



两会·连线

# 规范人类遗传资源产业化利用

□全国人大代表 农工党湖北省委会副主委 武汉大学公共卫生学院院长 缪小平

近年来,为保护和合理利用我国人类遗传资源,维护公众健康、国家安全以及社会公共利益,国家先后出台《中华人民共和国人类遗传资源管理条例》《中华人民共和国生物安全法》《人类遗传资源管理条例实施细则》等一系列重要法律法规,但其主要是针对科研用途作出的明确规定,对人类遗传资源后续产业化相关用途的指导存在不足。

当前,开展相关工作主要面临两大瓶颈。

一是产业化应用相关流程不

明。现有法律法规对人类遗传资源的采集、保藏、利用和对外提供等环节作出了详细规定,但对于产业化应用的具体路径、条件和程序缺乏明确指导。在利用人类遗传资源开发新药、医疗器械或开展其他商业活动时,尚无专门条款进行规范。现有法律法规中尚未明确产业化应用相关职能部门的归属,未回应审批流程、所需材料、审批时限等关键问题,有关机构和企业在开展相关活动时面临较大不确定性。

二是管理部门间缺乏协调机制。药监部门负责生物药物审评审批,以确保药物的安全性、有效性及质量的可控性;卫生健康部门作为人类遗传资源的直接管理部门,负责对辖区内医疗机构合理利用人类遗传资源进行规范和监管。在药物审批上市的过程

中,药监部门主要将精力集中在药物质量上,对生产过程中涉及的人类遗传物质的伦理问题关注不够,而卫生健康部门未能有效参与其中进行规范。药物获批上市后,生产过程中所使用的人类遗传物质的采集缺乏合理的规范指引,极易引发伦理风险,同时也无法保障其获取的稳定性,对药物的持续生产造成不利影响。

行业急需关于人类遗传资源产业化用途的相关指导。为此,建议从四方面推动人类遗传资源在医药领域的产业化规范利用。

一是设立专门审批部门,明确审批程序。在现有法律法规基础上,进一步细化针对产业化应用的具体条款。明确利用人类遗传资源开发新药、医疗器械等商业活动的具体路径、条件和审批程序,并建立专门的产业

化应用审批机制。明确审批职能部门,由其负责人类遗传资源产业化应用的审批工作。制定清晰的审批流程、所需材料及审批时限,减少企业在开展相关活动时的不确定性。

二是完善部门间协调机制,明确职责分工。一方面,在药物审评审批过程中建立联合审查机制。药监部门负责关注药物安全性、有效性,卫生健康部门负责对人类遗传资源伦理问题进行严格把关,避免批准上市的药物在正常采集人类遗传资源过程中受阻。另一方面,建立样本伦理性联合监管机制。由卫生健康部门监管样本的伦理合规性,药监部门确保样本在产业化应用中的安全性与合法性,规范人类遗传资源的管理和应用,促进产业健康发展,保障捐赠人的合法权益和隐私安全。

三是规范样本采集及转移流程。在人类遗传资源的采集、保藏及产业化应用中,进一步完善伦理审查机制,明确捐赠人知情同意和隐私保护等关键环节的具体要求。对于经检测确认为健康的遗传资源样本,从医疗机构向生产企业的转移,需获得医疗机构伦理审查委员会的批准,审查内容包括样本的使用目的、隐私保护措施以及对捐赠人权益的保障。同时,医疗机构必须获得捐赠人的书面授权,明确样本可用于产业化应用。

四是建立利益分配机制。为促进人类遗传资源的合理利用,探索建立合理的利益分配机制,让捐赠人、医疗机构和企业共享产业化应用带来的利益。可通过设立补偿机制或让捐赠人参与成果分享等方式,切实保障捐赠人的权益。(本报记者魏婉娟整理)



扫码看两会心声



扫码看两会健谈 访谈嘉宾:全国人大代表陈培莉

# 构建国家级罕见病用药数据库

□全国政协委员 扬州大学副校长 龚卫娟

罕见病是诊疗难度大、用药需求迫切的特殊疾病,我国罕见病患者逾2000万名。目前,我国罕见病药物研发面临三大困境:数据孤岛现象严重,罕见病患者临床数据、用药数据等分散于各医疗机构、科研院所及企业中,缺乏有效整合与互联互通,导致大量高价值数据“沉睡”,无法有效支撑科研与决策;研发支撑体系薄弱,本土药企在罕见病药物研发过程中,缺乏系统性靶点发现、化合物筛选、临床试验设计及市场潜力评估数据支持,研发周期长、成本高、风险大,难以形成闭环;政策制定与评估缺乏精准依据,政府部门在制定罕见病用药保障政策、评估疾病负担及政策实施效果时,往

往受限于全面、动态、真实世界数据的缺乏,难以做到精准施策与科学评估。

面对上述困境,结合当前国际生物安全与技术竞争的新形势,构建一个自主可控、标准引领、智能驱动的国家级罕见病用药数据库迫在眉睫。为此,提出4条建议。

一是明确战略定位,高位推动数据库建设。将“中国罕见病用药数据库”确立为国家级战略资产,由相关部委牵头,依托国家罕见病医学中心等权威临床机构,以及罕见病用药研发国家级科研院所与中国医药工业信息中心等国家信息机构,成立专项工作组,统筹规划数据库的建设与运营,确保我国罕见病用药核心数据自主可控,在兼容国际标准的同时牢牢掌握数据主权。同时,通过数据要素的激活与固化,赋能罕见病药物研发全链条,缩短新药研发周期,参与乃至引领

全球罕见病用药政策与标准的制定。

二是构建核心能力,夯实数据库基础设施。数据库建设需重点打造以下能力:多源异构数据整合能力,整合临床试验、真实世界诊疗、多组学、化合物筛选、药品生产流通及患者随访等多元数据,建立统一的国家级数据模型与互操作性框架,解决“语言不通”问题;知识发现与图谱构建能力,利用人工智能技术构建“疾病—基因—药物—表型”深度关联的知识图谱,为靶点发现、药物重定位及精准医疗提供智能支撑;合规安全数据治理能力,建立完善的数据安全、隐私保护及内部审计体系,确保所有数据活动严格遵守国家法律法规;多用户协同服务能力,为政府部门、研发生产企业、科研院所、临床医生及患者提供差异化、精准化服务工具与功能模块。

三是分步有序实施,聚焦全生命

周期数据服务。按照“短期打基础、中期强能力、长期建生态”的路径,稳步推进建设。近期完成核心数据资源标准化采集与整合,建成可用、可扩展的技术平台;优先汇聚罕见病基础研究及用药信息、国内外临床试验数据及上市药品数据。中期深化知识图谱建设,提升多维数据分析与挖掘能力。长期形成“临床需求—研发转化—数据反馈”的良性闭环生态。同时,建立跨机构数据合规共享机制,构建产学研用协同创新的新范式,为全球罕见病防治贡献“中国样本”。

四是创新服务功能,赋能多元应用场景。数据库应定位为“罕见病诊疗和药物研发的智能中枢”,整合政策、疾病、研发、上市、临床应用、市场六大领域数据,围绕关键用户设计实用功能。具体来说,辅助政府精准决策,提供国内外罕见病政策对比检索、

疾病负担与药物可及性分析、政策实施效果评估等功能,支持医疗资源科学配置;赋能企业高效研发,提供靶点发现验证、竞争格局分析、临床试验方案优化、市场潜力评估等分析服务,特别是利用人工智能模型支持药物重定位;支持临床与科研创新,汇聚全球临床试验动态,支持疾病机制研究与生物标志物发现,提供在线协同工具,推动多中心科研项目合作与成果转化;服务患者寻医问药,提供权威用药指导,缩短患者寻医问药路径。

(本报记者王依依整理)



扫码看两会·连线合集

## 两会·声音

全国人大代表黄美娟:

### 全生命周期关爱孤独症群体

年》,提出完善孤独症儿童发展全程关爱服务体系。但从全国范围看,孤独症群体关爱服务仍面临康复救助标准偏低、年龄覆盖有限、融合教育不足、就业支持缺乏、成年托养及养老困难等突出问题。

黄美娟建议,一要健全“早发现、

早干预”早期支持体系,建立标准化、广覆盖的“社区—家庭”早期筛查网络,完善儿童孤独症早期筛查、诊断和康复救助衔接机制,提高财政保障和干预康复服务的可及性,放宽康复救助年龄限制,提高救助标准。

二要构建“融得进、学得好”的融

合教育赋能体系,落实教育部关于“重点探索孤独症儿童特殊教育学校(部)建设,建立孤独症儿童助教陪读制度”的要求,建立健全“影子老师”(或称特教助理)职业发展体系,加强特教老师职业技能系统培养。

三要拓展“有技能、有出路”的就

业与职业康复体系,开发多元化就业模式,鼓励发展支持性就业、庇护性就业、灵活就业和辅助性就业等多种就业形式,发掘孤独症人士的潜能和优势。

四要建立“有尊严、有保障”的成年托养与养老服务体系,建立政府财政投入、社会力量参与、慈善资源撬动的投入机制,为孤独症人士提供日间照料、康教融合、就业技能培训等服务,充分发挥亲友协会和各类孤独症家长组织作用,开展孤独症家庭互助服务,探索建立针对无法独立生活的成年孤独症人士的特殊信托、意定监护等法律与金融支持机制,保障其终身福祉。

全国人大代表卢林:

### 强化特医食品产业政策支持

医支付体系奠定基础,但该编码在地方层面尚未切实落地,这阻碍了特医食品的普及。

在产品管理方面,尽管市场监管总局特殊食品安全监管司已审批290款特医食品注册批件,基本满足肠内

营养临床需求,可各地缺乏明确使用规范,使普通食品与特医食品在医疗机构招标采购中混淆不清。这既扰乱市场秩序,又影响特医食品临床应用的规范性与科学性。

在行业政策方面,特医食品行业

尚未建立类似制药行业的仿制药报批政策。尤其是特定全营养类特医食品,企业无论产品相似度多高都需独立开展临床试验,造成人力、物力、财力的巨大浪费,抑制行业创新活力与发展效率。

卢林建议,强化政策协同,制定统一的特医食品分类代码,明确其在医保信息系统中的分类定位与管理方式;制定全国统一的特医食品临床使用指南,明确特医食品在不同疾病状态下的适用人群、使用剂量、使用疗程、使用方法等关键内容;出台一系列税收优惠、研发补贴等政策,鼓励国内企业加大对特医食品的研发投入;推动医保与商业保险衔接互补,医保部门优先将罕见病、恶性肿瘤等重大疾病相关的特医食品纳入医保目录,并引导商业保险公司开发针对特医食品的专项保险产品,以满足不同患者的需求。

本报讯 (记者刘敬明)孤独症谱系障碍(以下简称孤独症)是一类发生于儿童早期的神经发育障碍性疾病,严重影响儿童社会功能和生活质量。全国人大代表、浙江原始品牌管理有限公司行政人力资源部行政专员黄美娟表示,孤独症主要治疗途径是长期的干预康复训练,患者家庭往往陷入“一人孤独症,全家陷困境”的局面。因此,她呼吁构建“筛查—干预—教育—就业—托养”全生命周期关爱服务体系。

黄美娟表示,近年来,国家层面已陆续出台相关政策。2024年,中国残联等七部门联合印发《孤独症儿童关爱促进行动实施方案(2024—2028

本报讯 (记者刘敬明)特殊医学用途配方食品(以下简称“特医食品”)是一类专门为满足进食受限、消化吸收障碍、代谢紊乱或特定疾病状态人群对营养素或膳食特殊需要而加工配制的食品。全国人大代表、山东省立医院东院区保健神经内科主任卢林表示,临床实践表明,合理使用特医食品不仅能够有效降低患者感染等并发症的发生率,缩短住院周期,还能显著降低医疗成本,提升整体医疗服务质量。但当前我国特医食品行业面临诸多发展困境,需强化政策支持。

卢林指出,国家医保局已颁布特医食品医疗机构收费编码,为其纳入

本报讯 (记者吴倩)“促进老年人和慢性病患者积极预防带状疱疹,提高疫苗接种率,是落实医防融合、推动老龄健康服务提质增效的迫切要求。”全国政协委员、中国疾控中心副主任施小明介绍,我国50岁及以上人群每年新发带状疱疹约156万人,糖尿病、心血管疾病、慢性肾病等常见慢性病患者为带状疱疹病毒的易感人群。目前,带状疱疹治疗以抗病毒和对症治疗为主,尚无特效药,接种疫苗是最有效可行的预防手段。然而,我国40岁以上人群带状疱疹疫苗接种率不足5%,远低于发达国家水平。国家虽已明确建议老年人接

全国政协委员施小明:

### 提升重点人群带状疱疹疫苗接种率

种带状疱疹疫苗,但落实效果与政策要求存在较大差距。

施小明指出,当前老年人和慢性病患者带状疱疹疫苗接种率极低,预防接种服务存在明显不足。究其原因,在于社会各界对带状疱疹疾病危

害及其疫苗价值认识不足,许多中老年人认为自己不易患带状疱疹;缺乏针对成人预防接种的统一政策文件,接种单位布局不均,开放时间有限,城乡差距明显;现有疫苗价格较为昂贵,多数地区靠个人自费,仅有少数地区

开放医保个人账户支付。

为此,施小明建议,加强科普宣传,解答公众疑问,减少疫苗犹豫;设立“带状疱疹日”,通过集中宣传和健康教育提升公众认知,营造全社会共同关注、共同预防带状疱疹的良

好氛围。

他还呼吁,将疫苗处方融入慢性病管理和家庭医生签约服务;相关部门建立非免疫规划疫苗定价或价格谈判机制,合理降低疫苗价格;二级以上医疗机构开设成人预防接种门诊,明确将带状疱疹疫苗纳入服务范围;探索多元筹资模式,将带状疱疹疫苗接种纳入医保个人账户支付范围;将带状疱疹疫苗接种作为慢性病管理适宜技术,鼓励纳入基本公共卫生服务内容;加速推进保护效果更优的国产带状疱疹疫苗研发,进一步加大对新型佐剂、抗原表达等核心技术的科研攻关力度。

## 做好2026年预算执行和财政工作的建议

为做好2026年预算执行和财政工作,十四届全国人大财政经济委员会建议落实好优化财政支出结构措施,其中包括:

■ 强化对养老、育儿、教育、医疗等民生领域的保障

■ 健全完善基本养老保险制度,提高城乡居民基本养老保险标准

■ 完善基本医疗保险制度,管好用好医保基金

■ 健全长期护理保险制度,扩大覆盖面,补齐服务供给短板

■ 推行由常住地登记户口提供基本公共服务制度

摘编自第十四届全国人民代表大会财政经济委员会关于2025年中央和地方预算执行情况与2026年中央和地方预算草案的审查结果报告

## 我向两会说心声

### 推动癌症筛查项目进医保

□胡建兵(媒体人)

在十四届全国人大四次会议民生主题记者会上,“癌症不可怕,关键是预防”的话题引发网民关注。通过癌症筛查实现早发现早治疗,能改善患者预后,减轻总体治疗费用负担。希望更多地方积极探索,把效果良好且具有卫生经济学优势的癌症筛查项目纳入医保报销,为癌症防控工作提供支撑和保障。

恶性肿瘤严重威胁我国居民健康。现实中,有些癌症患者确诊时,病情已经进展到中期甚至晚期,不但治疗花费高、医保基金支出压力大,治疗效果也不太理想。恶性肿瘤的发生和发展是连续的慢性过程,早发现早治疗是有效防控的关键。然而,癌症筛查等早期医疗干预行为通常被归到公共卫生领域,没有被纳入医保报销。推动癌症高风险人群自觉开展筛查工作,迫切需要实现医保基金管理思路转变,从治病报销向防病投资转变。

癌症筛查项目纳入医保报销范围,表面上医保基金支出增加了,但从维护健康的全流程看,实则节省了治疗费用。中晚期患者比例高,治疗时间长,治疗难度大,资源消耗多,是看病费用负担重的重要原因。癌症筛查有助于实现癌症早发现早治疗,进而减少总体治疗成本和医保基金报销支出。相关部门应及时调整医保报销政策,改变医保报销只适用已发生疾病的固有思维,从“算大账”“算总账”的角度出发,推动从以治病为中心向以人民健康为中心转变。