

FDA新药审评图谱- CDER批准趋势与中国创新药出海启示

摩熵咨询
2026年7月

生命科学领域全球领先的数据系统与咨询服务提供商

摩熵数科 www.bcpmdata.com

摘要

写作背景

FDA CDER新药批准年报是观察美国创新药审评趋势、监管工具使用和证据要求变化的重要窗口。2021–2025年，CDER在批准产出、孤儿药、First-in-Class、加速审评和上市后责任管理等方面持续释放监管信号。

本报告聚焦FDA CDER 2021–2025年 Novel Drug Approvals，覆盖CDER年报及NME and New Biologic Approvals底表中的新分子实体和CDER审评的新治疗性生物制品；不纳入CBER疫苗、细胞治疗、基因治疗等产品。治疗领域、肿瘤细分和技术平台为摩熵咨询标准化分析口径。

基于上述分析，本报告从批准趋势、治疗领域、审评路径和案例分析出发，提炼FDA证据接受逻辑，并进一步转化为中国创新药出海中的资产可信度和FDA-ready证据包建设启示。

■ FDA新药批准保持较高产出，审评可预测性突出

2021–2025年，FDA CDER新药批准数量整体维持较高水平，孤儿药、First-in-Class、Priority Review、First Cycle Approval和First in U.S.等指标显示，美国审评体系在时程管理和批准先发性方面具备较强可预测性。

■ 获批结构呈现肿瘤集中与非肿瘤分化并行，疾病场景决定证据接受逻辑

治疗领域分布显示，肿瘤仍是FDA近年新药批准的重要集中方向，肺癌、血液肿瘤等细分场景受精准分型、后线治疗需求和早期疗效终点支持。非肿瘤方向则呈现更强场景分化：感染领域强调公共卫生价值，神经精神方向关注功能改善与终点解释，慢病领域更重视长期获益和安全性验证。

■ FDA加速工具走向组合化使用，监管重点从审评提速延伸至证据闭环管理

Fast Track、Breakthrough Therapy、Priority Review和Accelerated Approval等工具通常与早期沟通、资料包成熟度确认、确证性试验和上市后责任共同发挥作用。FDA监管逻辑的核心在于通过开发互动、路径组合和上市后验证，将早期疗效信号转化为可审评、可验证、可管理的证据路径。

■ 中国创新药出海宜从临床数据展示走向FDA-ready证据资产建设

对中国创新药而言，出海机会取决于资产能否形成海外临床差异化价值与FDA证据可审评性的双重匹配。围绕目标患者、注册终点、美国适用性、剂量安全性、质量体系和上市后责任前置证据建设，有助于提升FDA沟通质量、合作方验证效率和后续开发接续能力。



目录

- 1 批准趋势研判：2021-2025年CDER新药批准与审评可预测性
- 2 创新机会识别：获批领域分布与未满足需求
- 3 审评路径解析：加速工具、监管互动与证据管理
- 4 出海价值转化：中国临床资产的全球开发与证据升级



Chapter 1

批准趋势研判：CDER 2021-2025年新药批准与审评可预测性

1.1 批准数量保持高位，近七成项目在6—12个月内获批



累计批准数

238个

2021-2025年FDA CDER共批准新药



年均批准数

47.6个/年

2021-2025年平均每年批准数量

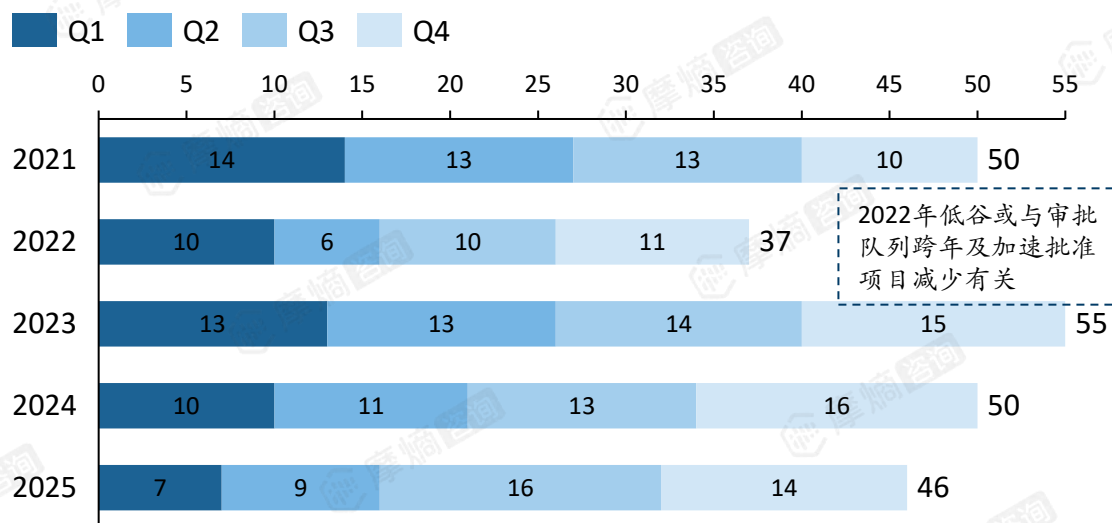


主流获批周期

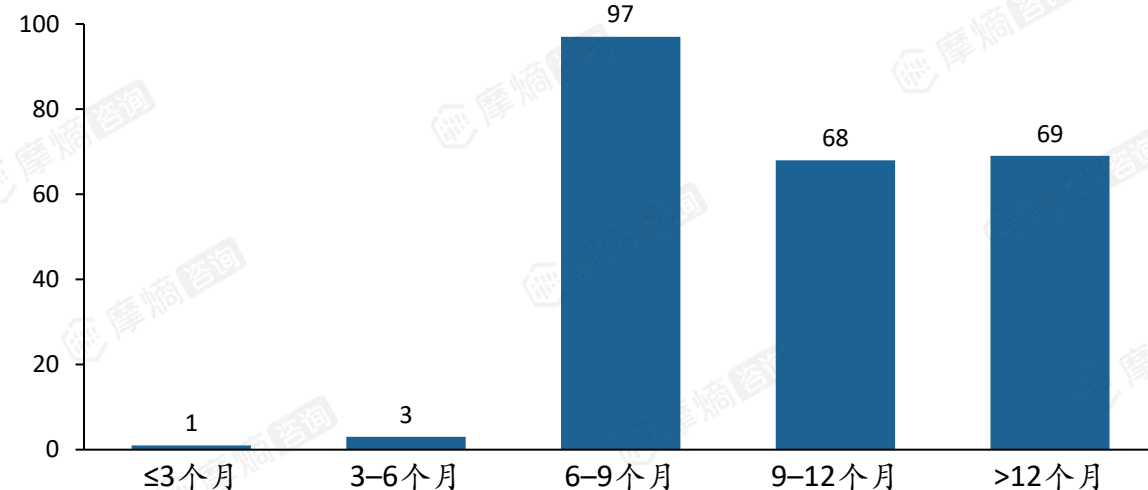
6-12个月

受理至获批时长集中于6-12个月

2021-2025年FDA CDER新药获批数量及季度分布^{1,2}



2021-2025年FDA CDER新药受理至获批时长分布^{1,2}



- 近五年获批数量保持稳定：2021-2025年CDER共批准238个novel drugs，年均47.6个，整体处于近十年高位区间；2022年短暂回落后，2023-2025年恢复至较高水平。
- 审评效率整体稳定，但仍存在长尾项目：165个项目集中在6-12个月，占比69.3%；约29.0%项目超过12个月，复杂资产仍需预留充分审评与补充资料时间。

1.2 孤儿药稳占半壁江山：连续五年约占CDER创新药批准一半



孤儿药认定占比

123/238个 占比51.7%

2021-2025年具有孤儿药认定数量



占比稳定性

2021-2025年孤儿药占比均处于
50%-54%区间

连续5年孤儿药占比维持半数

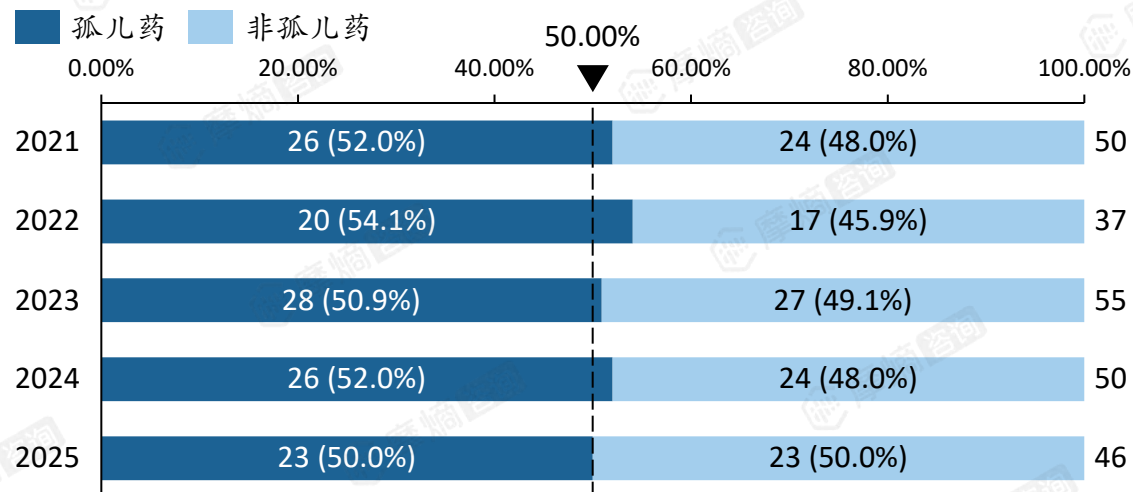


获批周期观察

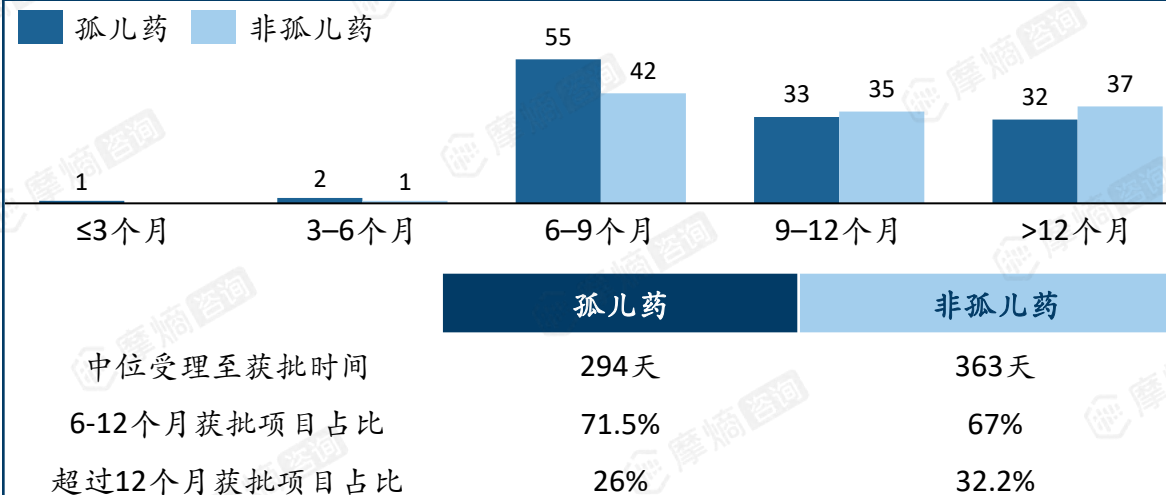
294天

孤儿药受理至获批时间中位数

2021-2025年FDA CDER新药孤儿药占比^{1,2}



获批周期观察^{1,2}

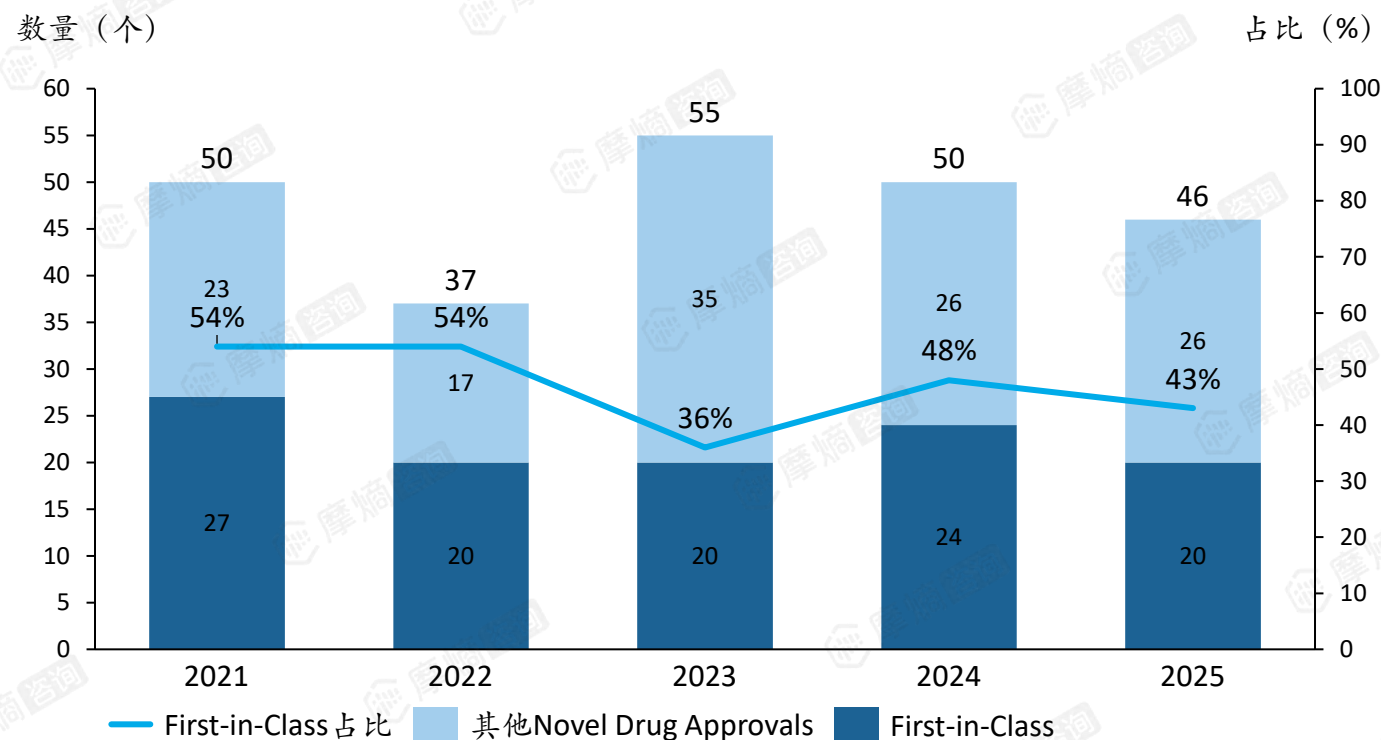


占比稳定而非偶发波动：2021-2025年孤儿药占比持续稳定在约50%-54%，合计123个，占CDER新药批准的51.7%，说明孤儿药已是FDA近年批准结构中的稳定组成，而非单年异常。

需求基础明显：FDA年报反复强调罕见病患者治疗选择有限，孤儿药可作为高未满足需求的重要代理指标。

1.3 First-in-Class接近半数：机制差异化仍是FDA创新批准的重要特征

2021-2025年First-in-Class获批情况^{1,2}



数量稳定

- 2021-2025年First-in-Class数量维持在20-27个区间。
- 5年合计111个，占238个新药批准的46.6%。
- 机制创新在FDA年度批准中具备连续性。

占比波动

- 2021-2025年First-in Class占比在36%-54%之间波动。
- 2023年占比下滑至36%，但绝对数量并未明显下滑。

方向拓展

- 当前创新方向不再局限于肿瘤领域
- 扩展至中枢神经系统（CNS）、代谢/肾病、感染、眼科、女性健康和罕见病等领域
- 反映FDA对多元未满足临床需求的支持。



First-in-Class反映FDA对机制或药理作用差异化的持续识别，近五年约半数CDER Novel Drug Approvals具备创新属性；其核心价值可为识别创新机制、未满足需求与证据可接受性提供观察标签。

1.4 CDER审评节奏可预期，美国仍是全球创新药首发高地



PDUFA目标达成率

94.5% 225/238

近五年达到/早于PDUFA目标日期



首轮审评获批比例

81.1% 193/238

First Cycle Approval比例维持高位



美国首发比例

68.9% 164/238

近7成新药在美国先于其他地区获批

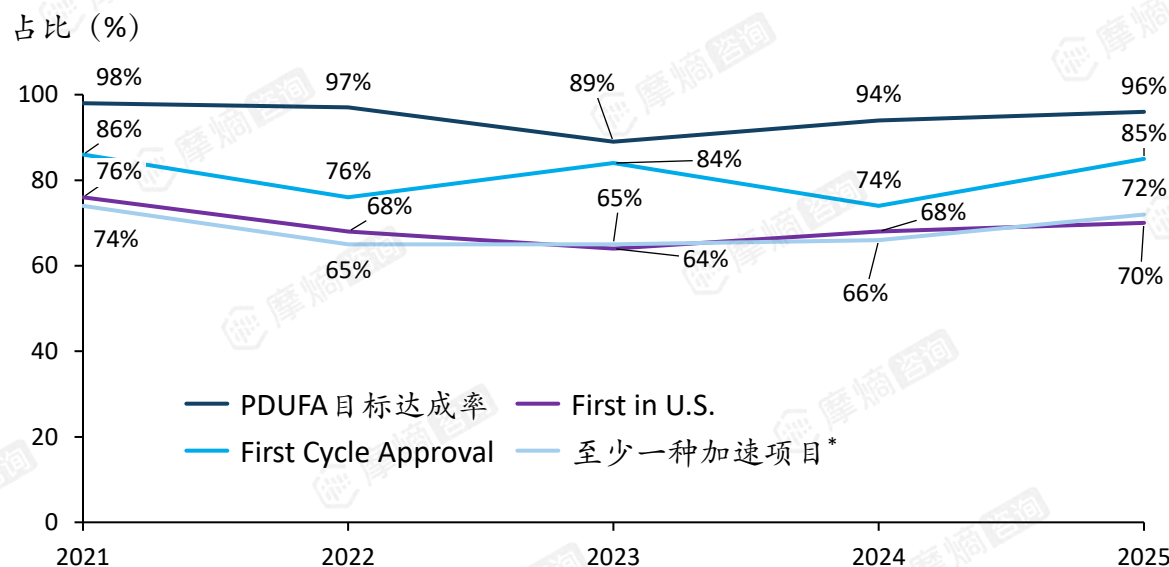


项目加速使用率

68.5% 163/238

至少使用一种加速开发或审评项目

2021-2025历年审批情况^{1,2}



审评可规划性较强³



- PDUFA (Prescription Drug User Fee Act) 为FDA设定目标审评时限
- PDUFA目标达成率反映FDA是否在目标日期内采取审评行动
- 2021-2025年累计达成率为225/238，约94.5%，整体处于高位
- 可作为申报、补充资料、商业化准备和BD谈判的重要时间锚点

申报成熟度影响首轮获批率



- First Cycle Approval指首轮审评及获批，无需再申报
- 该指标反映申报资料成熟度与前期准备质量
- FDA年报反映较高首轮获批比例与研究设计清晰、申报数据充分及监管沟通相关联

美国仍具全球首发与价值验证意义



- First in US表示药物在美国先于其他国家首次获批
- 近3年稳定在64%-70%，美国维持关键首发市场地位
- FDA具有监管验证与商业化首发双重意义



注册节奏可规划：PDUFA目标达成率高，说明FDA审评时程具有较强可预测性；企业可据此反推临床读出、NDA/BLA递交、融资窗口和BD谈判节点。

申报成熟度决定首轮获批概率：企业需要在递交前完成终点设计、统计方案、安全性数据库、CMC和标签沟通的系统性补强。

美国首发仍具BD验证价值：美国仍是重要首发市场；对于出海项目，美国获批路径本身可成为License-out、估值提升和全球开发优先级判断的重要依据。

第一章小结：CDER批准规模保持稳定，创新特征突出，审评与首发优势延续

1

获批基数维持高位，获批周期相对集中



- 2021-2025年FDA CDER累计批准238个新药，年均47.6个。
- 年度批准数量维持较高水平
- 审评时长集中度较高，从受理至获批计算，主流获批周期集中在6-12个月

2

孤儿药占比稳定，高未满足需求构成获批结构底色



- 2021-2025年累计批准孤儿药123个，占CDER新药批准的51.7%
- 连续五年孤儿药获批占比达半数水平，体现FDA对罕见病和特定患者人群未满足需求重视
- 孤儿药受理至获批中位数约294天，低于非孤儿药获批周期中位数363天

3

First-in-Class接近半数，机制差异化持续构成创新质量信号



- 2021-2025年First-in-Class累计111个，占全部CDER新药获批的46.6%
- 年度数量较稳定，维持在20-27个区间
- 创新方向从肿瘤领域扩展至CNS、代谢/肾病、感染、眼科、女性健康和罕见病等诸多领域

4

美国批准先发性与审评可预测性，为全球开发节奏和后续价值验证提供重要参考



- PDUFA目标达成率约94.5%，审评时程可预测性较高
- 首轮审评通过率约81.1%。美国首发比例约68.9%
- 至少使用一种加速开发或审评项目比例约68.5%
- FDA路径兼备效率、全球首发属性和监管验证价值，对创新药出海与BD判断具重要参考价值。

FDA批准结果 沉淀四类信号



数量稳定



创新质量



路径价值

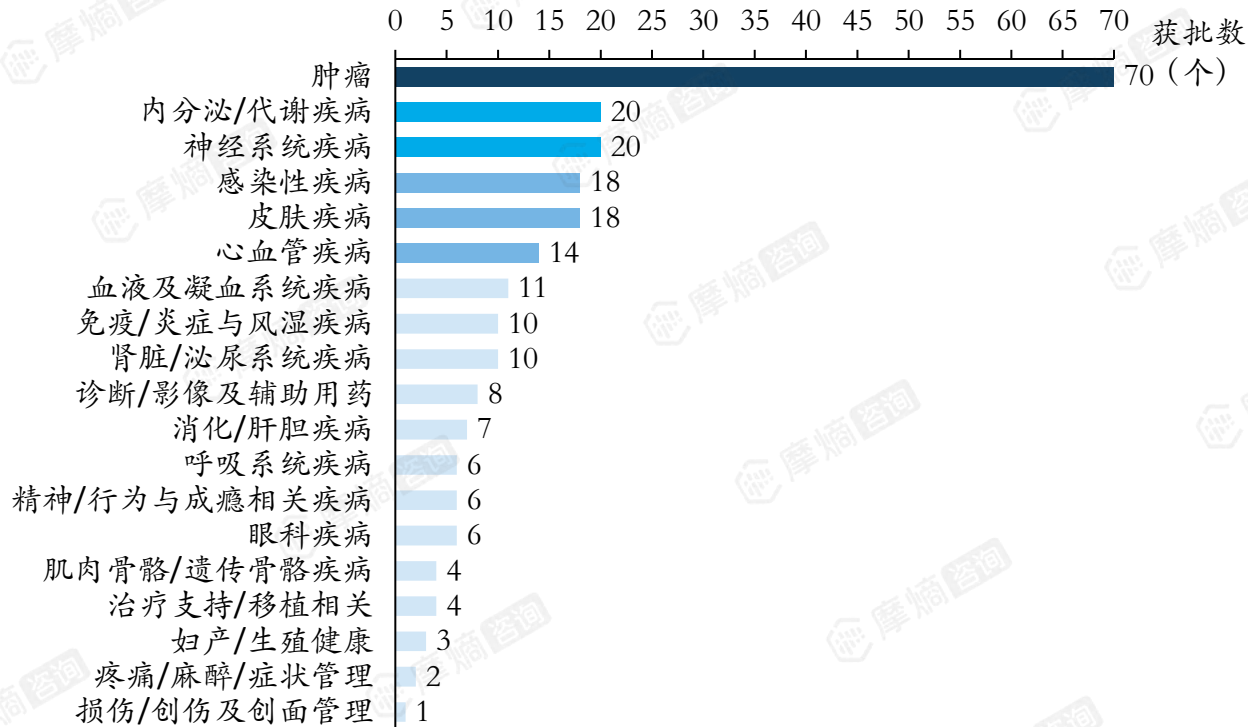


Chapter 2

创新机会识别：获批领域分布与未满足需求

2.1 2021-2025年CDER新药批准治疗领域分布：肿瘤居首，非肿瘤方向呈多点分布

2021-2025累计治疗领域排名^{1,2}



Top 5 领域年度获批数量分布^{1,2}

治疗领域	2021	2022	2023	2024	2025
肿瘤	16	11	14	14	15
内分泌/代谢疾病	3	4	5	4	4
神经系统疾病	5	4	8	2	1
感染性疾病	4	3	5	3	3
皮肤疾病	1	5	4	6	2

- 肿瘤领域获批数量保持高位稳定。
- 神经系统领域波动较大，该领域可能更易受突破性单品与年度审批节奏影响。
- 感染、皮肤、心血管、血液、肾脏等专科领域分布较分散，体现FDA批准并非单一领域驱动，围绕多类高未满足需求场景展开。



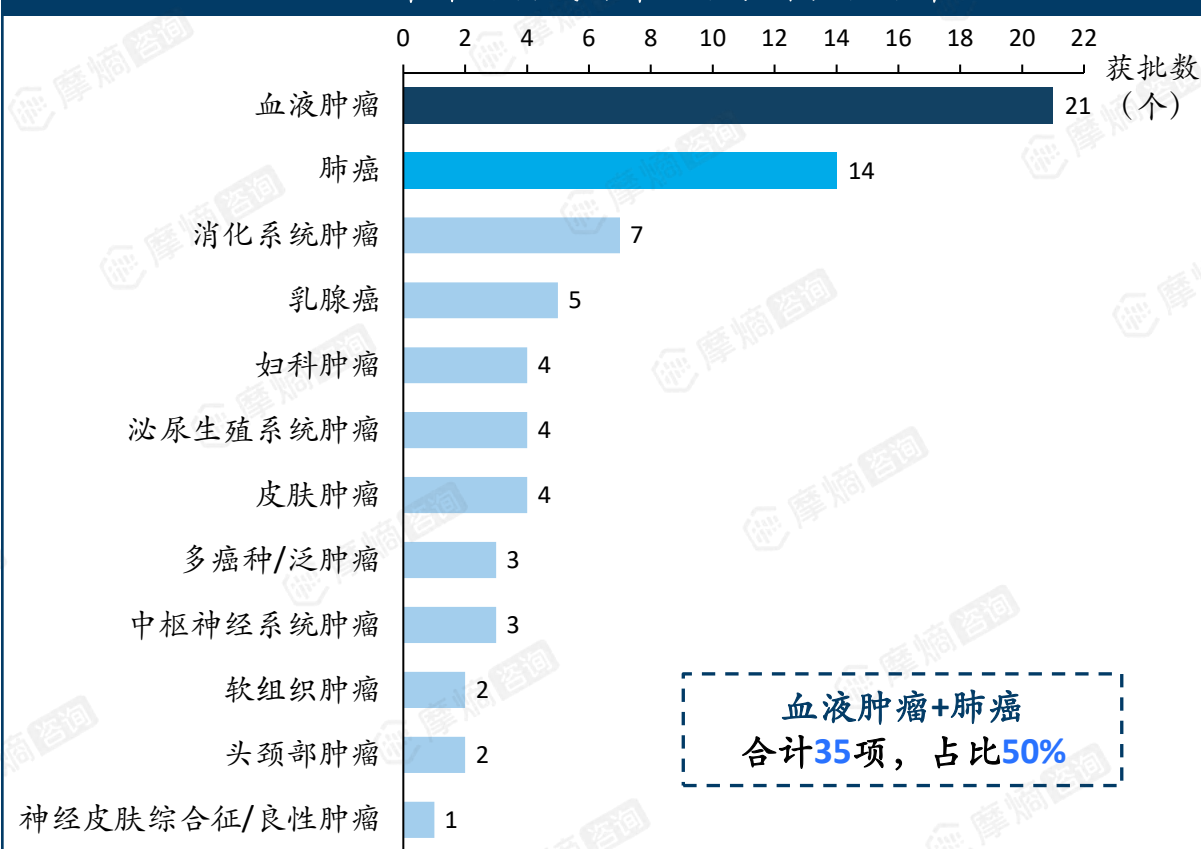
肿瘤集中领先：2021–2025年FDA CDER新药批准中，肿瘤相关适应症持续位居首位，说明肿瘤仍是CDER Novel Drug Approvals中最集中的疾病领域之一

其他领域多点分布：多方向均持续贡献获批产品，显示FDA批准机会并非由单一疾病领域驱动，而是在多个具备未满足需求的专科场景中分散释放。

长尾专科持续补充：低频治疗领域单项获批数量有限；部分专科形成长尾分布，对应明确患者人群或特殊临床需求

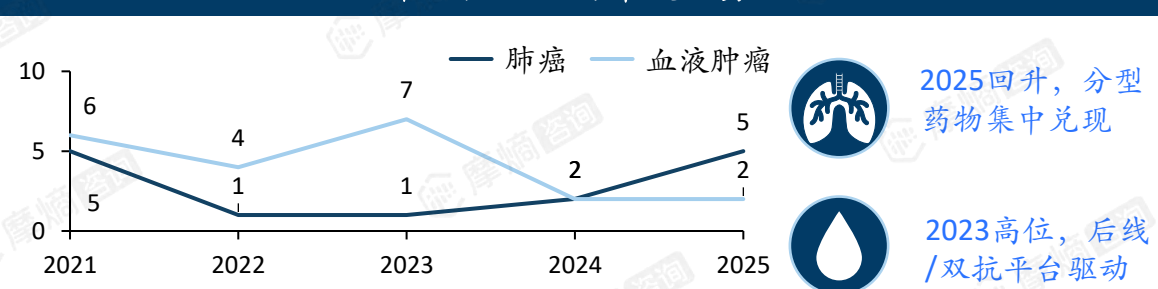
2.2肿瘤获批形成“双主线”：血液肿瘤稳定产出，肺癌由精准分型驱动

2021-2025年肿瘤领域内部细分累计获批分布^{1,2}



- 血液肿瘤与肺癌合计共35项，占肿瘤获批的一半，全部获批新药的14.7%
- 肺癌获批多围绕KRAS、EGFR、HER2、ROS1等分型，体现开发向可检测分型推进
- 血液肿瘤获批由后线人群与平台创新推动

肿瘤核心方向年度趋势^{1,2}



监管侧信号：FDA为高价值肿瘤创新建立专门化与全球协同审评体系³

- 专门化监管：**OCE于2017年设立，整合内部资源专门化监管肿瘤创新
- 国际协同审评：**Project Orbis作为由OCE发起的国际协同审评项目，于2019年启动，2024年完成23项产品批准（5个新产品，18项适应症扩展）
- 价值筛选导向：**边界清晰、临床意义明确、疗效可验证且具备全球开发价值的细分肿瘤项目，更容易形成监管沟通与全球开发协同价值



结构判断：血液肿瘤与肺癌构成近5年肿瘤领域批准核心主线，集中于可持续产出的高价值场景。

变化成因：肺癌波动主要来自分子分型药物批次性兑现，血液肿瘤高位来源于后线人群与双抗/靶向平台集中获批。

监管态度：OCE与Project Orbis表明FDA对肿瘤领域采取专门化、国际协调的审评体系，强化精准分型、临床价值明确和高未满足需求项目的优先级。

2.3 非肿瘤领域不存在统一审评范式，证据重点取决于疾病属性

⊕ 感染性疾病：公共卫生优先级驱动

获批数	优先审评	快速通道	QIDP	中位审评
18	88.9%	83.3%	61.1%	245天



监管重点

- 公共卫生属性明显，重点围绕严重感染、耐药菌与有限治疗选择
- QIDP（合格感染性疾病产品认定）、快速通道和优先审评高度集中，反映公共卫生危害、耐药压力与有限治疗选择，而非单纯代表商业市场规模。



支持方向

- 严重感染/耐药菌相关治疗
- 现有治疗选择有限的抗菌/抗真菌药
- 具备公共卫生价值，可争取QIDP支持的差异化产品



神经/精神/疼痛管理药物：终点解释驱动

获批数	优先审评	快速通道	孤儿药	中位审评
28	50%	46.4%	42.9%	364天



监管重点

- 监管关注重点在于终点是否可解释、改善是否具有真实临床意义
- 需重点评估量表终点、生物标志物、安慰剂效应及确证性研究可执行性



支持方向

- 具有明确疾病机制或生物标志物支撑的神经退行性疾病药物
- 能够证明功能改善、症状缓解或患者体验改善具有临床意义的产品
- 可通过罕见病、特定患者人群或高未满足需求场景降低开发不确定性的项目。



代谢/慢病：长期结局证据驱动

内分泌/代谢	孤儿药	优先审评	突破疗法	中位审评
	75%	60%	40%	364天

兼具罕见代谢病与市场慢病属性，监管支持呈现分化

肾脏/泌尿	加速批准	优先审评	中位审评
	30%	60%	351天

部分替代终点可打开早期注册窗口，仍需确证长期获益

心血管	孤儿药	优先审评	突破疗法	中位审评
	35.7%	28.6%	28.6%	366天



监管重点

- 核心在于长期临床结局、安全性、硬终点
- 并非典型监管通道驱动型机会，需构建完整长期证据链



支持方向

- 替代终点与长期证据路径清晰的肾病产品
- 集中明确、未满足需求突出的罕见病药物
- 可证明长期获益与差异化价值的慢病产品

第二章小结：肿瘤获批重集中，非肿瘤审评重分化——疾病属性决定证据路径

- 治疗领域获批分布并非平均释放，而是围绕高未满足需求与较清晰证据路径的疾病场景中。
- 肿瘤与非肿瘤的结构差异，本质上反映FDA对患者需求、终点可解释性和风险管理要求的差异化权衡。



领域结构：肿瘤集中，非肿瘤多点释放

■ 结构分析

肿瘤领域以70项累计获批位居首位，仍是近5年CDER新药获批最集中的治疗领域。内分泌/代谢、神经系统、感染、皮肤等方向构成第二梯队

■ 监管解读

从总体分布看，CDER批准结果反映不同疾病领域在患者需求强度、可验证终点、风险可控性和证据成熟度上的差异。

■ 关键信号

肿瘤构成近五年批准密度最高领域
非肿瘤方向呈第二梯队与长尾专科并存
领域分布反映疾病需求与证据成熟度差异



肿瘤：获批集中度高，机会聚焦精准人群与清晰证据路径

■ 结构分析

肺癌与血液肿瘤合计35项，占肿瘤获批约一半。肺癌获批多围绕KRAS、EGFR、HER2、ROS1等可检测分型展开，血液肿瘤更多受后线治疗需求和双抗/靶向平台创新驱动。

■ 监管解读

肿瘤领域的集中获批说明FDA看重：患者筛选是否清晰、疗效信号是否足够明确、终点是否可接受，以及早期批准后能否通过后续研究完成临床获益验证。

■ 关键信号

肺癌与血液肿瘤构成肿瘤获批核心主线
精准分型提升患者识别与疗效解释能力
FDA关注早期疗效终点与确证路径是否可接续



非肿瘤：多类疾病场景对应差异化监管关注点

■ 结构分析

非肿瘤方向未形成类似肿瘤的单一高密度主线，而是在多个专科场景中分散释放。不同细分领域在监管工具使用、终点设计和证据要求上差异明显，说明非肿瘤获批结构的核心特征按疾病属性分化

■ 监管解读

FDA对非肿瘤资产的审评重点并非统一加速，而是按疾病场景配置证据要求：公共卫生场景看重紧迫性，神经精神场景看重终点可解释性，慢病场景看重长期风险—收益平衡。

■ 关键信号

紧迫性：公共卫生风险与治疗选择有限
可解释性：终点、量表和生物标志物的临床意义
持续性：长期获益、安全性和风险—收益平衡



从CDER批准分布来看，治疗领域的差异化是FDA围绕不同疾病场景对患者需求、终点可解释性、疗效验证路径与风险管理要求进行差异化权衡的结果。



Chapter 3

审评路径解析：加速工具、监管互动与证据管理

3.1 FDA加速审评是一套全周期工具箱：贯穿开发、审评、批准与上市后验证

- FDA加速路径以严重疾病、未满足需求和潜在临床改善为底层判断，并不降低安全性和有效性标准。
- 不同工具作用于不同阶段：开发阶段强调早期沟通与方案校准，审评阶段强调资源优先与效率提升，批准后阶段则强调确证责任与风险管理。



开发阶段^{1,2} 降低开发不确定性



核心问题

适应症、人群、终点、试验设计、CMC和资料包要求尚未完全清晰



关键监管机制

Fast Track
Breakthrough Therapy
FDA正式沟通会议



监管作用

通过更频繁沟通和资料前置，提前校准开发路径



审评阶段^{1,2,3} 提高审评效率与协同



核心问题

资料成熟后如何提高审评资源优先级、减少补件和标签沟通不确定性



关键监管机制

Priority Review
RTOR
Project Orbis



监管作用

配置优先审评资源，推动关键数据前置和多监管机构协同



批准阶段^{1,2} 实现早期可及



核心问题

严重疾病中等待长期终点可能延迟患者可及性



关键监管机制

Accelerated Approval



监管作用

基于替代终点或中间临床终点提前批准，但绑定上市后确证责任



上市后阶段^{1,2,4} 完成证据闭环



核心问题

早期批准后如何验证临床获益并持续管理安全风险



关键监管机制

PMR/PMC（上市后研究/承诺）
REMS（风险评估与缓解策略）
获益-风险评估



监管作用

通过确证研究、安全性监测与标签更新，形成持续注册闭环



FDA监管体系的核心是通过早期沟通、审评资源配置、条件性批准和上市后验证等工具组合，提高严重疾病/未满足需求项目的开发效率、注册可预测性与全生命周期风险管理能力。

3.2 FDA四大加速项目：申请节点、作用区间与核心功能



3.3 关键会议让证据路径提前成型：从开发假设到可审评方案

- FDA监管互动并非只发生在NDA/BLA提交后，而是从IND前、临床开发、关键试验设计、申报准备、审评中沟通到上市后责任的连续过程。
- 加速路径项目尤其依赖前置沟通：企业需尽早确认疾病严重性、未满足需求、终点可接受性、资料包成熟度、确证试验和风险管理要求。

1

早期开发确认^{1,2}

 **核心关注** 临床进入可行性与早期开发方向确认

 **关键互动** INTERACT/Pre-IND;
IND启动沟通

 **阶段产出** 初步开发可行性确认

- IND-enabling研究、非临床安全性、初步CMC
创新技术/复杂平台风险
- 目标人群、适应症边界、早期研究设计
- 安全观察范围、剂量探索、标志物/伴诊策略

2

关键证据路径确认^{1,2,3}

 **核心关注** 早期疗效信号向注册可接受
证据转化

 **关键互动** EOP1/EOP2; FT/BTD沟通;
Type C/D专题会议

 **阶段产出** 注册路径与核心证据方案确认

- 主要终点、关键次要终点与替代终点可接受性
- 单臂/随机设计、对照选择与证据可验证性
- 剂量选择、统计方案与确证路径
- 疾病严重性、未满足需求、诊断与CMC关键问题

3

申报成熟度与上市后责任确认^{1,2,4}

 **核心关注** 申报资料成熟度与获批后
责任落实

 **关键互动** Pre-NDA/BLA; IR / Mid-cycle /
Late-cycle

 **阶段产出** 申报成熟度确认与上市后
证据闭环

- NDA/BLA结构与资料完整性
- 安全性数据库、标签草案、CMC与检查准备
- 重大修订风险识别与审评问题回应
- PMR/PMC、REMS、标签更新与临床获益验证

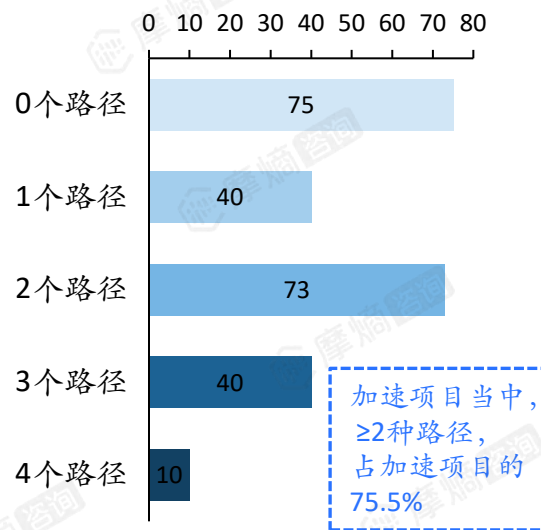


FDA监管互动的本质是前置校准证据不确定性，对加速路径项目而言，关键会议并非形式性沟通，而是提前锁定人群、终点、统计、CMC和上市后确证责任，降低审评补件风险，并提升注册路径可预测性。

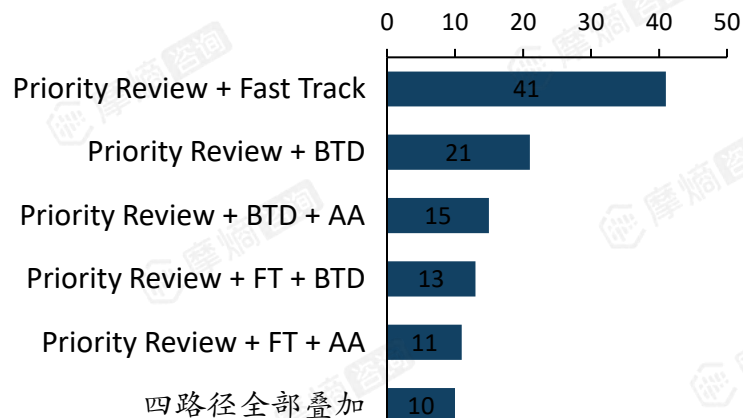
3.4约四分之三加速项目使用两种以上工具：FDA按阶段组合配置监管资源

- 组合化使用已成为主要特征：2021-2025年共238个CDER新药当中，163个至少使用一种四大加速路径，其中123个叠加使用 ≥ 2 种路径，占加速项目的75.5%。
- 路径叠加体现监管资源分层配置：Priority Review常作为审评提速工具嵌入组合；Fast Track/BTD体现开发阶段支持；Accelerated Approval则与替代终点、确证研究和上市后责任绑定。

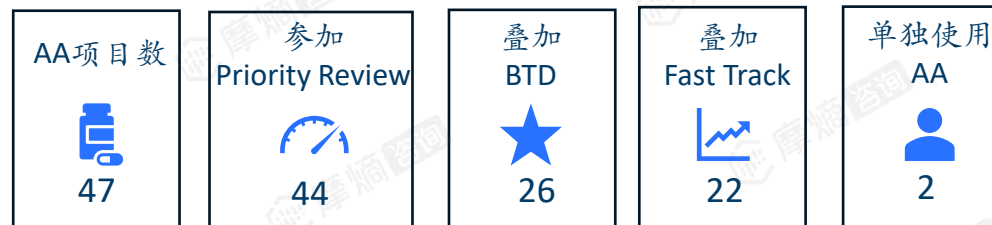
路径叠加情况^{1,3}



常见路径组合^{1,3}



Accelerated Approval联动分析^{1,2,3}



AA通常不会孤立使用，而是与审评提速、开发支撑或强化互动配套体现“早期上市+确证责任+监管资源配置”的组合逻辑

Priority Review Voucher：审评资源机制，非临床价值标签^{1,2}

- 2021-2025年共有10个PRV redeemed项目。
- PRV是FDA向开发被忽视疾病治疗产品公司发放的优先券，并不代表药物本身满足PR的临床价值需求，因此单独说明，未被纳入路径叠加情况考量。



FDA加速路径的高频叠加并不代表证据标准放松，而是体现监管体系对高未满足需求项目进行“开发支持、审评提速、条件上市与上市后验证”的组合化管理；合使用通常伴随更密集的开发互动、终点解释与上市后验证责任。

3.5 Lumakras案例：靶点突破打开加速窗口，诊断、剂量与确证试验成为后续重点

Lumakras案例基本信息 ^{1,2}			
药物名称	Lumakras	通用名	sotorasib
申请方	Amgen, Inc.	申请号	NDA214665
机制/靶点	KRAS G12C抑制剂	受理-获批时间	2020/12/16-2021/5/28
适应症	KRAS G12C突变、局部晚期或转移性NSCLC；需经FDA批准检测确认；患者既往接受至少一种系统治疗		
审评路径	Priority Review（优先审评）；Accelerated Approval(加速批准)；Fast Track(快速通道)；Breakthrough Therapy（突破性疗法认证）；RTOR（实时肿瘤审评）；Project Orbis（国际协同审评）		
关键试验	CodeBreak 100	核心疗效终点	ORR（客观缓解率）；DoR（缓解持续时间）
风险管理	肝毒性、间质性肺病/肺炎；通过标签管理；无需REMS		
获批后责任	PFS确证性试验；剂量优化研究；部分安全性与药物相互作用研究		

FDA接受逻辑^{1,2}

靶点突破：KRAS G12C长期被视为难成药突变，既往缺乏靶向疗法，Lumakras提供注册突破

患者边界清晰：KRAS G12C突变+FDA批准检测确认+既往治疗后精准人群定位

特定患者人群与未满足需求：孤儿药资格；既往缺乏已批准靶向疗法，构成加速批准的重要背景

疗效终点可解释：ORR约36%。中位DoR约10个月，FDA认为该场景下durable ORR可支持加速批准

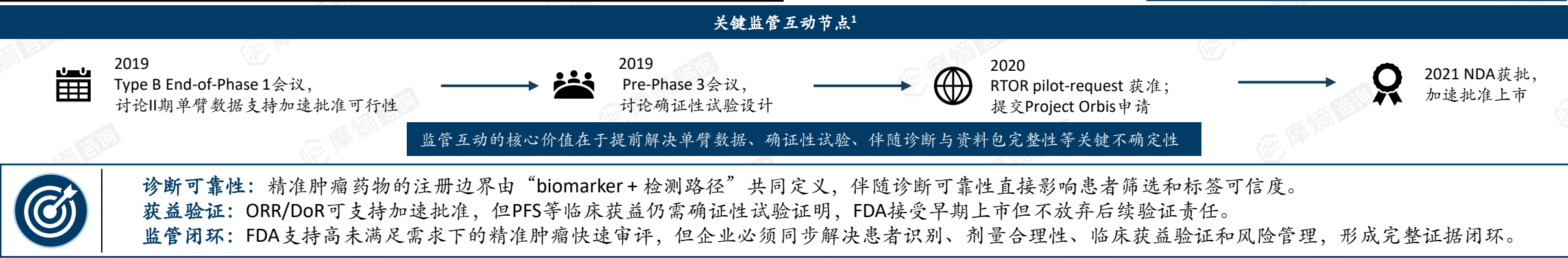
FDA保留意见/附加要求^{1,2,3}

 **临床获益验证：**
ORR/DoR支持先行上市，但仍需随机试验提交PFS结果，验证真实临床获益

 **剂量合理性：**
认可剂量有效性，但仍要求比较低剂量，寻找最优剂量

 **诊断可靠性：**
当前检测存在漏检风险，要求精准治疗同步解决检测策略

 **PRO证据解读：**
患者主观报告结局在单臂研究中仅具探索性，不能作为关键获益证据



3.6 Tecvayli案例：后线高需求与ORR支撑加速批准，风险管理与确证试验同步落地

Tecvayli案例基本信息^{1,2}

药物名称	Tecvayli	通用名	teclistamab-cqyv
申请方	Janssen Biotech, Inc.	申请号	BLA 761291
机制/靶点	BCMA×CD3双特异性抗体；识别骨髓瘤细胞，诱导T细胞杀伤	受理-获批时间	2021/12/28-2022/10/25
适应症	复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者；患者需接受过至少四线治疗，包括蛋白酶体抑制剂、免疫调节剂和抗CD38单抗		
审评路径	Accelerated Approval（加速批准）、Priority Review（优先审评）、Breakthrough Therapy（突破性疗法认定）、Project Orbis国际协同审评		
关键试验	MajesTEC-1（MMY1001）	核心疗效终点	ORR（客观缓解率）；DoR（缓解持续时间）
核心风险	CRS（cytokine release syndrome，细胞因子释放综合征）；神经毒性/ICANS（免疫效应细胞相关神经毒性综合征）		
风险管理	黑框警告；REMS with ETASU，即带有“确保安全使用要素”的风险评估与缓解策略		
获批后责任	随机确证性试验验证PFS等临床获益；进一步评估和管理神经毒性风险		

FDA接受逻辑^{1,2}

明确治疗缺口：目标患者已接受PI/IMiD及抗CD38单抗核心标准治疗后仍复发/难治，后续治疗选择有限

机制创新明确：BCMA x CD3双抗通过T细胞重定向杀伤骨髓瘤细胞，为后线MM提供差异化治疗路径

证据基础可接受：MajesTEC-1显示具有临床意义的ORR与DoR，足以支持加速批准的早期上市判断

监管路径匹配：严重疾病、治疗空白与创新机制叠加，使优先审评、突破性疗法及加速批准具备合理性

FDA保留意见/附加要求^{1,2,3}

临床获益验证：
当前批准主要基于ORR/DoR，后续仍需通过确证性研究并描述临床获益

安全性管理：
CRS\ICANS、感染等为核心安全关注点，上市后需持续风险监测与管理

用药实施复杂性：
分步递增给药、监护需求及真实世界可及性，均可能影响推广与使用

持续注册条件：
加速批准的维持取决于后续研究能否确认并描述临床获益

关键监管互动节点¹

2021/11
Pre-BLA Meeting：FDA重申单臂证据与随访时长担忧。

→

2021/12
注册审评启动，Janssen提交BLA，后续在AOM阶段进入正式审评沟通；申请为Priority Review

→

2022/04
Mid-cycle：REMS与黑框警告成为核心审评议题

→

2022/10
批准前监管闭环落地：授予加速批准，并要求REMS与上市后确证/安全研究。

患者定位：Tecvayli的注册边界由“≥4线治疗+PI/IMiD/抗CD38充分暴露后复发/难治”共同定义，精准人群选择是FDA接受后线加速批准的前提。

获益验证：ORR/DoR可支持加速批准下的早期上市判断，但长期临床获益仍需通过确证性试验验证，持续批准并不等同于证据责任完成。

风险闭环：FDA对Tecvayli的监管重点包括CRS/ICANS等风险能否通过黑框警告、step-up dosing、住院观察和REMS形成可执行管理体系。

信息来源：1. Tecvayli Multidiscipline Review；2. Tecvayli Approval Letter / Label；3. FDA Tecvayli REMS / Risk Review；摩熵咨询整理分析

21

3.7 疾病场景决定FDA工具组合：肿瘤重早期疗效与确证责任，感染重公共卫生优先，慢病重长期获益验证

- FDA加速支持的领域差异，本质上源于疾病需求属性差异：肿瘤常具备明确分子人群和可早期读取疗效信号，感染具有公共卫生优先级，慢病/神经等领域则更依赖长期获益、功能改善和安全性验证。
- 路径数据应作为监管逻辑的外显结果：肿瘤集中体现AA/BTD/PR组合，感染集中体现FT/PR/QIDP支持，慢病及部分非肿瘤领域则以选择性开发支持和审评提速为主。

肿瘤：早期疗效可读， 绑定确证责任^{1,2,3}

需求属性：

- 后线治疗选择有限，病情进展快。
- 分子分型/特定患者人群较清晰，未满足需求易识别。

监管逻辑：

- 在部分后线或分子分型清晰场景，ORR/DOR可作为AA支持性终点。
- 常通过AA/BTD/PR组合加速早期上市。
- 同时要求随机确证试验或PFS/OS验证临床获益。

数据证据：



获批数
70



≥1加速路径
87%



AA
50%



BTD
47%

感染：公共卫生优先， 驱动开发与审评提速^{1,2,3}

需求属性：

- 严重感染/耐药风险突出，公共卫生属性强。
- 有限治疗选择下，临床需求识别明确。

监管逻辑：

- 支持重点在于加快开发与审评效率。
- 主要通过FT、PR与QIDP形成政策支持组合。
- 并不依赖AA提前上市。

数据证据：



获批数
18



≥1加速路径
100%



FT
83%



QIDP
61%



AA
0%

慢病/心血管/肾脏等非肿瘤： 选择性支持，更受长期证据约束^{1,2,3}

需求属性：

- 患者基数大、病程长，用药周期长。
- 功能改善、长期获益与安全性更关键。

监管逻辑：

- 存在FT/PR/BTD等选择性支持。
- AA使用更谨慎，终点解释与长期验证要求更高。
- 监管重点在长期结局、功能获益与安全性外推。

数据证据：



相关获批
44



≥1加速路径
66%



AA
9%



罕见病
57%



FDA差异化监管本质上是获益-风险在不同疾病场景下的权重调整：当患者需求迫切、现有治疗不足、获益信号可早期读取且风险可管理时，FDA更可能配置多路径加速支持；当病程长、用药人群广、终点与长期获益关系不确定时，监管更强调长期结局、安全性外推和确证责任。

3.8 FDA监管走向动态化与智能化：实时数据与AI开始进入审评流程

- FDA监管流程正在从“提交后集中审查”前移至“开发中持续沟通与数据滚动判断”，并尝试进一步把实时化推进到临床试验执行阶段。
- AI正在同时进入规则与工具两条链路：对外形成AI模型可信度评估框架，对内通过Elsa/HALO提升资料处理、标签比对、安全性总结和审评支持效率。

三类底层压力驱动¹



审评互动负荷：

- CDER工作贯穿IND、方案咨询、正式会议及上市后管理；2025年收到>3k INDs、约12k份protocol、>4k5会议请求

节点式审查存在等待成本：

- 传统“阶段性提交-集中审评”模式难以完全匹配实时数据和快速决策需求，存在监管判断滞后等问题

资料复杂度提升：

- 临床、安全性、统计、标签和风险管理资料之间需求更高一致性和可追踪性

探索实时动态临床监管^{2,3}



Real-Time Oncology Review (RTOR)：

- 关键临床数据可在正式完整申请前进入审评

Real-Time Clinical Trials(RTCT)：

- 探索试验进行中实时获取安全性信号与终点数据
- 目标减少“试验执行-数据清理-统计分析-监管判断”之间的等待时间

临床数据不再只在关键节点进入监管视野，而是向连续数据流转变，强调动态监测。

AI进入FDA审评流程⁴



规则层|AI可信度框架：

- FDA 2025年AI草案适用于药品安全性、有效性或治疗监管决策的数据/信息
- 强调使用情景和基于风险的可信度评估



工具层|FDA内部AI工具：

- 2025年完成了AI-assisted scientific review pilot，正式推出Elsa
- 2026年升级至Elsa 4.0，并整合HALO数据平台



影响层|资料包质量要求提升：

- AI辅助提高资料检索、标签比对、安全性总结和问题识别能力
- 提升对企业资料的结构化、一致性和可追踪性要求

RTCT试点案例³

AstraZeneca | TRAVERSE

Amgen | STREAM-SCLC

试验信息

Phase II，多中心，初治套细胞淋巴瘤

Phase Ib，局限期小细胞肺癌

进展

FDA已通过Paradigm Health接收并验证试验信号

最终研究中心选择仍在进行中；FDA已与申办方建立实时报告标准



FDA正在通过实时数据机制和AI工具降低审评等待成本，审评标准并未放松；企业的资料结构化、一致性、可追溯性和动态风险管理能力将成为更重要的审评基础。

3.9 证据生成体系重构:多源证据组合提升效率,可解释性成为核心门槛

- FDA近期多份指导文件指向同一趋势:在特定患者人群、精准分型、复杂疾病和非临床替代评价场景下,证据要求从传统证据范式向更灵活的多源证据组合演进
- 灵活性不代表降低标准:FDA更关注证据的统计可靠性、人群相关性、风险解释力和可复核性

证据体系重构原因^{1,2,3,4}



特定患者人群与精准分型增加:

- 罕见病、肿瘤分子亚型、儿童适应症等场景样本有限,传统大型RCT可行性受限



疾病机制与外部数据积累:

- 机制研究、自然史、真实世界数据和既往试验结果积累,为多源证据支持监管提供基础。



研发效率与伦理压力:

- 重复开展大型RCT试验可能延迟患者可及,在高未满足需求场景下需要更高效利用已有信息

多源证据组合^{1,2,3,4}



单关键试验+确证性证据(特定情形):

- 特定场景下,一项设计严谨、执行充分、结果有说服力的关键临床试验,可结合外部确证性证据支持有效性判断
- 确证性证据可来自机制、自然史、药理学、外部数据、相关适应症或其他支持性研究

从“试验数量”转向“证据链强度”进行评估。



贝叶斯方法:

- 将既有研究、外部对照、历史数据或相关人群信息作为“先验”
- 与当前临床试验数据结合,形成更新后的疗效/安全性判断
- 可用于小样本、适应性设计、剂量选择、儿科外推、亚型间信息借用等场景

从“单一试验结果”转向“整合既有证据”



主方案试验(Master Protocol):

- 在同一临床试验框架下并行开展多个子研究
- 可支持平台试验、篮式试验、伞式试验等复杂设计
- 通过共享站点、招募、随机化、对照、数据管理和统计框架提升效率

从“一药一试验”转向“一框架多子研究”



NAMs新方法学:

- 包括体外模型、类器官、organ-on-chip、计算机模型等
- 科学验证基础上逐步提高人源相关NAMs的使用权重
- 核心价值在于提高人体生物学相关性和毒理预测

从“动物模型依赖”转向“人相关证据补充”



FDA正尝试从“固定试验范式”转向“证据链审评”:临床试验仍为核心,但多源证据存在接受可能性,重点取决于其是否真正降低了疗效、安全性和外推的不确定性。

3.10加速批准迈向闭环监管：确证前移、退出提速

• 监管重点转向不确定性治理：确证试验underway、OS/长期获益评估、PMR透明化和撤回案例共同显示，FDA正在将AA从“快速获批路径”转为“早期上市+确证验证+风险退出”的闭环机制。

监管变化时间轴-监管重点演进 ^{1,2,3}			文件/动作 ^{1,2,3}	核心变化	对企业直接影响	反映监管取向
	2022/12 CAA 2023 强化FDA AA管理权限	赋予FDA 更强AA管理权限，可要求确证试验在批准前或批准后特定时间内启动，并明确研究里程碑与目标完成日期。	2024 AA总体指导草案	明确AA适用条件；强化替代/中间终点使用边界；确证研究要求与撤回机制更系统化	需要在开发早期定义确证终点、试验设计和统计计划；明确确证研究里程碑与目标完成日期	AA从路径红利转向条件性证据管理机制
	2024/12 AA总体指导草案发布	系统化说明AA候选产品判断、替代/中间终点使用、确证研究、撤回程序和上市后责任，标志AA从单一“加速路径”进一步转向条件性证据管理机制。	2025 Confirmatory Trial Underway草案	FDA可要求加速批准前开始确证试验；解释“underway”判断因素	NDA/BLA提交时需证明确证研究已启动或具备启动可行性，包括入组安排、研究可行性资料、时间表与最终报告提交路径	确证责任前置，压缩未验证获益窗口
	2025/01 Confirmatory Trial Underway 草案发布	解释“underway”判断框架，强调确证试验不能停留在计划层面，而需体现研究启动、入组可行性、完成日期和最终报告提交路径。	2025 肿瘤OS评估草案	OS既是疗效终点，也是安全性终点；早期终点可能与OS不一致；建议OS预设分析，即使OS不是主要终点	随机试验需预设OS随访与分析计划；解释早期终点与OS/长期获益的一致性；评估毒性抵消抗肿瘤活性的风险	从早期疗效可读，转向长期获益可解释
	2025/08 肿瘤OS评估草案发布	FDA强调OS既是疗效终点，也是安全性和获益-风险判断维度；即使OS不是主要终点，也建议作为预设安全性终点进行分析。	Project Confirm & Ongoing Cancer AA列表	PMR状态、完成日期、撤回信息公开透明	PMR/PMC执行需更可追踪；与FDA持续沟通并按期交付里程碑	AA监管从个案跟踪走向公开化项目管理
	2024-2025 AA撤回案例	Pepaxto、Ocaliva等案例显示，确证失败、安全性风险或获益-风险不成立时，AA退出机制正在成为真实可执行的监管后果。	Pepaxto / Ocaliva撤回案例	Pepaxto确证研究未确认临床获益；Ocaliva获益-风险不成立，申请人撤回	确证失败或安全性问题可能触发撤回；商业化后需考虑市场退出、标签调整与风险预案	撤回机制更可执行，退出风险现实化

第三章小结：FDA加速工具并非单一路径，而是围绕证据不确定性管理的监管组合

1

工具框架



- 加速工具覆盖开发支持、审评提速、条件性批准与上市后责任
- 加速工具并非单一“快速通道”，而是作为全过程的监管工具组合

2

进入条件



- 严重/危及生命疾病、存在未满足需求
- 早期疗效信号清晰，终点与证据路径可解释

3

监管互动



- Pre-IND、EOP、Pre-NDA/BLA等关键会议提前校准
- 围绕人群、终点、统计、CMC与风险管理持续沟通

4

路径组合



- FT、BTD、PR、AA常呈组合配置
- 不同路径组合体现开发支持、审评提速与早期可及性的分层投入

5

场景差异



- 肿瘤看重早期疗效与确证责任；
- 感染看重公共卫生优先级；
- 慢病/神经看重长期获益、功能改善与安全性

6

监管变化



- AA再平衡、实时审评、AI辅助审评等变化强化确证责任与数据质量要求
- 监管重心倾向于证据可追溯，可复核





Chapter 4

出海价值转化：中国临床资产的全球开发与证据升级

4.1 中国创新药出海始于资产可信度：从临床信号走向FDA-ready证据资产



FDA审评逻辑是中国创新药国际化价值判断的基础：资产能否清楚说明目标患者、治疗缺口、临床获益、风险边界和后续开发路径。



高可信度的资产需要围绕早期疗效信号、临床价值、注册证据、美国适应性、质量体系和上市后责任，形成可审评、可复核、可检查的完整证据包。

从中国创新药资产到FDA-ready 国际化资产



中国创新药出海的核心竞争力，正在从“早期疗效信号+BD交易”升级为“FDA-ready证据体系+可检查生产体系+可转换商业标签+可被后续开发的证据资产”。

4.2 FDA-ready证据包由五条证据链构成：临床、注册、适用性、安全与CMC

- FDA 的审评重点更加关注证据是否足以支持美国患者用药决策、拟定标签批准和风险收益平衡。
- 中国创新药出海前，需要将“中国临床数据”升级为“FDA-ready 证据包”，重点补足临床价值、注册性证据、美国适用性、剂量安全和 CMC 可检查性等审评证据。

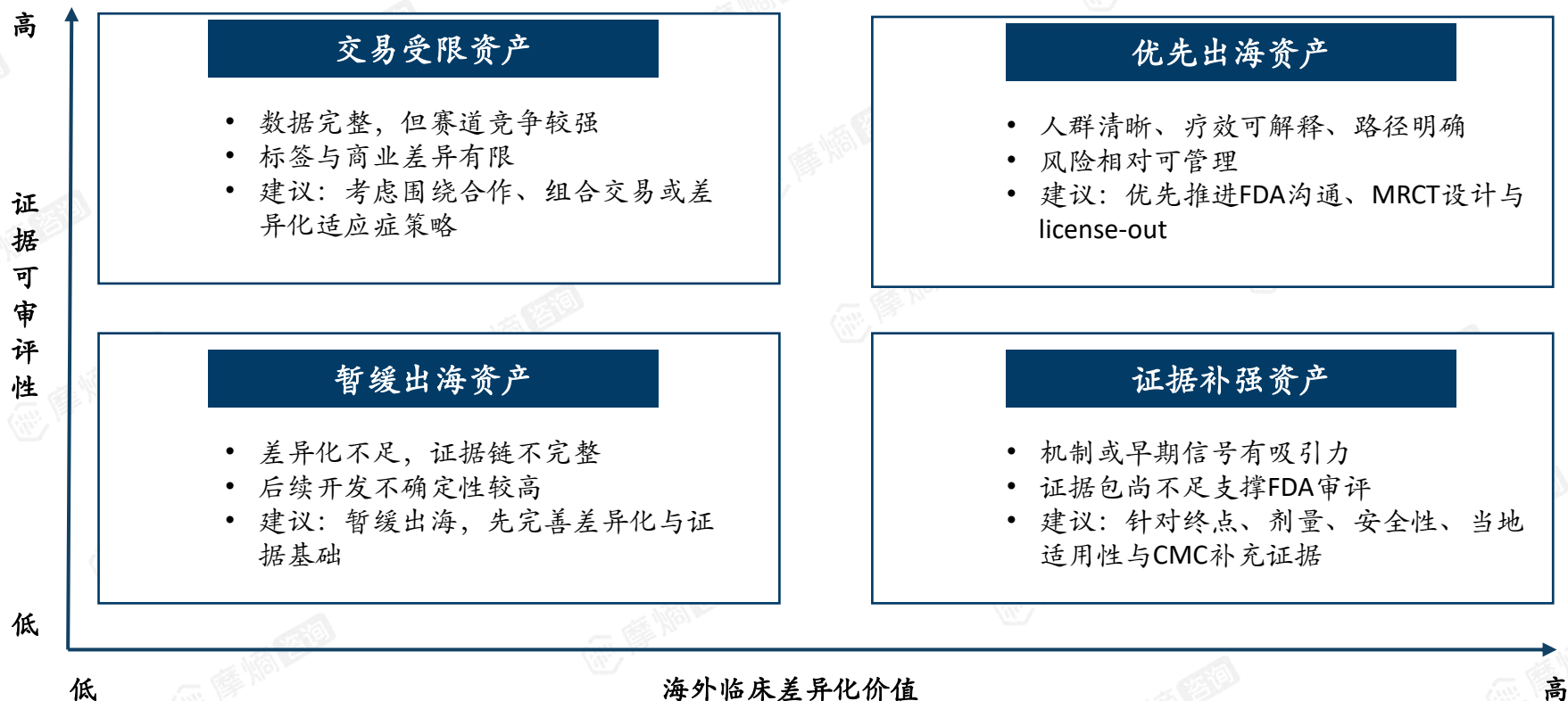
FDA 审评关注点	出海资产常见证据缺口	出海前证据包补强方向
 临床价值	目标人群、治疗位置和相较现有疗法的差异化价值不够清楚	明确适应症边界、治疗线数、目标患者、标准治疗失败场景和差异化临床获益
 注册性证据	早期疗效信号较强，但终点、对照、统计假设和确证性试验路径不足	明确关键终点、对照策略、统计方案和确证性试验路径；按疾病场景选择ORR/DoR、PFS/OS、MRD、功能终点等指标
 美国适用性	中国数据对美国SOC、患者结构和临床实践的外推逻辑未充分说明	规划MRCT、美国患者入组、桥接研究、种族/治疗实践差异分析和 FDA early interaction，形成可外推至美国人群的证据链
 剂量与安全性	剂量探索、暴露-反应关系、安全性数据库和风险 管理方案仍需补强	前置 剂量优化、暴露-反应分析、安全管理策略和联合用药剂量逻辑，降低后期被要求补做剂量探索的风险
 CMC 与可检查性	工艺验证、批次一致性、稳定性、GMP体系和现场 检查准备不足	完善 CMC 文件、工艺验证、质量控制、稳定性数据、批次一致性、生产基地检查准备和供应链可持续性



中国创新药的出海，需要围绕FDA审评决策补齐临床价值、注册路径、美国适用性、剂量安全性和CMC可检查性的证据链。证据越早结构化，越有利于提升信任和后续开发确定性。

4.3 资产优先级判断：优先推进兼具差异化价值与证据可审评性的资产

- **FDA-ready**资产筛选的核心在于数据能否支撑美国患者获益判断、注册路径设计和海外合作方后续开发决策。
- 因此，中国创新药出海优先级应同时评估资产的全球差异化价值与FDA证据可审评性，避免将早期疗效信号直接等同于国际化确证证据。



出海资产优先级的核心，是从“早期数据亮点”转向“海外临床差异价值清晰、证据可审评、风险可管理”的综合判断。

第四章小结：中国创新药出海的关键在于将临床数据升级为可审评、可验证、可持续的证据资产

- 从FDA审评逻辑出发，中国创新药出海的核心在于能否形成可被审评、可被验证、可被持续开发的证据资产。
- 对企业而言，国际化价值释放取决于临床价值、注册证据、美国适用性、质量体系和上市后责任是否形成闭环。

1 从交易叙事回到审评逻辑



- 出海不能只依赖早期疗效亮点/BD故事，还需要回答目标患者、治疗缺口、临床获益、风险边界和后续开发路径是否清晰

2 从临床数据转化为结构化证据包



- 中国临床数据具备基础价值
- 用于海外注册时，需进一步补足临床价值、注册证据、当地适用性、剂量安全性和CMC可检查性等关键证据

3 从单点亮点转向双重匹配



- 优先出海资产应同时具备海外临床差异化价值和证据可审评性
- 仅有早期疗效信号不足以单独支撑高质量国际化推进

4 从获批可能性延伸到开发可接续性



- 国际化价值释放取决于能否进入当地注册路径、开发风险是否透明、质量体系是否可检查、上市后责任是否可执行

证据资产转化链



中国临床数据

早期疗效信号是基础，但不足以单独支撑注册和BD沟通



FDA-ready证据包

补足临床价值、注册证据、当地适用性、剂量安全性和CMC可检查性



可验证资产

明确风险边界、开发成本和后续承接路径



可接续国际化开发

优先推进差异化价值清晰、证据可审评、责任可管理的资产



FDA批准与审评路径为中国创新药出海提供了重要参考，对企业而言，围绕临床价值、注册证据、当地适用性、质量体系和上市后责任全面提升资产的可审评性与可接续开发能力尤为重要。

版 权 声 明:

COPYRIGHT NOTICE:

本报告版权属于摩熵数科（成都）医药科技有限公司，并受法律保护。

转载、摘编或利用其它方式使用本报告文字或者观点的，应注明来源。

违反上述声明者，编者将追究其相关法律责任。

The copyright of this report belongs to BCPMdata Pharma Technology (Chengdu) Co.,Ltd., and is protected by law.
Those who reprint, extract or use the text or views of this report in other ways should indicate the source, and those who violate the above statement will be investigated for their relevant legal responsibilities.

摩熵咨询是摩熵数科旗下生物医药专业咨询服务品牌，由深耕医药领域多年的专业人士组成，核心成员均来自国际顶级咨询机构和行业标杆企业，涵盖立项、市场、战略、投资等从业背景，依托摩熵数科丰富的外部专家资源及全面的医药全产业链数据库，为客户提供专业咨询服务和定制化解决方案。

结合数据资源与行业资源
提供专业咨询服务与定制化解决方案

市场洞察与营销赋能

分析市场现状，洞察行业趋势，依托数据分析和深度研究，辅助商业决策。

立项评估及管线规划

提供疾病领域品种调研、专家访谈、品种立项、项目交易整套服务。

产业规划及研究服务

以数据为基础，为组织、园区、企业提供科学的决策依据和趋势线索。

多渠道数据分析及定制服务

帮助客户深入了解目标领域和市场情况，发现潜在机会，优化业务决策。

投资决策与交易估值服务

为药企/投资机构提供市场调研、价值评估、专利评估、募投报告及IPO行研等决策支持服务。

"十五五"战略规划咨询服务

为政府及行业大中型企业提供外部环境洞察、地方发展评估、先进经验对标、总体战略规划等服务。

数据驱动决策，一站式生物医药咨询服务

- 销售数据，覆盖医院/药店/电商
- 60000+行业研究报告
- 真实世界数据，细分到科室
- 200+真实项目案例
- 药品流向数据，细分到医院
- 3000+业内高端专家资源

数据库免费试用



扫一扫
立即申请

11万份行业报告免费下载



联系我们

购买数据产品

☎ 400-9696-311 转1

定制咨询业务

☎ 400-9696-311 转2

摩熵数科“4+4+6”战略

4大产业链架构

B 摩熵生物
Biotechnology
生物大分子数据检索系统

C 摩熵化学
Chemical
化学小分子数据检索系统

P 摩熵医药
Pharmaceutical
药物和器械综合情报系统

M 摩熵医学
Medical
循证医学与医疗大数据

4大核心服务

数据检索SaaS服务

BCPM数据库检索，15大数据库矩阵，快速查询生命科学全产业链数据，支持在线分析。

定制咨询分析服务

提供产业立项评估、产业研究、市场洞察、销售布局、真实世界研究等定制化咨询服务。

AI语料及数据接口服务

AI语料定制及数据API接口服务，轻松实现AI模型训练和自定义业务场景所需底层数据。

产业链生态服务

基于BCPM数据生态进行生物学-化学-药学-医学相关上下游供应链服务，市场推广营销等服务。

6大客户群体

政



产



学



研



医



投

