

# 近5年获美国FDA批准的新药及其治疗领域分析<sup>△</sup>

王 帅\*, 罗 欣, 陈玉文<sup>#</sup>(沈阳药科大学工商管理学院, 沈阳 110016)

中图分类号 R95;F426 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2014)13-1156-03

DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2014.13.02

**摘 要** 目的:为新药研发人员选择新药研发方向提供参考。方法:对2008年1月1日—2012年12月31日获美国FDA批准的新药数量及其治疗领域、治疗疾病种类进行分类统计分析。结果与结论:近5年获美国FDA批准的新药共450个,其中2008年89个、2009年92个、2010年89个、2011年88个、2012年92个;其中以化学类新药为主,治疗领域主要分布在肿瘤(73个,16.2%),内分泌、营养和代谢疾病(54个,12.0%),精神和行为障碍(42个,9.3%),神经系统疾病(36个,8.0%)等;治疗疾病主要为癌症(59个,13.1%)、镇痛(31个,9.1%)、癫痫(18个,4.0%)等。生物类新药和化学类新药中的新分子实体类新药分别有30、113个,其中治疗肿瘤的新药居首位;抗癌药占治疗肿瘤领域新药的主导地位,成为批准数量占比最大的新产品。

**关键词** 美国食品与药物管理局;新药;研发;趋势

## Analysis of New Drug Approved by U.S. FDA and the Field of Drug Treatment in Recent 5 Years

WANG Shuai, LUO Xin, CHEN Yu-wen (College of Business Administration, Shenyang Pharmaceutical University, Shenyang 110016, China)

**ABSTRACT** OBJECTIVE: To provide reference for research staff of new drug to select the projects. METHODS: The drugs approved by the U.S. FDA from Jan. 1st, 2008 to Dec. 31st, 2012 were analyzed statistically in respects of amount, distribution of treatment filed, disease types, etc. RESULTS & CONCLUSIONS: 450 new drugs have been approved by U.S. FDA, among which there were 89 in 2008, 92 in 2009, 89 in 2010, 88 in 2011, 92 in 2012. Chemical drugs take up main proportion in the treatment of cancer (73 drugs, 16.2%), endocrine disorders and nutritional and metabolic diseases (54 drugs, 12.0%), mental and behavioral disorders (42 drugs, 9.3%), nervous system diseases (36 drug, 8.0%). Cancer (59 drugs, 13.1%), analgesia (31 drugs, 9.1%) and epilepsia (18 drugs, 4.0%), etc. are main diseases. There were 30 new molecular drugs in new biological drugs and 113 in new chemical drugs. Anti-cancer drugs take up the dominant place of new drugs for tumor, which occupy the greatest proportion among new drugs.

**KEYWORDS** U.S. FDA; New drug; Research and development; Trend

新药研发是一项高技术、高投入、高风险、高回报的技术,属于知识密集型产业<sup>[1-2]</sup>。药物创新是全球医药行业及医药市场快速发展的推动力,给社会带来了巨大的社会效益和经济效益<sup>[3]</sup>。目前,全球医药产业逐渐呈现出创新过程高效化、创新范围区域化、创新主体多元化和创新者高素质化的趋势。根据国家药品管理中心(SPAC)统计,我国医药产业产值过去20年年均增长率达16.72%,成为增长最快的产业之一<sup>[4]</sup>。而及时了解新药研发方向将在很大程度上促进医药行业的发展。美国FDA被公认为是全球产品品质与效果的最高标准和医药创新的风向标,因此对其批准的新药及其治疗领域进行分类统计分析,对了解新药研发的重点领域及方向极具意义。为此,笔者根据第10次修订本《疾病和有关健康问题的国

际统计分类》(简称ICD-10)和美国FDA新药注册分类,对2008年1月1日—2012年12月31日获美国FDA批准的新药适应证进行分类统计,为新药研发人员选择研发方向提供参考。

### 1 获批新药的数量

2008年1月1日—2012年12月31日获美国FDA批准的新药共450个<sup>[5]</sup>,按年度分布情况见图1。

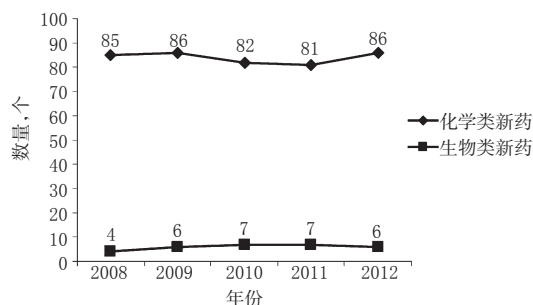


图1 2008—2012年获美国FDA批准的新药数量分布

### Fig 1 Distribution of the number of new drugs approved by U.S. FDA during 2008—2012

由图1可知,5年间生物类新药数量总体呈微升趋势,化学

<sup>△</sup> 基金项目:科技部“十二五”重大新药创制国家科技重大专项:辽宁省国家重大新药创制综合平台——基于信息管理的新药研发风险控制技术(No.2013ZX09301305)

\* 硕士研究生。研究方向:新药研发风险控制。E-mail: wss703@163.com

<sup>#</sup> 通信作者:教授,博士研究生导师。研究方向:新药研发风险控制。E-mail: cywwyc@163.com

类新药数量呈小幅波动。

## 2 获批新药的治疗领域分布

### 2.1 按 ICD-10 的疾病分类标准统计

根据 ICD-10 的疾病分类标准(共 22 大类),对批准的 450 个新药按照其适应症进行分类,结果见表 1(表中,“其他”包括“妊娠、分娩和产褥期”“起源于围生期的某些情况”“先天性畸形、变形和染色体异常”“症状、体征和临床与实验异常所见,不可分类于他处者”“疾病和死亡的外因”“影响健康状态和保健机构接触的因素”等)。

表 1 450 个新药按 ICD-10 的疾病分类分布情况

Tab 1 Distribution of diseases type of 450 new drugs in ICD-10

治疗领域	个数	所占百分比, %
肿瘤	73	16.2
内分泌、营养和代谢疾病	54	12.0
精神和行为障碍	42	9.3
神经系统疾病	36	8.0
呼吸系统疾病	34	7.6
循环系统疾病	34	7.6
传染病和寄生虫病	27	6.0
肌肉骨骼系统和结缔组织疾病	24	5.3
泌尿生殖系统疾病	24	5.3
消化系统疾病	23	5.1
眼和附器疾病	23	5.1
其他	17	3.8
皮肤和皮下组织疾病	15	3.3
损伤、中毒和外因的某些其他后果	12	2.7
血液及造血器官疾病和涉及免疫机制的疾患	12	2.7
合计	450	100

由表 1 可知,近 5 年获美国 FDA 批准的新药较集中的治疗领域为 4 个,即肿瘤,内分泌、营养和代谢疾病,精神和行为障碍,神经系统疾病,共占总数的 45.5%。上述 4 个治疗领域每年获批的新药数量见表 2。

表 2 2008—2012 年获美国 FDA 批准的新药在 4 个主要治疗领域中的数量分布(个)

Tab 2 Distribution of the number of new drugs approved by U.S. FDA in 4 main fields during 2008—2012(number)

治疗领域	2008 年	2009 年	2010 年	2011 年	2012 年	合计
肿瘤	14	7	7	21	24	73
内分泌、营养和代谢疾病	12	11	9	7	15	54
精神和行为障碍	9	9	13	6	5	42
神经系统疾病	8	10	11	3	4	36

由表 2 可知,肿瘤及内分泌、营养和代谢类新药获批年份主要是 2012 年,精神和行为障碍及神经系统疾病类新药获批年份主要是 2010 年,说明治疗肿瘤及内分泌、营养和代谢疾病的新药是 2012 年美国 FDA 批准新药的热点。

### 2.2 按美国 FDA 新药注册分类标准统计

按照美国 FDA 新药注册分类标准,将 450 个批准的新药分为生物类新药和 9 类化学类新药,统计其不同治疗领域的数量,结果见表 3(表中,BLA:生物类药物;a:新分子实体类药物;b:新活性成分类药物;c:新剂型类药物;d:新组合类药物;e:新适应症类药物;f:新配方或新生产厂商类药物;g:处方药变为非处方药类药物;h:未经新药申请已上市的药品类药物;i:未合并新适应症类药物;其他:同表 1)。

表 3 450 个新药按美国 FDA 新药注册分类分布情况(个)

Tab 3 Distribution of the types of 450 new drugs approved by U.S. FDA(number)

治疗领域	BLA	化学类新药								
		a	b	c	d	e	f	g	h	i
传染病和寄生虫病	2	9	0	9	2	4	0	1	0	0
呼吸系统疾病	0	5	0	18	4	3	2	0	2	0
肌肉骨骼系统和结缔组织疾病	8	5	0	8	2	0	0	3	0	0
精神和行为障碍	0	11	1	25	0	1	4	0	0	0
泌尿生殖系统疾病	0	7	1	10	2	4	0	0	0	0
内分泌、营养和代谢疾病	1	13	1	17	9	8	1	4	0	0
皮肤和皮下组织疾病	1	2	0	6	1	4	1	0	0	0
神经系统疾病	1	11	0	16	2	3	1	2	0	0
消化系统疾病	0	7	1	9	0	1	0	4	1	0
血液及造血器官疾病和涉及免疫机制的疾患	4	3	0	1	0	3	0	1	0	0
循环系统疾病	1	9	0	5	9	8	0	1	0	1
眼和附器疾病	2	5	0	10	0	6	0	0	0	0
肿瘤	10	25	2	10	1	16	4	5	0	0
损伤、中毒和外因的某些其他后果	0	0	0	8	0	4	0	0	0	0
其他	0	1	1	3	4	6	1	1	0	0
合计	30	113	7	155	36	70	14	21	3	1

生物类新药和化学类新药中的新分子实体类新药是美国创新药物的重要组成部分。美国创新药物批准手册<sup>[6]</sup>指出:“FDA 要促进和保护美国人健康和福利,强调新药批准应注重保护人用药物安全和有效,同时也促进对拯救生命有益的 innovation 批准进程”<sup>[7]</sup>。由表 3 可知,在生物类新药及化学类新药的新分子实体类新药中,治疗肿瘤的药物占首要位置,分别占各自总体的 33.3% 和 21.2%。新剂型类药物是 5 年来所批准新药最多的一类,其中治疗精神和行为障碍的药物占该类新药的 16.1%,呼吸系统疾病,内分泌、营养和代谢疾病,神经系统疾病治疗药物分别占该类新药的 11.6%、11.0%、10.3%。

## 3 获批新药的治疗疾病种类分布

在研究中发现,新药的治疗领域内的适应症较集中,因此对新药的治疗领域进行细化,按适应症进行分类统计,位于前 11 位的新药适应症及其所属治疗领域的新药数量分布详见表 4。

表 4 前 11 位的新药适应症及其所属治疗领域的新药数量分布  
Tab 4 Top 11 indications and distribution of the number of new drugs in the field of treatment

序号	适应症	占总数比例, %	所属治疗领域	个数	占所属领域比例, %
1	癌症	13.1	肿瘤	59	84.3
2	镇痛	9.1		31	
3	癫痫	4.0	精神和行为障碍	18	46.2
4	高血压	3.3	循环系统疾病	15	45.5
5	糖尿病	3.3	内分泌、营养和代谢疾病	15	34.1
6	抗菌	3.3		15	
7	人类免疫缺陷病毒	3.1	传染病和寄生虫病	14	53.8
8	鼻炎	2.7	呼吸系统疾病	12	44.4
9	避孕	2.2	泌尿生殖系统疾病	10	11.2
10	栓塞	2.2	循环系统疾病	10	30.3
11	抑郁	2.2	精神和行为障碍	10	25.6

由表 4 可见,在治疗肿瘤领域,其新产品类型为抗癌药,占其总体的 84.3%;在治疗精神和行为障碍领域,抗癫痫类新药占 46.2%,其次为抗抑郁类新药(占 25.6%);在治疗循环系统疾病领域,抗高血压新药占 45.5%,治疗栓塞新药也榜上有

名(占30.3%);镇痛类新药主要为抗癌痛药物、术后镇痛类药物等;抗菌药物治疗领域较为分散,以上治疗领域均有涉及。

#### 4 讨论

总体来看,美国FDA批准的新药以化学类新药为主;治疗领域主要集中在治疗肿瘤,内分泌、营养和代谢疾病,精神和行为障碍,循环系统疾病,神经系统疾病和呼吸系统疾病等方面,累积百分比达到总体的45.5%。

治疗肿瘤领域的新药居生物类新药及新分子实体类新药的首位,分别占其总体的33.3%和21.2%;抗癌药居治疗肿瘤领域新药的主导地位,占其总体的84.3%,占全部批准新药数量的13.1%,成为批准数量占比最大的新药产品。

新剂型类药物成为5年来批准新药最多的一类。在新剂型药物中,治疗精神和行为障碍的药物占16.1%,呼吸系统疾病,内分泌、营养和代谢疾病,神经系统疾病治疗药物分别占其总体的11.6%、11.0%、10.3%。

据美国癌症学会(ACS)于2012年发布的癌症病例统计报告显示,美国共有1 638 910例新发癌症病例,577 190死亡病例<sup>[8]</sup>;而且,2010年美国用于癌症治疗的费用高达1 250亿美元。另据美国国立卫生研究院统计,至2020年美国每年用于癌症治疗的费用将增至2 070亿美元<sup>[9]</sup>。可见,抗肿瘤药物仍然是未来新药研发中最热点的领域。另外,抗神经系统药物,内分泌、营养和代谢系统药物,循环系统药物也将成为新药研发中的主要领域。

2011年9月,据世界卫生组织的一份新的报告表明,心血管疾病已成为全球死亡和残疾的主要原因<sup>[10]</sup>。可见,抗高血压药物、降脂类药物及血液调节剂药物组成的复方药物研发将趋热。另外,非注射型胰岛素有望替代传统的注射剂型,成为治疗糖尿病的首选;镇痛药作为治疗由其他疾病引起的相关症状药物,在一定时期内将较为稳定;抗菌药物研发面临耐药菌增长的挑战,以更剂型或增加新适应证为研发方向可增加成功率;抑郁症是全球四大疾病之一,治疗精神和行为障碍

领域内的抗抑郁、抗失眠类药物也会有很好的市场。随着生活节奏加快、生活压力加大及生活水平提高,今后世界级新药的开发将更加注重能改善人们生命、生活质量,治疗精神分裂症新药和减肥新药均有可能成为潜在的新药产品。

#### 参考文献

- [1] 阿丽塔,许培扬,孙灵芝.药物研发过程中药学信息的利用[J].中国药房,2011,22(5):466.
- [2] 杨波,黄泰康.世界新药研发趋势[J].中国药物经济学,2009(1):44.
- [3] 邹翔,顾凯.世界新药研发动向[J].中国新药杂志,2007,16(22):1 821.
- [4] 刘昌孝.我国医药产业创新药物研发面临的问题及对策探讨[J].中国药房,2012,23(22):2 017.
- [5] FDA. Drug approval reports[EB/OL].[2013-08].<http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Reports.NewOriginalNDA>.
- [6] European Medicines Agency. EPARs for authorised medicinal products for human use[EB/OL].(2012-01-01)[2012-01-01].<http://www.emea.europa.eu/htms/human/epar/a.htm>.
- [7] 汤仲明.2011年美国FDA批准药物简介[J].国际药学研究杂志,2012,39(1):71.
- [8] Siegel R, Naishadham D, Jemal A. Cancer Statistics: 2012[J]. *CA Cancer J Clin*, 2012, 62(1):10.
- [9] 佚名.国际癌症新药研发趋势[J].中国药科大学学报,2011,42(3):241.
- [10] 赵鸿萍,蒋宏民,相秉仁.近5年全球在研心血管药物研发热点靶标及趋势分析[J].中国药科大学学报,2012,43(6):573.

(收稿日期:2013-07-30 修回日期:2013-11-11)

## 全国食品药品科技标准工作会议召开

**本刊讯** 2014年2月26-27日,全国食品药品科技标准工作会议在安徽合肥召开,国家食品药品监管总局党组成员孙咸泽出席会议并讲话。他强调,科技标准工作是做好食品药品监管的重要基础保障,是实现科学监管的重要技术支撑。要抓住体制改革机遇,把科技标准工作摆上重要位置;抓住提升能力建设这个重点,完善食品药品监管科技创新体系,提高监管科学性和监管效能。

总局成立后,组建了专门机构负责科技标准工作,业务范围涉及食品、药品、器械和化妆品等多个监管领域的保障支持,工作任务涉及科技创新、标准管理、检验检测体系和信息化建设四大体系。

孙咸泽指出,2013年科技标准工作开局良好,取得了明显进展。一是科技创新领域,印发了《关于加强食品药品监管科技工作的通知》,协调争取了5项重大新药创制课题和3项国家科技支撑计划课题等专项资金支持;二是标准管理领域,参与制订了《食品安全标准制修订工作规则》,建立了与卫生计生委的食品标准相关合作机制;三是检验检测领域,提出了食品药品检验检测体系建设主体框架方案,组织开展了乳制品检验机构的质量管理培训和监督检查,制定了医疗器械检测机构资格认可流程;四是信息化建设领域,组建了总局信息化

工作领导小组和办公室,推动国家食品安全信息平台建设、婴幼儿配方乳粉电子追溯体系、药品电子监管试点等重点项目建设,为各项工作开展奠定了基础。

孙咸泽强调,科技标准工作要抓住食品药品监管能力提升这一有利契机,紧紧围绕全面深化改革和总局中心工作,以科技创新为驱动,以能力建设为主线,努力在推动监管科技创新、完善标准管理体系、加强检验检测能力建设、推进信息化建设等方面打开新局面、取得新成效。

对于2014年科技标准工作安排和部署,孙咸泽要求,要注重统筹安排,突出工作重点,集中力量抓好事关全局的重要工作;要上下协调联动,形成工作合力,明确四大体系各项工作的层级分工,建立部门间的协作机制;要强化督导检查,抓好工作落实,把督导检查作为调查研究、完善决策的重要渠道;要加强调查研究、转变工作作风,从基础工作抓起,从调查研究入手。

会上,总局科技标准司主要负责人做了科技标准工作报告,相关处室负责人介绍了科技、标准管理、检验机构指导、信息化四大体系工作情况。各省(区、市)和新疆生产建设兵团食品药品监管局相关负责人,总局相关司局、直属单位相关负责人参加了会议。