

# 美国FDA数据标准项目研究及对我国的启示<sup>△</sup>

成照根\*, 黄 璜#, 林梦瑶(北京大学政府管理学院, 北京 100871)

中图分类号 R951 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2020)20-2438-07

DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2020.20.02

**摘要** 目的:研究美国FDA的数据标准项目,为我国药品数据标准建设提供借鉴。方法:通过分析美国FDA数据标准项目的治理组织机构和政策体系,总结其数据标准开发模式和开发流程的相关经验,并对我国相应的药品数据标准建设提出建议。结果与结论:美国FDA数据标准项目的组织机构是以FDA的首席科学家办公室为领导,数据标准咨询委员会统筹协调,药品评审与研究中心下辖的数据标准委员会具体负责,FDA下辖的其他监管中心和办公室多元参与的组织构架。该项目是由数据标准战略、数据标准项目行动计划、数据标准目录、数据标准项目沟通计划等4个子系统构成。数据标准战略是FDA根据美国联邦法律法规、其自身和医药行业对数据标准的需求状况以及数据标准的重要性程度等提出的数据标准开发战略目标;通过数据标准项目行动计划将战略目标细化为具体的项目;这些项目严格遵循“数据标准开发流程”分季度逐步推进,新的数据标准将被纳入《数据标准目录》;同时,FDA通过数据标准项目沟通计划强化与内外部利益相关者的沟通合作。建议我国借鉴美国FDA数据标准项目建设经验,通过建立医疗卫生数据标准项目管理模式,强化内外部利益相关者参与、建立数据标准委员会,制定数据标准目录,为医药行业提供明确、统一的数据标准等方式,推动我国药品数据标准的建设。

**关键词** 美国FDA;数据标准;数据标准战略;数据标准项目

## Research on FDA Data Standards Program in the United States and Its Enlightenment to China

CHENG Zhaogen, HUANG Huang, LIN Mengyao (School of Government Management, Peking University, Beijing 100871, China)

**ABSTRACT** OBJECTIVE: To study FDA data standards program in the United States, and to provide reference for constructing medicine data standards in China. METHODS: By analyzing the governance organization and policy system of FDA data standards program in the United States, the experience were summarized for data standards development mode and development procedure, and relevant suggestions were put forward for medicine data standards construction in China. RESULTS & CONCLUSIONS: The organization of FDA data standards program is led by the Chief Scientist Office of FDA, coordinated by the Data Standards Advisory Board, specifically responsible by the Data Standards Program Board under the center for Drug Evaluation and Research, and participated by other regulatory centers and offices under FDA. FDA data standards program is composed of 4 subsystems as

- Guidelines%20National/EDL%20Paediatrics/EDL%20Paediatrics%20Hospital%20Level%202006.pdf.
- [17] 周晨辰,薛澄,戴兵,等.生存资料需治疗人数及可信区间的计算[J].中国卫生统计,2016,33(1):156-157.
- [18] 世界全科医学瞭望:家庭医学领域的循证标准SORT[J].中国全科医学,2019,22(24):2893.
- [19] The National Department of Health. *EML clinical guideline application*[EB/OL].[2020-02-28]. <http://www.health.gov.za/index.php/affordable-medicines/category/522-eml-clinical-guideline-application>.
- [20] World Health Organization. *Medicines selection and procurement in South Africa*[EB/OL].[2020-02-28]. <https://apps.who.int/medicinedocs/en/m/abstract/Js20152en/>.
- [21] UMRITHA RS, MAUREEN NS, DUDU GS. The use of standard treatment guidelines and essential medicines list by professional nurses at primary healthcare clinics in the uMgungundlovu District in South Africa[J]. *Int J Afr Nurs Sci*, 2015. DOI: 10.1016/j.ijans.2015.08.001.
- [22] 陈晶,聂青,刘妍.《WHO基本药物示范目录》与我国《国家基本药物目录》动态调整程序比较与借鉴[J].中国药房,2015,26(3):289-293.
- [23] 李孟涛.基本药物遴选机制优化研究[D].济南:山东中医药大学,2015.
- [24] 杨涵,肖洁,胡明.我国基本药物循证遴选评价指标体系的构建[J].中国卫生政策研究,2017,10(12):33-38.

(收稿日期:2020-03-03 修回日期:2020-09-06)

(编辑:孙冰)

△ 基金项目:国家社会科学基金一般项目(No.17BZZ091);国家食品药品监督管理总局信息中心委托研究课题(No.CFDAIC-TJFX-201873)

\* 硕士研究生。研究方向:政府数据治理。电话:010-62755674。E-mail: Drogoncheng@pku.edu.cn

# 通信作者:副教授,博士生导师,博士。研究方向:数字政府、数据治理、公共政策分析。电话:010-62755674。E-mail: huang-huang@pku.edu.cn

data standards strategy, data standards program action plan, data standards catalog and data standard communication plan. According to the federal laws and regulations of the United States, the demand of FDA and pharmaceutical industry for data standards and the importance of data standards, the strategic objectives of data standards development are proposed, and the strategic objectives are refined into specific projects through the data standards program action plan. These programs strictly follow the “data standards development process” and gradually advance quarterly, and new data standards will be included in the *Data Standards Catalog*. At the same time, FDA strengthen the cooperation and communication with internal and external stakeholders through the data standards program communication plan. It is suggested that China should learn from the experience of FDA data standards program construction, establish a medical and health data standards program management mode, strengthen the participation of internal and external stakeholders, establish data standards committee, formulate data standards catalog, and provide clear and unified data standards for the pharmaceutical industry, so as to promote the construction of medicine data standards in China.

**KEYWORDS** US FDA; Data standards; Data standards strategy; Data standards program

数据标准是指不同来源或背景数据的一致性规范,包括转换/传输标准、格式标准、分析标准与术语标准等4种类型<sup>[1]</sup>。为解决数据标准不统一导致的监管效率低下等问题,美国FDA药品评审与研究中心(Center for Drug Evaluation and Research, CDER)于2010年开始实施数据标准项目,运用项目制的形式推动药品数据标准建设。CDER数据标准项目实施近10年来,美国药品数据标准建设取得了显著的成效,目前已经开发并发布了一系列正式的数据标准,包括电子通用技术文件(eCTD)标准、研究数据标准、产品标签提交标准、医疗信息技术标准、上市后安全报告标准等,在药品生命周期各个阶段建立起了较为完备的数据标准体系<sup>[2]</sup>。

近年来,我国政府逐渐意识到医药卫生数据标准建设的迫切性和重要性,并于2018年发布了《国家健康医疗大数据标准、安全和服务管理办法(试行)》,提出健康医疗大数据标准管理工作应遵循政策引领、强化监督、分类指导、分级管理原则<sup>[3]</sup>,为我国医药卫生数据标准管理奠定了制度基础。与此同时,我国医药卫生数据标准建设面临着数据标准交叉、重复、矛盾,标准体系不合理,标准化协调推进机制不完善等问题<sup>[4]</sup>。基于此,本文通过梳理美国FDA药品数据标准开发的组织机构与政策体系,厘清其数据标准战略、数据标准项目行动计划、数据标准目录和数据标准项目沟通计划之间的关系,总结其数据标准开发模式和开发流程的相关经验,为我国药品数据标准的建设提供参考。

## 1 美国FDA数据标准的治理组织机构

美国FDA在2010年推出数据标准项目时,在CDER专门成立了负责该项目的数据标准委员会(Data Standards Program Board, DSPB)<sup>[5]</sup>,并且在项目的推进过程中不断完善数据标准治理体系。2012年,数据标准项目升级为数据标准战略,参与主体由CDER内部机构扩展到FDA下辖的其他监管中心和办公室。经过近10年的发展,目前FDA已建立了以FDA局长办公室下辖的首

席科学家办公室为领导、FDA数据标准咨询委员会(Data Standards Advisory Board, DSAB)统筹协调、CDER下辖的DSPB具体负责、FDA下辖的其他监管中心和办公室多元参与的数据标准治理组织架构<sup>[6]</sup>,详见图1。

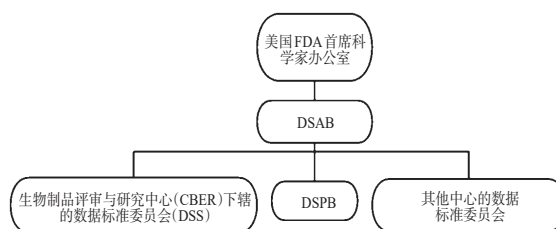


图1 数据标准治理组织架构

Fig 1 Organizational structure for data standards governance

在这一治理框架下,美国FDA首席科学家办公室提供战略领导、协调和专业支持,支持科学发展和创新,帮助FDA实现保卫公共卫生安全的使命<sup>[7]</sup>;DSAB由来自FDA下辖的七大监管中心、监管事务办公室、国际项目办公室和卫生信息学办公室的代表组成,负责数据标准方案的审查和咨询,识别FDA内部各个部门对数据标准的需求,协调标准的评估、开发、维护和采用,以及保证FDA内外部使用数据标准的一致性等工作<sup>[6]</sup>。

DSPB成立于2010年底,负责开发数据标准战略、监控数据标准项目行动计划的开发与实施、推荐数据标准项目的优先顺序、审查和实施新标准或为正在实施的标准进行重大修改提出建议以及与CDER内外部利益相关者保持有效沟通<sup>[8]</sup>。CDER中心主任从其下辖的战略规划办公室中任命DSPB的主席,DSPB的成员则由下列办公室的高级领导或其指派的人员组成:生物统计学办公室(OB)、商业信息办公室(OBI)、临床药理学办公室(OCP)、合规办公室(OC)、计算科学办公室/计算科学中心(OCS/CSC)、仿制药办公室(OGD)、医疗政策办公室(OMP)、新药办公室(OND)、药品质量办公室(OPQ)、战略规划办公室(OSP)、监测和流行病学办公

室(OSE)、转换科学办公室(OTS)<sup>[8]</sup>。这些办公室的代表每人拥有1票表决权,按照简单多数原则通过投票决定优先开发的数据标准项目<sup>[8]</sup>。为确保FDA下辖各监管中心之间协作、沟通和行为的一致性,DSPB的成员也包括来自CBER和医疗器械与放射健康中心(CDRH)的代表,但这些代表不具有投票表决权<sup>[8]</sup>。

在FDA监管中心层面,CDER下辖的DSPB和CBER下辖的DSS共同负责跨中心的协作和沟通,确保数据标准战略、开发、实施与政策的一致性,以及CDER数据标准战略、数据标准项目行动计划和正在推行数据标准项目的计划、协调和进度跟踪等工作<sup>[6]</sup>。

## 2 美国FDA数据标准项目的政策体系

美国FDA数据标准项目是一项系统工程,由数据标准战略、数据标准项目行动计划、数据标准目录和数据标准项目沟通计划等4个子系统构成<sup>[9]</sup>,详见图2。其中,FDA根据法律法规的具体规定和药监机构及医药行业对数据标准的需求程度制定数据标准战略,再由数据标准项目行动计划负责将数据标准战略目标细化为具体的数据标准项目,这些项目遵从数据标准开发流程,分季度逐步推进,最后以行业指南或联邦公报的形式发布数据标准。待新的数据标准发布后,FDA会将这些新标准收录进《数据标准目录》中。数据标准的发布满足了监管机构对数据标准的需求,同时也有效执行了法律法规的规定。在数据标准项目推进过程中,为加强内外部利益相关者在确定数据标准战略目标和推进数据标准项目过程中的沟通合作,FDA专门制定了数据标准项目沟通计划。

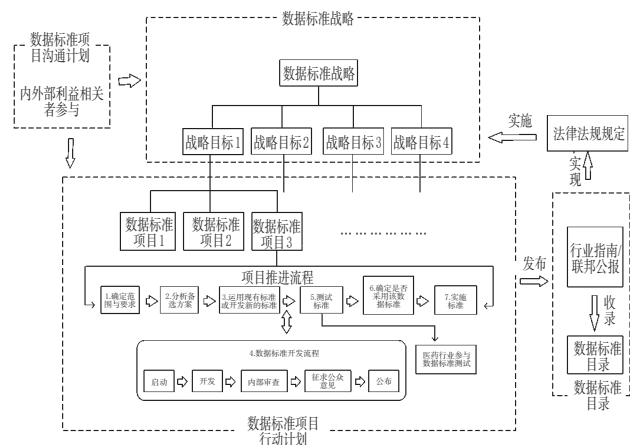


图2 数据标准项目的政策体系

Fig 2 Data standard program policy system

### 2.1 数据标准战略

数据标准战略由CDER与CBER共同负责,而该战略的更新与具体实施则由DSPB负责。数据标准战略每3~4年更新1次,目前已发布了《数据标准战略2012—2014》《数据标准战略2015—2017》《数据标准战略

2018—2022》共3个版本。

数据标准战略拥有广泛的法律基础,美国《处方药和生物制品电子标签提交要求》《食品和药品管理局修正案》《食品和药品管理局安全和创新法案》《人类药品和生物制品的上市后安全报告》《21世纪治愈法案》都明确要求FDA出台使用标准化格式提交监管信息的规章或行业指南,以提升监管过程的可预测性、一致性、透明度和效率<sup>[9]</sup>。FDA根据联邦法律法规的要求,以及其自身和医药行业对数据标准的需求状况和数据标准的重要性程度,提出在战略规划期内优先开发数据标准的领域,这些领域以战略目标的形式呈现。一般来说,战略目标大多是具有原则性和指导性的,因此这些目标是由“数据标准项目行动计划”来完成的。譬如《联邦食品、药品和化妆品法案》第745A(a)条中明确规定:“以电子格式提交监管数据”<sup>[10]</sup>。基于此项规定,CDER先后实施了“以电子格式提供监管信息——以结构化产品标签(SPL)格式提交风险评估与缓解战略(REMS)信息”和“以电子格式提交监管信息——研究数据标准化”等项目<sup>[11]</sup>。

### 2.2 数据标准项目行动计划

数据标准项目行动计划负责将数据标准战略目标细化为具体的数据标准项目,CDER采用项目制管理方法,按照数据标准开发流程逐步推进。这些数据标准项目的具体实施、数据标准与资源的应用以及项目的更新等工作由DSPB负责,其监控和协调则由CDER数据标准运作附属委员会(Operations Subcommittee, OpSC)负责。

为推动数据标准项目的顺利实施,CDER在2010年推出数据标准项目时就开始着手建设规范化的数据标准开发流程。经过近10年的发展,目前已建成了完善的数据标准开发流程(见图2)。在下述数据标准开发流程的7个阶段中,第4阶段由数据标准开发组织(SDO)负责,其他流程由CDER负责(由于不同数据标准项目之间存在差异性,因此并不是每个项目都需要完整通过所有流程)<sup>[9]</sup>。

(1)确定范围与需求。这一环节的主要活动包括描述数据标准需求,数据标准开发活动对工具、流程和信息技术基础设施的影响,未来的收益状况和更高层次的需求。

(2)分析备选方案。这一环节是对备选方案开展替代分析,以评估数据标准的各个选项和建议。利益相关者的意见是这项工作的关键部分。除后文“数据标准项目沟通计划”中列举的参与形式外,利益相关者还可以通过征求公众意见或公众参与等形式参与备选方案的分析过程。

(3)运用现有标准或开发新的标准。这一环节是确定是否可以将其他领域的标准转化成需要的标准;若不可行,则需要开发新的数据标准。

(4)SDO数据标准开发流程。这一环节又可以分为以下5个阶段:第一,启动阶段——SDO、被授权者或其他领导小组与相关领域的专家一起定义数据标准开发项目的范围,确定项目的章程,确保拥有充足的资源;制定开发计划,开始推进开发项目。第二,开发阶段——SDO、被授权者标识、定义、验证数据元素,并与专家组一起评审数据标准;FDA相关领域专家会参与整个开发阶段。第三,内部审查阶段——在此阶段,领导小组进行内部审查,为征求公众意见做准备。第四,征求公众意见阶段——领导小组为公众发表意见提供便利;领导小组根据既定流程处理这些意见。第五,公布阶段——初步发布数据标准以供公众使用。

(5)测试标准。在这一环节,将测试所有因素是否都得到了评估,例如规模、影响、是否满足FDA监管的需要、与FDA基础设施的兼容性等;此外,还将确定是否有效识别政策、法规、规则和技术规范的需求。对于新开发的“研究数据标准”,FDA可以使用修改过的标准或样本数据集来进行测试,以模拟这些标准在现实监管审查决策中的应用情况;同时,对这些新的或更新的“研究数据标准”进行业务规则和/或一致性检查。

(6)确定是否采用数据标准。这一环节的工作是在有需要的情况下,确定实施数据标准所需的政策、法规、指南和技术规范。

(7)实施标准。这一环节是在FDA的现实工作环境中实施数据标准。这一阶段包括将标准应用于监管审查过程的所有流程。如果使用新的数据标准可以成功完成数据的处理、审查和归档等工作,那么就可以认定该标准是完整的。

### 2.3 数据标准目录

为向医药行业和监管机构提供便利、明确的数据标准,美国FDA于2011年6月份发布了《FDA数据标准目录v1.0》;随后历经多次更新,又于2020年4月发布了《FDA数据标准目录v6.2》。《数据标准目录》中列出了FDA支持的数据标准和术语,以及这些标准和术语的生效日期与失效日期、信息来源等内容,帮助评估产品的安全性、有效性和质量<sup>[12]</sup>。FDA有权要求医药企业在提交的各种材料中使用某些标准和术语。如果医药企业准备在提交的监管材料中使用未列入目录的标准或术语,应事先与监管机构沟通;如果在某一特定领域存在多类《数据标准目录》支持的数据标准,医药企业可以自主选择其中一种标准或术语,或者酌情与监管部门讨论采用哪一种标准<sup>[12]</sup>。

### 2.4 数据标准项目沟通计划

在数据标准项目实施过程中,CDER特别注重与内外部利益相关者的合作与沟通。为此,CDER早在2010年开始实施数据标准项目时就专门制定了“数据标准项目沟通计划”,并于同年5月份发布了《CDER数据标准项目沟通计划1.0》。在数据标准项目升级为数据标准战略后,CDER在《数据标准战略2012—2014》和《数据标准战略2018—2022》中均强调,在数据标准开发过程中要加强与内外部利益相关者的合作<sup>[5-6]</sup>。数据标准项目沟通计划由DSPB管理,OpSC负责项目的具体实施和维护。数据标准项目沟通计划规定了数据标准项目内外部主要参与主体及其参与形式。经过近10年的建设,数据标准项目沟通计划已经发展成为参与主体多元、参与形式完备的合作沟通体系。

2.4.1 内部参与主体 为确保FDA内部各监管中心之间在数据标准战略、开发、实施和政策方面的一致性,数据标准沟通计划的内部参与主体不仅包括CDER数据标准项目管理机构和技术支持部门,如DSAB、DSPB、OBI、OCS等,也吸纳了FDA其他监管中心的代表和机构,如CBER、CDRH等<sup>[13]</sup>,具体利益相关者如表1所示。

表1 内部利益相关者

Tab 1 Internal stakeholders

内部利益相关者	主要职能
CDER执行委员会(EC)	由CDER主任和CDER下设各个办公室负责人组成;主要负责审查、评估和批准长期战略计划,编制预算,分配资源,以及改进数据标准项目的开发流程等工作
CDER-DSPB	主要负责监督CDER数据标准活动的实施,推荐优先开发的数据标准项目,为数据标准开发提供保障,推荐和监控CDER定义、采纳和实施数据标准流程,确保审查人员拥有运用标准化数据工具的能力
CDER-OpSC	在DSPB的支持下成立;主要负责监控和协调数据标准项目的实施,以及数据标准与资源的应用
CDER-OCS	主要负责增强CDER使用现代科学计算工具的能力,参与数据标准的制定和实施,鼓励以电子格式提交和获取数据,为审查人员提供和推广电子审查工具并衡量其影响和价值
CDER-OBI	主要负责领导和协调CDER的信息活动,为确定长期战略目标提供建议,为新系统设计和计划选择提供建议,建立CDER信息创新流程,简化数据管理服务流程,推动电子数据新标准的迅速实施,为数据管理的指南、规范和规章的制定提供指导和支持
FDA-DSAB	由来自FDA的七大监管中心、监管事务办公室、国际项目办公室和卫生信息学办公室的代表组成;主要负责落实项目中的数据、术语和交换标准措施,获取CDER数据标准方面的需求和反馈信息
FDA信息管理与技术办公室(OIMT)和FDA首席信息管理理事会	主要负责协调和监督与业务自动化计划、收购和实施决策相关的活动
FDA其他监管中心	包括FDA内部除CDER之外的其他六大监管中心,如CBER、CDRH等;这些监管中心主要负责在药物评估审查过程中和确定数据需求方面提供专业指导和信息反馈等工作

2.4.2 外部参与主体 数据标准项目沟通计划会广泛吸收外部利益相关者参与数据标准开发活动,参与主体既包括受这些标准影响的医药行业组织、赞助公司和专业组织等,也包括外部技术支持组织,如SDO、技术提供商和合同开发组织(CRO)等<sup>[13]</sup>,具体利益相关者如表2

所示。

表2 外部利益相关者

Tab 2 External stakeholders

外部利益相关者	含义或主要职能
组织贸易集团	代表被监管行业利益的组织和协会,包括药品研究和生物科技公司,例如美国药物研究及制造商(PhRMA)、生物科技产业组织(BIO)、仿制药协会(GPhA)
赞助公司	负责启动和管理临床试验的个人、公司、机构或组织的统称
CRO	代表赞助公司支持产品开发的临床前和/或临床试验公司的统称;主要负责获取、分析和提交标准化的研究数据,以帮助提升FDA审查的效率和有效性
SDO	负责为卫生保健、产品开发和监管审查组织开发数据标准;与FDA、美国国家卫生研究院(NIH)、行业组织(如赞助公司、CRO)和其他SDO、临床数据交换标准联盟(CDISC)合作,为赞助公司向FDA收集、传输、分析和提交数据制定标准
技术供应商	系统集成/咨询公司(如IBM、TCS、Syntel)和软件开发公司(如SAS、Oracle、TIBCO),负责向开发企业和FDA提供在产品开发过程和监管审查期间所需的工具
政府其他部门	与FDA合作的其他政府机构,如国家协调员办公室(ONC)或NIH,这些机构涉及医疗数据标准和电子数据交换
专业组织	一些寻求维护个体或公共利益最大化的非营利组织,例如药物信息协会(DIA)、美国统计协会(ASA)
公众	FDA通过加速产品创新和获取科学知识,改善公众健康水平

2.4.3 主要沟通方式 在数据标准项目推进过程中,CDER通过公共演讲或会议、政策文件、常务会议等形式与内外部利益相关者保持有效沟通。具体来说,主要沟通方式包括以下4种类型<sup>[13]</sup>。

①公共演讲或会议——数据标准在线研讨和行业会议。在线研讨会和行业会议是FDA与外部利益相关者信息沟通的重要形式,主要参与主体包括医药企业、CRO、SDO、技术提供商、专业组织等。在线研讨或行业会议每半年举办1次,CDER可以通过这些会议向外部利益相关者解释和沟通数据标准开发计划。

②政策文件。为推动数据标准化,FDA制定了系统的数据标准开发政策文件,除了数据标准战略、数据标准项目行动计划以外,还包括数据标准项目年度评估计划、研究数据技术规范指南、治疗领域项目计划和优先治疗领域等。

③常务会议。常务会议属于FDA内部沟通的主要方式,包括5种形式:一是DSPB会议,参会者仅限DSPB成员,负责数据标准项目的讨论、项目更新和作决策,为数据标准小组提供便利等工作;二是数据标准OpSC会议,主要参会者包括DSPB、OBI、OCS、CDER与FDA其他监管中心,负责项目和工作组更新、审查政策文件和决策等工作;三是DSAB会议,参会者包括DSPB成员,负责讨论与DSAB有关的数据、术语和交换标准措施的审查情况;四是电子数据问题会议,参会者包括CDER办公室、医药企业、CRO、SDO等,负责审查和回应电子邮件中提出的问题;五是EC会议,参与主体包括DSPB的成员,负责评估和批准数据标准开发活动,制定长期战略规划、制定预算、分配资源和改进数据标准项目的流程。

④网站资源和邮件。FDA专门开设了研究数据标

准资源网站和数据标准项目网站,用于公布数据标准项目和数据标准开发流程的更新和变更。为加强CDER下设办公室之间的交流与沟通,CDER建立了联系实时通讯系统,每月以电子邮件简报的形式在CDER内部发送标准开发活动的更新内容。

### 3 数据标准项目推进流程案例分析

本文以“以SPL格式提交REMS信息”项目为实例<sup>[14-22]</sup>,对美国FDA数据标准项目推进流程进行分析。

#### 3.1 项目概述

为确保药品安全性,美国FDA要求所有医药企业必须执行“REMS”计划,管理药品和生物制品已知或潜在的严重风险,以确保其效益大于风险。但由于多项REMS计划同时运行,其复杂性、组成成分和利益相关者采用的标准不一致,给FDA监管带来了严峻挑战。

CDER根据《联邦食品、药品和化妆品法案》第745A(a)条“以电子格式提交监管信息”的规定,于2013年在《数据标准项目行动计划v1.1》中推出了“以电子格式提供监管信息:以SPL格式提交REMS信息”项目(下文简称“以SPL格式提交REMS信息”项目)<sup>[14]</sup>。SPL是处方药信息数据标准,SPL数据可以使医务人员、医疗系统和专业药房在电子病例中加入和访问REMS信息。

经过多年的努力,CDER于2017年12月份发布了《以电子格式提交监管信息:以SPL格式提交REMS信息行业指南》草案。该草案概述了FDA计划如何对新药申请(NDAs)、简略新药申请(ANDA)和某些生物制品许可申请(BLA)实施电子格式提交REMS文件要求的部分规定<sup>[15]</sup>。根据《联邦食品、药品和化妆品法案》745A(a)条规定的要求,在最终指南发布24个月后,未按规定电子格式提交的REMS文件将被拒绝接收或备案。

#### 3.2 项目发展历程

为落实《联邦食品、药品和化妆品法案》第745A(a)条规定要求,CDER在《数据标准战略2012-2014》中提出“研究与开发研究数据标准”的战略目标,为实现这一目标,CDER于2013年将“以SPL格式提交REMS信息”列入“数据标准项目行动计划”项目<sup>[6]</sup>,其发展历程如表3所示。

## 4 美国FDA数据标准项目的建立和实施对我国的启示

### 4.1 建立医疗卫生数据标准项目管理模式

我国应借鉴美国FDA数据标准项目管理经验,建立符合我国国情的医疗卫生数据标准项目管理模式。以政策法规等形式来规划数据标准开发的远景目标,确定战略规划期内数据标准开发的重点领域,以具体数据标准项目的形式将远景目标转化为具体的数据标准。药品开发与上市审查、药品安全性及推广、药品制造及药

表3 以“SPL格式提交REMS信息”项目发展历程

Tab 3 The history of the “submitting REMS information in SPL format” program

开发流程	政策文件	时间	更新内容
确定范围与需求	行动计划v1.1	2013年4月	SPL 标准的需求收集工作已经完成,预计在2013年第3季度完成标准范围的确定工作 <sup>[6]</sup>
分析备选方案 开发	行动计划v1.3	2014年2月	该项工作预计在2014年第3季度完成 <sup>[6]</sup>
	行动计划v1.6	2015年1月	开发SPL 构件草案,包括样式表、数据元素和受控术语;预计能够在2015年第3季度末制定并实施行业指南 <sup>[7]</sup>
测试标准	行动计划v1.8	2015年7月	将在2015年第3季度试行标准;寻求发布最终的实施指南,并能够在2015年第4季度结束前发布SPL 格式的REMS <sup>[8]</sup>
确定是否采用数据标准	行动计划v2.3	2016年8月	FDA 已经完成了数据标准应用试验,并准备在2016年9月之前接收SPL 格式的REMS;开始制定以SPL 格式提交REMS 信息的行业指南 <sup>[9]</sup>
实施阶段	行动计划v2.5	2017年3月	可以开始接收SPL 格式的REMS;以SPL 格式提交REMS 信息的指南目前正在接受内部审查 <sup>[9]</sup>
发布指南	行动计划v2.7	2017年12月	以SPL 格式提交REMS 信息的指南草案已经发布,该指南将在2年后正式生效 <sup>[9]</sup>
	行动计划v3.0	2018年2月	2017年9月5日发布了《联邦食品、药品和化妆品法案》745A (a) 下的行业指南草案(FDA-2017-E-4282),要求以SPL 格式提交REMS 信息;必须于2018年3月5日前提交对指南草案的意见和建议;CDER 计划在2019年第1季度前完成指南的定稿,为2020年正式生效铺平道路 <sup>[9]</sup>
	行动计划v3.5	2019年4月	正在审查各方提交的针对指南草案的意见和建议;CDER 计划在第2季度前完成该指南的定稿,为2020年生效的规定铺平道路 <sup>[9]</sup>

品质量是我国医疗卫生数据标准开发的重点领域,有必要建立规范化的数据标准开发流程,充分发挥SDO在标准制定方面的专业技术优势,以保证数据标准开发项目的科学性和高效性。同时,鼓励并吸纳企业、社会组织、产业技术联盟和研究机构参与数据标准项目,建立各主体间的沟通协调机制,明确各参与主体在数据标准项目中的角色地位。

#### 4.2 强化内外部利益相关者的参与,建立数据标准委员会

医药数据标准涉及到诸多企业和技术,且专业性强,因此在推进过程中要摒弃政府单一主导模式,杜绝“一刀切”等强行推进的做法。治理理论强调治理主体的多元化<sup>[23]</sup>,在政府数据治理过程中引入多元参与主体,有利于提升治理的民主化、透明化和高效化,这些主体既包括作为权威机构的政府部门,也包含诸如行业协会、研究机构、企业和公众等利益相关者。建议借鉴美国FDA数据标准委员会治理模式,成立由国家卫生健康委员会主导,医疗卫生企业、行业协会、SDO、研究机构和医疗卫生从业者等多元利益主体参与的数据标准委员会,负责协调各利益主体在数据标准需求、标准制定、标准推广等方面的沟通合作;鼓励采用研讨会、论坛或委员会会议等沟通交流机制,以投票的形式决定数据标准开发项目与应用等重要决策。国家卫生健康委员会

负责确定医疗卫生数据标准需求、标准开发的重要次序、制定并发布数据标准指南或数据标准目录以及保持各主体间的沟通协调。同时,应充分发挥SDO、行业协会和研究机构在数据标准开发方面的技术优势,建议可以通过合同外包等形式将数据标准开发交由专业的SDO负责。此外,应强化数据标准委员会制度化建设,以法律法规或行政规章的形式明确数据标准委员会各参与主体的角色地位、参与形式以及决策沟通机制。

#### 4.3 制定数据标准目录,为医药行业提供明确、统一的数据标准

建议由国家卫生健康委员会制定并发布数据标准目录,有机整合当前我国在药品临床研究、上市申请和上市后监管等各个环节的数据标准。根据药品数据生命周期编制数据标准目录,标明监管部门在药品生命周期各个阶段支持的数据标准,并以行政法规或行业指南等形式强制要求制药行业和临床研究机构以规定的标准格式提交监管信息;同时,以财政激励的方式鼓励企业采用统一技术标准的数据收集系统、存储系统,实现不同系统之间的互操作性;此外,还应加强数据标准目录的维护和执行监督工作,建议在数据标准委员会下设立指导小组,专门负责数据标准目录的更新与维护工作;同时设立数据标准执行监督小组,负责监督数据标准在各省的落地实施,并以书面形式定期向数据标准委员会报告数据标准的执行情况。

#### 5 结语

美国FDA通过数据标准项目建立数据标准开发的治理组织机构和治理政策体系,为整合药品数据资源、推动医药数据共享和应用提供了技术支撑。我国可以借鉴美国FDA数据标准项目的管理经验,本着“突出重点、注重基础标准建设”的原则,以项目制的形式根据轻重缓急,分阶段、分步骤地制定和推广符合我国国情的药品数据标准。

#### 参考文献

- [1] HAMMOND WE. The making and adoption of health data standards[J]. *Health Affairs*, 2005, 24(5): 1205-1213.
- [2] Food and Drug Administration. *CDER data standards program*[EB/OL]. [2020-08-29]. <https://www.fda.gov/drugs/electronic-regulatory-submission-and-review/cder-data-standards-program>.
- [3] 国家互联网信息办公室. 关于印发国家健康医疗大数据标准、安全和服务管理办法(试行)的通知[EB/OL]. (2018-07-12) [2020-08-29]. [http://www.cac.gov.cn/2018-09/15/c\\_1123432498.htm](http://www.cac.gov.cn/2018-09/15/c_1123432498.htm).
- [4] 国务院. 国务院关于印发深化标准化工作改革方案的通知[EB/OL]. (2015-03-11) [2020-08-29]. <http://www.gov>.

cn/zhengce/content/2015-03/26/content\_9557.htm.

- [ 5 ] Center for Drug Evaluation and Research. *Data standards strategy*[EB/OL]. (2012-12-05)[2020-04-25]. <https://wayback.archive-it.org/7993/20170723112651/https://www.fda.gov/downloads/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/FormsSubmissionRequirements/ElectronicSubmissions/UCM332955.pdf>.
- [ 6 ] Food and Drug Administration. *Data standards strategy FY2018-FY2022*[EB/OL]. (2018-01)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/110928/download>.
- [ 7 ] Food and Drug Administration. *Office of the chief scientist*[EB/OL]. (2018-08-20)[2020-08-29]. <https://www.fda.gov/AboutFDA/CentersOffices/OC/OfficeofScientificandMedicalPrograms/default.htm>.
- [ 8 ] Food and Drug Administration. *CDER Data Standards Program Board(DSPB)charter*[EB/OL].(2014-11-21)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/80819/download>.
- [ 9 ] Food and Drug Administration. *Data standards program action plan v3.5*[EB/OL]. (2019-04-17)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/124313/download>.
- [10] Food and Drug Administration. *Federal food, drug, and cosmetic act*[EB/OL].(2014-12-16)[2020-04-25]. <http://extwprlegs1.fao.org/docs/pdf/usa145420.pdf>.
- [11] Food and Drug Administration. *Data standards strategy 2015-2017*[EB/OL].(2015-07-15)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/92902/download>.
- [12] Food and Drug Administration. *FDA data standards catalog v5.1*[EB/OL]. (2018-08-02)[2020-04-25]. <https://www.google.com.hk/url?sa=t&rct=j&q=&esrc=s&source=web&cd=2&ved=2ahUKEwidoJKQwbDiAhWp-GEKH-Vo2AtsQFjABegQIABAC&url=https%3A%2F%2Fwww.fda.gov%2Fmedia%2F85137%2Fdownload&usg=AOvVaw1wx2wJhhQoC4naKX6UXM6k>.
- [13] Food and Drug Administration. *CDER data standards communications plan v1.5*[EB/OL].(2018-07-18)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/115175/download>.
- [14] Food and Drug Administration. *Data standards program action plan v1.1*[EB/OL]. (2013-04-29)[2020-08-29]. <https://www.federalregister.gov/documents/2013/07/15/2013-16861/electronic-study-data-submission-data-standard-support-availability-of-the-center-for-drug>.
- [15] Food and Drug Administration. *Providing regulatory submissions in electronic format: content of the risk evaluation and mitigation strategies document using structured product labeling*[EB/OL]. (2017-09)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/107302/download>.
- [16] Food and Drug Administration. *Data standards program annual assessment: 2014*[EB/OL].(2015-03-18)[2020-04-25]. <https://wayback.archive-it.org/7993/20170113111739/http://www.fda.gov/downloads/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/FormsSubmissionRequirements/ElectronicSubmissions/UCM440426.pdf>.
- [17] Food and Drug Administration. *Data standards program action plan v1.6*[EB/OL]. (2015-01-21)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/91141/download>.
- [18] Food and Drug Administration. *Data standards program action plan v1.8*[EB/OL]. (2015-07-08)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/93262/download>.
- [19] Food and Drug Administration. *Data standards program action plan v2.3*[EB/OL]. (2016-08-31)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/100554/download>.
- [20] Food and Drug Administration. *Data standards program action plan v2.5*[EB/OL]. (2017-03-16)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/103809/download>.
- [21] Food and Drug Administration. *Data standards program action plan v2.7*[EB/OL]. (2017-12-26)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/110011/download>.
- [22] Food and Drug Administration. *Data standards program action plan v3.0*[EB/OL]. (2018-02-28)[2020-04-25]. <https://www.fda.gov/media/112574/download>.
- [23] 韩兆柱, 翟文康. 西方公共治理前沿理论述评[J]. 甘肃行政学院学报, 2016(4): 23-39.  
(收稿日期: 2020-05-18 修回日期: 2020-08-31)  
(编辑: 段思怡)

《中国药房》杂志——中文核心期刊, 欢迎投稿、订阅