

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：汤永民教授 浙江大学医学院附属儿童医院

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 中国医学和科技发展部负责人

时间	议题	报告人
13:30-13:40	开场致辞	汤永民教授 浙江大学医学院附属儿童医院 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 南京医科大学附属儿童医院
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 浙江大学医学院附属儿童医院 方拥军教授 南京医科大学附属儿童医院 徐晓军教授 浙江大学医学院附属儿童医院 于洁教授 重庆医科大学附属儿童医院 高举教授 四川大学华西第二医院 李健教授 福建医科大学附属协和医院
15:10-15:30	茶歇	
15:30-16:00	口服液体制剂研究进展及儿童制剂开发的技术难度和研发策略	吴正红教授 中国药科大学

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 中国食品药品检定研究院 俞小娟博士 中国食品药品检定研究院 吴正红教授 中国药科大学 李谦教授 中国药科大学 高用华秘书长 中国医药包装协会

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肿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科长

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的共同努力。

题目三演讲人：



吴正红博士，中国药科大学教授、博士生导师，药剂系支部书记/系副主任，兼任世界中医药学会联合会儿童医药健康产品产业发展专业委员会常务理事、中国中药协会儿童健康与药物研究专业委员会委员、中国颗粒学会生物颗粒专业委员会委员、江苏省药学会药剂专业委员会委员；国家“重大新药创制”科技重大专项评审专家，国家自然科学基金和教育部奖励网评专家。Journal of Nanomedicine，British Journal of Medicine and Medical Research，World Journal of Drug Delivery 等多种外文期刊编委。先后承担和参加国家科研项目 12 项、省部级 5 项；授权专利 13 项，产业化 1 项；在国内外核心期刊合著发表科研论文 140 余篇；主编教材专著等 12 部；荣获国家、省市级教学及科研奖项 10 余次。

主要研究领域为微粒载药系统、纳米载药材料、智能凝胶材料和缓控释制剂等。创新成果主要有自反应自反应成膜控释技术、pH 型膜自反应控释技术、碳纳米管靶向载药技术、超分子载药技术、智能凝胶技术、纳米载体技术等。

摘要：本报告介绍了液体制剂的概况、口服液体制剂研究进展，以及儿童口服液体制剂开发的技术难度及研发策略

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。

讨论嘉宾



徐晓军，浙江大学医学院附属儿童医院小儿血液肿瘤中心副主任、血液肿瘤科副主任

博士、研究生导师、副研究员

中华医学会儿科分会血液学组 委员

中国抗癌协会第八届小儿肿瘤专业委员会 秘书长

中国抗癌协会小儿肿瘤专委会内科学组 副组长

全国细胞因子与疾病联盟 秘书长

中国妇幼保健协会儿童疾病和保健分会秘书长

中国妇幼保健协会脐带血应用专委会青委会 副组长

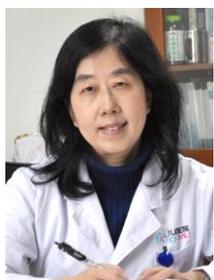
浙江省医学会血液学分会 委员

浙江省医学会儿科分会血液学组 副组长

浙江省医师协会儿科医师分会、血液医师分会 委员

浙江省抗癌协会小儿肿瘤专业委员会 常委

浙江省抗癌协会血液淋巴专业委员会 常委



于洁 教授

博士，教授/主任医师，博士生导师

重庆医科大学附属儿童医院血液肿瘤中心主任

国家卫健委儿童白血病临床专家小组副组长

中华医学会儿科血液学组全国委员

中国妇幼保健协会脐血应用专委会副主任委员

重庆市医学会血液专委会副主任委员

重庆市医师协会血液专委会副主任委员

重庆市儿科专委会委员等

担任多家儿科杂志编委



高举

主任医师、医学博士

四川大学华西第二医院儿童血液肿瘤科主任

四川省学术及技术带头人

四川省有突出贡献专家

中华儿科分会血液学组副组长（第十四届至第十六届）

中华儿科学分会儿童肿瘤学组副组长

国家卫健委儿童白血病专家组成员

四川省儿童白血病医疗救治专家组组长

中国临床肿瘤学会首届抗白血病联盟委员

中国医师协会儿科医师分会儿童血液肿瘤专业委员会委员



李健 主任医师 副教授，福建医科大学附属协和医院小儿血液科行政副主任 福建省血液病研究所副所长

福建医学会儿科分会常委。方向：小儿血液系统疾病诊治



俞小娟 理学博士，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，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。