在探索队伍对前方,在具体产品的研发和申报过程中,相关的实践经验和教训是值得分享与讨论的。

这部分议题,我们计划邀请来自海南博鳌乐城试点工作的专家,和制药业界的专家,分享探索实践过程中获得的经验和挑战。讲题包括:

- 海南博鳌乐城试点工作情况分享

- 使用电子病历（EMR）获取有效性和安全性证据的考虑
- 使用来源于不同国家/地区的真实世界数据产生的真实世界证据用于药品监管的考虑
- RWE 支持上市后研究的应用

#### 四、真实世界证据应用于支持儿童药物研发与审评的相关考虑

2020年5月18日，考虑到我国儿童药物研发及药品注册中的实际需要，及时传递药品监管机构对于新研究理念与方法的考虑，配合ICH E11（R1）指南在我国落地实施，帮助药物研发者和临床研究者更好地理解《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则》在儿童药物研发中的应用，国家局药品审评中心起草并发布了《真实世界证据支持儿童药物研发与审评的技术指导原则（征求意见稿）》。

这部分议题，我们计划邀请来自参与该指导原则起草工作的专家，数据环境建设研究的学者和儿童用药领域的医疗机构专家，介绍该专题的相关内容。讲题包括：

- 《真实世界证据支持儿童药物研发与审评的技术指导原则（征求意见稿）》背景介绍
- 中国儿科临床研究的现状与挑战
- 儿科伦理学及其对临床研究方法学的影响
- 基于真实世界用药数据开展药品再评价
- 儿科临床研究新理念与新技术探讨