

# 中国新药注册临床试验现状年度报告

( 2020 年 )

国家药监局药品审评中心

2021 年 11 月

# 摘要

## 目的及意义

为全面掌握中国新药注册临床试验现状，及时对外公开临床试验进展信息，为业界新药研发、资源配置和药品审评审批提供参考，探索运用信息化手段提升药品智能监管能力，药审中心根据药物临床试验登记与信息公示平台的新药临床试验登记信息，首次对中国新药注册临床试验现状进行全面汇总和分析。

## 研究方法

本次年度报告主要根据 2020 年度登记的药物临床试验信息，从申办者类型、药物类型、试验品种、适应症、试验分期、特殊人群试验、临床试验的组长单位、启动耗时和完成情况等角度对临床试验的总体趋势变化、主要特点、突出问题等进行汇总分析，编制了《中国新药注册临床试验现状年度报告（2020 年）》。

## 主要研究结果

### 1. 新药注册临床试验数量

2020 年，药物临床试验登记与信息公示平台共登记的临床试验较 2019 年总体增长 9.1%，国内申办者占比超过 70%。

### 2. 药物品种特征分析

化学药（约 73.6%）和生物制品（23.8%）占比较高，其

中新疗法在生物制品中的占比达到 4.3%；化药、治疗用生物制品、预防用生物制品和中药的注册分类中占比最高的均为 1 类，分别为 71%、65.4%、46.0%和 61%；靶点同质化较为明显，主要为 PD-1、VEGFR、PD-L1 等，细胞治疗仍以 CD19 靶点为主。

### 3. 临床试验的特征分析

适应症主要集中在抗肿瘤和抗感染等领域；关于试验范围，仅在国内开展临床试验的药物高达 91.6%；关于临床试验分期，化学药和生物制品总体仍以早期研发为主，I 期临床试验占比分别为 50.4%和 38.3%；受试者人群中，特定人群开展的临床试验相对较少，2020 年在老年人群和儿童人群开展的临床试验分别为 3 项和 33 项，仅占全年试验登记总量的 1.4%（36/2602）。

### 4. 临床试验实施效率分析

2020 年度登记临床试验中，临床试验获批后一年内启动受试者招募的比例不足一半（45.4%）；2020 年完成的临床试验中仍以 I 期临床试验为主，平均完成时间为 95.7 天；完成的 III 期临床试验仅为 5 项，平均完成时间为 176.6 天。

### 5. 临床试验地域分布分析

临床试验组长单位和参加单位仍以北京市、上海市、江苏省、广东省等为主。

## 结论

2020年登记的药物临床试验总体上主要由国内申办者发起，试验范围以在国内开展试验为主，试验分期中I期试验比例最高。中国新药临床试验的数量和药物品种的数量相较以往都大幅增加，同时1类新药占比较高，但药物靶点和适应症领域分布较为集中，显示我国药物临床试验迅速发展的同时存在临床试验同质化的问题。临床试验效率等分析结果显示我国临床试验存在获批后的实施效率不高、儿科药物临床试验占比较低、临床试验地域分布不均匀等挑战。

# 目录

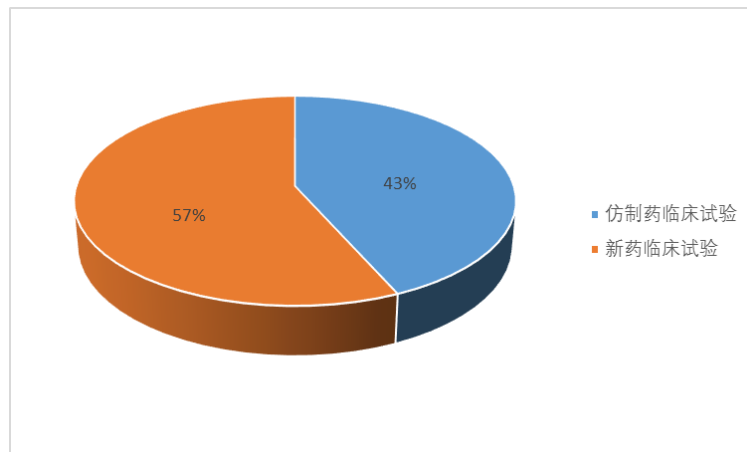
第一章 药物临床试验登记总体概况 .....	7
第二章 临床试验基本特征信息分析 .....	7
一、申办者类型 .....	7
二、药物类型 .....	8
三、临床试验品种及作用靶点分析 .....	9
1、非生物等效性临床试验品种 .....	9
2、作用靶点分析 .....	11
3、生物等效性临床试验品种 .....	12
四、注册分类 .....	13
五、适应症 .....	15
六、试验范围 .....	17
七、试验分期 .....	18
八、临床试验样本量分布 .....	19
九、临床试验组长单位 .....	20
十、临床试验参加单位 .....	20
第三章 临床试验其他特征分析 .....	21
一、特殊人群药物临床试验 .....	21
1、老年人群药物临床试验 .....	21
2、儿童人群药物临床试验 .....	22

二、启动临床试验耗时分析 .....	23
三、临床试验完成情况分析 .....	24
第四章 中国新药临床试验进展总结 .....	26
一、新药临床试验同质化问题明显 .....	26
二、临床试验获批后的实施效率不高 .....	27
三、儿科药物临床试验占比较低 .....	27
四、临床试验地域分布不均衡 .....	27
附件：编制说明.....	28

## 第一章 药物临床试验登记总体概况

2020 年度共登记临床试验 2602 项，较 2019 年总体增长 9.1%（2386 项）。

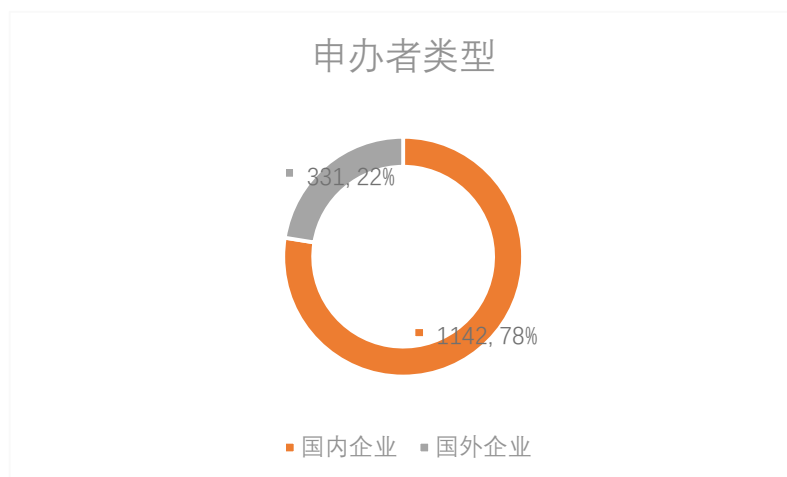
按新药（即非生物等效性临床试验品种）和仿制药类别（含仿制药质量和疗效一致性评价）统计临床试验登记量，新药高于仿制药，占比分别为 57%（1473 项）和 43%（1129 项）。



## 第二章 临床试验基本特征信息分析

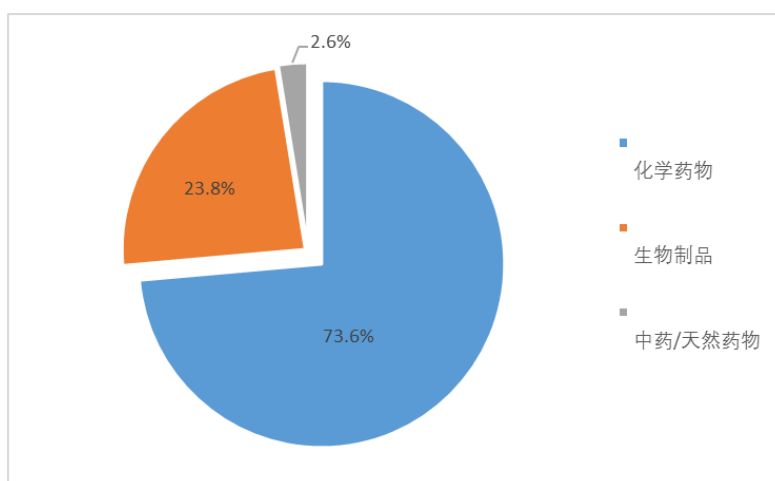
### 一、申办者类型

根据受理号类型对申办者类型进行分析，即受理号首字母为 J 的按国外申办者进行统计，其他为国内申办者。2020 年度登记的试验中申办者以国内企业为主，国外企业占比不足三成。



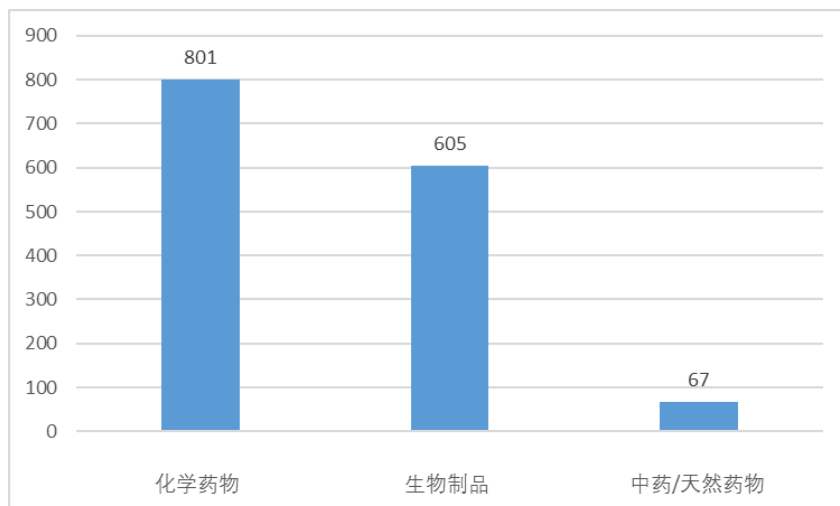
## 二、药物类型

按药物类型（中药、化学药、生物制品）统计，2020年总体仍以化学药临床试验为主，占比为 73.6%，其次为生物制品，为 23.8%，中药最少，仅为 2.6%。



2020年新药临床试验登记中，化学药登记最多，共计 801 项(54.4%)，其次为生物制品和中药，分别为 605 项(41.1%) 和 67 项(4.5%)。





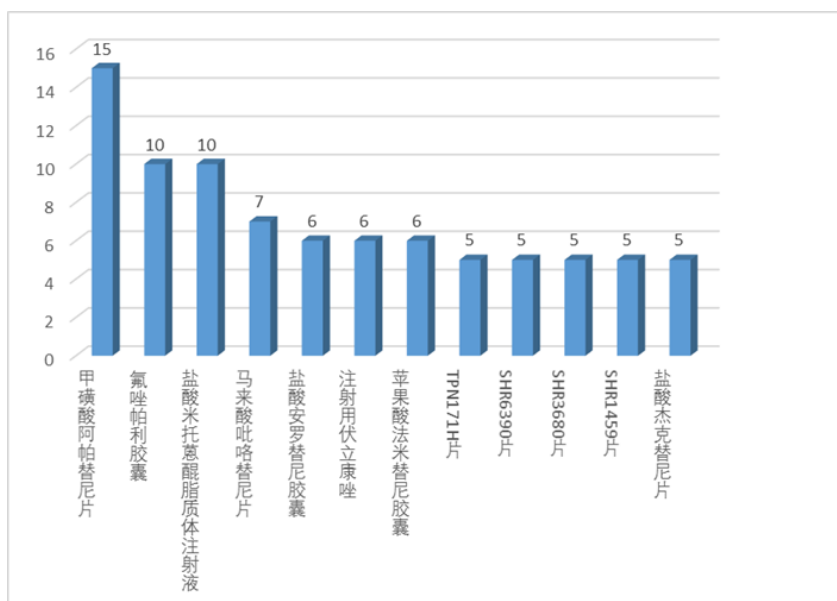
### 三、临床试验品种及作用靶点分析

#### 1、非生物等效性临床试验品种

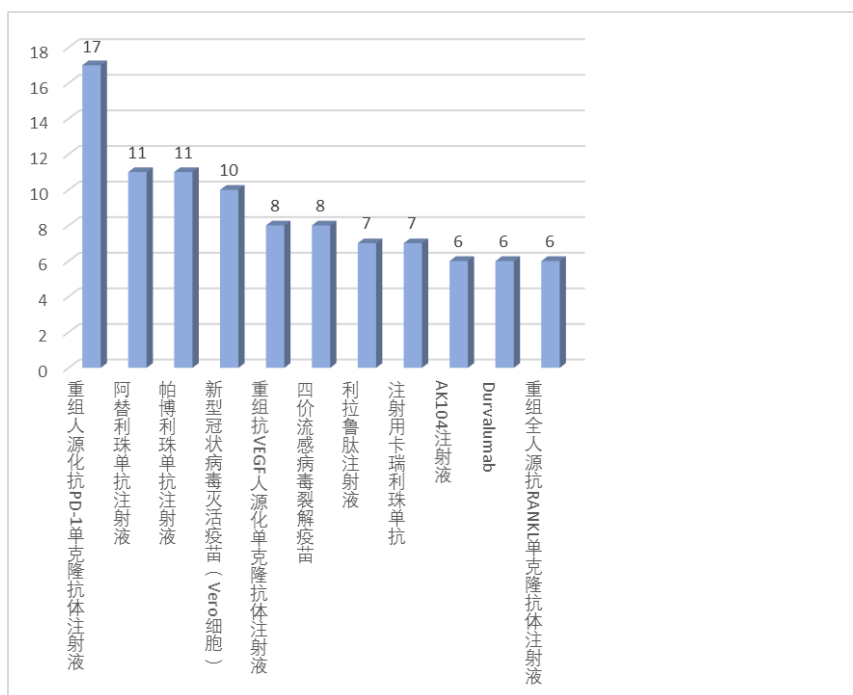
按照不同药物类型分别对 2020 年度 1473 项非 BE/一致性评价临床试验所涉及的品种（按临床试验许可文件药品名称）数量进行统计分析。

91%的中药品种仅开展 1 项临床试验，开展 2 项临床试验品种包括藿苓生肌颗粒、痰热清口服液和咳畅颗粒。

化学药临床试验前 10 位品种基本为抗肿瘤药物，其中甲磺酸阿帕替尼片开展试验最多，为 15 项，其次分别为盐酸米托蒽醌脂质体注射液和氟唑帕利胶囊，均为 10 项。

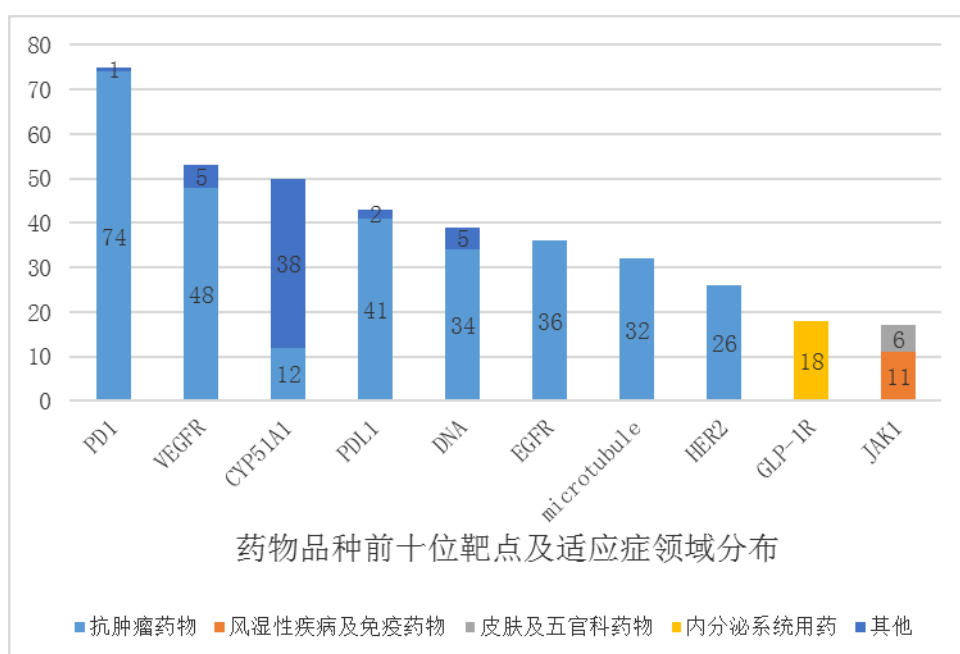


生物制品开展临床试验的前 10 位品种主要为治疗用生物制品，其中重组人源化抗 PD-1 单克隆抗体注射液开展试验数量最多，为 17 项，其次分别为阿替利珠单抗注射液和帕博利珠单抗注射液，均为 11 项；预防用生物制品涉及 2 个品种，分别为新型冠状病毒灭活疫苗（Vero 细胞）和四价流感病毒裂解疫苗，分别开展 10 项和 8 项临床试验。

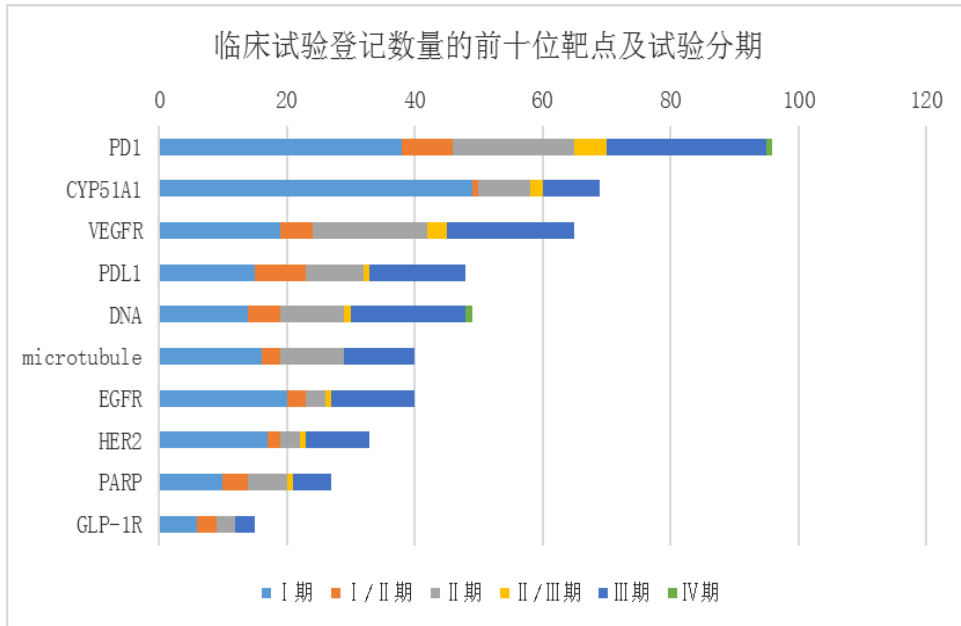


## 2、作用靶点分析

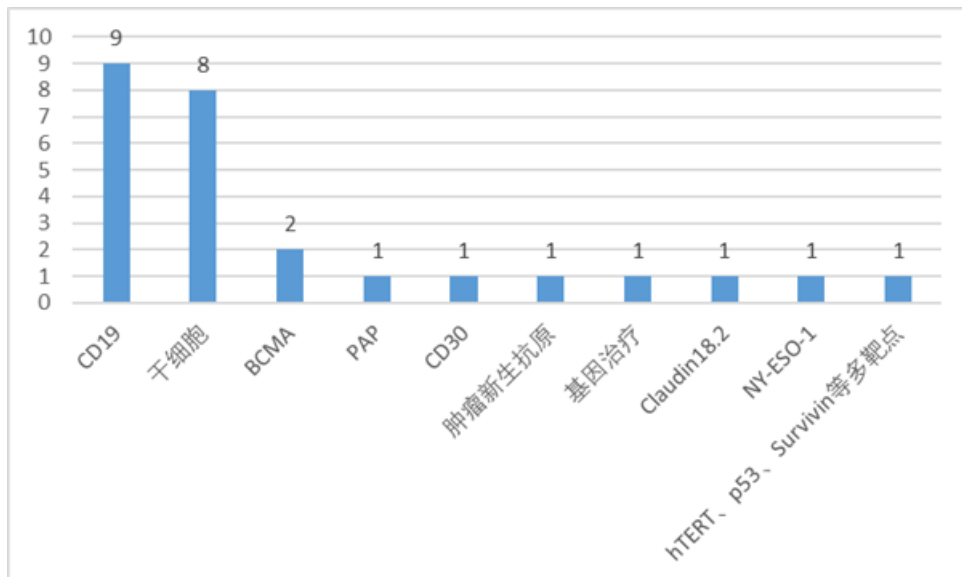
登记临床试验的药物品种的前 10 位靶点分别为 PD-1、CYP51A1、VEGFR、PD-L1 等，且品种数量分别多达 75 项、53 项、50 项、43 项；前 10 位靶点中有 9 个靶点的药物适应症领域集中在同一适应症领域，其中 7 个靶点的药物品种的适应症超过 90% 的占比集中在抗肿瘤领域。



临床试验数量最多的前 10 位靶点也主要集中在为 PD-1、VEGFR 等，其中 PD-1、VEGFR、PD-L1 等靶点的品种开展的临床试验均超过 60 多项，PD-1 靶点的临床试验的数量将近 100 项；另外，6 个靶点的药物临床试验中 I 期的占比均超过 40%，II 期临床试验在各靶点中的占比均不高，而 PD-1、VEGFR、PD-L1 等靶点的开展的临床试验 III 期均高达 20 项。



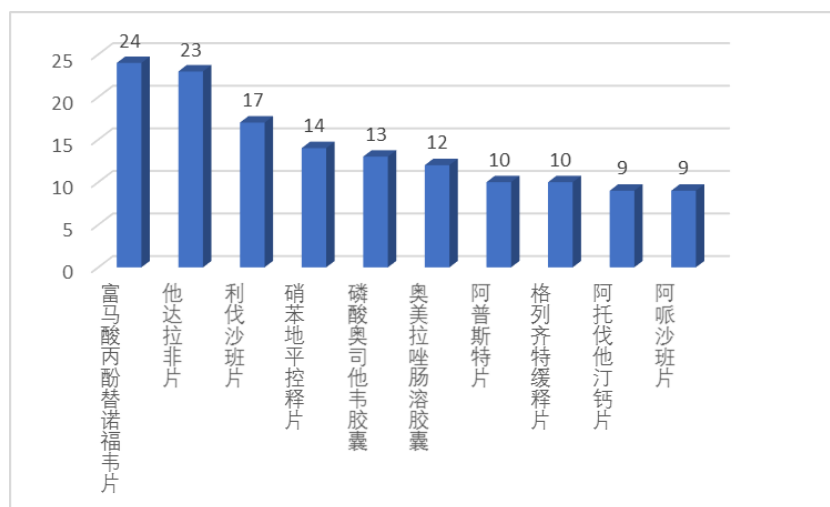
2020年度605项生物制品临床试验中共有26项(4.3%)细胞/基因治疗临床试验,共涉及22个品种(以受理号计),主要以CD19靶点为主,其次为干细胞品种,此外还包含1个基因治疗品种。



### 3、生物等效性临床试验品种

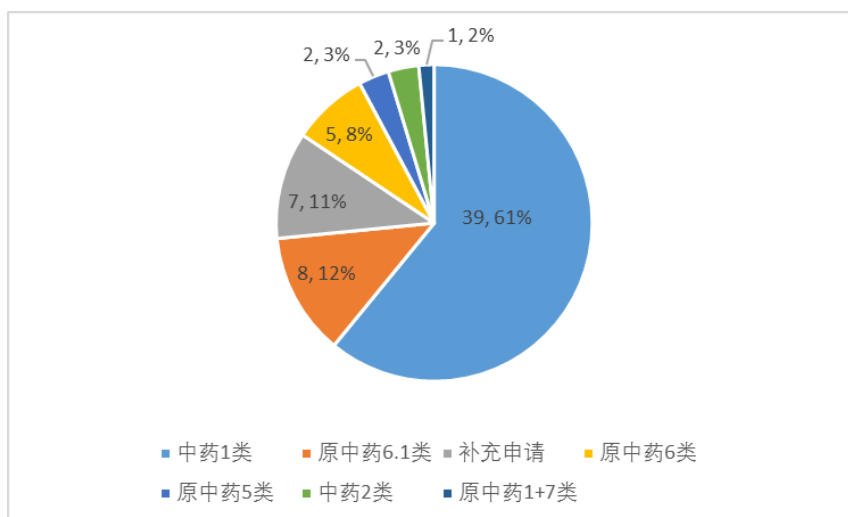
以药品名称统计生物等效性临床试验前10位品种信息,

其中富马酸丙酚替诺福韦片和他达拉非片登记试验数量较多，分别为 24 项和 23 项，具体如下。



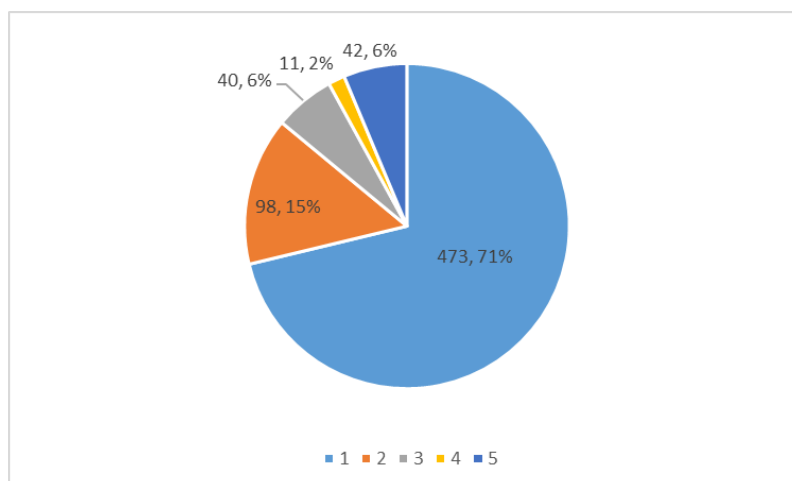
#### 四、注册分类

在 67 项中药新药临床试验中，共涉及 64 个受理号，其中 1 类新药最多（含原注册分类），共涉及 40 个受理号（含原中药 1+7 类 1 个），其次为原中药 6 类和补充申请。



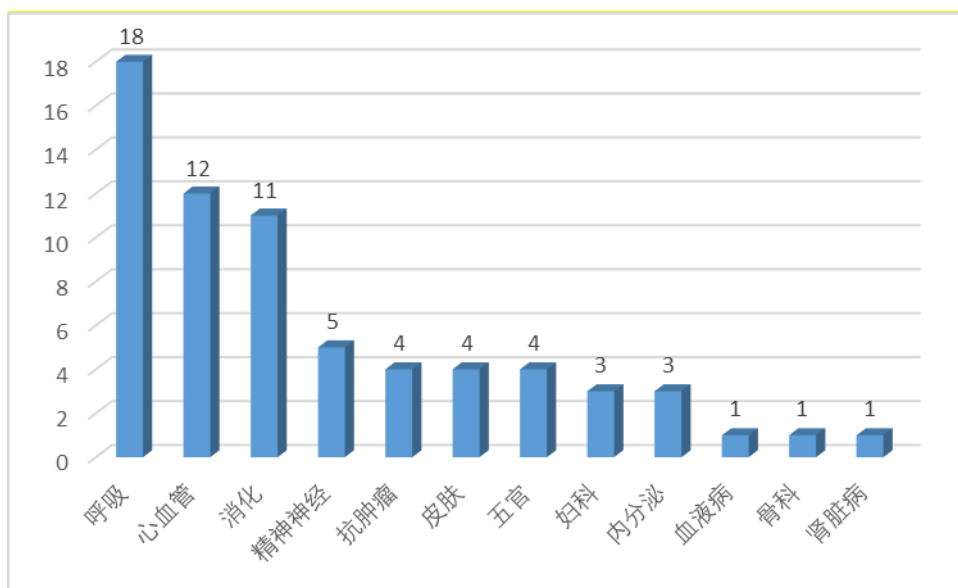
化学药新药 801 项试验共涉及 664 个受理号（同品种多规格或关联补充申请受理号计 1 个），其中进口药品涉及 164

个受理号（以受理号首字母为 J 进行统计），国产药品涉及 500 个受理号。注册分类 1 类占比最大，为 71%，其次为 2 类（15%），3 类和 5 类占比相同（6%），4 类最少，仅为 2%。

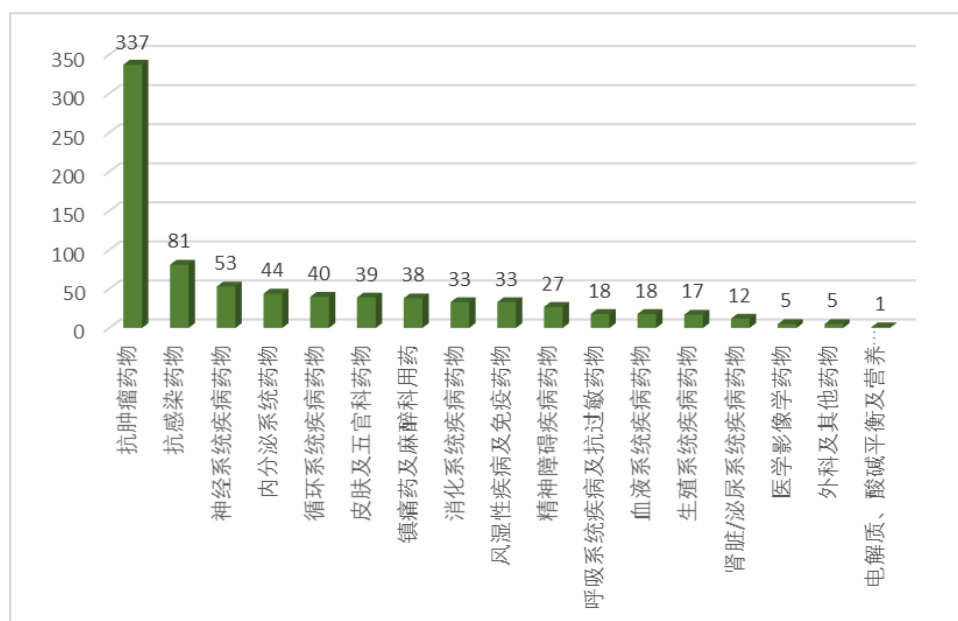


生物制品新药 605 项临床试验共涉及 502 个受理号（同品种多规格或关联补充申请受理号计 1 个），其中治疗用生物制品受理号数量明显多于预防用生物制品，分别为 439 个和 63 个。注册分类均以 1 类占比最大，治疗用生物制品占比为 65.4%（受理号 287 个），预防用生物制品占比为 46.0%（受理号 29 个）；其次，治疗用生物制品原注册分类 2 类（14.4%）、预防用生物制品原注册分类 6 类（17.5%）和 15 类（12.7%）占比相对高于其他注册分类。各注册分类情况如下：



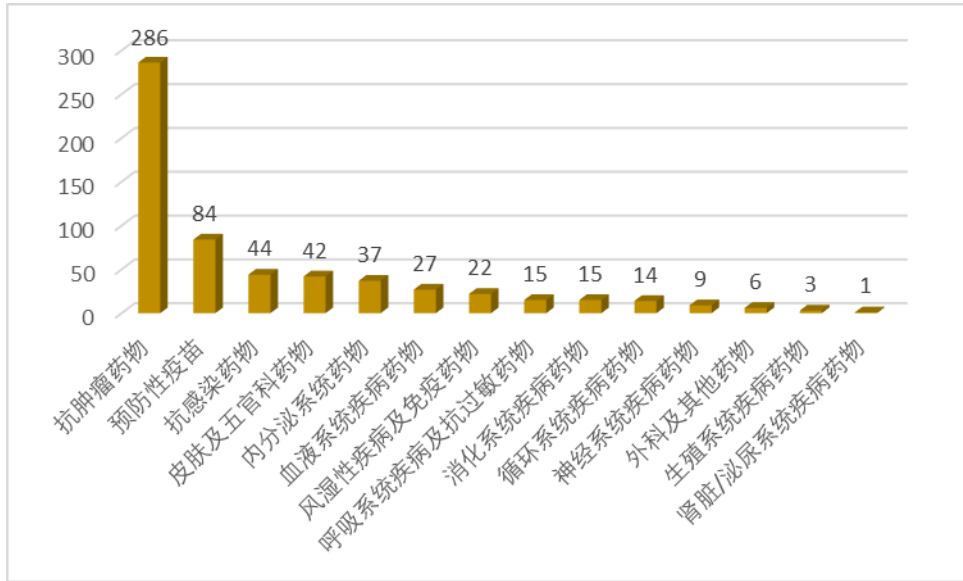


化学药适应症主要以抗肿瘤药物为主，占化学药临床试验总体的 42.1%，其次分别为抗感染药物（10.1%）、神经系统疾病药物（6.6%）、内分泌系统药物（5.5%）、循环系统疾病药物（5.0%）和皮肤及五官科药物（4.9%）。



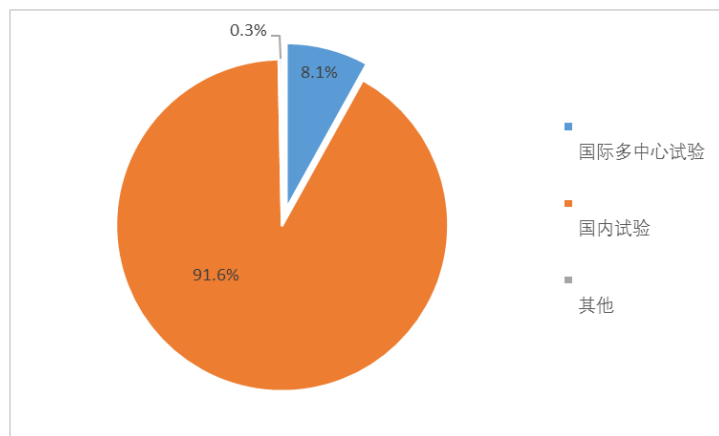
生物制品适应症同样以抗肿瘤药物为主，占生物制品临床试验总体的 47.3%，其次分别为预防性疫苗（13.9%）、抗感染药物（7.3%）、皮肤及五官科药物（6.9%）和内分泌系统药物（6.1%）。



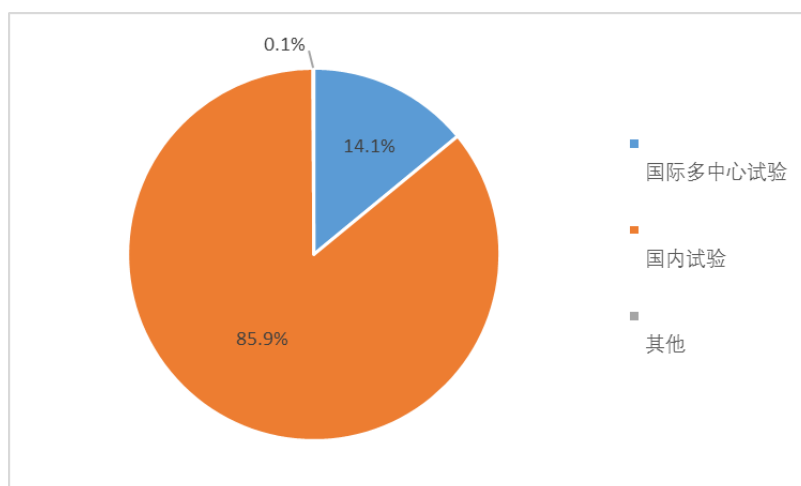


## 六、试验范围

2020 年的药物临床试验仍以国内临床试验为主，占比达 91.6%（2384 项），国际多中心试验仅占 8.1%（210 项）；对于不在中国招募受试者或仅在国外开展的单中心临床试验，按“其他”分类进行统计，其占比为 0.3%（8 项）。

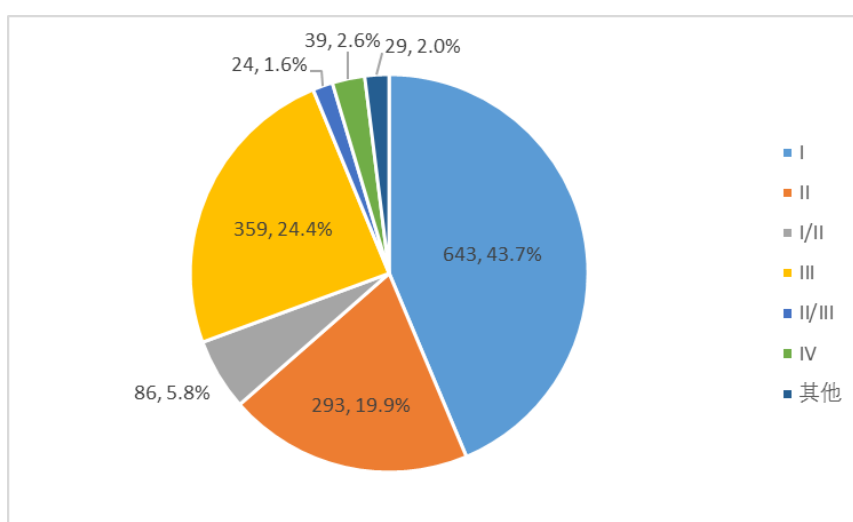


在 2020 年登记的新药临床试验中，国际多中心试验占比相对较高，其占比为 14.1%（208 项，含不在中国招募受试者的国际多中心试验 1 项），国内试验为 85.9%（1265 项）。



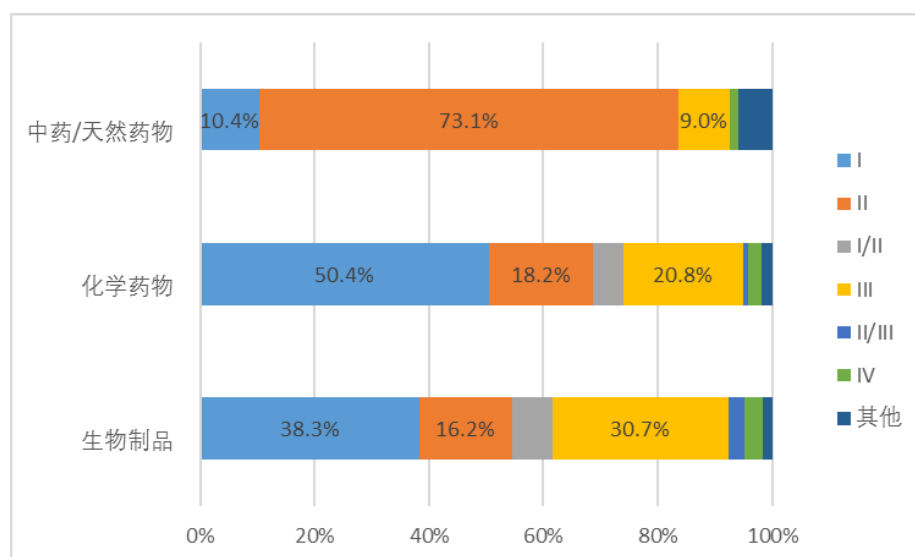
## 七、试验分期

从 2020 年新药临床试验分期来看，I 期临床试验占比最高，为 43.7%（643 项），其次为 III 期和 II 期，占比分别 24.4%（359 项）和 19.9%（293 项）。39 项 IV 期临床试验中有 4 项为真实世界研究。



根据药物类型对新药试验分期进行分析，化学药和生物制品 I 期占比相对较大，分别为 50.4%和 38.3%，中药临床试验主要以 II 期临床试验为主，占比达 73.1%。生物制品进入 III 期临床的比例（30.7%）高于化学药和中药（分别为

20.8%和 9.0%)。



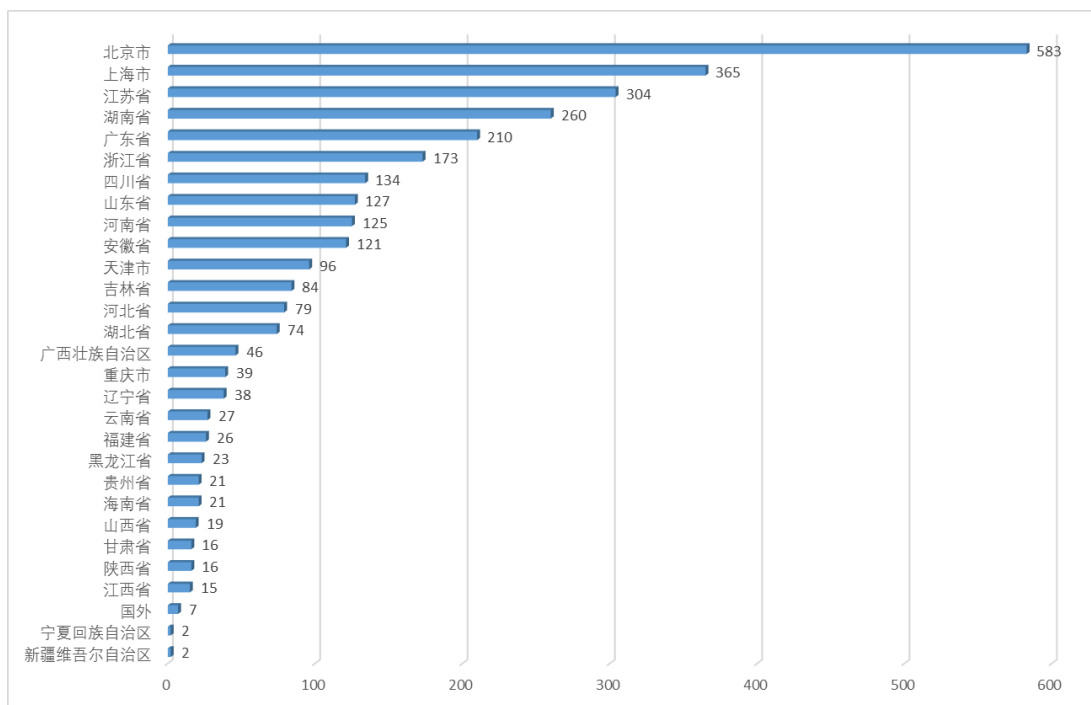
## 八、临床试验样本量分布

2020 年登记的药物临床试验的目标入组人数(国际多中心临床试验以国内目标入组数计)平均值为 320 人,其中 53.2% (783 项)的临床试验的目标入组人数  $\leq 100$ 。

目标入组人数范围	试验数量 (总数 1473)	占比
目标入组人数 $\leq 100$	783	53.2%
100 < 目标入组人数 $\leq 200$	209	14.2%
200 < 目标入组人数 $\leq 400$	148	10.0%
400 < 目标入组人数 $\leq 1000$	208	14.1%
目标入组人数 > 1000	61	4.1%
其他	64	4.3%

## 九、临床试验组长单位

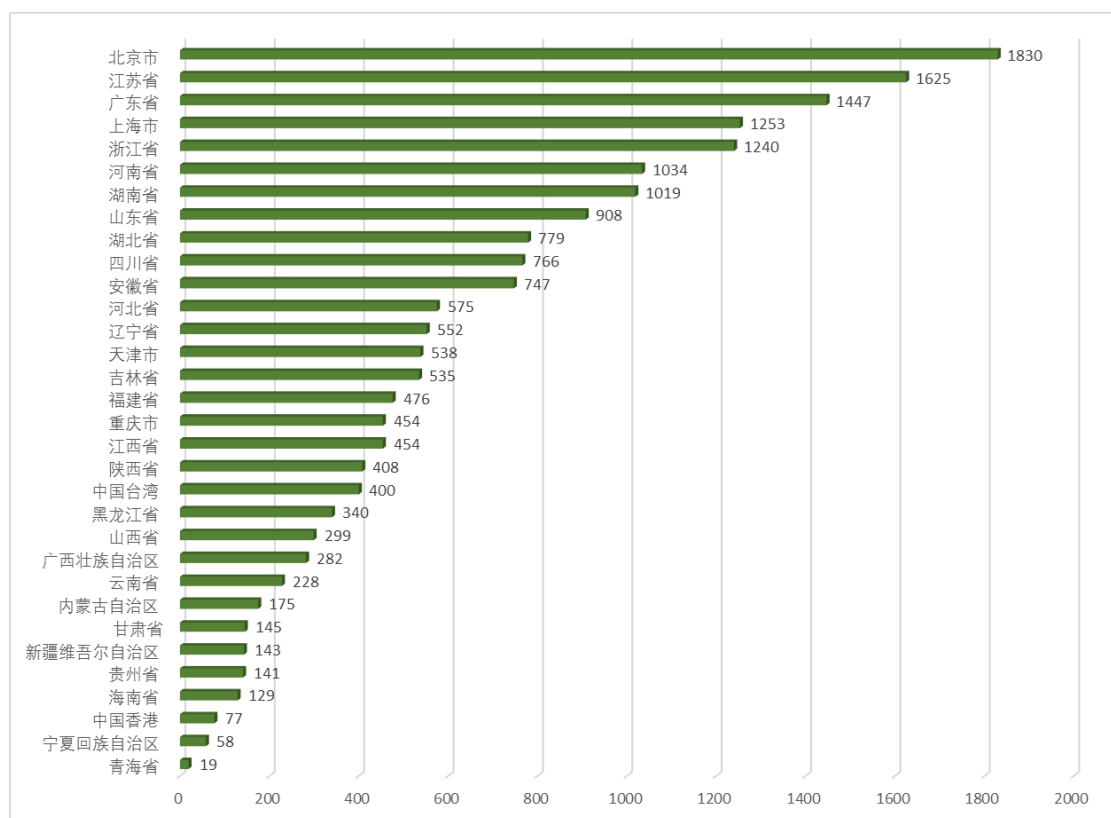
2020 年度登记的全部临床试验中，北京市、上海市和江苏省临床试验机构作为组长单位参加临床试验的次数较多（如 1 个临床试验单位同时作为多项临床试验的组长单位，则按其参加临床试验的次数分别统计一次），约占总体的 41.0%，其中北京市临床试验单位作为组长单位的次数最多，达 583 次，约占总体的 1/5（19.1%）



## 十、临床试验参加单位

2020 年度登记的全部临床试验共涉及国内外临床试验单位 33680 次（如 1 个临床试验单位同时作为多项临床试验的参加单位，则按其参加临床试验的次数分别统计一次），其中涉及中国（含港澳台）参加单位共计 19076 次。

在国内参加单位中，北京市、江苏省和上海市的临床试验单位参加临床试验的次数相对较多，均超过 1200 次；与作为组长单位参加临床试验次数不同的是，广东省临床试验单位作为参加单位参加临床试验的次数高于上海市的试验单位。此外，中国台湾临床试验单位参加临床试验的次数（400 次）明显高于大陆个别省份/自治区的临床试验单位，如黑龙江省、山西省、云南省等。



### 第三章 临床试验其他特征分析

#### 一、特殊人群药物临床试验

##### 1、老年人群药物临床试验

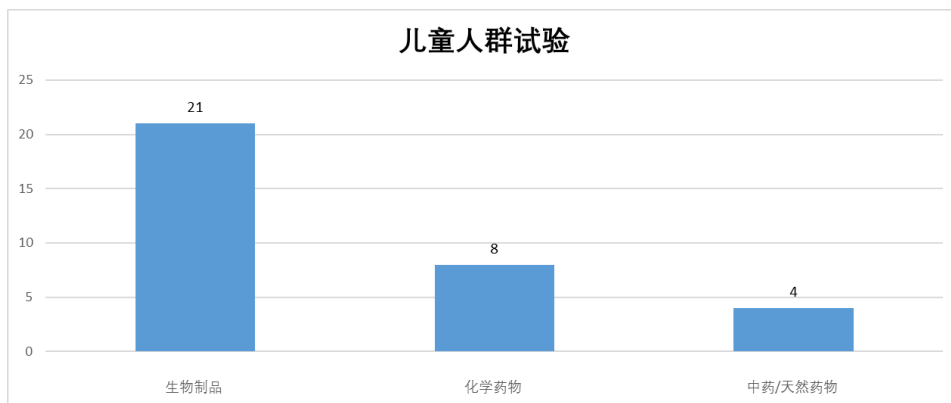
含老年人受试者的临床试验为 1038 项，占新药临床试

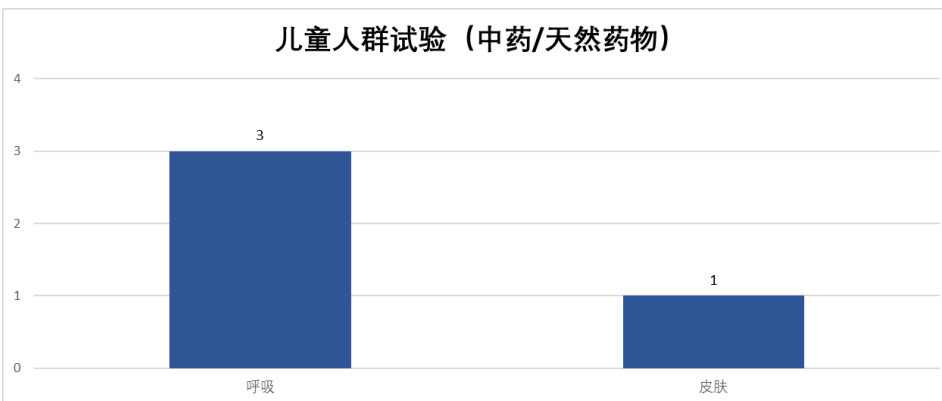
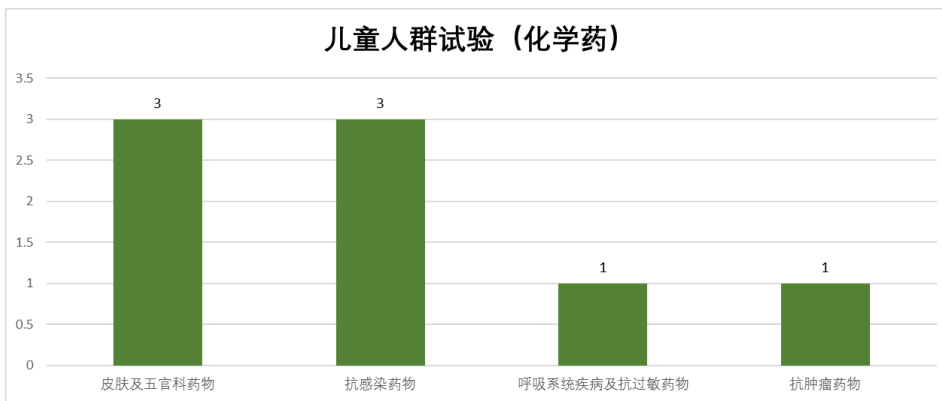
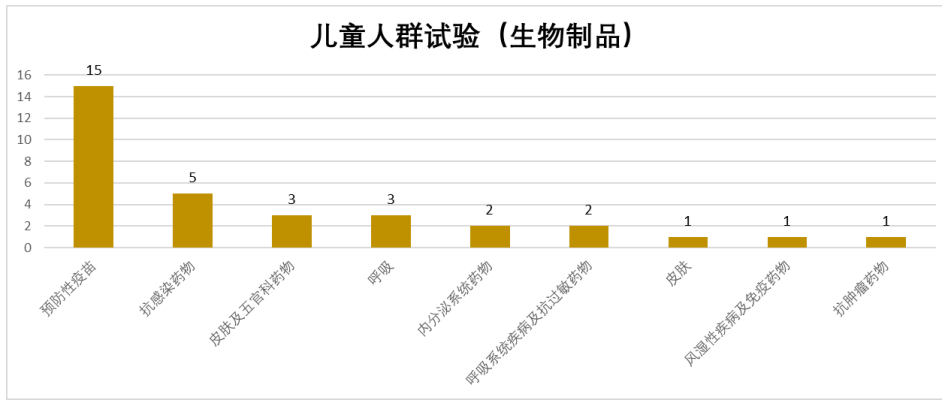
验总体的 70.5%。仅在老年人群中开展的临床试验有 3 项，占新药临床试验总体的 0.2% (3/1473)，均为化学药，分别为抗肿瘤药物 (2 项) 和生殖系统疾病药物 (1 项)。

## 2、儿童人群药物临床试验

含儿童受试者的临床试验为 129 项，占比为 8.8%；按药物分类分析，生物制品登记数量最多，为 70 项，其次为化学药和中药；按适应症分析，主要适应症领域分布为抗肿瘤药物、预防性疫苗、皮肤和五官科等，生物制品和化学药主要适应症分布大致相同，中药主要为呼吸类药物。

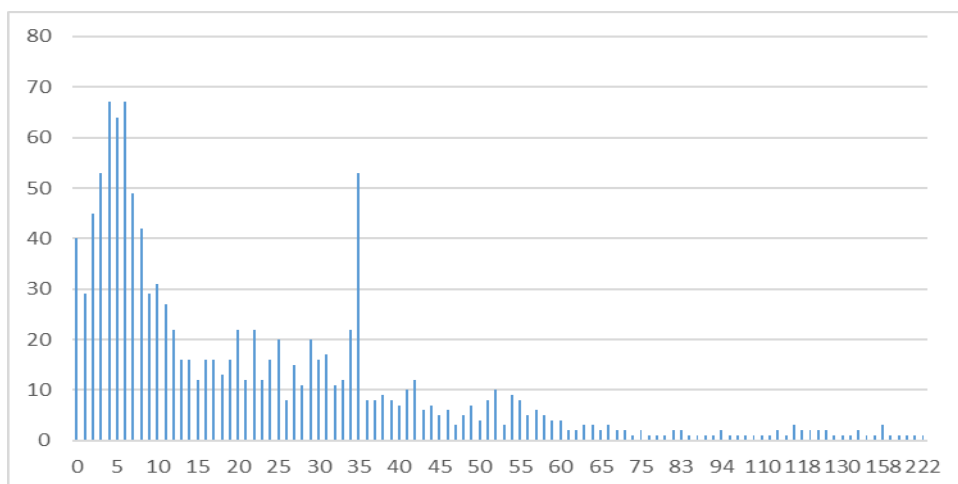
仅在儿童人群中开展的新药临床试验共登记 33 项，仅占新药临床试验总体的 2.2% (33/1473)。按药物分类分析，生物制品登记数量最多，为 21 项，其次为化学药和中药，分别为 8 项和 4 项。按适应症分析，生物制品主要为预防性疫苗，总体占比为 39.4%；化学药主要为皮肤及五官科药物和抗感染药物；中药/天然药物为呼吸和皮肤。



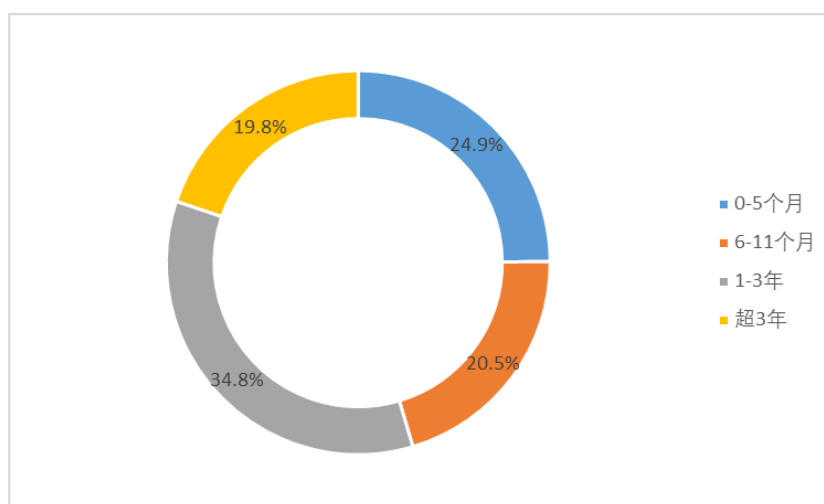


## 二、启动临床试验耗时分析

在 1473 项新药临床试验中，已登记国内首例知情同意（ICF）日期的共计 1203 项（81.7%）。根据临床试验批准日期对临床试验启动耗时进行分析（即国内首例 ICF 日期-临床试验批准日期，以自然月计算）。临床试验启动耗时时间范围为 0~222 个月，平均值为 23.4 个月。



临床试验获批后 6 个月内 (<6 个月) 启动受试者招募的比例为 24.9%，1 年内 (<12 个月) 启动招募的比例为 45.4%；如按临床试验批件 3 年 (<36 个月) 有效期统计，约有 80.2% 的临床试验在批件有效期内启动受试者招募。

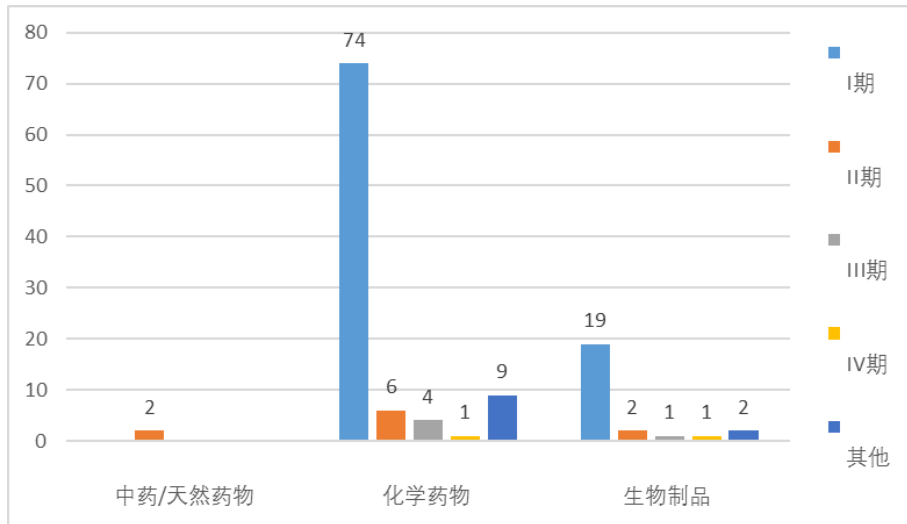


### 三、临床试验完成情况分析

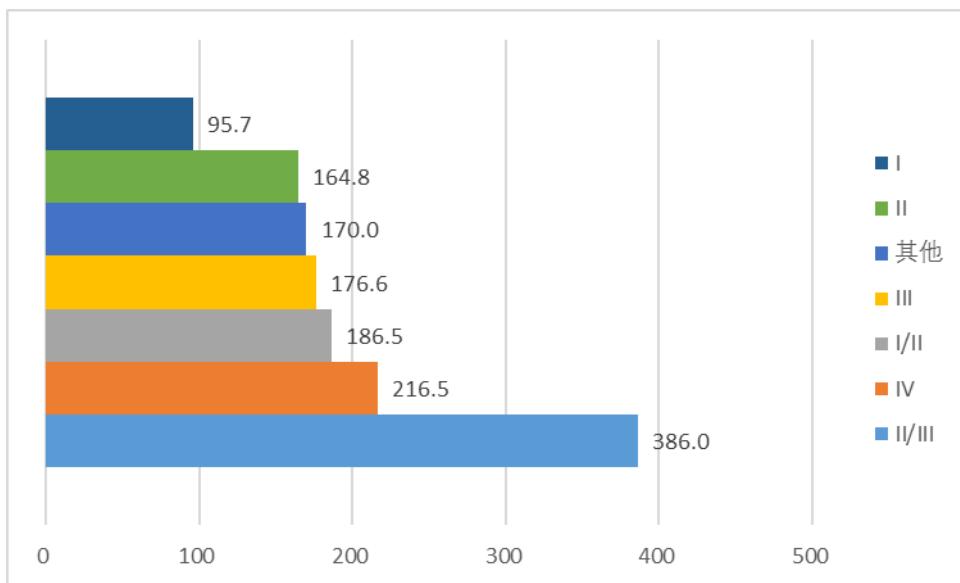
在 1473 项新药临床试验中，2020 年度完成 121 项（即国内完成日期在 2020 年 1 月 1 日~2020 年 12 月 31 日期间，且国内首例 ICF 日期不为空），其中中药 2 项、化学药 94 项、



生物制品 25 项。按试验分期统计, I 期临床试验完成量最多, 共计 93 项, 其次为其他和 II 期试验, 分别为 11 项和 10 项, III 期和 IV 期试验完成量分别为 5 项和 2 项。



根据国内试验完成日期和国内首例 ICF 日期对完成临床试验的耗时进行分析, 完成时间范围为 6~735 天(自然日), 平均为 115.6 天。按试验分期分析完成时间, I 期临床试验平均完成时间最短, 为 95.7 天, II/III 期临床试验平均完成时间最长, 为 386 天。



在上述 121 项临床试验中，共有主动暂停 2 项、主动终止 7 项，药物类型及暂停/终止原因如下，其中 III 期试验主动终止的化学药和生物制品各 1 项，I 期临床试验主动暂停的生物制品有 1 项。

药物类型	主动 暂停	主动 终止	原因种类（临床试验数量）
中药/天然药物	-	1	研发策略调整并调整方案设计
化学药	-	4	1) 临床获益有限（2）； 2) 疫情因素，招募受试者有限（1）； 3) 方案设计问题（1）
生物制品	2	2	1) 研发策略调整终止试验（2） 2) 疫情因素，招募受试者有限（1）； 3) 调整试验用试剂供应商（1）；
合计	2	7	

## 第四章 中国新药临床试验进展总结

### 一、新药临床试验同质化问题明显

中国新药临床试验的数量和药物品种的数量相较以往都大幅增加，新疗法在生物制品中占比达到 4.3%，这表明我国临床试验改革有效地促进了我国药物临床试验的开展。

2020 年登记的药物临床试验主要集中在抗肿瘤、内分泌

和心血管适应症，肺癌适应症中大部分为非小细胞癌。目前临床试验在研的生物创新药大部分为抗体类药物，且靶点集中度高，同质化竞争激烈。

## **二、临床试验获批后的实施效率不高**

2020 年度登记临床试验中，临床试验获批后一年内启动受试者招募的比例不足一半（45.4%），同时相较于多达 643 项新登记的 I 期临床试验，仅有 93 项 I 期临床试验在 2020 年完成，完成的 II 期和 III 期的临床试验数量更低。

## **三、儿科药物临床试验占比较低**

儿科药物临床试验较少，主要为生物制品和化学药，中药较少，同时适应症主要为抗肿瘤药物和疫苗。申请人对儿科药品研发积极性不高可能与儿科药物临床试验存在周期长、受试者招募困难、安全性风险高等因素有关。

## **四、临床试验地域分布不均衡**

我国临床试验机构资质从认证制改为备案制后，虽然鼓励更多医疗机构参与临床试验，但临床试验地域分布仍然不够均衡。国内新药临床试验中仍然是北京市、江苏省和上海市的机构参加临床试验次数较多。

## 附件：编制说明

1. 本报告是检索药物临床试验登记与信息公示平台（以下简称“登记平台”）数据库中首次公示日期在 2020 年 1 月 1 日至 2020 年 12 月 31 日期间的临床试验登记信息，同时参考业界已公开的数据库检索信息，以临床试验登记号（CTR）进行统计描述和分析。因登记平台系统升级，可能存在申请人删除重复登记信息等情形，故报告中的临床试验公示数量信息与药审中心网站公布的实时数据略有不同。
2. 本报告主要针对新药临床试验（除生物等效性试验外）登记信息进行汇总分析，对于生物等效性试验（含仿制药质量和疗效一致性评价）登记信息仅进行总体概括分析和说明。
3. 本报告对临床试验登记信息主要按照药物分类（中药、化学药和生物制品）、注册分类（含原注册分类信息）、适应症、药物靶点、临床试验分期、试验进展情况等进行分类分析。参考了药审中心年度药品审评报告，对适应症分类等保持一致。
4. 本报告的儿童人群药物临床试验，儿童人群定义为  $\leq 14$  周岁的受试者；老年人群定义为  $\geq 65$  周岁的受试者。