

中国儿童用药现状分析与对策[△]

洪凡^{1,2*}, 王霞³, 邱家军³, 刘立丽^{1,2}, 王丹^{1,2}, 鲍康德^{1,2#} (1. 浙江理工大学生命科学与医药学院, 杭州 310018; 2. 浙江省家蚕生物反应器和生物医药重点实验室, 杭州 310063; 3. 浙江国邦药业有限公司药物研究所, 浙江绍兴 312369)

中图分类号 R985 文献标志码 A 文章编号 1672-2124(2026)05-0635-06

DOI 10.14009/j.issn.1672-2124.2026.05.026



摘要 国民在生活水平不断提高的同时,对于健康问题也愈发重视,尤其是儿童健康状况。儿童是有着特殊用药需求的群体,对儿童用药已成为当今社会的热门话题。该文综述了儿童用药的特点,对比英、美、日等国政策法规,分析儿童用药现存的问题,并据此提出针对性建议,旨在破解我国儿童用药种类少、剂型少、规格少等窘境,助力国内儿童用药产业的健康发展。

关键词 儿童健康状况; 儿童用药; 政策法规; 分析与对策

Analysis and Countermeasures of Medication Status in Children from China[△]

HONG Fan^{1,2}, WANG Xia³, QIU Jiajun³, LIU Lili^{1,2}, WANG Dan^{1,2}, BAO Kangde^{1,2} (1. School of Life Science and Medicine, Zhejiang Sci-Tech University, Hangzhou 310018, China; 2. Zhejiang Key Laboratory of Silkworm Bioreactor and Biomedicine, Hangzhou 310063, China; 3. Pharmaceutical Research Institute of Zhejiang Guobang Pharmaceutical Co., Ltd., Zhejiang Shaoxing 312369, China)

ABSTRACT With the continuous improvement of national living standards, there is also an increasing emphasis on health issues, especially the health status of children. Children are the group with special medication needs, and the topic of medication for children has become a hot topic in recent years. This article summarizes the characteristics of medication for children, compares policies and regulations with those of countries such as the UK, US, and Japan, analyzes the existing problems in medication for children, and proposes targeted suggestions for the problems. The aim is to explore solutions to the dilemma of limited types, dosage forms, and specifications of medication for children, and to promote the healthy development of medication industry in children from China.

KEYWORDS Health status of children; Medication for children; Policies and regulations; Analysis and countermeasures

随着社会的持续发展和科技的不断进步,人民的生活水平显著提升,人们对于健康问题,特别是儿童健康状况的关注度持续增加。因此,儿童用药问题逐渐成为当今社会广泛讨论的焦点话题之一。儿童作为一类特殊的用药群体,在生理结构与药物代谢方面与成人存在显著差异,因此儿童用药方面的特殊性理应得到更多重视。目前,我国儿童用药领域仍存在诸多问题与挑战,例如,儿童用药种类少、剂型少、规格少等问题日益凸显,亟待解决。同时,查阅《古代经典名方》发现,其中对儿童用药的记载十分有限,这表明亟须补充完善相关内容,以适应现代儿童用药的需求。药食同源理论历史悠久,在儿童疾病预防领域的应用价值日益受到各界重视,现存问题也从侧面凸显出儿童用药行业具备广阔的发展空间与良好的发展前景。随着我国计划生育政策的放宽,儿童人口占

比有所回升,医院儿科就诊需求持续攀升,国家亦大力鼓励医疗制剂的研发,尤其重视儿童专用制剂的开发,儿童用药行业具备良好的市场前景与发展潜力。该文通过分析我国儿童用药的现状,剖析目前存在的问题并提出切实可行的解决对策,旨在为相关政策制定和儿童专用药品研发提供参考。

1 儿童用药概况

1.1 儿童用药的特殊性

儿童作为社会重点关注的群体,其健康状况也愈发受到重视。儿童用药是指专为满足儿童特殊生理和病理需求而设计、生产的药物,其剂型、剂量、药效及安全性等方面均需适配儿童群体^[1]。儿童作为特殊的用药群体,其用药需求与成人存在显著差异。鉴于儿童正处于生长发育的重要阶段,身体各器官还未发育成熟,生理和病理状况也与成人存在差异,因此儿童具有独特的药物代谢动力学和药物效应动力学特点,可能会出现发育迟缓、支气管发育不良、胆红素脑病及遗传代谢性疾病等儿童特有疾病^[2]。不同年龄段的儿童对药物的反应也可能存在个体差异,药物在成人体内的临床疗效及不良反应表现相对稳定,而儿童则随年龄增长可能呈现不同的反

△ 基金项目:浙江理工大学(铜陵)国家技术转移中心项目(No. 25170018-V)

* 硕士研究生。研究方向:食药物产品工艺研究。E-mail: 1962481527@qq.com

通信作者:正高级工程师。研究方向:药物研发与生产技术。E-mail: bocand@163.com

应特征,所以在对儿童进行临床用药时须结合年龄、体重、身高等个人情况,特别注意药物选择和剂量控制,避免药物选择不当或剂量使用不规范导致患儿出现严重药物不良反应,威胁患儿的生命健康。

1.2 儿童用药的分类

儿童人口的分布在不同国家和地区因经济、教育、文化等因素的影响存在显著差异,儿童用药种类繁多,拥有广阔的市场,通常可以分为预防用药和治疗用药两大类。

预防用药是指用于预防疾病发生的药物,其应用目的为提前规避疾病发病风险。其中,各类儿童预防接种疫苗是预防用药的典型代表,如乙肝、流感、麻疹、百日咳疫苗等。疫苗可在病原体侵入机体前,预先激活人体免疫系统并诱导产生抗体,从而建立有效的免疫防护屏障。

治疗用药主要用于已经出现的疾病或症状,根据药物的特性和市场需求,治疗用药可以进一步细分为普药、孤儿药和急需药,见表1。

表1 儿童用药的分类及举例

分类	药品名称	治疗症状
普药	普伐他汀	可安全治疗4岁或4岁以上患有遗传性高胆固醇血症的儿童 ^[3]
	度普利尤单抗	治疗儿童重度特应性皮炎 ^[4]
	盐酸丙卡特罗	治疗儿童哮喘 ^[5]
	依那西普	治疗儿童中、重度银屑病 ^[6]
	罗普司亭	用于治疗免疫性血小板减少症(ITP) ^[7]
	匹多莫德	治疗儿童反复呼吸道感染,但须注意3岁以下患儿禁用 ^[8]
孤儿药	卡托普利	治疗儿童急性肾炎高血压 ^[9]
	Promacta	用于治疗儿童慢性免疫性血小板减少性紫癜(ITP) ^[10]
	Lenmeldy	用于儿童治疗异染性脑白质营养不良 ^[11]
	Adzyna	用于成人和儿童治疗先天性血栓性血小板减少性紫癜 ^[12]
	伏索利肽	用于治疗儿童软骨发育不全 ^[13]
	Remune(人类免疫缺陷病毒治疗性疫苗,在研/孤儿药)	用于预防儿童HIV感染 ^[14]
急需药	诺和诺德长效人生长激素	用于治疗儿童因内源性生长激素分泌不足而导致的生长缓慢 ^[15]
	氯巴占	作为一种辅助药物用于治疗成人或2岁及以上儿童的Lennox-Gastaut综合征(LGS)相关的癫痫症状 ^[16]
	芪蓟肾康颗粒	治疗儿童过敏性紫癜性肾炎 ^[17]
	拉考沙胺	治疗儿童期癫痫及其并发症 ^[18]
	吉妥珠单抗	治疗儿童急性髓细胞性白血病 ^[19]
	硝唑尼特	主要用于治疗肠道原虫感染(如隐孢子虫病,贾第鞭毛虫病)及某些细菌性肠道感染 ^[20]
	吸入用布地奈德混悬液(普米克令舒)+硫酸特布他林雾化液(博利康尼)	治疗吸入性肺炎继发性喘息 ^[21]

普药是指临床广泛使用、疗效确切、价格合理的药品,对于儿童常见病、多发病的治疗具有重要意义^[22]。普药通常具有价格相对低廉、市场竞争激烈、销售模式传统、药品种类繁多等特点。

孤儿药是指用于治疗罕见病的药品^[23]。罕见病的种类超过7000种,全世界罕见病患者的总数大约有4.75亿,其中儿童患者占比高达三分之二^[24]。由于罕见病患者数量少、市场需求小,研发孤儿药的难度较大,对于罕见病患儿而言,孤儿药更是稀缺资源。孤儿药研发面临诸多挑战,如罕见病种类繁多、患者人数少、疾病机制复杂、临床试验难度大等。近年来,中国政府加大对孤儿药研发的支持力度,出台了如优先审评审批、减免税收、研发资助等政策。孤儿药的研发不仅有助于满足罕见病患者的治疗需求,还能推动医药行业的创新和发展,孤儿药的成功研发也能为企业带来一定的经济效益和社会效益。

急需药是指当前市场上临床需求迫切但供应不足的药品,在医疗保障中发挥巨大作用,是保障公众基本医疗需求的重要支撑,能够保障患者的基本用药需求。通过推广使用急需药,可以降低医疗成本,减轻患者经济负担,控制医疗费用的不合理增长。急需药的遴选和使用需遵循科学、公正、公开的原则,以促进合理用药。

1.3 国内外儿童用药政策法规

我国儿童用药的发展起步相较于美国、欧盟、日本等国家和地区晚,发展相对滞后。各个国家都提出并实施了不同的激励政策和措施,对比我国与美国、欧盟、日本等发达国家和地区的儿童用药研发现状和激励政策,可见我国目前在这一领域与

这些发达国家或地区之间存在明显短板。陈敏等^[25]主要针对全球儿童用药政策进行研究,制订专项政策对促进儿童用药发展至关重要。表2深入分析和比较美国、欧盟、日本以及我国在儿童用药研发领域的现状,旨在汲取国际上的成功经验,并持续探索适合我国医药行业发展的道路。

自20世纪90年代末期,美国对儿童药品研发及用药数据收集与分析的关注显著提高,并在既有的儿童用药研发政策基础上,颁布了一系列具有针对性的法律法规。美国儿童用药研发的监管机构及网络早在1887年便组织国立卫生研究院来专门负责与指导儿童用药的研发,并定期更新需进行临床试验的儿科药品清单^[26]。1997年美国国会开始针对儿科药品的监管进行立法并颁布了《食品和药品现代法案》^[26],该法案在儿童用药方面的重要突破是建立了经济激励措施,设立了“儿童用药独占期条款”。为实现儿童用药监管“激励与强制并重”,美国又于2002—2003年先后出台《最佳儿童药品法案》^[27]《儿科研究平等法案》^[28],建立了“经济激励”和“行政强制”相结合的儿童用药监管体系,逐渐形成较为完善的“激励-强制-帮扶”的儿童药品研发激励政策模式^[37-38]。

欧盟在儿童用药相关法律法规的提出与制定方面稍晚于美国。1997年欧洲药品管理局便开始推动儿童用药研发相关激励政策与法案的起草工作,至2006年底欧盟官方正式颁布《儿童用药监督管理条例》^[29],该条例引入了儿科独占和儿科专卖的机制,2007年1月26日起在欧盟各成员国生效,至今仍在实施。2008年,欧洲药品管理局成立儿科委员会,成员构成具有多元性,包括医药行业专业人士、政府专员及患者等多

表2 美国、欧盟、日本、中国等国家和地区儿童用药政策法规比较

国家或地区	时间	文件名称	主要内容
美国	1997年	《食品和药品现代法案》 ^[26]	规定对开展儿科药品临床试验的新药,可额外获得6个月的市场独占期作为激励
	2002年	《最佳儿童药品法案》 ^[27]	制药企业在说明书中需增加儿童用药的信息
	2003年	《儿科研究平等法案》 ^[28]	强制要求对符合条件的药品进行儿科研究和儿科评价
欧盟	2006年	《儿童用药监督管理条例》 ^[29]	要求在不同儿童群体中评估药品安全性和有效性,并且根据儿科研究计划取得儿童用药的相关数据后,国家将给予6个月的市场保护期
日本	1960年	《药事法》 ^[30]	规定儿童用药上市许可制度
	2017年	《人用药品注册技术要求国际协调会议E11(R1):儿童药物临床研究指南》 ^[31]	促进儿童新药的药物选择,组织学术界和制药公司列出需要优先在日本开发的药物清单
中国	2011年	《中国儿童发展纲要(2011—2020年)》 ^[32]	明确提出“鼓励儿童专用药品研发和生产”
	2013年	《深化药品审评审批改革进一步鼓励药物创新的意见》 ^[33]	鼓励研制儿童用药
	2019年	《药品管理法》 ^[34]	明确鼓励儿童用药的研制和创新,对儿童用药予以优先审评审批
	2021年	《药品注册管理办法》 ^[35]	设立优先审评通道,将儿童用药纳入优先审评审批程序

方主体,旨在全程监管新药上市前儿科试验的计划、开展、延期或豁免,确保能够深入了解行业变化和市场需求^[39]。欧盟经过长时间的发展,现在逐渐形成了与美国相似的药品研发激励政策模式^[37]。

日本虽然早在1960年就颁布《药事法》^[30]规定了儿童用药的上市许可制度,但收效甚微。针对严峻现状,日本政府持续快速推进儿童用药政策改革,为了促进儿童用药的研发,2017年开始实施《人用药品注册技术要求国际协调会议E11(R1):儿童药物临床研究指南》^[31]。虽然日本的儿童用药起步较晚,但已展现出强劲的发展势头。

我国现已跃居成为全球第二大医药市场,但仿制药在推动医药产业发展中仍占据主导地位。近年间,中国政府陆续颁布了一系列政策及措施,其目的是促进药品研发和创新,助力医药产业高质量发展,加速产业转型升级。但直至2011年《中国儿童发展纲要(2011—2020年)》^[32]发布,首次在国家层面的纲领性文件中明确提出了“鼓励儿童专用药品研发和生产”的政策导向。随后,国家食品药品监督管理局于2013年发布《深化药品审评审批改革进一步鼓励药物创新的意见》^[33],着重强调并积极鼓励儿童用药专用剂型和规格的研发,从招标、定价、医保等多个维度为医药企业提供帮助与支持。2019年修订的《药品管理法》^[34]明确规定,国家积极鼓励儿童用药的研发和创新,支持研发契合儿童生理特征的儿童用药新种类、新剂型和新规格。2021年新修订的《药品注册管理办法》^[35]进一步强调将具有明显临床价值、符合儿童生理特征的儿童用药新品种、新剂型和新规格的药品纳入第一优先级别审评审批程序。尽管我国当前对儿童用药予以高度重视,但鉴于我国儿童用药领域的研究起步较晚,因此在儿童用药方面仍需持续投入研究,以确保儿童能够获得更加安全、有效和适宜的治疗方案。

2 儿童用药现状分析

2.1 基础设施保障不完善

我国儿童用药基础设施支撑体系尚不完善,儿科学术门诊普遍存在收费率低、就诊量少、药师岗位培训不足、人才培养和宣传教育的投入占比低等问题^[40]。同时,儿科医师培养规模远不能满足社会需求,儿科人才缺口突出、人员总量严重不足,大量儿童诊疗仍依赖非儿科专业医师,人才缺口显著导致儿科医护人员超负荷工作,既不利于临床儿童合理用药规范实施,也易增加漏诊、误诊风险;还可能因处方开具不规范引发用药不当等医疗安全隐患^[41]。王干一等^[42]研究结果表明,儿童临床用药不良反应发生率处于较高水平。儿童语言表达能力尚未发育完善,难以准确自述自身不适与临床症状,显著增加了医师病情诊

断难度。医患沟通受限导致医师无法精准把握患儿病情,难以辨证施治、合理开具处方,进而影响诊疗效果与用药安全。

2.2 种类少、剂型少、规格少

我国儿童健康产业近年来发展迅速,然而我国儿童用药研究起步晚、基础薄弱,因此儿童专用药品相对短缺的问题仍然较为突出。有数据统计显示,我国3500余种化学药品制剂中,儿童专用制剂仅有60多种,国内市场目前90%以上的药品缺乏儿童专用剂型,标注适用于儿童的药物占比只有2%左右^[43],因此在临床治疗过程中,儿童可用药品短缺现象十分普遍。查阅国家药品监督管理局相关数据(<https://www.nmpa.gov.cn/datasearch/search-result.html>)并进行统计分析后得到图1,从图中可以看出我国儿童药品的种类主要是化学药品和中成药,保健药品与生物制品的占比较少,且化学药品与中成药的生产研发公司数量占比较大,这会间接导致我国儿童药品的种类、剂型、规格较为匮乏。

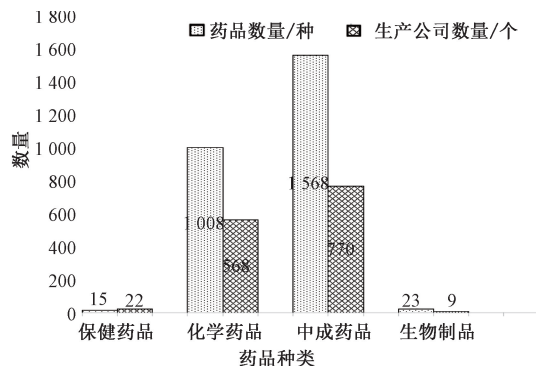


图1 我国各种类儿童药品数量及生产企业数量

目前儿童专用药物整体上看剂型种类繁多,但是聚焦到某单一药物时,可供选择的剂型和规格非常局限。研究结果显示,儿童常见病专用剂型主要是口服溶液剂、颗粒剂、口服混悬剂等^[44],2016—2022年使用量排名前10的儿童常见病专用药中,排名前5位的药品剂型分别为口服溶液剂(55.76%)、颗粒剂(26.60%)、口服混悬剂(7.58%)、咀嚼片(3.52%)、注射液(1.83%),对于儿童常用药物而言,剂型和规格的缺乏严重制约临床治疗效果^[45]。我国儿童药品种类、剂型和规格的缺乏导致临床实践中多数患儿只能使用成人药品,参照药品说明书采用儿童减半或酌情减量的方式给药。为满足临床治疗需求,医疗机构常将成人药片分割、胶囊拆粉,或将成人注射剂稀释后用于儿童。此类用法缺乏权威理论与科学依据支撑,不仅难以精准把控给药剂量,易出现药量不足或用药过量的情况,还

会降低药物治疗效果,严重威胁患儿用药安全与身体健康^[46]。

2.3 超说明书用药现象普遍

儿童超说明书用药在世界范围内是普遍存在的现象^[47]。分析其常见原因可能包括药物临床试验数据缺乏、用药说明书更新滞后、临床研究基础薄弱等。目前,适用于儿童的药物种类、剂型及其规格已难以满足持续增长的儿童医疗需求。超说明书用药虽可能会为疾病的治疗提供更多的途径,但也增加了药害事件和医疗纠纷事件的发生风险。

医生对药物的种类、剂型等的选择对于疾病的治疗成效具有显著的影响,特别是对患儿的影响尤为深远。有研究表明,在儿童临床用药过程中,超适应证用药、超剂量用药、超适应年龄用药等现象十分普遍^[48]。究其根源,主要在于儿童专用药种类匮乏、适宜剂型短缺、药物规格标准不统一等现实问题^[49]。

2.4 选择性研发投入少

医药企业及科研单位对儿童用药的研究和生产积极性不高,2014年全国工商联医药业商会的调查数据显示,全国医药企业有6000多家,其中专门从事儿童用药生产的企业数量占比不足0.4%,有儿童用药生产的企业数量占比也仅为0.5%^[50]。有数据指出,在我国所有经营药品生产销售的企业中,业务与儿童用药有关的企业仅30多家^[51]。国家药品监督管理局发布的相关数据(<https://www.nmpa.gov.cn/zwgk/tjxx/index.html>)统计结果显示,截至2023年12月,目前国内现有化学药品生产企业约2500家,中药生产企业约1900家,生物制剂生产企业约600家,近5年我国药品生产企业数量呈总体下降趋势,其中化学药品生产企业的数量下降最为明显,生物制剂生产企业的数量逐渐增多;全国专门从事儿童用药生产的企业也仅有50余家,涉及儿童用药研发生产的企业也仅有700余家,近些年我国关于儿童用药研发生产的企业数量并没有明显增多的趋势,企业数量的增速极为缓慢,见图2。

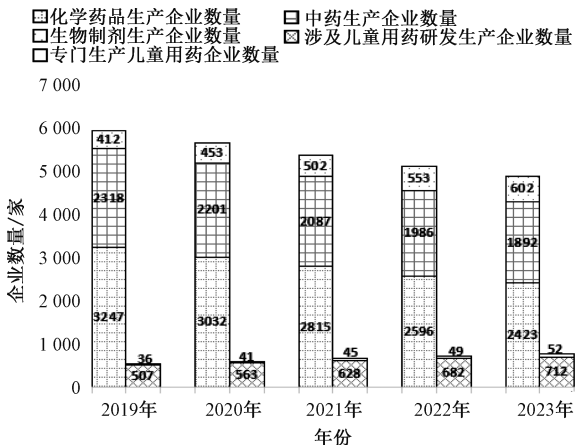


图2 我国2019—2023年各种类药品生产企业数量及儿童用药生产企业数量

由于儿童用药的特殊性,企业与科研单位更愿意将精力投入成人用药的研发和生产中。儿童每个成长阶段对于药物的吸收、代谢、反应能力都不一致,所以药物在研发过程中需要投入大量的人力、物力和财力,儿童药品的研发成本差不多是成人药品的2倍。儿童疾病的发病率相对较低且病症较杂,患先天性疾病的患儿较少,导致市场需求不稳定性 and 波动性极大,且药品定价标准不明确。大多数的儿童药品用药规格小,需要

进行多批次小规模生产,儿童不同年龄阶段存在用药依从性不同的问题,生产企业需要改变剂型或者添加相应的辅料来改变药品的形状和气味以提高儿童用药依从性,进而导致生产工艺复杂性和生产成本的大幅增加^[52]。儿童用药的研发周期长、研发风险高,新药研发常面临失败的情况,大多数儿童用药的研发停留在了实验室阶段,研究成果并没有得到进一步转化,成本难以回收,导致儿童用药投入回报率过低。儿童用药研发高投入、低回报的特点,导致企业投入产出效益偏低,缺乏研发与生产的内生动力,因此,医药企业及科研机构多选择规避研发风险,不愿投入资源开展儿童用药研究^[53]。

2.5 临床试验工作开展困难

鼓励儿童用药研发、促进开展儿科临床试验、推动儿童药物上市是从根源上破解儿童用药短缺难题的重要举措^[54],而儿科临床试验是儿童用药上市前的重要一环。新药投入临床应用前,须严格筛选符合试验条件的受试者开展临床试验。经过多期临床试验后,研究人员需整理分析受试者用药后的疗效、不良反应等相关数据,只有各项指标均达标的药物,方可获批上市并大规模应用于临床治疗。然而现阶段儿科临床试验开展难度较大,已严重制约儿童用药的研发进程。

儿童临床试验存在试验设计复杂、受试者招募困难、试验风险难以评估等多重难题,加之多数家长对儿科临床试验认知不足,对试验安全性心存顾虑,不愿让子女参与临床试验,排斥将患儿当作试验对象,导致临床试验工作开展困难^[55]。记者曾采访北京某三甲医院临床试验机构负责人得知,由于临床试验具有高风险,该负责人所在的医院对儿童药物进行临床试验持消极态度,并且参与临床试验的医生对儿童用药临床试验存在排斥心理^[56]。家长知情同意难度大、儿童临床试验机构数量不足、试验设计复杂度及难度较高、试验成本高使得许多临床试验机构不愿在儿科临床试验方面有较大的投入。因此,较少的儿童用药临床试验导致多数药品说明书中“儿童用法用量”标注为“尚不明确”或“遵医嘱”。

3 发展儿童用药的对策与建议

3.1 政策导向与基础设施保障

加强政策支持和引导、支持儿童适宜剂型药品的研发和市场准入并制定鼓励政策、给予资金支持、加速成果转化是提高医药企业及科研单位研究和生产儿童用药积极性的重要手段^[57]。我国正在不断完善政策体系,鼓励企业积极研发儿童专用药物,为了改善儿童用药现状,国家卫生健康委联合科技部、工业和信息化部、国家医保局、国家药监局等部门发布了《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》^[58],旨在促进儿童用药新品种、适宜剂型与规格的研发创新,满足儿科临床用药需求^[59]。国家虽已出台儿童用药优先审评审批、税收减免等扶持政策,但整体流程依然较长,配套的医保支付、市场独占期等激励措施仍需进一步强化和细化。

3.2 选择性研发投入与审批绿色通道

儿童处于生长发育阶段,各脏器功能尚未发育成熟,药代动力学与药效动力学特征与成人差异显著,针对这一生理特殊性,临床需为患儿选择适宜的药品、剂型及给药途径。在儿童药品研发投入阶段,应优先开发口服剂型,并依据不同年龄段及临床症状制订精准给药剂量,规范儿童临床用药,尽量避免静脉注射等给药方式,可选用片剂、汤剂等适宜剂型。儿童普遍存在

服药抵触心理,研发时应在口味、剂型形态上贴合儿童接受度,如开发水果味、甜味制剂,以减轻患儿服药抗拒感,同时应健全儿童药物安全性评价体系,保障各类新剂型安全、有效。

建立完善的临床试验受试者保障机制至关重要。推动儿童用药发展需要政府与社会各界共同努力,在严格遵循伦理的前提下,积极而慎重地推进新药在儿童群体中的临床试验,涵盖已投入使用但暂未通过临床试验的药物。药品监管部门应靠前服务,实施专人督导,优化审评资源,当前审批规则缺乏对儿童用药特殊性的考量,需建立专门的申报材料要求与审评标准。

3.3 地域性儿童用药开发

源于经典名方或临床验方的医疗机构制剂是儿童用药的有益补充,在儿童用药领域发挥着不可或缺的补充作用^[60]。

此类制剂依托长期临床实践积淀而成,具备深厚的中医药理论支撑,在治疗儿童常见病、多发病以及某些疑难杂症方面具有独特优势。目前市场上专门针对儿童的药品相对较少,尤其是中药制剂。源于经典名方或临床验方的医疗机构制剂在一定程度上能够填补市场空白,为儿童提供更多的治疗选择。

首先,可调研目标地域的儿童常见疾病,特别是具有地方特色的疾病或当地特有的疾病,并深入研究分析该疾病的发病率、症状、现有治疗手段等。藏药、蒙药、维药、傣药理论体系较为完善,因此被称为四大民族医药,在我国少数民族医药中具有很强的代表性^[61];其次,可评估当前市场上针对该地域性疾病的儿童用药情况以及了解当地特有的大量流通的特效药材,从中找到不足之处并作为切入点进行新药开发。四大民族医药的介绍见表3^[62-63]。

表3 四大民族医药简介

主要类型	理论体系	经典文献	特点	代表药材
藏药	主要有“五源学说”	《月王药诊》《晶珠本草》 《四部药典》	藏药的性味理论和病因分类自成一体; 诊疗和用药独具特色	红景天、冬虫夏草、螃蟹甲、麝香、沙棘、喜马拉雅紫茉莉等
蒙药	“三素”“五元”“阴阳”学说	《识药晶鉴》(本草图鉴)	讲究药物配伍和制剂;毒副作用少	草乌、黄芪、甘草、紫草、麻黄、肉苁蓉、赤芍、沙棘、锁阳、黑云香、亚大黄等
维药	主要有“四大物质”“气质”“体液”“健康”“疾病”等学说	《太吉力验方》(卡祖农)	常用芳香性和烈性的药物,且用量较大	阿魏、锁阳、大枣、雪莲、甘草、贝母、麻黄、紫草、菊苣、阿里红、刺山柑等
傣药	以“四塔”“五蕴”为核心	《贝叶经》《嘎牙山哈雅》	善于用解药和鲜药,对治疗感冒、肠胃病、食物中毒、关节病、妇科病很有经验	马唐、人面果、朱蕉、龙血树、锡生藤、麻嘎嘎罕、麻景、麻芒等

《素问·异法方宜论》有言:“东方之域……其病皆为痲疡……西方者……其病生于内……北方者……脏寒生痲病……南方者……其病挛痹……中央者……故其病多痿厥寒热。”原文指出不同地域各有多发疾患,早已阐明地理环境与疾病谱的内在关联,系统阐释了地域因素对疾病分布的影响规律。地域性儿童用药开发,需明确药物目标市场,界定适配病种与适用人群等范畴。儿童用药的地域性特征,主要体现在疾病谱差异、临床用药习惯及本地药材流通供应状况三个方面。

3.4 传承和创新中医药文化,注重儿童日常饮食健康

儿童疾病的预防同样值得重视。中医“药食同源”理论源远流长,历来崇尚治未病思想,即未病先防、既病防变、瘥后防复^[64]。现代中医药学研究结果发现,食品疗法相较于药物治疗安全性高、耐受性大、依从性好,将食药同源产品融入现代疾病辅助治疗与预防体系,可以起到防微杜渐的作用,减少疾病的发生,有利于助力大健康体系的建设^[65]。

4 展望

儿童作为特殊且重要的群体,保障儿童健康成长具有深远的社会意义。当前我国儿童用药供给仍难以满足市场实际需求。近年来,国内儿童健康产业稳步发展,儿童用药保障力度持续提升。但我国儿童用药研究起步较晚、产业基础薄弱,仍存在儿童专用药品种类偏少、剂型单一、规格不足等突出问题。对此,我国正视现存短板,积极借鉴先进国家经验,相继出台多项激励政策,从制度层面为儿童用药产业发展提供有力扶持。未来有望推动儿童用药行业持续提质发展,为儿童健康成长筑牢用药保障。与此同时,还需要全社会共同关注、多方参与、凝聚合力,协同推进我国儿童用药事业长远发展。

参考文献

[1] 王雨彤. 中国儿童用药现状、问题与对策[D]. 北京:北京中医药大学, 2018.
[2] 姜艳, 夏维波. 维生素D与佝偻病/骨软化症[J]. 中华骨质疏松和骨矿盐疾病杂志, 2018, 11(1): 51-55.

[3] 相洪琴. 普伐他汀可安全有效治疗儿童高胆固醇血症[J]. 国外医学情报, 2005, 26(11): 41-42.
[4] 李荣华, 黄钟, 杨文治, 等. 度普利尤单抗联合地奈德乳膏治疗儿童重度特应性皮炎的临床效果观察[J]. 中外医学研究, 2023, 21(25): 11-14.
[5] 钟盛林, 王太森. 普鲁卡特罗治疗儿童哮喘35例[J]. 实用儿科临床杂志, 1997, 12(6): 404-405.
[6] 赵鹏, 秦小卫, 梁丽丽, 等. 依那西普治疗儿童中重度银屑病的系统评价[J]. 中国药物与临床, 2019, 19(1): 43-44.
[7] 刘晶晶, 吴润晖. 罗普司亭治疗儿童血小板减少性疾病的进展[J]. 中国小儿血液与肿瘤杂志, 2023, 28(6): 339-341, 350.
[8] 王丽娟, 安家波, 夏美玲. 匹多莫德口服液(普利莫)在治疗过敏性疾病中的临床疗效观察[J]. 中国医药指南, 2016, 14(14): 93, 94.
[9] 罗绍兴, 李湘波, 陈理, 等. 卡托普利治疗儿童急性肾炎高血压43例疗效观察[J]. 中国新医药, 2003, 2(5): 84-85.
[10] 儿童罕见血液病药物添新成员: 孤儿药 Promacta 获 FDA 批准[J]. 中国新药杂志, 2015, 24(17): 2002.
[11] 夏训明. 美国 FDA 批准 Lenmeldy (atidarsagene autotemcel) 用于儿童治疗异染性脑白质营养不良[J]. 广东药科大学学报, 2024, 40(2): 111.
[12] 夏训明. 美国 FDA 批准 Adzynma 用于治疗先天性血栓性血小板减少性紫癜[J]. 广东药科大学学报, 2024, 40(2): 143.
[13] 张茂营, 陈国良. 伏索利肽[J]. 中国药物化学杂志, 2022, 32(8): 658.
[14] 世界新药之窗[J]. 中国新药杂志, 2014, 23(24): 2827-2828.
[15] 张建忠. 2020年8月FDA批准新药概况(下)[J]. 上海医药, 2021, 42(1): 后插1.
[16] 李永贵, 刘富强. 严重癫痫发作治疗药——Onfi[J]. 齐鲁药事, 2012, 31(1): 60-61.
[17] 张慧茹. 基于LC-MS的治疗儿童过敏性紫癜性肾炎有效复方优化研究[D]. 沈阳: 辽宁中医药大学, 2020.
[18] 宋春海, 阎敬宸, 石庆生, 等. 拉科酰胺对儿童期癫痫的脑保护及其机制研究[Z]. 邯郸: 邯郸市妇幼保健院, 2012-08-10.

- [19] 孟广强, 冯洒然, 王焱. 吉妥单抗治疗急性髓系白血病的疗效影响因素分析[J]. 中国肿瘤临床, 2024, 51(1): 45-48.
- [20] 北京中以海德医学研究有限公司. 一种含有硝唑尼特的药物组合及其应用: CN20221111847.8[P]. 2022-11-25.
- [21] 余中方, 吕雪峰. 普米克令舒加博利康尼雾化液吸入治疗新生儿喘息疗效观察[J]. 中国保健, 2008, 16(28): 994.
- [22] 季媛媛. 产学研医多方融合加速普药业务中国市场转型步伐[N]. 21世纪经济报道, 2021-11-03(12).
- [23] 李阳, 朱蕾. 孤儿药的研究进展与研发动力探讨[J]. 医药导报, 2024, 43(6): 904-910.
- [24] 李佳琦, 王慧君, 周文浩. 儿童罕见病药物治疗新进展[J]. 中国当代儿科杂志, 2023, 25(7): 759-766.
- [25] 陈敏, 张伶俐, 曾力楠, 等. 全球儿童合理用药国家药物政策现状分析[J]. 中国药房, 2017, 28(24): 3313-3316.
- [26] 卢玉美. 国外儿童用药研发与应用监管政策分析[J]. 中国药物警戒, 2013, 10(9): 527-532.
- [27] 金丹, 田春华, 杨月明, 等. 儿童用药安全现状及政策研究与思考[J]. 中国药事, 2015, 29(4): 427-431.
- [28] 旷吉琳, 陶孟瑶, 张婷, 等. 国内外儿童用药现状分析[J]. 中药与临床, 2022, 13(5): 97-99.
- [29] European Medicines Agency. Paediatric regulation[EB/OL]. [2025-09-06]. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/paediatric-medicines-overview/paediatric-regulation>.
- [30] 日本薬局方. 医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律[EB/OL]. [2025-09-06]. <https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000066530.html>.
- [31] 耿莹, 张豪, 孙艳喆, 等. 《人用药品注册技术要求国际协调会议 E11(R1)儿童药物临床研究指南》要点解读[J]. 中国临床药理学杂志, 2020, 36(21): 3551-3554.
- [32] 国务院. 中国儿童发展纲要(2011—2020年)[EB/OL]. [2025-09-06]. https://www.gov.cn/gongbao/content/2011/content_1927200.htm.
- [33] 国家食品药品监督管理局. 关于深化药品审评审批改革进一步鼓励药物创新的意见: 国食药监注〔2013〕37号[EB/OL]. (2013-02-22)[2025-09-06]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/20130222120001551.html>.
- [34] 中国法制出版社. 中华人民共和国药品管理法[M]. 修订本. 北京: 中国法制出版社, 2019.
- [35] 王婧璨, 张晓东, 温宝书, 等. 新版《药品注册管理办法》修订内容研究与思考[J]. 中国新药杂志, 2021, 30(7): 590-595.
- [36] 张雅慧, 闫根全, 张文, 等. 国内外儿童用药鼓励研发政策比较[J]. 国际药学研究杂志, 2016, 43(4): 591-596.
- [37] 汪君铤, 沈佳佳, 李春梅, 等. 国内外儿科药物临床试验发展现状[J]. 临床儿科杂志, 2020, 38(8): 636-640.
- [38] U. S. Food & Drug Administration. The pediatric exclusivity provision[EB/OL]. (2022-04-21)[2025-09-06]. <https://www.fda.gov/science-research/pediatrics/pediatric-exclusivity-provision>.
- [39] 李勇, 胡培杰, 张乐彤. 国内外儿童用药研发现状及激励政策比较[J]. 中国药物评价, 2023, 40(1): 12-16.
- [40] 鲁卓林, 王晓玲, 王妍, 等. 中国非处方药目录中适宜儿童使用的化学药分析[J]. 中国现代应用药学, 2023, 40(17): 2456-2461.
- [41] 李军, 席晓宇, 褚淑贞. 我国基本药物可及性障碍的制度经济分析[J]. 中国药事, 2012, 26(2): 126-128.
- [42] 王干一, 夏旭东, 彭亚丽, 等. 儿童药物不良反应1103例分析[J]. 安徽医药, 2020, 24(3): 627-630.
- [43] 郭文姣, 欧阳昭连, 王艳斌, 等. 我国儿童用药安全问题分析及政策建议[J]. 中国药房, 2013, 24(21): 1926-1929.
- [44] 李宁, 蒋境兴, 武英茹, 等. 中国儿科药品常用剂型研究进展及前景分析[J]. 药物评价研究, 2022, 45(1): 193-200.
- [45] 刘佩莉, 王博飞, 顾嘉, 等. 基于儿童常见疾病病谱的药品使用情况分析[J]. 现代医药卫生, 2025, 41(12): 2934-2939.
- [46] 郭慧蕾, 徐进, 许静, 等. 580份处方药说明书中儿童用药信息的调查分析[J]. 中国药房, 2015, 26(32): 4497-4500.
- [47] 李立敏, 胡海鹏, 曹晓琴, 等. 儿童超说明书用药的伦理问题及对策[J]. 中国医学伦理学, 2025, 38(2): 227-231.
- [48] 陈敬, 魏国旭, 柏林, 等. 我国儿童用药立法的必要性和可行性研究[J]. 中国药事, 2020, 34(7): 737-743.
- [49] 中华医学会儿科学分会临床药理学组. 第四届全国儿科临床药理学学术会议暨中国儿童超说明书用药的现状与对策研讨会会议纪要[J]. 中华儿科杂志, 2014, 52(9): 719-720.
- [50] 孙琪, 李勇. 我国儿童用药可及性现状及对策研究[J]. 中国药物评价, 2023, 40(1): 7-11.
- [51] 陈秀锦, 黄杰, 黄丽霞, 等. 儿童临床用药常见问题及对策研究进展[J]. 临床合理用药, 2023, 16(15): 179-181.
- [52] 李勇, 温庆辉, 郭述金, 等. 我国儿童用药供给短缺现状、成因及对策分析[J]. 中国药物评价, 2023, 40(2): 126-129.
- [53] 魏国旭, 王晓玲, 李歆, 等. 中国东部某省儿童基本药物可获得性、价格及可负担性调查分析[J]. 中国卫生政策研究, 2019, 12(10): 72-78.
- [54] 李丰杉, 余勤. 儿童用药研发及儿科临床试验的国际发展和国内现状[J]. 中国新药杂志, 2020, 29(17): 1933-1938.
- [55] 文静. 临床试验中儿童受试者损害赔偿侵权责任研究[D]. 长沙: 湖南师范大学, 2017.
- [56] 陈铮. 儿童用药临床试验开展难[N]. 中国医药报, 2012-06-26(A05).
- [57] 杨龙频, 周恭伟, 王存库, 等. 全国公立儿童医院基本药物使用情况分析与建议[J]. 中国卫生信息管理杂志, 2022, 19(3): 351-355.
- [58] 药物政策与基本药物制度司. 关于印发第四批鼓励研发申报儿童药品清单的通知: 国卫办药政函〔2023〕318号[EB/OL]. (2023-08-23)[2025-09-06]. <https://www.nhc.gov.cn/yaozs/c100098/202308/e2ccfe3720e84fd0bc16abe9b0937b15.shtml>.
- [59] 龚传欢, 杨悦, 田丽娟. 儿科药物研发激励政策研究[J]. 中国新药杂志, 2022, 31(11): 1042-1047.
- [60] 国家药品监督管理局. 关于促进中药传承创新发展的实施意见: 国药监药注〔2020〕27号[EB/OL]. (2020-12-25)[2025-09-06]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjyp/20201225163906151.html>.
- [61] 孙晓明, 张小会, 王海峰, 等. 中国民族药产业现状及发展策略[J]. 中国实验方剂学杂志, 2020, 26(12): 195-202.
- [62] 代云云, 谢晓蓉, 王茂鹤, 等. 我国四大民族医药体系概述[J]. 中华中医药杂志, 2021, 36(3): 1522-1525.
- [63] 孙晓明. 藏蒙维傣药产业发展策略研究[D]. 南京: 南京中医药大学, 2020.
- [64] 杨光, 苏芳芳, 陈敏. 药食同源起源与展望[J]. 中国现代中药, 2021, 23(11): 1851-1856.
- [65] 田琦, 汤旗, 陈钧, 等. 食药同源健脾开胃物质及其成方制剂研究与应用进展[J]. 中草药, 2024, 55(6): 2101-2112.

(收稿日期:2025-07-17 修回日期:2025-09-08)