

儿童急需用药“伽”快上市 守护罕见病患儿生命安全

To accelerate market launch of innovative drug products for children in clinical emergency needs,
protect the life safety for the children with rare diseases

时间：8月25日下午 (13:30 - 17:00)

地点：江苏省苏州市苏州独墅湖世尊酒店二楼 M4 会议室

承办单位：苏庇医药（上海）有限公司

分论坛主席：汤永民 主任医师、博士生导师 浙江大学医学院附属儿童医院血液肿瘤中心主任

王兰 主任 中国食品药品检定研究院

分论坛主持人：李晓青 苏庇医药中国副总裁，中国医学和科研发展部负责人

| 时间 | 议题 | 报告人 |
|-------------|-----------------------------------|---------------------------------|
| 13:30-13:40 | 开场致辞 | 汤永民 教授 何卓励 苏庇医药中国总经理 |
| 13:40-14:00 | 新法规下儿童用境外急需罕见病药物加快注册上市案例分享 | 岳文芳 苏庇医药中国法规事务负责人 |
| 14:00-14:30 | 罕见病概述和噬血细胞综合征诊疗现状及进展 | 方拥军 教授 |
| 14:30-15:10 | 专题讨论 A：针对危及生命的儿童罕见病，如何加快临床开发和上市研究 | 汤永民 教授 方拥军 教授 ... |
| 15:10-15:30 | 茶歇 | |
| 15:30-16:00 | 儿童用优先审评审批品种在注册检验和质量复核过程中的考量要点 | 俞小娟博士，中国食品药品检定研究院 |
| 16:00-16:30 | 近年来我国生物技术在儿童药物研究的进展和趋势 | 李谦教授，中国药科大学 |
| 16:30-17:00 | 专题讨论 B：就如何保障儿童用药的质量和临床用药安全开展讨论 | 王兰主任，俞小娟老师， 李谦教授，高用华秘书长/蔡弘会长 |

分论坛主席：汤永民 主任医师、博士生导师 浙江大学医学院附属儿童医院血液肿瘤中心主任



教授，主任医师，博士生导师，美国 ECFMG 执业医师资格

中国抗癌协会小儿肿瘤专委会主任委员

浙江大学医学院附属儿童医院血液肿瘤中心主任

国家儿童白血病诊治研究专家委员会委员

国家儿科中心儿童血液肿瘤联盟副主任委员

第 16 届中华医学会儿科分会小儿血液学组副组长

浙江省小儿血液学组组长

浙江省儿童白血病诊治技术研究中心副主任

浙江省医学会血液学会副主任委员

浙江省抗癌协会小儿肿瘤专业委员会副主任委员

浙江省医师协会血液学分会副会长

中国医师协会儿科医师分会小儿血液肿瘤专业委员会委员兼秘书长

中国医药生物技术协会单克隆抗体专委会第三届委员会常务委员

浙江省抗癌协会第七届理事会理事

浙江省抗癌协会第七届血液淋巴瘤专业委员会副主任委员

分论坛主席：王兰 主任 中国食品药品检定研究院



中国食品药品检定研究院（中检院）生物制品检定所单克隆抗体产品室副主任，医学博士，研究员，硕士生导师，博士后合作导师，毕业于北京大学免疫学专业，先后在中检院重组药物室和单克隆抗体产品室工作，兼任 EDQM 单克隆抗体工作组专家、国家新药咨询委员、中国药学会生物药品与质量研究专业委员会委员、国家药品标准委员会生物制品分委会委员等。主要从事以抗体为代表的创新生物技术产品的质量研究与控制。主持十余项国家和省部级科研课题，部分研究成果作为国家标准编入了《中国药典》三部；发表通讯作者和第一作者论文 80 余篇，参编著作 5 部。曾获中国药学会-以岭生物医药青年奖，全国科技系统抗击新冠肺炎疫情先进个人。

分论坛主持人：李晓青 苏庇医药中国副总裁，中国医学和科研发展部负责人



致辞：何卓励 苏庇医药中国总经理



题目一演讲人：



岳文芳，苏庇医药（上海）有限公司法规事务部负责人，具有药物分析和法学专业教育背景，在医药行业从事药品研发、产品注册和法规政策研究近二十年，具有欧美跨国药企近 15 年进口药品注册经验。近年来参与协会牵头的多个法规政策研究，如《促进儿童临床急需用创新药用药保障和用药安全》研究、《药包材标准体系规范与国际标准衔接》研究、《药包材等同性可替代性评价指南》行业标准制定，国家药典委质量标准提升课题《湿热灭菌化学药品参数放行》可行性研究等，为我国医药行业高质量发展建言献策。

演讲摘要：

在我国新的法律法规政策红利大背景下，包括沟通交流机制以优化注册路径、境外数据支持豁免注册临床研究和直接申报上市、优先审评审批程序加快产品注册上市，苏庇医药以依马利尤单抗注射液上市作为加快注册上市的分享案例，基于其临床急需性、境外数据的可接受性，获得在我国注册临床研究的豁免权，享有直接申报上市和优先审评审批程序，加快产品在我国注册上市至少 6 年时间，满足我国儿童患者的临床急需和可及性！

题目二演讲人：



方拥军，主任医师、教授、博士研究生导师

南京医科大学附属儿童医院血液肿瘤科主任

国家卫生健康委员会儿童实体肿瘤专家委员会委员

中华医学会儿科分会血液学组全国委员，舒缓治疗亚专业组副组长

江苏省医学会儿科分会小儿血液学组组长

中国抗癌协会小儿肿瘤专业委员会全国委员

江苏省研究型医院学会淋巴瘤专业委员会、出凝血委员会副主任委员

南京市医学会血液病专科分会委员、中国罕见病联盟血友病专委会常委

演讲摘要：

约半数罕见病发病时期为新生儿出生或者儿童期，噬血细胞综合征作为罕见病一种，多见于儿童，起病急、进展迅速、病死率高，依马利尤单抗国内外上市开启了其靶向治疗新篇章。EB 病毒感染好发于东亚人群，EBV 相关噬血在我国面临着巨大的未被满足的需求，靶向药物在 EBV 相关噬血适应症的探索

需要我国专家共同努力。

题目三演讲人：



俞小娟，中国食品药品检定研究院（中检院）生物制品检定所单克隆抗体产品室助理研究员，理学博士，毕业于清华大学生物学专业，在北京大学药学院完成博士后研究工作。现从事单克隆抗体产品的质量研究、方法开发及结构解析相关工作，负责完成多个靶点单抗的检验。主持国家级课题 3 项，发表第一作者论文 7 篇，授权专利 2 项，参编著作 2 部。

题目四演讲人：



李谦，微生物与生化药学博士,中国药科大学生命科学与技术学院副教授，硕士研究生导师，担任药物生物技术杂志副主编，中国药学会高级会员,江苏生
化与分子生物学会理事,江苏省科技期刊学会常务理事、医药期刊专业委员会委员，入选江苏省“六大人才高峰”、“青蓝工程”中青年学术带头人。