

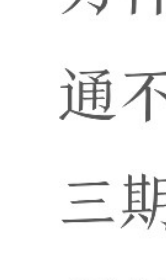


# 答读者问27 | 为什么新发明出来的药物很贵？



吴军

今天 00:00



答读者问27 | 为什么新发明...

10:01 4.68MB



转述师：宝木

读者@唐豪：

为什么有些药物能够通过第二期测试却通不过第三期测试呢？那些没有通过第三期测试的药物为什么没有在研制阶段得以发现？是不是可以这样说，药物的发明本身也具有随机性呢？



吴军

这个问题问得很好。

现代医学从19世纪末开始，所取得的成就比过去几千年大得多，那些对所有人治疗效果都很明显的药物，今天已经很难发现了。

今天发明的新药，特别是抗癌药，毒性、疗效其实和不同人的个体相关性非常大。一种药可能对大部分人是安全的，但是会造成某些人中毒。一些药，可能对一部分人有疗效，但是对大多数人来讲效果一般。因此，一种新药在少量的病人身上使用后有疗效，并不等于对大多数人都有疗效。

FDA二期临床试验，参与者通常是几百人，他们被分为两个组，对照组和试验组，分别使用安慰剂和新药。如果他们的病情在统计意义上有明显的区别，使用新药的一组效果好一些，FDA二期临床试验就算通过了。

那么好多少算是好呢？我们随便举一个例子，某一种降血压的药，假如能让病人的平均血压从160降到140，你可能觉得很明显了。但是并非参加试验的人都能取得这个疗效，我们假定50%的人取得了这个疗效。而服用安慰剂的一组，可能也有35%的人因为心理作用，血压有这么多的下降。这种时候，几百人参加试验，新药有效的可信度大约在90%左右。但是毕竟有10%的可能性是新药其实没有用，那么它就通不过FDA三期临床试验了。

FDA三期临床试验一般要求样本数在几千这个量级，而且试验的地区要具有分布性，也就是说你不能都在北京地区做试验。

除了二期临床通过本身有可能带有随机性外，由于今天的药物只对部分人有效，扩大了范围还能否得到统计意义上的有效性，就是个挑战了。

另外，因为二期临床的危险性比三期大，因此参加二期临床试验的很多患者都是没救的，也就是说症状很明显，因此效果容易显现，到了三期，各种规模扩大了，取得同样的效果就难了。

能通过FDA二期临床试验，却通不过第三期还有一个原因，就是新药的开发者在二期临床试验阶段做了过多的，适应当地患者的调整。很多时候二期临床也不是一次就能通过的，研制药的人如果看到效果不好，会调整药的成分，包括一些非药效，但是能帮助药物吸收的成分。这样可能经过几次，就通过了FDA二期，但是药的成分被过分优化，以至于缺乏普遍意义了。

今天，从一款新药当初最重要的论文发表算起，到新药上市，通常需要20年的研发时间，投入20亿美元的研究经费。而前面一半时间基本上都是动物试验，这中间可能就会申请专利了，大部分专利是在临床试验开始之前申请的。

因此，等到新药真的上市，平均也只剩下7年的专利期。药厂必须在7年间把20亿美元挣回来，否则就无法继续投入新药的研究，这也就是新药很贵的原因。

对于那些通过了FDA二期，却没有通过三期的药品，过去是直接废掉的。今天医生们和生物信息科学家合作，试图找到使用这批药有效的特定的适用人群，这样这些药就成为了针对某些特定人的药品。这样大约花1亿美元，可以救回一种废药。目前医学界普遍认为这是降低新药成本的可行之路。

读者@冬至节：

有一种观点认为药品的审查过于严格，使得新药上市过慢，这一点老师怎么看？



吴军

这个问题问得很好，关于FDA对药品的审查过程，我在前面已经回答了，这里省略了。至于FDA对新药的审查是否过于严格，今天外界普遍是这么认为的，但是在我和约翰·霍普金斯公共健康学院的专家们多次接触后，认识到这个问题不能全怪FDA。

FDA在上个世纪30年代之前对药品的审核并不像今天这么严格。但是，80年前磺胺类新药因为在美国试验不严格，导致数十人死亡的事件，让FDA改变了审批程序，变成了今天这个样子。如果FDA放宽审核，可能还会出过去的致死事件。

今天FDA的问题主要有两个，第一个是缺乏人手，约翰·霍普金斯公共健康学院的教授们讲，现在没有人愿意到FDA这样的“清水衙门”工作，这导致现在FDA手上压了上千种药等待审批。

第二个是一旦出现医疗事故，赔偿金额太高，以至于药厂和FDA都不敢轻易给新药放行。因此一些新药现在反而是先到中国试验，有了一定的可信度，再回到美国进行临床试验。

读者@林国志：

市面很多的保健品也是打着经过FDA的旗号流通，那么保健品和药品是不是接受了同等的严格要求呢？

我们潜在的观念就是保健品≠药品，然而吃保健品是无害的，是药则是三分毒，这两者最主要的区别是什么呢？



吴军

这个问题我只讲讲美国的情况。

在美国，药品和保健品是完全分开的。保健品只要吃了不死人，没有明显副作用，标明成分即可出售。因此，保健品，比如人参，其实不需要FDA批准出售。很多保健品说通过了FDA验证，其实只是验证了它吃了无害，FDA从来不变证保健品的疗效，这点和药品不同。

读者@山峰：

电影《达拉斯买家俱乐部》和“陆勇代购印度仿制药事件”，都说明了一个问题，正规的专利药品昂贵，一般人负担不起。尤其是在发展中国家，进口的专利药的价格比药品生产国贵一个量级。

所以我想问一下吴军老师怎么看待药品专利保护与病人生存权之间的矛盾？各国有什么兼顾两者的好办法？



吴军

如果不保护药品的专利，就不会有人投入时间和金钱研究新药了。今天研制一款新药的成本是20亿美元。当然，新药在专利期之后，可以由其它公司生产。

因为今天新药研发的成本极高，时间极长，而等到新药上市后，平均也只有7年时间收回成本，因此必须卖得很贵。如果大家都盗版药品，药厂是一定收不回成本的，结果是不会有人再研制新药，整个人类的医疗水平就无法提高。

目前很少有一种仙丹似的妙药，吃了就活，不吃就死。即使是最灵验的抗癌新药，不过是让那些有疗效的患者平均多活三个月而已。很多人讲买不到新药就活不下去，其实是夸大其词。

世界上不可能有绝对的公平，对于能够负担得起新药的人，可以早七年用上新药，对于其他人，要么使用疗效稍微差一点的老药，要么等七年，目前在大部分国家就是这样一个情况。

当然，医药公司也不是很绝情，对于特殊的病人，又没有支付能力的，它们其实有一个特殊的通道可以申请打折的正版药。比如辉瑞公司降胆固醇的特效药立普妥（Lipitor），在美国正版药一年的花销是3600美元左右，如果你真的吃不起，又没有医疗保险，可以申请辉瑞的特价，一年是720美元。

但是，这些医药公司有一个原则——有困难找我，我可以帮你解决，但是你一定不能用盗版。



Aa



写留言



38



请朋友读