

## 疫苗研究和审评办公室概况

### 幻灯片 1

本演示文稿介绍了疫苗研究和审评办公室(OVRR)的使命、结构和职能,以及美国食品药品监督管理局(FDA)用于规范疫苗的框架。

### 幻灯片 2

OVRR 的使命是通过确保提供安全有效的疫苗、变应原浸液和其他相关产品来保护和增强公众健康。该办公室拥有 300 多名科学家和监管人员,其使命为致力于确保疫苗安全、有效、可供美国消费者使用,以保护公众健康。

### 幻灯片 3

该办公室由一名办公室主任领导,一名副主任和多名助理主任负责该办公室的各项职能工作。项目管理专员和高级顾问负责为资源管理提供额外的支持,包括财务和人力资源、信息管理和沟通。

主任直属办公室下属各处包括细菌、寄生和变应原产品处;病毒制品处;以及疫苗和相关制品应用处。

细菌、寄生和变应原产品处和病毒制品处设有监管科学家、医学官员和研究审评科学家,他们负责提供必要的科学专业知识,以审评支持疫苗开发的申办方提交的文件。扎根于实验室的科学家们不仅负责审评许可前和上市后提交的材料,还对 FDA 和疫苗开发人员面临的最具科学挑战性的疫苗开发问题进行研究。疫苗和相关制品应用处的监管科学家、医学官员和行政人员主要负责对申办方提交的文件进行规范的审评,与申办方举行会议,并向申办方和疫苗生产企业提供专家监管建议和指南。

### 幻灯片 4

该办公室管理美国所有获得许可及研究型人用疫苗,并负责开展与重要监管问题有关的实验室研究。其履行上述职能的权力在《公共卫生服务法》(PHS 法案)第 351 条以及《食品、药品与化妆品法》(FD&C 法案)的特定条款中有所规定。

### 幻灯片 5

该办公室的工作内容主要包含三大项。第一,对研究型新药(IND)申请、生物许可申请(BLA)、疫苗和相关产品的此类申请的修正和补充进行审评、评估和采取适当行动、进行检查以及其它必要的行动。

第二,OVRR 负责制定监管产品审评的政策和程序。第三,OVRR 负责开展与疫苗及相关产品的开发、生产和评估有关的研究。所有上述工作的目的均为确保美国消费者可以获得安全有效的疫苗。

### 幻灯片 6

美国联邦政府的每个机构都设有其运作的法律框架。联邦雇员必须思考包括“我们为什么要做我们正在做的事情?”“我们有哪些权力做这些事情?”以及“这些权力从何而来?”等问题。在美国,国会代表和总统提议和批准法律和法规。其中包括《食品、药品与化妆品法》、《公共卫生服务法》和《2007 年食品药品管理修正法案》。这些法律为 FDA 的所有活动和职能奠定了法律基础。在美国,法律由联邦机构通过在《联邦公报》上公布的条例加以解释和执行。这些条例规定了 FDA 根据法律执行或管理产品的方法和要求。这些条例已并入《美国联邦法规》中。有关 FDA 的条例可以在 [www.FDA.gov](http://www.FDA.gov) 网站或者美国政府印刷局查阅。

第三类文件称为“指南”。

指南文件不具有与法律同等的效力，但是它们代表了 FDA 当前的想法，或者现行的解释，并就疫苗开发的重要方面，包括产品测试，生产和销售向申办方和生产企业提供实用的建议。

### 幻灯片 7

本张幻灯片列出了与疫苗开发有关的至关重要的法律和法规。

### 幻灯片 8

OVRR “行业指南”文件就各种问题向申办方提供了广泛的建议，包括从如何安排与 FDA 的会议，到支持新型疫苗许可所需的临床数据的数量和类型。“指南”文件提供了 FDA 目前对于监管问题的想法。疫苗申办方和生产企业可能会提出偏离 FDA 指南文件的替代方法和途径。

然而，FDA 会要求申办方对所有针对指南文件的偏离进行说明。任何偏离都不得对产品的安全性和有效性产生负面影响。

本张幻灯片列出了该办公室最近发布的部分为申办方和生物制药业研发疫苗提供了切实可行建议的指导文件。

### 幻灯片 9

截至 2010 年 9 月，美国目前约有 73 种许可疫苗。

许可产品和研究型产品所使用的配方和给药方式格外多样化。

本张幻灯片展示了一些配方和给药方式的形式以及疫苗技术。

众所周知，目前疫苗的开发非常复杂。疫苗可以是活的，也可以是灭活的。新型疫苗可包含从感染剂中纯化的亚单位抗原，或者使用重组技术制备的抗原。有些疫苗是用合成肽配制的。DNA 疫苗是分子重组疫苗的一个新前沿。疫苗可用传统注射器进行注射，或使用独特的“输送系统”进行注射，如专用药筒、金珠、乳胶珠、微滴气溶胶、微针、皮肤贴片或核酸电穿孔剂。

部分正在研制中的疫苗，特别是依赖重组抗原的疫苗，可能需要使用新的佐剂来增强免疫反应。FDA 在保持所有这些发展领域的科学专业知识方面面临着持续的挑战。

### 幻灯片 10

本张幻灯片为新型疫苗和相关产品的临床开发、评估和许可提供了一个总体方案。在美国，生物制品进入临床试验之前，申办方必须提交研究型新药(IND)申请，以供 FDA 审查。

IND 申请应详细说明产品是如何制备的，重要的产品规格，如何评价该产品在临床前毒理学研究中的安全性，并为临床研究提供方案和计划。安全性和受试者的权利是 FDA 评估 IND 申请时最看重的方面。一般来说，产品的成熟需经历三个阶段的临床试验，分别为 1 期临床、2 期临床和 3 期临床。

上述临床试验的结果，以及证明该产品生产过程和功效一致的数据，会用于支持生物制品许可申请(BLA)。

在批准该产品的许可证之前，FDA 会评估所有与该产品相关并在 BLA 中提交的数据。生产企业可通过提交 BLA 补充申请，在获得许可后对产品进行更改。有些更改可能需要在批准之前进行额外的临床研究。在某些情况下，FDA 要求进行许可后的临床研究，即第 4 期临床研究，以获取有关该产品的安全性和有效

性的额外信息。本张幻灯片中未提及的是申办方有机会要求 FDA 在 IND 会议前审查他们的开发计划。在提交 IND 后，申办方可多次要求与 FDA 会面，并获得针对产品的指南。2 期临床研究完成后通常会举行正式会议。如果申办方打算提交 BLA，FDA 会与申办方在 BLA 之前会面，讨论提交要求和监管问题。

### **幻灯片 11**

OVRR 研究项目通过解决科学方面的关键监管问题，直接促进了疫苗和相关产品的监管。随着新型疫苗技术的出现，FDA 需要熟悉最新技术的监管和审评科学家。OVRR 研究项目涉及疫苗和相关产品开发和评估的所有方面。这些活动加强了 FDA 的能力，使其能够开发和维持一个健全科学的基础，以建立必要的方法和标准，确保疫苗和相关产品的持续安全性、纯度、效价和有效性。

同时，FDA 实验室也是培训下一代审评和管理上述产品科学家的基地。

### **幻灯片 12**

OVRR 研究项目的重点是提高 FDA 在评估疫苗和相关产品的安全性、有效性和可用性方面的能力。OVRR 将实验室作为优先事项，主要研究影响监管产品安全性的因素，创建和验证适当的方法和标准，确定新的生物标志物，并引入新的方法和标准来评估和提高疫苗效力。他们还制定新的理念和方法，为改善疫苗和相关产品供应开辟监管途径。

### **幻灯片 13**

流感研究项目是 OVRR 的众多研究项目之一。其影响和成功可归功于每年为保护公众健康免受季节性流感影响而形成的独特的公私伙伴关系。

每年，FDA、美国国家卫生研究院、美国疾病控制和预防中心、世界卫生组织、其他国家监管机构以及生物制药行业的科学家们，都会协调疫苗菌株的选择、疫苗批次的生产以及实验室标准的制定，以确保安全有效的季节性流感疫苗的供应。随着时间的考验，这种伙伴关系对于全球应对新出现的大流行病毒毒株至关重要。

FDA 的实验室活动侧重于开发新的疫苗用高繁殖力流感病毒株，改进生产疫苗前候选病毒株的评价方法，以及制定确定疫苗纯度和效力的关键标准。展望未来，OVRR 的科学家们基于细胞培养和其他方法正在开发可能改进疫苗制造的方法。他们也在探索新的方法来评估产品的效力，并且也在研究用以加大对具有大流行潜力的新型病毒的防护方法。总之，疫苗研究和审评办公室采取基于科学的疫苗审评和监管方式。

这一独特的研究项目旨在招募、培训和留存高素质的科学家，为疫苗审评和相关产品应用提供了深入的、最先进的知识。OVRR 的科学家、医学官员和审评人员正在优化获得安全有效疫苗的途径，这对保护全球公共健康是很有必要的。

### **幻灯片 14**

有关“疫苗研究和审评办公室概况”的演示文稿到此结束。

在此感谢为其制作做出贡献的人员。

谢谢！