

办理结果：解决或采纳

公开属性：主动公开·全文

上海市药品监督管理局文件

沪药监提案〔2025〕38号

上海市药品监督管理局对市政协 十四届三次会议第0612号提案的答复

刘巍巍委员：

您提出的关于推动罕见病药品进口的提案已收悉。经我局会同市财政局研究，现将办理情况答复如下：

首先感谢您对罕见病用药的关心。近年来，罕见病日益受到国家和社会各方关注，相关部门通过制定罕见病目录、鼓励罕见病药品研发上市等措施，提升了我国罕见病诊疗水平，保障罕见病用药基本需求。进口药品是罕见病用药的重要来源之一。您提出的加强风险管理，推动罕见病药品进口的建议对于进一步提高罕见病药品的可及性具有很强的现实意义。

一、关于加强进口罕见病药品的风险管理

《药品管理法》明确，药品管理应坚持风险管理、全程管控、社会共治的原则。为保证药品质量，《药品进口管理办法》对药品的进口备案、报关、口岸检验以及进口进行了详细规定。进口药品的备案及抽样检验流程是保障进口药品质量安全的重要环节，市药品监管局作为口岸药品监管部门，通过实施“风险+信用”分类监管，在不降低备案条件的基础上，进一步优化进口备案及抽样检验流程，加快药品进口通关进程。同时，市药品监管局通过对进口备案、口岸检验、流通使用等环节加强监管，切实保障药品安全。

此外，在加强境外药品上市许可持有人管理方面，国家药监局制定发布了《境外药品上市许可持有人指定境内责任人管理暂行规定》（以下简称《暂行规定》），自 2025 年 7 月 1 日起实施。《暂行规定》厘清了境外持有人及其指定的境内责任人权责，全面落实境外持有人全生命周期主体责任，进一步强化境外生产药品在境内上市后主体责任的落实，有利于保障药品质量安全。市药品监管局将根据《暂行规定》，加强本市行政区域内境内责任人的监督管理。

二、关于降低罕见病药品进口抽样检验成本

2025 年 1 月，《国务院办公厅关于全面深化药品医疗器械监管改革 促进医药产业高质量发展的意见》（国办发〔2024〕53

号，以下简称 53 号文）明确，将罕见病用药品注册检验批次由 3 批减为 1 批，每批次用量从全项检验用量的 3 倍减为 2 倍。将药品注册检验、生物制品批签发检验和进口药品通关检验每批次用量从全项检验用量的 3 倍减为 2 倍。今年 3 月 1 日实施的《上海市药品和医疗器械管理条例》（以下简称《条例》）规定：进口须经口岸检验的罕见病药品，口岸药品检验机构按照国家规定优化检验样品的用量。目前，罕见病药品进口通关检验每批次用量从全项检验用量的 3 倍减为 2 倍。这将有利于降低罕见病药品企业成本负担，减少资源浪费，提高药品可及性。

三、关于设置财税优惠政策，提高罕见病药品的可及性

在提高罕见病药品的可及性方面，除上述检查抽样量政策以外，53 号文对加快罕见病用药品审评审批作出了多项规定。如，对符合条件的罕见病用创新药减免临床试验。基于产品风险统筹安排进口罕见病用药品注册核查与上市后检查，缩短境外核查等待时限。探索由特定医疗机构先行进口未在境内注册上市的临床急需罕见病用药品。对符合条件的罕见病用药品建立市场独占期制度。同时，为加快罕见病新药上市速度，将具有明显临床价值的防治罕见病的创新药和改良型新药纳入优先审评审批程序。据统计，2024 年国家药监局共批准罕见病用药 55 个品种（未包括化学药品 4 类仿制药），其中 20 个品种通过优先审评审批程序得以加快上市。

此外，根据《药品管理法》第六十五条规定，医疗机构因临床急需进口少量药品的，经国务院药品监督管理部门或者国务院授权的省、自治区、直辖市人民政府批准，可以进口。进口的药品应当在指定医疗机构内用于特定医疗目的。为满足公众临床用药急需，2022年6月国家卫生健康委同国家药监局制定发布了《临床急需药品临时进口工作方案》，对于国内无注册上市、无企业生产或短时间无法恢复生产的境外已上市临床急需少量药品，可由医疗机构按照工作方案要求提出相应申请，以适应特殊患者少量特定用药需求。我局会同市卫生健康委积极宣传相关政策，提供指导服务。目前我市医疗机构已有4次临时进口药品申请获批，其中包含两个罕见病药品。

在财税政策支持方面，市财政局等部门积极支持本市有关工作的开展。一是在预算中安排资金，用于开展药品注册检验、审评审批等工作，助力罕见病药品快速上市。二是减免部分行政事业性收费。2025年，市发展改革委、市财政局印发通知，继续阶段性降低境内生产药品注册费收费标准50%，持续优化营商环境，着力减轻药企负担。三是不断加大税收政策支持力度。关税方面，除个别管制药品和我国特产中成药外，绝大多数药品的进口关税已于2018年5月1日降为零。增值税方面，自2019年3月1日起，增值税一般纳税人生产销售和批发、零售罕见病药品，可选择按照简易办法依照3%征收率计算缴纳增值税；对进口罕

见病药品，减按 3%征收进口环节增值税。目前，国家已出台三批适用上述增值税政策的罕见病药品清单。

下一步，我们将认真贯彻落实国家要求，加大对罕见病药品研发生产进口的支持力度，全面做好罕见病药品有关工作，更好保障患者健康权益。

再次感谢您对罕见病用药以及药品监管工作的关心和支持。

上海市药品监督管理局

2025 年 5 月 16 日

联系人姓名：常云成

联系电话：54909078

联系地址：宜山路 728 号

邮政编码：200233

