

北京市推动罕见病药品保障先行区建设 工作实施方案（试行）

（征求意见稿）

为支持在北京天竺综合保税区建立罕见病药品保障先行区（以下简称“先行区”），进一步满足罕见病临床用药需求，推动北京深化国家服务业扩大开放综合示范区建设工作落地见效，特制定本方案。

一、总体要求

（一）指导思想

以习近平新时代中国特色社会主义思想为指导，全面贯彻落实党的二十大精神，坚持以人民健康为中心，把保障人民健康放在优先发展的战略位置，将罕见病药品保障先行区建设作为丰富临床用药供给、推动诊疗能力提升、探索罕见病多层次保障的重要举措，发挥首都资源和政策功能优势，进一步满足人民群众罕见病临床用药需求。

（二）基本原则

坚持政府引导，多方参与。强化政府在罕见病药品保障先行区建设中的引领作用，以先行区建设“小切口”优化罕见病药品保障机制，深入推进先行先试多主体联动，构建政府引导、多方参与的工作格局。

坚持服务临床，安全有序。以临床需求为导向，聚焦北京市

医疗机构罕见病诊疗需求，持续提升罕见病药品供应的进口效率和可持续性。聚焦罕见病药品供应保障和质量安全，加快完善先行区建设配套措施，提升罕见病药品保障力度和安全水平。

坚持闭环管理，健康发展。深刻认识罕见病药品供应保障管理的特殊性，积极借助信息化手段，实现全程溯源。结合先行区定位和区域优势，探索“保障、产业、创新”健康融合发展。

（三）工作目标

通过建立罕见病药品保障先行区“白名单”制度，打通政府部门前置指导、进口企业保税备货、一次审批多次进口通关等罕见病临床急需药品临时进口便利化保障通道，探索多方联动、高效便捷、闭环管理、全程可溯的罕见病药品保障北京模式，为全面深入开展罕见病药品保障先行区建设提供有力支撑。

二、建设任务

（一）建立先行区“白名单”制度

建立涵盖罕见病临床急需药品临时进口、流通、使用全过程的“白名单”制度（医疗机构、罕见病临床急需药品、药品进口企业三个“白名单”），实现经国家药监局批复后，对于纳入“白名单”的罕见病临床急需药品，由选定的药品进口企业保税备货，指定的医疗机构在国家批准的数量范围内可根据临床需求多次进口使用，实现来源可查，去向可追，推动由“人等药”向“药等人”的转变。

1.医疗机构“白名单”由北京市卫生健康委员会（以下简称

市卫生健康委)组织开展遴选和认定,并定期动态调整。按《医疗机构白名单认定程序》(见附件1)认定并纳入“白名单”的医疗机构,可在试点期间内结合临床诊疗情况进行综合研判,预估进口数量,直接向国家药监局申请临时进口使用罕见病临床急需药品。

2.罕见病临床急需药品“白名单”由北京市药品监督管理局(以下简称市药监局)结合国家药品监督管理局(以下简称国家药监局)批准罕见病临床急需药品临时进口情况汇总发布。市卫生健康委收集纳入“白名单”的医疗机构临床需求,指导其向国家药监局提出临时进口申请。国家药监局按程序函询国家卫生健康委,对符合要求的申请,国家药监局作出同意进口的批复,由市药监局以“白名单”形式发布。罕见病临床急需药品“白名单”明确每种药品允许使用的医疗机构名单,并根据临床需求及批准情况实施动态调整。按《罕见病临床急需药品白名单认定程序》(见附件2)认定并纳入“白名单”的药品,试点期间可在北京天竺综合保税区保税备货,在北京天竺口岸一次通关多次进口,并在获准的医疗机构使用。

3.药品进口企业“白名单”由北京天竺综合保税区管理委员会(以下简称天竺管委会)负责遴选和认定,药品进口企业白名单定期动态调整。按照《药品进口企业白名单认定程序》(见附件3)认定并纳入“白名单”的药品进口企业,能够以“保税备货”模式开展罕见病临床急需药品“白名单”品种的存储、进口、

配送等业务。

（二）建立提前评估工作机制

1.纳入“白名单”的医疗机构依据罕见病临床药品需求，可直接向国家药监局提报多个罕见病临床急需药品的临时进口申请，并同时抄报市卫生健康委、市药监局。

2.市卫生健康委收到申请并汇总需求后，在国家卫生健康委指导下组成联合专家组，对提出申请的医疗机构是否具备使用管理能力、药品是否临床急需、需求量是否合理等内容进行提前评估，形成书面评估意见，报国家卫生健康委。

（三）建立“保税备货”供应保障制度

对于纳入“白名单”的罕见病临床急需药品，药品进口“白名单”企业可以结合医疗机构需求在天竺保税区保税备货，以保障罕见病患者用药的连续性。

（四）优化“一次通关多次出区使用”进口程序

1.医疗机构可以自行或者委托药品进口“白名单”企业，持国家药监局批复分批办理《进口药品通关单》。每一次进口的药品数量以及进口次数不受限制，但累计不得超过批复总数量。罕见病临床急需药品通关无需进行进口检验。

2.药品进口企业应建立罕见病临床急需药品通关台账，办理《进口药品通关单》后，可按照医疗机构临床需求，将一次进口的罕见病临床急需药品分多次出区使用，并配送至相对应的医疗机构。

（五）建立全流程追溯体系

市药监局按照全过程管理的要求建设罕见病临床急需药品临时进口追溯系统。药品进口企业、医疗机构应落实主体责任，按照要求上传追溯信息，实现罕见病临床急需药品从入境至药品进口企业、配送至医疗机构以及患者使用全过程追溯。

药品进口企业负责对进口到综合保税区的罕见病临床急需药品赋码、扫码入仓、上架。药品通关和放行应符合药品追溯要求，完成扫码出区后直接配送至指定试点医疗机构。配送到医疗机构后，医疗机构需完成扫码登记，确保完成全程追溯。

（六）加强事中事后联合监管

北京海关应履行对保税存储罕见病临床急需药品的海关监管职责，实施便利化通关措施，并依职责开展相关工作。

市药监局应加强对罕见病临床急需药品通关后流通环节的监管，指导区市场监督管理局依职责对辖区“白名单”医疗机构开展监督检查，并依职责开展相关工作。

市卫生健康委应督促“白名单”医疗机构对其使用的罕见病临床急需药品实施追溯管理，会同市药监局对罕见病临床急需药品使用及追溯进行监督管理，防止流弊，并依职责开展相关工作。

医疗机构应及时将所有不良反应报告至市药监局；若发生严重不良反应，应及时通报市药监局、市卫生健康委、药品进口企业。市药监局与市卫生健康委共同研判临床用药风险，必要时采取停止使用等紧急控制措施，并分别报告上级主管部门。

天竺管委会负责纳入“白名单”的罕见病临床急需药品进出综合保税区管理的统筹协调，组织督促“白名单”药品进口企业落实对入境罕见病临床急需药品实施追溯管理的要求，并依职责开展相关工作。定期组织市区两级相关部门依职责开展罕见病药品监督检查工作，形成闭环管理。加强信用监管，提升监管效能，违法违规信息按本市有关规定纳入单位信用记录并向社会公布。

三、保障措施

（一）加强组织领导，强化统筹协调

建立由市药监局、市卫生健康委、北京市医疗保障局（以下简称市医保局）、北京海关、天竺管委会、顺义区政府共同参与的联席工作机制，负责统筹资源、协同配合，促进部门联动、形成工作合力。办公室设在天竺管委会。

充分发挥联席工作机制的统筹协调作用，建立联席会议制度，统筹协调、研究推进工作实施方案有效落实；建立信息通报制度，加强部门间信息沟通；建立监督检查机制，定期组织市区两级相关部门开展监督检查工作。

（二）明确各方责任，严格知情同意

医疗机构、药品进口企业依法对进口药品承担风险责任。医疗机构应当与药品进口企业签订协议，药品进口企业应当与境外生产企业签订协议，明确双方责任，保证药品质量。药品进口企业要切实履行企业主体责任，确保药品源头可溯、流程可查、储运安全、供给高效；要及时跟进国际国内药品监管动态，切实做

好有关风险的预防和化解工作。

医疗机构应制定责任风险分担和免责相关规定。在用药前，医生应向患者明确说明病情、用药风险和其他需要告知的事项，并取得书面知情同意；不能或者不宜向患者说明的，应当向患者的近亲属说明，并取得其书面知情同意。

（三）规范诊疗行为，加强使用管理

医疗机构要制定临床技术规范，明确药品的临床诊治用途、患者群体、使用科室及医生名单；监测记录临时进口药品使用相关的临床诊疗病历及药品安全性、有效性、经济性、依从性、不良反应等信息数据，并应当长期保存；制定完善的安全防范措施和风险监控处置预案；按规定对临时进口药品合理储存；按年度对临时进口药品进行评估，并报告市卫生健康委；按规定选取药品经营企业开展采购、进口和配送临时进口药品等相关工作；充分保障患者的知情同意权，制定临床使用指南、伦理审查、多学科会诊、诊后跟踪等制度机制。

市卫生健康委应指导医疗机构按照《医疗机构药事管理规定》做好使用管理，配合市药监局开展不良反应监测和药品信息化追溯。

市药监局应建立罕见病临床急需药品不良反应监测、追溯召回等监管机制，指导药品进口企业规范开展罕见病临床急需药品的运输存储管理。

（四）引导社会参与，拓宽保障渠道

市医保局按照国家统一要求和市政府工作部署，探索采取普惠健康险等方式减轻患者用药负担。鼓励医疗机构、药品进口企业、保险机构通过商业保险提供医责险、罕见病用药风险补偿等保险服务。鼓励公益性组织参与罕见病药品保障先行区建设。

（五）鼓励创新研发，支持产业发展

探索在北京天竺综合保税区打造罕见病医药成果转化示范基地，支持境外罕见病药品在京注册上市。顺义区政府应支持天竺综合保税区罕见病药品保障先行区建设，在资金、人才等领域给予专项政策支持。北京天竺综合保税区管委会应做好属地保障与行业管理的综合协调及风险联动处置工作；研究制定罕见病药品保障先行区建设实施方案，推动相关部门做好整体谋划布局，形成一揽子制度设计，加速产业集聚；督促药品进口企业规范运营、落实责任；优化营商环境，促进相关产业发展。

（六）强化宣传力度，共筑健康保障

做好罕见病药品保障先行区建设情况和取得成果的宣传工作，借助新媒体等多种渠道方便公众和医疗机构了解罕见病药品保障先行区相关政策，促进各方形成合力，更好地服务罕见病临床用药需求。

本方案自发布之日起实施，试行时间为2年。试行时间结束后，我市相关责任部门将及时总结、评价方案运行情况，有序组织推进后续工作。

- 附件：1.医疗机构白名单认定程序
- 2.罕见病临床急需药品白名单认定程序
- 3.药品进口企业白名单认定程序

附件 1

医疗机构白名单认定程序

一、组织申报

市卫生健康委组织符合申报条件的医疗机构提交申报资料。

二、申报条件及申报材料

（一）申报条件

1.具备较强的罕见病诊疗能力，在《中国罕见病诊疗服务信息系统》登记病例累计超过 3000 例以上，或在申报时间的上一个年度，医疗机构门急诊和住院接诊罕见病病例超过 2000 人次、病种不少于 20 种的医疗机构，或诊疗病例未在其他医疗机构覆盖的医疗机构。罕见病病种按照国家卫生健康委公布的病种计算。

2.在近三年未发生临床药品使用重大安全事件。

3.具备按照国家卫生健康委和国家药监局《临床急需药品临时进口工作方案》采购进口药品的条件。

4.北京市罕见病诊疗协作网成员医疗机构优先。

5.作为国家医学中心主体单位的医疗机构优先。

6.北京市国际医疗试点医疗机构优先。

（二）申报材料

1.医疗机构开展罕见病诊疗活动的的能力情况说明，包括但不

限于罕见病诊疗人员专业、人员梯队、罕见病病种具体情况、设施配置等。

2.医疗机构在近三年在药品临床使用的工作总结。

3.医疗机构具备按照《临床急需药品临时进口工作方案》采购罕见病临床急需药品的条件及有关制度。

4.医疗机构的合法登记文件复印件（如医疗机构执业许可证、营业执照（如有）、组织机构代码证等）。

5.医疗机构签订的罕见病临床急需药品医疗机构工作承诺书。内容应包括：拟申请进口药品的具体用途、进口的必要性说明，申请医疗机构的名称、地址及联系人信息。医疗机构书面承诺拟进口药品在本医疗机构内用于特定医疗目的，不得用于申请用途以外的其他用途。

6.拟进口药品清单。内容应包括：药品名称、剂型、规格、进口数量、境外持有人名称地址、生产企业名称地址、药品产地、拟申报通关的口岸名称。

上述材料均为纸质材料，均使用 A4 纸打印。须加盖医疗机构公章。

三、认定流程

（一）组织评审

市卫生健康委组织开展对提出申请的医疗机构审评，审评工作应在提出申请之日起 10 个工作日内完成。

（二）集体审议

形成医疗机构“白名单”送审稿后，市卫生健康委向联席工作组办公室提交评审结果，联席工作机制办公室3个工作日内召集成员单位集体审议，形成医疗机构“白名单”。

（三）名单公示

市卫生健康委发布医疗机构“白名单”。

四、其他事项

（一）医疗机构“白名单”实行动态调整。

（二）市卫生健康委应组织加强对纳入“白名单”的医疗机构的监督检查，发现医疗机构不再具备的使用罕见病临床急需药品的能力和条件的，应当责令医疗机构限期整改，直至取消医疗机构相应资格。

（三）医疗机构从事罕见病临床急需药品进口、使用等活动构成违法的，有关部门应当依据相关法律法规处理，同时，市卫生健康委应当取消医疗机构相应资格。

附件 2

罕见病临床急需药品白名单认定程序

一、组织申报

纳入“白名单”的医疗机构，可随时向市卫生健康委提出拟纳入白名单的药品需求，并在市卫生健康委指导下，准备申报材料。

二、药品范围及申报材料

（一）药品范围

申请纳入罕见病临床急需药品“白名单”的药品，原则上应同时符合下列情形：

1.国内无注册上市、无企业生产或短时期内无法恢复生产的境外已上市药品。

2.用于《罕见病目录》所列疾病治疗或《罕见病诊疗指南》收录的治疗用药品。

3.优先考虑在欧、美、日等获得药品监管机构批准上市的药品。

4.不涉及疫苗、麻醉药品、精神药品、医疗用毒性药品、放射性药品、药品类易制毒化学品等。

（二）申报材料

1.医疗机构的机构合法登记文件复印件（如医疗机构执业许可证、营业执照（如有）、组织机构代码证等）。

2.申请报告及承诺书。内容应包括：拟申请进口药品的具体用途、进口的必要性说明，申请医疗机构的名称、地址及联系人信息。医疗机构书面承诺拟进口药品在指定医疗机构内用于特定医疗目的，不得用于申请用途以外的其他用途。

3.拟进口药品清单。内容应包括：药品名称、剂型、规格、进口数量、境外持有人名称地址、生产企业名称地址、药品产地、拟申报通关的口岸名称。

上述材料以每个药品品种为单位制作纸质申报材料，单独成册，均使用 A4 纸打印。每页须加盖医疗机构公章。

三、认定流程

（一）需求申报

1.纳入“白名单”的医疗机构可依据罕见病药品临床需求，结合临床诊疗情况进行综合研判，预估进口数量，按照《临床急需药品临时进口工作方案》相关程序和要求，向国家药监局提出进口申请。

2.医疗机构同时抄报市卫生健康委，由市卫生健康委汇总形成需求名单。

（二）评估认定

市卫生健康委在国家卫生健康委指导下成立联合专家组，对提出申请的医疗机构是否具备使用管理能力、药品是否临床急

需、药品需求量是否合理等内容进行论证评估，评估结果报国家卫生健康委。

（三）名单发布

收到国家药监局批复后，市药监局结合国家药监局批准罕见病临床急需药品进口情况汇总发布罕见病临床急需药品“白名单”。

四、其他事项

（一）罕见病临床急需药品“白名单”依据临床需求及批准情况实行动态调整。

（二）北京市药监局、北京市卫生健康委将对罕见病临床急需药品使用中的安全性风险进行研判并采取必要控制措施，组织相关专家对发生严重不良反应且可能存在重大安全风险的药品进行风险评估，结合已批准上市和使用的情况，及时调整并公布罕见病药品“白名单”目录。

附件 3

药品进口企业白名单认定程序

一、组织申报

天竺管委会组织满足条件的药品进口企业进行申报。

二、申报条件及申报材料

(一) 申报条件

1.在北京天竺综保区注册、海关编码前五位为 11116 的独立法人单位，在天竺海关办理登记备案，且备案在天竺综保区围网范围内。

2.取得《药品经营许可证》，并具备与拟进口的“白名单”药品相适应的经营范围。

3.在北京天竺综保区具备符合药品存储要求的库房，罕见病药品设置独立存储区域。

4.具备符合药品经营质量管理要求的生产销售、仓储管理、运输管理等信息管理系统和制度规范。

5.具备“一物一码”赋码、追溯的管理条件。

6.能够提供满足药品质量安全要求的药品配送服务。

7.经综合评估，在罕见病药品进口领域具有较好经验和能力。

8.近两年内在生产经营领域未发生重大违法违规行为。

（二）申报材料

1.申报企业的情况说明；包括企业基本情况、经营情况、资质条件、设施条件、制度规范、追溯及配送服务、罕见病药品进口业务能力等；

2.申报企业的《企业法人营业执照》复印件；

3.资质证明材料：《药品经营许可证》《报关单位备案证明》复印件；

4.具有天竺综保区药品存储场地及设施条件的相关资料；

5.药品质量安全管理制度，赋码追溯管理制度，药品召回处置的制度；

6.药品配送服务的相关资料；

7.承诺对药品经营质量安全承担责任的承诺书

上述材料均为纸质材料，均使用 A4 纸打印。须加盖医疗机构公章。

三、审定流程

（一）申报受理

天竺管委会征集企业信息并组织申报。

（二）组织评审

天竺管委会组织市药监局、北京海关分别依职责开展资料审核、现场核验等工作，并出具审评意见。评审工作应在受理后的10个工作日内完成。

（三）集体审议

天竺管委会向联席工作组办公室提交评审结果，联席工作组办公室3个工作日内召集成员单位集体审议，形成药品进口企业名单。

（四）名单发布

天竺管委会、市药监局、北京海关联合发布试点药品进口企业“白名单”。

四、其他事项

（一）药品进口企业“白名单”定期动态调整。

（二）药品进口企业违反本规定从事罕见病临床急需药品进口使用活动构成违法的，有关部门应当依据相关法律法规处理；造成罕见病临床急需药品无法追溯等严重后果的，天竺管委会应会同市药监局取消其相应资格。