

中国 2020—2024 年突破性治疗药物程序使用情况分析

余婷^a, 陈佳玲^a, 朱星月^{a,b*} (贵州医科大学, a.医药卫生管理学院, b.医药经济管理研究中心, 贵州 贵安新区 550025)

摘要: 目的 通过对 2020—2024 年纳入中国突破性治疗药物程序的品种进行特征分析, 了解该程序的使用情况。方法 检索国家药品审评中心发布的 2020 年 1 月至 2024 年 7 月纳入突破性治疗药物品种名单, 进一步通过药物临床试验登记与信息公示平台查找品种临床试验信息, 分析试验特征。**结果** 在 296 个纳入突破性治疗药物程序的品种中, 39.4% 的品种使用非随机化试验, 35.8% 的品种使用单臂设计, 69.1% 的品种采取开放试验, 60.6% 的品种使用替代终点。然而, 47.5% 的品种临床试验处于 III 期, 35.1% 的品种在临床试验开始后才能获得突破性治疗药物资格。**结论** 中国突破性治疗药物程序为具有显著临床价值的药物提供了灵活的临床试验设计, 有助于加速药品研发上市; 但仍然存在程序在研发中介入较晚、申请人申报程序不够及时等问题。

关键词: 突破性治疗程序; 药品加速审评程序; 药物研发

中图分类号: R95 文献标志码: B 文章编号: 1007-7693(2025)10-1698-06

DOI: 10.13748/j.cnki.issn1007-7693.20242523

引用本文: 余婷, 陈佳玲, 朱星月. 中国 2020—2024 年突破性治疗药物程序使用情况分析[J]. 中国现代应用药学, 2025, 42(10): 1698-1703.

Analysis of the Use of Breakthrough Therapy Program in China from 2020 to 2024

YU Ting^a, CHEN Jialing^a, ZHU Xingyue^{a,b*} (Guizhou Medical University, a.School of Medicine and Health Management, b.Center of Medicine Economics and Management Research, Gui'an New Area 550025, China)

ABSTRACT: OBJECTIVE To gain insight into the utilisation of this program by examining the attributes of the drugs included in the breakthrough therapy program in China from 2020 to 2024. **METHODS** The drugs included in the breakthrough therapy program from January 2020 to July 2024 were determined based on the lists issued by the National Center of Drug Evaluation. The information of each drug's clinical trials was collected based on the China Drug Trials Platform, and the trial features were analyzed. **RESULTS** A total of 296 drugs were included in the breakthrough therapy program, of which 39.4% employed non-randomised trials, 35.8% utilised single-arm designs, 69.1% conducted open-label trials, and 60.6% employed surrogate endpoints. Nevertheless, 47.5% of the drugs were in phase III clinical trials, and 35.1% were designated as breakthrough therapy only after the commencement of clinical trials. **CONCLUSION** The Chinese breakthrough therapy program offers flexibility in clinical trial design for drugs with significant clinical value, thereby facilitating the acceleration of the development and launch of medicines. However, there are still concerns that require attention, including the program's delayed involvement in research and development and the applicant's untimely requests for this program.

KEYWORDS: breakthrough therapy program; expedited review program; drug research and development

自 2015 年起, 中国启动药品审评审批制度改革, 以加快创新药品上市, 促进以临床价值为导向的药物研发, 其中重要的改革举措包括设立药品加快上市注册程序。2016 年, 中国设立优先审评程序, 缩短具有临床价值药品的审评时限^[1]; 2017 年, 附条件批准试行, 使新药可以基于早期试验结果提前上市^[2]。进一步地, 为鼓励研究和创制具有明显临床价值的药物, 中国在 2020 年制定了突破性治疗药物审评工作程序^[3], 针对用于防治严重危及生命或者严重影响生存质量的疾病且尚

无有效防治手段的创新药, 或者与现有治疗手段相比有足够证据表明其具有明显临床优势的创新药。申请人可以申请突破性治疗药物资格, 受理后申请人可以在临床试验阶段通过与国家药品监督管理局药品审评中心 (Center of Drug Evaluation, CDE) 的深入沟通交流来优化临床试验设计, 缩短临床研发用时; 同时, CDE 对纳入突破性治疗药物程序的药物优先配置审评资源, 获得突破性治疗药物资格的药物也将获得优先审评资格。

基金项目: 贵州医科大学医药经济管理研究中心项目 (YG2025-B1)

作者简介: 余婷, 女 E-mail: 3370908998@qq.com *通信作者: 朱星月, 女, 博士, 副教授 E-mail: zhuxingyue@gmc.edu.cn

美国食品与药品监督管理局 (Food and Drug Administration, FDA) 于 2012 年首次设计出突破性治疗药物程序用于加速药品研发^[4]。之后, 欧盟、日本以及中国分别建立类似程序^[5]。已有研究显示, FDA 的突破性治疗药物程序通过使用大量的“小而有效 (small and efficient)”的临床试验, 即非随机化、非对照的临床试验, 有效地缩短药物的上市前临床研究用时^[6-7], 是加快具有显著临床价值药物上市的有力工具。中国的突破性治疗药物程序在加速药品上市方面是否同样具有有效性, 是评估现行药品审评审批制度改革效果的重要议题之一。本研究旨在通过收集中国获得突破性治疗药物资格品种的相关临床试验数据, 梳理目前突破性治疗药物程序的使用情况, 分析薄弱环节, 为中国突破性治疗药物审评工作程序的全面评估及其进一步完善提供相应参考。

1 数据来源

本研究首先通过 CDE 数据库查询纳入突破性治疗药物程序名单, 搜集 2020 年 1 月至 2024 年 7 月纳入名单的品种, 记录整理相关数据, 包括药品来源 (国产/进口)、药品类型 (化学药/生物制品)、批件承办日期以及品种适应证。根据品种适应证, 确定品种是否为抗肿瘤药。依照国家卫生健康委员会颁布的《第一批罕见病目录》和《第二批罕见病目录》收录的适应证, 确定品种是否为罕见病用药。

通过药物临床试验登记与信息公示平台, 检索每个突破性治疗药物品种的临床试验, 并收集试验的分期、随机化情况、对照情况、盲法、试验范围、试验终点、试验开始日期。对每一个品种, 如果检索得到相同适应证的多个临床试验信息, 则按照试验阶段信息选择最晚期的试验纳入分析。处于终止状态的试验将被排除。由于突破性治疗药物程序会对临床试验进行干预, 如果同一药品同一适应证下有多个阶段的试验, 则理论上处于最晚阶段的试验应当是程序干预后的结果, 能够反映程序实施情况。试验终点分为 3 类: 临床终点、替代终点、非有效性终点。临床终点指能够测量治疗对患者感觉、功能或生存的直接影响的终点, 例如总生存期^[8]。替代终点是一类被认为可以用于预测临床获益的实验室测量指标、射线图像或生理指标等标志物, 但本身并不直接度量临床获益大小^[8], 例如在抗肿瘤领域, 缓

解率和无进展生存期常作为替代终点以取代对总生存期的测量。此外, 对于仅进行安全性和/或药动学研究的试验, 其试验终点分类为非有效性研究终点。试验开始日期定义为第 1 例患者入组时间。对品种的基本信息以及临床试验信息进行描述性统计分析。使用 χ^2 检验比较罕见病用药与非罕见病用药在试验设计特征上是否存在差异。显著性水平设为 0.05。

2 结果与分析

2.1 纳入突破性治疗药物品种的基本特征

2020—2024 年, CDE 审批通过的突破性治疗药物品种共有 296 个。样本以化学药物为主 [155 (52.4%)], 见表 1。按申请人类型来看, 大部分来源于国内研发 [195(65.9%)], 国产药比重高于进口药 (65.9% vs 34.1%), 提示突破性治疗程序更多地支持了国内研发药物。按疾病治疗领域分析, 品种主要集中在非肿瘤领域 [188(63.5%)]. 另外, 罕见病用药的占比很小 [41(13.9%)], 可能与罕见病目录收录疾病数量较少有关。在非罕见病用药中, 抗肿瘤用药占多数 (73.3%), 其余包含慢性肝炎 (5.9%) 以及克罗恩病、银屑病等免疫系统疾病 (7.5%) 用药。肿瘤疾病致死率高、预后差、疾病负担重, 而慢性肝炎与免疫系统疾病对患者生命质量有严重影响, 均在突破性治疗药物程序的重点工作范围内。从表中数据来看, 超过三分之一的品种在试验开始之后才获得突破性治疗药物认

表 1 突破性治疗药物品种基本特征

Tab. 1 Characteristics of the breakthrough therapy approvals

特征	n(%)
注册类别	
化学药	155(52.4)
生物制品	141(47.6)
申请人类型	
国内	195(65.9)
国外	101(34.1)
治疗领域	
肿瘤	108(36.5)
非肿瘤	188(63.5)
罕见病用药	
是	41(13.9)
否	255(86.1)
突破性治疗药物授予时间(n=282)	
早于试验开始日期	183(64.9)
晚于试验开始日期	99(35.1)

定。自临床试验申请 (investigational new drug, IND) 立项到获得突破性治疗药物认定所花费的时间平均为 (1 024±845)d。

所有品种从 IND 立项到突破性治疗药物授予的平均天数随时间变化的趋势见图 1。总体而言, 2020—2024 品种获得突破性治疗药物认定的速度较为稳定, 略有增加。

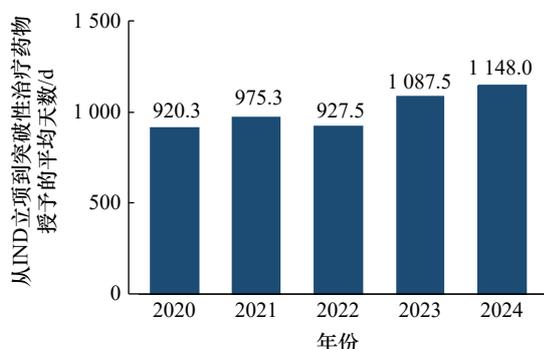


图 1 从 IND 立项到突破性治疗药物授予的平均天数
Fig. 1 Average of the days from the IND filing to the receipt of breakthrough therapy designation

2.2 品种临床试验特征

全部 296 个品种中有 14 个未在临床试验数据库中查找到公开信息, 因此, 对其余 282 个品种的临床试验特征进行分析, 结果见表 2。其中, 有 51.4% 的品种处于 I / II 期试验阶段, 程序在研发早期介入更有利于缩短新药研发时间、加快新药上市速度。在临床试验设计中, 随机化试验仍然占多数 [171(60.6%)], 超过三分之一的试验使用非随机化 [111(39.4%)]. 在盲法的使用上, 开放试验占比高于双盲试验和单盲试验。在试验的终点指标类型上, 超过一半的试验使用替代终点作为主要结局 [171(60.6%)]. 替代终点可用于预测临床终点, 减少临床观察时间。以替代终点代替临床终点, 可显著缩短临床试验时间, 加速新药研发。

2.3 罕见病用药与非罕见病用药临床试验特征差异

在临床试验特征分析中, 使用 χ^2 检验比较罕见病用药与非罕见病用药特征是否存在差异。结果显示, 罕见病用药在试验阶段、随机化、对照、盲法的分布上与其他品种没有明显差异; 而在终点指标类型上, 罕见病用药更多地使用了临床终点 (41.0% vs 18.9%), 见表 3。

3 讨论

随着药品监管制度的革新, 突破性治疗药物

表 2 突破性治疗药物品种临床试验特征

Tab. 2 Features of the pivotal trial supporting the breakthrough therapy drug approvals

特征	n(%)
试验阶段	
I / II	145(51.4)
III	134(47.5)
其他	3(1.1)
随机化	
是	171(60.6)
否	111(39.4)
对照	
是	141(50.0)
否	141(50.0)
盲法	
开放标签	195(69.1)
单盲	2(0.7)
双盲	85(30.1)
试验范围	
国际多中心	85(30.1)
国内试验	197(69.9)
终点指标类型	
临床终点	62(22.0)
替代终点	171(60.6)
非有效性指标	49(17.4)

注: 其他试验阶段包括空腹与餐后生物等效性试验和人体物质平衡研究。
Note: The other trial phase involved the fasting and postprandial bioequivalence trial, and the mass balance study.

程序已成为加速创新药物研发与上市的重要途径, 该程序的核心机制为在药监机构指导下对新药临床试验设计进行改善, 采用更灵活的试验设计来缩短临床研究用时^[9]。因此, 突破性治疗药物程序对加速新药上市的实际效果取决于程序是否及时对新药研发进行干预, 以及干预中灵活性试验设计的使用情况。通过分析目前中国突破性治疗药物程序的使用情况, 挖掘其中可能存在的问题, 为进一步完善程序提供参考。

3.1 突破性治疗药物程序在新药研发过程中介入较晚

从中国突破性治疗药物程序的品种分布上来看, 有 47.5% 的品种已进入 III 期临床研究, 另有 35.1% 的品种在临床试验开始之后才获得突破性治疗药物资格。为了加快具有显著临床价值药物的研发, 突破性治疗药物程序需要在临床研究阶段尽早介入, 以最大程度地缩短研究用时。本研究发现, 近一半的品种未能在早期研究阶段得到程

表 3 罕见病用药与非罕见病用药临床试验特征差异
Tab. 3 Differences in the pivotal trial features between orphan and non-orphan drugs

特征	罕见病用药/n(%)	非罕见病用药/n(%)	P值
试验阶段			
I/II	23(59.0)	121(49.8)	0.585
III	15(38.5)	119(49.0)	
其他	1(2.6)	3(1.2)	
随机化			
是	22(56.4)	149(61.3)	0.560
否	17(43.6)	94(38.7)	
对照			
是	18(46.2)	123(50.6)	0.605
否	21(53.8)	120(49.4)	
盲法			
开放标签	24(61.5)	171(70.4)	0.419
单盲	15(38.5)	70(28.8)	
双盲	0(0.0)	2(0.8)	
试验范围			
国际多中心	14(35.9)	71(29.2)	0.399
国内试验	25(64.1)	172(70.8)	
终点指标类型			
临床终点	16(41.0)	46(18.9)	0.003
替代终点	15(38.5)	156(64.2)	
非有效性指标	8(20.5)	41(17.3)	

序干预，且超过三分之一的品种在试验开始之后才接受程序干预，这些发现提示申请人申报突破性治疗药物程序的时间较晚，不利于程序对新药研发发挥充分干预，导致对药品上市加速的效果有限，尤其是在临床试验已经开始的情况下，程序较难再对试验方案进行调整，程序实施效果有限。美国突破性治疗药物程序的相关研究指出，只有当试验开始之前药物获得突破性治疗药物授予，才能有效缩短临床试验进程^[10]。并且，从品种 IND 立项到获得程序认定资格的时间较长，约 2.8 年，进一步反映了申请人在该程序申报上的延迟。

3.2 中国突破性治疗药物程序使用非随机化和替代终点的比例与美国同类程序存在差异

目前，中美两国均设立了突破性治疗的认定程序机制，但中国的突破性治疗药物程序与美国的突破性治疗药物程序存在一些差异。首先，本研究发现中国突破性治疗药物的临床试验设计中，有 39.4% 的药物使用了非随机化试验，35.8% 的药物使用单臂设计，69.1% 的药物采取开

放试验，60.6% 的药物使用替代终点。美国的 1 项从 2012 年至 2017 年所有 FDA 批准的突破性治疗药物指定药品的研究发现，所有突破性治疗药物药品中获得基于非随机化关键试验的品种占 41.3%，单臂设计占 34.8%，替代终点占 78.3%^[11]。相比之下，在临床试验特征中，中国使用单臂设计的比例与美国接近，而美国使用非随机化、替代终点方法的比例略高于中国。

非随机化、单臂设计与替代终点的使用是加速新药临床研发的关键手段，中国突破性治疗药物程序中这些灵活性设计的使用率相对美国较低，可能原因在于程序在中国的应用时间较短，监管部门对这些灵活性设计的使用经验相对不足。非随机化、单臂设计与替代终点能显著缩短临床试验用时，然而，也将给药物疗效评价带来更大的不确定性。相比于经典的随机对照试验，基于单臂设计、替代终点的试验对药物真实疗效进行推断的难度显著提升，可能高估新药的真实获益，导致无效、低效产品进入市场^[12]。这种在新药获益与上市速度之间的权衡是全球药监机构均面临的重要挑战。美国 FDA 于 1992 年起在药品审批中使用替代终点，于 2012 年起使用非随机化、单臂试验等设计，其监管经验较为丰富，可以支持其在实践中更加广泛地应用这些灵活性设计。然而中国药监机构为了降低无效新药上市的风险，在灵活性试验的使用方面更加稳健，这将有助于保障新药安全有效。加快上市程序对中国新药上市的“速度与获益”权衡的影响需要进一步研究。

3.3 中国对罕见病用药研发的支持力度不够

在程序使用对象上，中国纳入突破性治疗药物程序的品种中仅有 13.9% 为罕见病用药，而美国突破性治疗药物药品中有 65.2% 为孤儿药^[11]。中国罕见病用药占比低的原因之一为目前药监系统尚未建立类似于欧美监管机构的孤儿药指定 (orphan designation)，对罕见病用药的定义缺乏官方界定，目前只能使用由国家卫生健康委员会发布的罕见病目录来进行分类。然而，该系列目录仅收录了 200 余种疾病，低于国际已发现的 5 000 种罕见病数量^[13]。因此，按照目录收录来界定罕见病用药局限性较大。缺乏孤儿药指定也反映出中国在药品审批实践中对罕见病用药的激励系统有待完善，不利于加快上市程序为孤儿药研发提供

针对性帮助。

罕见病用药除了数量较少以外，本研究还发现其在临床试验设计的特征上与非罕见病用药之间的差异很小，提示目前中国的突破性治疗药物程序对罕见病用药研发的差异化指导不够多，将不利于程序对孤儿药研发的加速效果。罕见病由于患者池小、患者招募难度高，更需要使用小而有效的试验设计，以提高临床研究的可行性，并加快研发速度。然而，实践中罕见病用药的试验的随机化、对照的使用与非罕见病用药并无差异，且替代终点的使用占比显著低于非罕见病用药。其原因可能为药监机构对孤儿药的监管经验不足，并且罕见病之间的病种异质性大，不同疾病的病理特点与疾病发展过程差异大，要针对各疾病提供专门化的研发指导存在一定难度。例如，要针对疾病病理特征设计出合理的实验室或影像学指标来代替临床终点，这对于许多罕见病而言仍然较为困难^[14]，进而导致替代终点使用的缺乏。此外，由于小样本可能导致试验统计效能不足，在突破性治疗药物程序中减少能够降低样本量的灵活性设计的使用可以降低试验失败风险，但可能导致研发速度减缓，不利于患者尽快获取新药。

4 建议

4.1 提升企业主动性，加强研发早期干预

为了提升申请人主动性，建议通过举办企业培训会等方式，加强企业对加速程序的认知和了解，促进企业在研发早期阶段积极申报。另外，可以参考美国 FDA 的突破性治疗药物程序工作模式，一般由申请人主动申报突破性治疗药物认定，然而，在申请人未申报的情况下，当 FDA 认为目前所提交的临床资料符合突破性治疗药物认定资格，且当前的研究设计可以进一步改善以加快研发速度，FDA 也会发出建议邀请申请人申报^[15]。因此，建议加强 CDE 在程序申报中的主动性，充分引导申请人利用适宜的加速程序，保障具有显著临床价值的新药尽快上市。

4.2 充分发挥程序机制，强化对新药临床研发的支持

突破性治疗药物程序的核心是增强临床试验设计的灵活性，以此提高研究的可行性和完成速度。目前，中国突破性治疗药物程序在实践中所表现出的研究灵活性相对不足，尤其是对于罕见

病用药而言，经典的随机对照试验仍然占据主要地位。建议在督促申报人尽早申报突破性治疗药物资格的同时，加强 CDE 对申报人的研发指导，优化临床试验设计。特别地，替代终点对于缩短临床观察时间有重要价值，已有研究表明使用替代终点可以使试验用时缩短 9~11 月^[16]。然而目前在实践中替代终点的使用率较低。建议 CDE 组织专家团队对目前常用替代终点的有效性进行研究，对于具有一定有效性、能较好预测临床获益的替代终点可以在突破性治疗药物程序中使用，以加快新药研发速度。

4.3 进一步加强对罕见病用药的研发支持

首先，建议设置基于发病率或患病率的孤儿药指定，并建立对应的配套激励措施，例如为孤儿药提供更长的上市后独占期、研发税收减免、市场融资支持等，切实加强对罕见病新疗法的研发支持。

第二，对罕见病替代终点进行挖掘。研究发现，目前罕见病用药的临床试验仍然以临床终点为主，替代终点的使用率显著低于非罕见病用药，不利于加快罕见病用药的临床研发过程。目前在肿瘤疾病中，已在部分瘤种中确立无进展生存期和客观反映率作为可靠替代终点，代替总生存期的测量。然而在非肿瘤疾病中，可靠替代终点仍然普遍缺乏。因此，有必要系统性地研究针对非肿瘤罕见病的适宜替代终点，缩短临床试验观察用时，加速新药上市。

第三，完善罕见病用药临床试验设计指南，推广外部参考 (external reference) 设计以降低试验样本量要求。为了在加快临床研发的同时控制灵活性设计对药物疗效评价的影响，可以使用外部参考，即使用历史病例等非试验受试者数据作为临床试验的对照组，以支持比较性疗效 (comparative effectiveness) 的评价。外部参考设计可以减少样本量需求，同时提供比传统单臂设计更加稳健的疗效估计，适合应用于患病人数少的罕见病药物研发。运用新的临床试验设计，结合创新临床试验管理系统^[17]，预计可以进一步加快罕见病用药研发，改善孤儿药可及性。

5 结论

中国的突破性治疗药物审评程序通过使用非随机化、单臂的临床试验，以及使用替代终点代替临床终点，来缩短试验用时、加快药物上市。

然而目前的突破性治疗药物程序仍然存在申请人申报不及时、程序在临床研发中介入较晚、程序对罕见病用药研发支持不足等问题。需进一步完善程序工作,提高申请人积极性,以充分发挥程序作用,加速具有突破性治疗价值的新药研发上市。

REFERENCES

- [1] 国家药品监督管理局. 总局关于解决药品注册申请积压实行优先审评审批的意见[EB/OL]. (2016-02-26) [2022-02-15]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/20160226085101295.html>.
- [2] 国家药品监督管理局. 总局办公厅公开征求临床急需药品有条件批准上市的技术指南(征求意见稿)意见[EB/OL]. (2017-12-20) [2022-02-15]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/zhqyj/zhqyjyp/20171220172701610.html>.
- [3] 国家药品监督管理局. 国家药监局关于发布《突破性治疗药物审评工作程序(试行)》等三个文件的公告(2020年第82号)[EB/OL]. (2020-07-08) [2022-02-16]. <https://www.nmpa.gov.cn/yaopin/ypggtg/ypqtgg/20200708151701834.html>.
- [4] CORRIGAN-CURAY J, MCKEE A E, STEIN P. Breakthrough-therapy designation - an FDA perspective[J]. *N Engl J Med*, 2018, 378(15): 1457-1458.
- [5] FRANCO P, JAIN R, ROSENKRANDS-LANGE E, et al. Regulatory pathways supporting expedited drug development and approval in ICH member countries[J]. *Ther Innov Regul Sci*, 2023, 57(3): 484-514.
- [6] MICHAELI D T, MICHAELI T. Breakthrough therapy cancer drugs and indications with FDA approval: Development time, innovation, trials, clinical benefit, epidemiology, and price[J]. *J Natl Compr Canc Netw*, 2024, 22(4): e237110.
- [7] CHANDRA A, KAO J, MILLER K L, et al. Regulatory Incentives for Innovation: The FDA's Breakthrough Therapy Designation: RWP22-024[R/OL]. Harvard University, 2022. (2022-12)[2024-06-19]. <https://dash.harvard.edu/handle/1/37373801>.
- [8] FDA-NIH BIOMARKER WORKING GROUP. Reasonably Likely Surrogate Endpoint--BEST (Biomarkers, EndpointS,

and other Tools) Resource[M/OL]. Food and Drug Administration (US), (2020-09-23) [2022-08-10]. <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK453485/>.

- [9] HERMOSILLA M. Regulating ethical experimentation: Impacts of the breakthrough therapy designation on drug R&D[J]. *J Health Econ*, 2024(94): 102855.
- [10] PREGELJ L, HINE D C, KESSELHEIM A S, et al. Assessing the impact of US food and drug administration breakthrough therapy designation timing on trial characteristics and development speed[J]. *Clin Pharmacol Ther*, 2021, 110(4): 1018-1024.
- [11] PUTHUMANA J, WALLACH J D, ROSS J S. Clinical trial evidence supporting FDA approval of drugs granted breakthrough therapy designation[J]. *JAMA*, 2018, 320(3): 301-303.
- [12] GYAWALI B, HEY S P, KESSELHEIM A S. Evaluating the evidence behind the surrogate measures included in the FDA's table of surrogate endpoints as supporting approval of cancer drugs[J]. *EClinicalMedicine*, 2020(21): 100332.
- [13] HAENDEL M, VASILEVSKY N, UNNI D, et al. How many rare diseases are there?[J]. *Nat Rev Drug Discov*, 2020, 19(2): 77-78.
- [14] CHEN S Q. Considerations on the transformation of drug regulatory technology system in the era of precision medicine[J]. *Chin J Mod Appl Pharm(中国现代应用药理学)*, 2022, 39(1): 1-4.
- [15] U. S. FOOD AND DRUG ADMINISTRATION. Breakthrough Therapy[EB/OL]. FDA, (2018-01-04) [2023-09-03]. <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/breakthrough-therapy>.
- [16] CHEN E Y, JOSHI S K, TRAN A, et al. Estimation of study time reduction using surrogate end points rather than overall survival in oncology clinical trials[J]. *JAMA Intern Med*, 2019, 179(5): 642-647.
- [17] LI Q Z, SHI L D, LIANG X, et al. Analysis on time-consuming of multi-center drug clinical trial project from approval to start-up[J]. *Chin J Mod Appl Pharm(中国现代应用药理学)*, 2023, 40(13): 1869-1873.

收稿日期: 2024-09-02
(本文责编: 李艳芳)