

医疗机构临床试验药物同情用药中国管理共识（2026）

北京协和医院罕见病协作组，中国药学会罕见病药物专业委员会，
中华医学会罕见病分会

通信作者：张 波^{1,2}，E-mail: zhangbopumch@163.com

张抒扬^{2,3}，E-mail: shuyangzhang103@163.com

中国医学科学院北京协和医学院，北京协和医院¹药剂科²疑难重症及罕见病国家重点实验室³心内科，北京 100730

【摘要】依据 2019 年修订的《中华人民共和国药品管理法》和 2026 年实施的《中华人民共和国药品管理法实施条例》，由北京协和医院牵头，组织医疗卫生政策、临床医生、药师、方法学、伦理学和产业代表等相关领域专家，根据世界卫生组织手册和中华医学会推荐的共识制定过程，制定了《医疗机构临床试验药物同情用药中国管理共识（2026）》。其为我国第一部关于临床试验药物同情用药的管理共识，针对同情用药的适用条件、适用范围、患者人群、相关方的责任、申请和审查要点、患者知情同意、风险控制、费用承担共 8 个问题形成了 19 条推荐意见。本共识旨在规范医疗机构内部临床试验药物同情用药的临床实践，以期提高我国医疗机构对该问题的认识，改善急需治疗的危重患者的临床需求，为建立标准化的同情用药管理程序提供建议和参考。

【关键词】同情用药；医疗机构管理；专家共识；循证医学

【中图分类号】 R97 **【文献标志码】** A **【文章编号】** 1674-9081(2026)04-1012-12

DOI: 10.12290/xhyxzz.2026-0571

The Chinese Management Consensus on Compassionate Use of Investigational New Drugs in Medical Institutions（2026）

Rare Disease Collaborative Group, Peking Union Medical College Hospital
Professional Committee on Rare Disease Drugs, Chinese Pharmaceutical Association
Rare Disease Branch, Chinese Medical Association

Corresponding authors: ZHANG Bo^{1,2}, E-mail: zhangbopumch@163.com

ZHANG Shuyang^{2,3}, E-mail: shuyangzhang103@163.com

¹Department of Pharmacy, ²State Key Laboratory of Complex Severe and Rare Diseases, ³Department of Cardiology, Peking Union Medical College Hospital, Chinese Academy of Medical Sciences & Peking Union Medical College, Beijing 100730, China

【Abstract】In accordance with the Pharmaceutical Administration Law of the People's Republic of China revised in 2019 and the Implementing Regulations of the Pharmaceutical Administration Law of the People's Republic of China effective in 2026, Peking Union Medical College Hospital led the development of *The Chinese Management Consensus on Compassionate Use of Investigational New Drugs in Medical Institutions (2026)*. This consensus was formulated by convening a multidisciplinary panel of experts, including health policy specialists, clinicians, pharmacists, methodologists, ethicists, and industry representatives, following the consensus development process recommended by the World Health Organization handbook and the

基金项目：协和人才培育计划 B 类项目（UGG06314）；基于真实世界数据的罕见病药物上市后安全性评价体系构建及评价策略研究-药品监管科学全国重点实验室课题（2025SKLDRS0334）；协和人才培育计划 C 类项目（UBJ11756）

引用本文：北京协和医院罕见病协作组，中国药学会罕见病药物专业委员会，中华医学会罕见病分会. 医疗机构临床试验药物同情用药中国管理共识（2026）[J]. 协和医学杂志, 2026, 17（4）: 1012-1023. doi: 10.12290/xhyxzz.2026-0571.

Chinese Medical Association. As the first management consensus in China specifically addressing compassionate use of investigational drugs, this document provides 19 recommendations across eight key domains: eligibility criteria for compassionate use, scope of application, target patient populations, responsibilities of relevant stakeholders, key points for application and review, patient informed consent, risk prevention and control, and cost-bearing arrangements. This consensus aims to standardize the clinical practice of compassionate use of investigational drugs within medical institutions, enhance awareness of this issue among healthcare institutions in China, address the clinical needs of critically ill patients requiring urgent treatment, and provide recommendations and references for the establishment of standardized compassionate use management procedures.

【Key words】 compassionate use; management of medical institutions; expert consensus; evidence-based medicine

Funding: Fundamental Research Funds for the Peking Union Medical College Hospital Talent Cultivation Program (Category B) (UGG06314); Research on the Construction of Post-Marketing Safety Evaluation System and Evaluation Strategies for Rare Disease Drugs Based on Real-World Data of the National Key Laboratory of Drug Regulatory Science (2025SKLDRS0334); Peking Union Medical College Hospital Talent Cultivation Program (Category C) (UBJ11756)

Med J PUMCH, 2026,17(4):1012–1023

临床试验药物的同情用药（compassionate use），在部分国家也被称为拓展性使用（expanded access）或批准前使用（Pre-approval access）等，是针对当下处于危及生命或病情严重的患者，在缺乏疾病有效治疗手段的药物且无法参加临床试验情况下，使用尚未获批上市的在研药物^[1-2]。这一措施属于人道主义救助范畴，旨在为患者提供最后一线希望。在中国，2019年8月修订的《中华人民共和国药品管理法》第二十三条提出“对正在开展临床试验的用于治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病的药物，经医学观察可能获益，并且符合伦理原则的，经审查、知情同意后可以在开展临床试验的机构内用于其他病情相同的患者”^[3]。该条款明确将同情用药的核心目标定位为“解决危及生命或病情严重患者的药物可及性问题”。基于该法规，于2026年5月15日新实施的《中华人民共和国药品管理法实施条例》第五十三条又进一步提出“对正在开展临床试验的用于治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病的药物，经医学观察可能获益，并且符合伦理原则的，经伦理委员会审查同意、患者或者其监护人签署知情同意后，可以在开展临床试验的机构内用于其他病情相同但无法参加临床试验的患者”^[4]。近年来，我国通过实施“突破性治疗”“附条件批准”“优先审评”及“特别审批”等一系列快速审评审批制度，建立创新药、传染病用药、罕见病用药以及儿童用药等临床急需药品上市快速通道，显著提高了患者的用药可及性^[5]。基于上述政策的支持，我国创新药的审评上市数量逐年递增，从个位数起

步，到2023年和2024年分别达到40个和48个。然而，尽管药品审评审批制度的持续优化显著加快了创新药和临床急需药物的上市进程，但同情用药的实际需求仍然存在。对于疾病治疗窗口期紧迫、无法等待药物快速审批，或所需药品未纳入临床快速审批的患者而言，临床试验药物的同情用药作为药物快速审评审批的重要补充，尤其对最脆弱患者（如罕见病、晚期肿瘤、儿童等）的单个紧急使用具有关键意义。

美国是全球最早建立同情用药制度的国家。自20世纪70年代起，美国食品药品监督管理局（Food and Drug Administration, FDA）允许对严重威胁生命的疾病使用试验性在研药物。2023年美国同情用药计划外部评估报告显示，2019—2023年间FDA每年平均收到约2000份同情用药申请，其中单个患者批准率超过98%^[6]。欧盟根据欧洲议会和理事会法规（EC）No. 726/2004第83条，明确规定了同情用药相关内容^[2,7]。日本于2016年提出扩大准入临床试验（expanded access clinical trials, EACTs）制度，明确同情用药是一种基于个案基础的方式，允许使用尚未获批的研究药物来治疗现有药物治疗无效且严重危及生命的患者^[8-9]。此外，英国药品早期可及计划、澳大利亚特别准入计划、加拿大特别准入程序等均建立了与同情用药相关的制度框架^[10-11]。

一项旨在评估罕见病相关同情用药安全性和有效性的系统评价显示，在涉及2079例患者、涵盖39种同情用药的46项研究中，65.2%（30/46）的研究报告了不良事件，其中6.5%（136/2079）的患者经历

了5级不良事件（死亡），而0.91%（19/2079）的患者死亡被认为与临床试验药物治疗直接相关^[12]。这一结果表明，在同情用药过程中，用药安全性问题尤其值得关注。2021年6月14日，北京协和医院首次通过同情用药方式为一名阵发性夜间血红蛋白尿症患者解决了用药难题，开创了中国罕见病患者同情用药的先河^[13]。然而，同情用药在伦理层面一直存在争议。从实施情况来看，与国外政策和现状对比分析发现，我国同情用药尚处于起步阶段，医疗机构在实际操作中普遍存在认知不足、操作流程模糊、风险防控缺位等问题。

为进一步引导和规范我国医疗机构对同情用药的实施与管理，北京协和医院牵头组建了罕见病协作组，并组织相关领域专家制定了《医疗机构临床试验药物同情用药中国管理共识（2026）》。该共识旨在完善同情用药的适用条件、适用范围、目标患者人群、相关方的责任划分、申请与审查要点、患者知情同意程序、风险防控措施以及费用承担机制等关键环节，以期更好地满足临床急需治疗危重患者的临床需求。

1 共识制订方法

该共识的制订由北京协和医院罕见病协作组、中国药学会罕见病药物专业委员会和中华医学会罕见病分会共同发起，于2024年5月启动共识制订，方法和证据收集由推荐意见分级的评估、制定及评价（Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation, GRADE）中国中心/兰州大学循证医学中心提供支持。共识制订方法、过程和报告符合世界卫生组织手册和中华医学会推荐的共识制订过程^[14-15]。

1.1 成立工作组和管理利益冲突

2024年5月召开共识制订启动会，组建指导委员会、共识专家组以及证据工作组。所有成员均填写利益申报表，确认不存在与本共识制订相关的直接利益冲突。

1.2 共识总目标和目标人群

本共识旨在为中国医疗机构的管理部门、临床医生、药师等专业人员提供建议。共识建议关注的目标人群是医疗机构内部接受同情用药治疗的患者和临床医生。

1.3 明确共识关键问题

通过专家调查和召开研讨会确定关于同情用药管

理的关键问题。基于对已发表的共识和关于同情用药的专家共识声明的系统审查，以及对临床医生和药师的访谈，共识证据组初步起草了14个问题。通过收集、分析调查结果，证据组制定了供讨论的问题清单，并确定了本共识关注的8个关键问题。

1.4 证据检索和筛选

证据组设定了文献检索的统一程序。首先，使用“Compassionate Use *”“Expanded Access *”和“Pre-approval access *”等检索词检索PubMed、中国知网、万方数据知识服务平台及中国生物医学光盘数据库（检索时限为建库至2026年1月31日），并同步检索Medlive、WHO、谷歌等平台/网站及相关研究中符合要求的参考文献。排除下述文献：（1）与同情用药关键问题无关；（2）特定药物研究（针对具体药物的研究，包括研究其临床前使用的疗效、安全性的评估等）；（3）非药物研究（如器械）；（4）会议摘要。

1.5 形成推荐意见

针对每个关键问题，证据组的两名研究人员独立从纳入的文献中提取信息，形成证据摘要，并提交指导委员会审查。指导委员会和证据组根据现有证据为每个问题起草了初步建议和理由。在此基础上，研究团队开展了两轮德尔菲在线问卷调查。根据两轮德尔菲的研究结果及专家意见，对建议和依据进行修改，最终就所有建议达成共识。

1.6 共识度

共识专家组对共识进行投票以形成终稿。投票选项分为：A. 非常同意；B. 同意；C. 不确定；D. 不同意；E. 非常不同意。共识的判定标准如下：若除“不确定”外的任一选项得票率超过50%，即视为达成共识；此外，若“同意”与“非常同意”两项合计得票率超过70%，或“不同意”与“非常不同意”两项合计得票率超过70%，亦视为达成共识。其余情况均视为未达成共识，相关推荐意见将进入下一轮投票。专家对推荐意见的共识程度采用“共识度”表示，其计算方法为“非常同意”与“同意”得票数（或“不同意”与“非常不同意”的得票数）占全部有效回收票数的百分比。

1.7 撰写共识和外审

共识工作组根据已达成共识的建议，遵循国际实践指南报告规范（Reporting Items for practice Guidelines in Healthcare, RIGHT）报告准则撰写共识草案。草案经外部评审组审核后，工作组依据反馈意见进行修改与完善，最终于2026年2月形成共识终稿。

1.8 共识发布与更新

共识正式发布后，共识工作组拟通过以下途径开展宣传推广工作：（1）在国内外学术研讨会上对本共识进行专题介绍；（2）制定本共识的解释版本文稿，并在学术期刊上发表；（3）利用相关自媒体平台，推广本共识的核心问题与关键建议。此外，随着该领域新研究证据的不断涌现，工作组计划在未来五年内，依据最新的共识制定方法与流程，对本共识的建议内容进行更新。

2 共识条目和推荐意见

2.1 关键问题 1：中国同情用药的适用条件是什么？

推荐意见 1
参考 2019 年修订的《中华人民共和国药品管理法》和 2026 年实施的《中华人民共和国药品管理法实施条例》，建议中国临床试验药物的同情用药应同时满足以下适用条件：（1）患者无法参加正在进行的临床试验；（2）用于治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病；（3）经医学观察患者可能从中获益；（4）须经伦理委员会审查同意、患者或其监护人签

署知情同意书；（5）在开展临床试验的机构内使用（共识度：96.1%）

2019 年修订的《中华人民共和国药品管理法》第二十三条明确提出：“对正在开展临床试验的用于治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病的药物，经医学观察可能获益，并且符合伦理原则的，经审查、知情同意后可以在开展临床试验的机构内用于其他病情相同的患者”^[3]。这是我国首次将同情用药相关制度写入法律，对适用患者、药物资格及审查重点等内容作出了原则性规定。2026 年 5 月 15 日新实施的《中华人民共和国药品管理法实施条例》第五十三条又进一步提出“对正在开展临床试验的用于治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病的药物，经医学观察可能获益，并且符合伦理原则的，经伦理委员会审查同意、患者或者其监护人签署知情同意后，可以在开展临床试验的机构内用于其他病情相同但无法参加临床试验的患者”，明确提出了同情用药的审查主体。参照多国政策，各国对同情用药的适用条件作出了不同规定，并在疾病类型、药物资格及患者群体等方面设置了相应限制（表 1）。

表 1 不同国家同情用药的适用条件

Tab. 1 Conditions for compassionate use in different countries

国家	同情用药条件（需同时满足）
中国 ^[3]	（1）正在开展临床试验的用于治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病的药物 （2）经医学观察可能获益，且符合伦理原则 （3）经审查、知情同意后可在开展临床试验的机构内用于其他病情相同的患者
美国 ^[16-17]	（1）患有严重或危及生命的疾病 （2）缺乏可比或令人满意的替代疗法来诊断、监测或治疗疾病 （3）患者无法参与临床试验 （4）具有足够的安全性、有效性证据支持研究药物的使用，该药物治疗的潜在风险不应大于患者疾病的风险 （5）提供研究性医疗产品不会干扰可能支持医疗产品开发或针对适应证批准的研究性试验
欧盟 ^[7]	（1）该药物必须正在进行临床试验或已进入上市授权申请程序，虽然早期研究已经完成，但其安全性概况和剂量共识可能尚未完全建立 （2）患有慢性、严重衰弱或危及生命的疾病 （3）无治疗选择的患者、疾病对现有治疗无反应或复发的患者，或有治疗药物禁忌证/治疗不充分的患者 （4）患者不具备参加临床试验的资格
法国 ^[18]	（1）用于治疗、预防或诊断严重或罕见疾病 （2）市场上缺乏适当的治疗方法 （3）根据专业知识，药物使用中的利益/风险平衡被认为是积极的 （4）这一进程的执行不能拖延 （5）患者不能通过临床试验获得该药物
德国 ^[19]	（1）患有导致严重残疾或危及生命的疾病的患者 （2）无法使用授权在《药品法》管辖范围内上市的药物进行令人满意的治疗 （3）需获得该药物的有效性和安全性指标 （4）该药正在进行临床试验，或向欧洲药品管理局提交了上市许可申请

(续表)表 1 不同国家同情用药的适用条件

国家	同情用药条件（需同时满足）
意大利 ^[20]	(1) 临床试验证明有效的药物 (2) 用于患有严重或罕见的危及生命疾病的患者，这些患者缺少进一步有效的治疗选择 (3) 无法参加临床试验的患者，或因需维持治疗连续性而曾在已结束（至少完成第二阶段）的临床试验中获益的患者 (4) 该药物已针对相同的特定适应证正在进行或已完成Ⅲ期临床试验
日本 ^[21]	(1) 纳入美国拓展用药项目（Expanded Access Program, EAP）临床试验的药物 (2) 接受 Sakigake 系统指定药物 (3) 孤儿药以及审查委员会特别要求开发的未批准上市药物
英国 ^[22-23]	(1) 患有罕见、危及生命或严重衰弱疾病的患者 (2) 在有未满足的医疗需求时获得尚未获得上市授权的药物
加拿大 ^[10]	(1) 用于诊断、预防或治疗严重或危及生命的疾病 (2) 所有已上市的替代药品均已用尽，不能治愈或不适用或不能获得 (3) 有足够的证据支持药物的特定用途 (4) 患者不能参加临床试验获得药物治疗
巴西 ^[24]	(1) 患有缺乏治疗药物或现有治疗不足的严重衰弱疾病患者 (2) 药物尚未注册，或在该国无商业可用且正在进行Ⅲ期临床研究或已完成 (3) 不符合为试验制定的纳入标准 (4) 有可能接受研究药物治疗

2.2 关键问题 2：中国同情用药适用条件的具体范围是什么？

推荐意见 2
对于无法通过参加临床试验获取临床试验药物的患者，建议包括以下情形：(1) 不符合药物临床试验入组标准；(2) 药物临床试验招募期已结束（共识度：93.3%）

推荐意见 3
疾病状态应明确为以下情况：(1) 严重危及生命的疾病是指病情严重、不可治愈或发展进程不可逆，且未及时治疗将显著缩短生命或直接导致患者死亡的情形；(2) 无有效治疗手段的疾病是指当前缺乏治疗方案，或现有治疗对患者无效、存在禁忌证或疗效证据不足的情况；(3) 授权医疗机构内的高级职称医生及主要研究者，可根据患者的病情危重程度、演变趋势及治疗手段的局限性进行自主判断（共识度：93.3%）

推荐意见 4
同情用药的药物需满足以下条件：(1) 国内外均未上市；(2) 正在进行临床试验或已进入上市授权申请程序；(3) 初步临床试验数据表明该药物可能使患者获益。建议同情用药应在至少完成早期有效性和安全性临床试验（至少临床Ⅱ期结束）后实施（共识度：86.3%）

推荐意见 5
同情用药的实施机构应限定为正在开展临床试验的国家级医学中心和区域级医学中心（共识度：93.3%）

在中国及全球范围内，患者能否参与正在进行的临床试验，通常取决于试验方案所设定的入组标准与排除标准。此外，即便患者符合入组标准，仍可能因无法提供完整的既往医疗记录或基线数据、试验名额已满等客观原因而未能入组，从而导致临床试验药物不可及。

美国对“严重危及生命的疾病状态”做出明确定义：未及时治疗患者将在短时间内死亡，或指与发病率相关、对日常生活有重大影响的疾病或症状^[25]。疾病或病症是否严重，本质上属于临床判断问题，允许医生在联邦法规的标准上根据临床经验，结合患者病情危重程度和演变趋势进行自主判断^[16-17,25-26]。欧盟的定义范围除严重或危及生命的疾病外，还涵盖慢性疾病。其中，英国、法国和意大利特别指明包括罕见疾病^[18,23]。“无有效治疗手段”是指患者缺乏可用的治疗方案，或现有治疗对患者无反应或无效，存在治疗禁忌，或其疗效证据尚不充分^[7]。在中国，“严重危及生命”是指病情严重、不可治愈或发展不可逆，显著缩短生命或导致患者死亡的情形^[5]。综合参考美国、欧盟和中国的定义，“严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病”可概括为：病情严重、不可治愈或发展进程不可逆，若未及时治疗将显著缩短生命或导致患者死亡的情形；患者缺乏治疗方案或现有治疗对患者无反应或无效、存在治疗禁忌或疗效证据不充分^[7,16-17,27]。

对于适用药物，《中华人民共和国药品管理法》

规定药物“经医学观察可能获益”，但尚未明确同情用药时该药物所处的临床试验阶段。对于同情用药适用药物，各国政策亦存在不同（表2）。对于单个患者，美国的试验性药物可在其临床开发的任何阶段（包括Ⅰ、Ⅱ或Ⅲ期）被同情使用^[17,28-29]；中等规模群体患者（临床Ⅱ~Ⅲ期，2~100人）需在获得重要的安全性与有效性数据后方可使用；大规模群体患者（>100人）的治疗性同情用药，则需在Ⅲ期临床试验完成后、产品获得最终上市批准之前使用^[11,30]。欧盟要求同情用药的药物必须正在进行临床试验或已进入上市授权申请程序。尽管早期研究通常已完成，但其安全性概况和剂量共识可能尚未完全建立^[7]。澳大利亚规定，需在Ⅲ期临床试验数据出现后，评估现有数据是否可能支持新药的最终商业上市，方可实施同情用药^[31]；巴西要求药物正在进行或已完成Ⅲ期临床研究^[24,32]；比利时和意大利则允许在Ⅱ期临床试验结束背景下，已获得临床益处的研究药物进行同情使用^[20,23,33-34]。荷兰的情况较为特殊：由制药公司发起、用于大组患者的同情用药，通常需在成功完成Ⅲ期临床试验后，经药品评估委员会批准；而由治疗医师发起、针对单个患者的同情用药，则可在Ⅰ期（肿瘤患者）或Ⅱa期临床试验后使用，并需经卫生监察局批准^[35-36]。综合各国政策，除美国和荷兰允许单个患者使用处于Ⅰ期临床试验阶段的药物外，多数国家的同情用药

表 2 各国同情用药对研究药物所处的临床试验阶段要求
Tab. 2 Requirements for the clinical trial phase of investigational new drugs in compassionate use programs by countries

国家	临床试验阶段
美国	(1) 单个患者同情用药：Ⅰ、Ⅱ或Ⅲ期临床试验 (2) 中等规模群体患者同情用药：未明确具体阶段，在同情用药的重要安全性和有效性确定后使用 (3) 大规模群体患者的治疗性同情用药：Ⅲ期临床试验完成后、产品获得最终上市批准前
欧盟	未明确具体阶段，正在进行临床试验或已进入上市授权申请程序
比利时	Ⅱ期临床试验完成后
意大利	Ⅱ期临床试验完成后
英国	Ⅲ期临床试验（特殊情况下为Ⅱ期）
荷兰	(1) 单个或少数患者：Ⅰ/Ⅱa期临床试验完成后 (2) 大规模群体患者：Ⅲ期临床试验完成后
澳大利亚	Ⅲ期临床试验完成后
巴西	Ⅲ期临床试验正在进行或已完成

项目至少需在获得早期有效性与安全性临床试验数据（至少完成临床Ⅱ期）后方可实施^[36]。

在中国，国家医学中心和区域级医学中心通常是医疗体系中的顶级医疗机构，承担着疑难重症诊疗、临床试验与创新疗法、医学研究等重要职能。此类医院在医疗资源、技术水平和专业能力方面具有显著优势，故同情用药这一具有较高风险的医疗行为建议在国家医学中心和区域级医学中心进行。

2.3 关键问题 3：是否以及如何对申请同情用药的患者进行分类管理？

推荐意见 6
建议在中国不对同情用药申请做出分类，设计以“单个患者同情用药”为基础的申請和監管制度（共識度：93.3%）

由于疾病流行病学的差异，不同临床试验药物的同情用药会面临不同的患者群体。大部分西方国家对同情用药实行分类管理，其中主要依据患者数量进行分类，并据此规定不同的适用标准、申请流程及审查审批程序。

一项涵盖 83 个国家/地区的调查显示，94% 的国家/地区支持个体患者的同情用药，69% 的国家/地区支持患者群体的同情用药。美国及包括法国、荷兰在内的欧盟国家均采用“患者数量”作为分类标准^[17]。2009 年，美国 FDA 对同情用药法规进行了较大修订，正式依据患者数量将同情用药定义为以下三种情形：（1）个体患者（含紧急与非紧急）；（2）中等规模群体患者（2~100 人）；（3）大规模群体患者（>100 人）的治疗性同情用药（适用于临床试验成功结束后、获得 FDA 批准之前）^[29,37]。此三种情形在适用标准、申请主体及 FDA 审批时限方面存在差异。针对中等规模群体，当 FDA、制药公司或医生预计将治疗不止一例患者时，通常会在 FDA 收到多个单一患者使用请求后启动该类别。这一决定通常取决于该药物是否正在为市场推广而开发、患病群体的数量，以及临床试验中是否已确定研究产品的重要安全性及有效性数据^[37]。在临床试验结束后至获得 FDA 批准前，治疗性同情用药用于治疗大规模群体患者（如数百至数万名）时，FDA 将前瞻性地审查预期的纳入标准与程序，但不会逐例批准患者入组^[27,37]。根据 FDA 官网公布的 2015—2020 年统计数据，单个患者同情用药申请占比最高且呈增长趋势，由 2015 年的 1360 份（95%）增至 2020 年的 2833 份（98%）。其中，非紧急患者与紧急患者分别占比 63% 和 37%。

不同于美国将同情用药分为 3 类，欧盟通过“以

指定患者为基础的同情使用”服务于单个患者的治疗，其总体规模少于 50 人；另通过“同情用药计划”服务于患者群体，其总体规模可达数百人^[7,23]。除患者总体规模不同外，上述 2 类情形的适用标准、申请主体和计划程序也有一定差异。以法国为例，其 2 类临时使用授权包括：一是在医生要求下为指定患者签发的“提名临时使用授权”，适用于现有数据推定患者可能获益的药物；二是“队列临时使用授权”，涉及一组或数组成员的治疗，并按照临床试验标准进行管理与监测^[18,38]。荷兰的 2 种方案分别称为“指定患者”方案和“同情使用”方案，后者通常由制药公司在成功完成Ⅲ期临床试验后启动，以弥补试验结束与新药商业上市之间的时间差^[20]。此外，不同于美国及部分欧盟国家依据患者数量对同情用药申请进行分类，加拿大按照对药物需求的缓急程度进行分类，澳大利亚则依据疾病严重程度和药物安全性进行分类^[10]。

鉴于我国同情用药制度尚处于初期阶段，其配套法规、指导原则需充分考虑风险把控水平。参考国际上同情用药申请与审批的数量及类型，大多数同情用药是对单个患者实施的。对单个患者实施同情用药，可重点关注患者用药风险和受益评估，在我国现行药品监管体制下易于开展。美国“大规模群体患者的治疗性同情用药（>100 人）”和荷兰“同情使用”方案，均是在临床试验成功结束后、获得 FDA 批准之前开展^[36]。我国 2020 年发布的新版《药品注册管理办法》中新增了“突破性治疗药物程序”“附条件批准程序”，除目的不同外，其形式与大规模群体患者的同情用药具有一致性。在当前阶段，我国同情用药不宜参照美国设计针对更大规模患者的同情用药途径。

2.4 关键问题 4：同情用药中主要相关方的责任是什么？

推荐意见 7
同情用药主要相关方应包括患者方（含患者或其监护人）、医生、制药企业、医疗机构伦理委员会等（共识度：89.2%）

推荐意见 8
同情用药申请人方面，建议由患者方（含患者或其监护人）和医生共决策，以患者为申请人，由医生负责向伦理委员会提交申请材料（共识度：93.3%）

推荐意见 9
建议各医疗机构在实施同情用药前须通过本医疗机构伦理委员会的审查（共识度：93.3%）

推荐意见 10
建议明确各主要相关方的重要责任：（1）患者方：患者方作为同情用药的核心角色，应坚持自愿的原则参与同情用药，并仔细阅读、理解、签署知情同意书。（2）医生：主要责任包括对患者适用条件进行评估研判、确保患者知情同意、向医疗机构审查部门提交申请材料、监督用药过程、收集相关数据等工作。（3）制药企业：作为同情用药申请中药物的所有者，可自主决定是否提供同情用药。若同意，其主要责任包括监督管理药物使用过程、向药品监督管理部门提交用药安全报告等工作。（4）医疗机构伦理委员会：主要责任包括评估同情用药的伦理合理性，审查药物风险-获益比、患者知情同意流程及风险防控措施等工作。（5）医疗机构除伦理委员会外的其他部门：医务管理部门、法律部门、药学部门、临床科室等多学科、多部门应密切协作，确保拓展性用药安全和规范（共识度：86.3%）

参考美国、欧盟、日本等多国法规，同情用药相关者主要包括患者、医师、制药企业、医疗机构、机构伦理委员会和药品监督管理部门^[9,17,38-42]。除上述主要相关者外，部分国家还包括护理人员、药师、患者倡导团体及其他卫生保健专业人员等^[42-44]。在中国，《中华人民共和国药品管理法》尚未对同情用药各相关者的主体责任进行明确规定，基于此，本共识对临床实践提出如下建议。

首先，需明确同情用药发起人（申请主体）的责任。在荷兰、德国、意大利、法国、西班牙等欧盟国家以及巴西，单个患者的同情用药申请通常由医生向各成员国监管机构提出，具体申请途径与审批要求由成员国自行决定^[7,24,38,45-46]。在美国，针对单个患者或中等规模群体患者（2~100 人）的同情用药，可由医生或制药企业提出申请；而对于大规模群体患者的同情用药，则仅限制药企业申请。

根据欧美经验，制药企业通常不愿主动为单个患者的需求发起同情用药。美国 FDA 官网公布的 2019 年数据显示，在其受理/批准的同情用药申请中，由制药企业发起的同情用药协议为 134 例，而由医生发起的申请为 1691 例。结合国际经验与我国国情，本共识建议在医患共同决策的基础上，由患者提出申请，由熟悉其病情的医生提交申请，并增设医生与制药企业之间的沟通机制，由医生通过与制药企业沟通来实现同情用药的申请。患者应本着自愿原则参与同情用药，认真阅读、理解并签署知情同意书。

除同情用药申请人外，同情用药审批审查主体的

责任也需明确。美国、澳大利亚以及德国、意大利等多数欧盟国家一致要求，同情用药的使用需同时获得药品监督管理部门的行政审批与伦理委员会的审查批准^[39,43,47-49]。在我国，《中华人民共和国药品管理法实施条例》提出同情用药“经伦理委员会审查同意、患者或者其监护人签署知情同意后”开展。因此，同情用药的审查应在法律框架下设计、开展相关工作^[3,50-51]。本共识建议，综合参考国际经验和我国国情，各医疗机构在实施同情用药前须经机构内伦理委员会审查。

明确申请主体和审查主体后，鉴于多数国家同情用药相关者的主要责任与美国一致，本共识建议部分参考了美国同情用药申请中关键相关者的主要责任^[11,17,26-27,52-54]。具体职责划分如下：（1）医生，应对患者的病情进行判断，基于研究药物已获得的数据，评估患者使用该药物的获益大于风险；在取得受试者书面知情同意后，按照给药方案开展临床治疗工作，同时收集临床治疗过程中的药物发放和使用信息、不良事件等。（2）制药企业，负责协助医生形成评估资料，监督管理药物使用过程，开展药物安全

性和疗效评价，并向药品监督管理部门提交用药安全报告。（3）医疗机构内部，伦理委员会主要责任包括评估同情用药的伦理合理性，审查药物风险-获益比、患者知情同意流程及风险防控措施；医务管理部门、法律部门、药学部门、临床科室等多学科、多部门应密切协作，确保同情用药安全^[52]。

2.5 关键问题 5：同情用药申请和审查包括哪些要点？

推荐意见 11

建议制定医疗机构内同情用药的申请、审查及执行流程，确保多部门协作无缝衔接。同情用药申请流程节点可参考图 1（共识度：86.3%）

推荐意见 12

建议同情用药申请，至少应包括以下要点：（1）患者是否符合《中华人民共和国药品管理法》提出的同情用药适用条件；（2）患者同情用药治疗方案，包括药物剂量及剂量调整方案、给药途径、计划治疗的持续时间、停药标准等；（3）药物安全性和有效性数据信息；（4）患者或法定指定人的知情同意书；（5）医生资质信息；（6）不良反应处理方案等（共识度：93.3%）

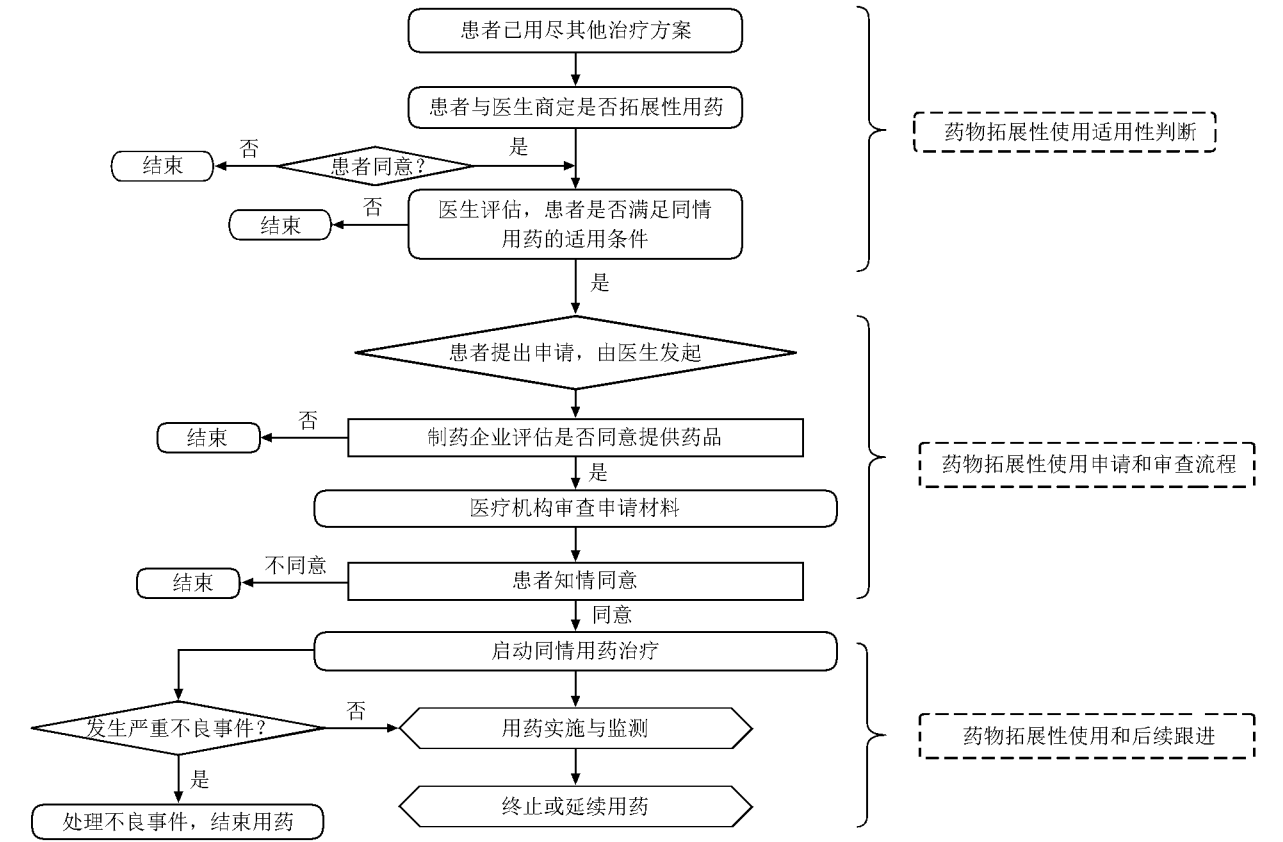


图 1 同情用药申请流程
Fig. 1 Compassionate use application process

推荐意见 13

建议医院的伦理委员会在进行同情用药伦理审查时，至少应包括以下要点：(1) 患者是否满足同情用药适用条件；(2) 受益与风险分析报告；(3) 用药方案及相关文件是否完整合规；(4) 医生的资质经验和技术能力等是否符合要求；(5) 知情同意书提供的有关信息是否充分、是否存在利益冲突等（共识度：89.2%）

同情用药的流程规范因各国及地区相关法规的差异而有所不同，其中最为关键的两个环节是同情用药的申请与审查审批。美国 FDA 根据同情用药申请类型的不同，规定了差异化的申请程序。对于单个患者，美国 FDA 规定申请人必须以书面形式提交必要的信息，重点包括以下内容：(1) 患者病情描述；(2) 申请同情用药的理由，即患者是否满足 5 条适用条件；(3) 拟采用同情治疗方案的具体描述，包括建议的每日剂量、给药途径、计划治疗的持续时间、停药标准以及针对不良事件/治疗反应的计划剂量调整方案、不良反应处理措施；(4) 患者或法定指定人的知情同意书^[38]；(5) 制药企业同意同情用药的授权书；(6) 医生资质证明^[17,54-57]。对于中等规模和大规模群体患者的治疗性同情用药，可向 FDA 提交以下两种类型的监管文件获得批准：(1) 作为修订现有同情用药协议（由医生或制药企业申请）；(2) 作为独立于现有同情用药协议的新申请提交，且仅可用于治疗目的（仅由制药企业申请）^[17,58-60]。具有同情用药法规的欧盟国家，对于指定单个患者的申请要点，多数与美国一致。针对多个患者，欧盟同情用药计划一般由制药企业向各成员国药品监管部门申请。适用该途径的药物应已获得明确的安全性及有效性数据，提交的申请材料中需包含明确的患者入组与排除标准、药物说明、应急管理和药物警戒要求等内容^[61]。

在审查审批方面，美国 FDA 和多数欧盟国家的审查主要围绕同情用药是否满足以下适用条件：(1) 是否存在可替代、相匹配或令人满意的替代疗法用于诊断、监测或治疗；(2) 是否无法通过其他研究性医学产品的试验或项目获得该医学产品；(3) 潜在获益是否超过潜在风险；(4) 所提供的研究性医学产品是否会干扰支持其上市许可的临床研究。机构伦理委员会的审查要点则主要包括：(1) 研究者的资格、经验与技术能力是否符合要求；(2) 风险-获益比是否合理；(3) 知情同意书所提供的信息是否充分；(4) 是否存在利益冲突等^[8,58]。

2.6 关键问题 6：患者同情用药的知情同意应包含哪些要点？

推荐意见 14

建议同情用药的知情同意应增加针对同情用药的特殊告知内容，至少涵盖以下要点：(1) 同情用药的背景：详细说明医生对患者病情的评估结果，包括病情严重程度、发展趋势及当前尚无有效治疗手段等关键信息；(2) 药物的基本性质：明确药物名称、剂型、剂量、给药方式及治疗周期等具体治疗方案，并强调该研究药物尚未获得境内上市许可，仍处于研究阶段，其潜在风险具有不确定性；(3) 潜在风险与不良反应：全面注明药物可能引发的已知和未知不良反应，并明确告知患者需自行承担相关风险；(4) 知情同意的自愿性：强调患者参与同情用药是完全基于自愿原则，患者有权随时退出且不会对其后续治疗产生任何不利影响；(5) 制药企业对本次同情用药申请的具体意见；(6) 其他相关信息，如可能的替代医疗手段、隐私保护政策、数据使用范围、联系方式及问题咨询渠道等（共识度：93.3%）

未取得上市许可的药物，其安全性和有效性尚存在不确定性，同情用药过程中可能出现非预期的严重不良事件。因此，在申请同情用药前，美国 FDA 和欧盟组织均高度重视用药相关风险，强调需充分告知患者将要接受尚未获得上市许可药物治疗的各项利弊与风险，并获得患者的知情同意^[16-17,26,39,43]。《中华人民共和国药品管理法》虽提出同情用药须经审查、知情同意后方可用于患者等原则性内容，但目前尚无具体实施细则。美国 FDA 在审批同情用药时对知情同意有明确的要求和审查内容，我国可部分借鉴其经验。在美国，扩大使用试验性药物用于治疗（包括个人紧急使用）的申请均受知情同意要求的约束，由机构伦理委员会负责知情同意的审查。知情同意的目的之一是确保患者被告知将接受试验性药物的治疗，并明确了解尽管该药物的主要用途是治疗，但其仍属于研究性药物，且其安全性与有效性可能存在不确定性^[32]。此外，知情同意还应遵循药物临床试验的要求，内容主要包括：该研究药物所治疗的疾病、药物名称、药物的研究状态、预期风险和获益、受试者参与的预期持续时间、拟采用的治疗方案、替代疗法等^[62]。同时，知情同意书中还应声明以下信息^[17,54,62-63]：(1) 声明患者缺乏任何美国 FDA 批准的可用于治疗的替代医疗产品（例如药物/生物制剂）；(2) 解释该药物为研究性产品，FDA 尚未验证其安全性和有效性，且该治疗将被视为试验性治疗；

(3) 声明只有在获得 FDA 授权的情况下，方可在 FDA 的扩大准入计划下进行治疗；(4) 明确患者参与该计划为自愿，可改变参与决定并随时停止参与，同时提供患者可联系的人员信息，以备其改变决定时使用。

与美国一致，英国、巴西、意大利、波兰、德国、西班牙等国家也规定，同情用药必须包含知情同意程序，确保向患者提供有关药物的所有可用数据（包括不确定的获益与风险），并客观呈现所有可选方案，包括姑息治疗或不治疗。对于无法自行表示同意者，应提供替代同意方式^[23-24, 64-65]。

2.7 关键问题 7：医疗机构内部同情用药的风险防控措施有哪些？

鉴于同情用药的患者通常病情危重、合并用药情况复杂、并发症多，用药过程中可能出现严重不良事件，从而对患者、医生、医疗机构、伦理委员会等带来潜在风险。为保障医疗机构内部同情用药的风险防控，现提出以下建议：

推荐意见 15
伦理审查中的风险/获益评估，建议由熟悉患者的医生、熟悉同情用药的研究者以及医院伦理委员会协同进行评估（共识度：96.1%）

推荐意见 16
建议法律协议规范化，由医疗机构、制药企业、患者（或患者方）共同签署协议，明确各方权利、义务和责任，并清晰界定药物的免费提供原则和终止原则（共识度：96.1%）

推荐意见 17
建立医疗机构制定针对药物安全，特别是严重不良反应的应急预案和急救流程，动态追踪在研药物的安全性数据，若发现严重不良反应的安全报告，应及时告知制药企业（共识度：89.2%）

推荐意见 18
同情用药过程中一旦发现上报信息有误、风险大于获益、发生严重不良反应等情况时，同情用药主要利益相关者可申请暂停、中止或终止同情用药（共识度：93.3%）

由于同情用药相关药物潜在不良事件的研究数据较少，用药前进行风险-收益比评估通常较为困难。在同情用药过程中，由于患者通常由于病情危重、合并用药情况复杂、并发症多等原因，可能出现严重不良事件，然而其因果关系评价易引起争议，且终止机制尚未明确。这些因素均会为患者、医生、医疗机构、伦理委员会等相关者带来潜在风险。

在同情用药前的知情同意方面，由于同情用药的发起主要取决于患者意愿，患者同意参与同情用药在一定程度上表明其愿意承担相应的风险，这就对患者用药前知情同意权的行使提出了更高要求。因此，医患双方需在临床试验开展前就风险及获益情况进行充分沟通，以帮助患者做出适合自身情况的判断。如让同情用药发起人和医疗机构承担过多责任，可能导致同情用药难以实施，这将不利于该制度的建立和实施。在同情用药前风险-收益比评估方面，除由医生进行评估外，澳大利亚部分医院的药物和治疗委员会也可能参与一些未经批准上市的癌症药物的评估^[31]。本共识建议，由熟悉患者的医生和熟悉同情用药的研究者以及医疗机构伦理委员会协同进行风险-收益比评估，以减轻临床试验申办者、医疗机构和医师的责任。同时，建议推动法律协议规范化，由医疗机构、制药企业、患者（或患者方）共同签署协议，明确各方权利、义务和责任，并清晰界定药物的免费提供原则与终止原则。

在美国，同情用药治疗结束后，试验发起者/药物生产商需提交使用结果的书面摘要，内容包括治疗日期、耐受性、任何不良事件（即使仅为疑似）及患者反应。对于持续 1 年以上的临床试验，还应提交简短的年度报告，以供 FDA 监测评价患者在接受同情用药时的风险变化^[11, 17, 66]。综合参考国外政策及中国国情，本共识建立医疗机构制定针对药物安全，特别是严重不良反应的应急预案和急救流程，动态追踪在研药物的安全性数据，若发现严重不良反应的安全报告，应及时告知制药企业。

在同情用药过程中，一旦发现上报信息有误、风险大于获益、发生严重不良反应等情况时，医生、伦理委员会、患者及制药企业等主要利益相关者可申请暂停、中止或终止同情用药。此外，鉴于同情用药程序中患者和药物的特殊性，在患者用药后出现严重不良反应或死亡结果时，应充分考虑患者疾病情况、现有医学条件限制、同情用药的探索性等因素，采用宽松评价原则，不轻易认定因果关系，或在实施细则中增加医学鉴定的相关共识。

2.8 关键问题 8：同情用药的费用应由谁承担？

推荐意见 19
鉴于同情用药旨在治疗严重危及生命且目前尚无有效治疗手段的疾病，建议鼓励制药企业基于人道主义精神，免费提供同情用药所需药物（共识度：96.1%）

在同情用药过程中，研究药物的费用问题存在两

个核心争议：(1) 从监管角度看，是否允许收费？(2) 治疗费用应包括哪些项目？目前，我国尚缺乏针对同情用药费用问题的法规文件。分析欧美及日本等国家的相关政策，主要可分为以下三种情形^[67]：(1) 免费提供，此情形又分为两种模式。一种由制药企业承担费用，如澳大利亚、德国、西班牙、英国、荷兰等国家规定同情用药费用由制药公司承担^[31,38,61,68-69]；另一种全部或部分由国家医疗保险承担，如意大利^[20,70]和日本^[8-9]。(2) 收取成本费用，以美国和法国为代表。美国规定，制药公司可选择免费向患者提供试验药物，或向患者/第三方支付者收取成本费用^[27,29,71]。法国则根据制药企业的财务状况及风险分担协议区别对待：对存在财务困难的中小企业允许收费；对财务状况良好的中小企业，则不允许收费或仅允许收取最低成本费用^[18,72]。(3) 收取费用，以加拿大为例，制造商可对同情用药收费，且不限制仅收取成本费用^[10,26]。

同情用药的核心目标是“治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病”，其本质出于人道主义而非商业目的。《中华人民共和国药品管理法》(2019年修订)虽未直接规定该行为“免费”，但强调“符合伦理原则”，而商业化收费可能与这一伦理宗旨相悖。考虑到拓展性使用的药物尚未完成全面的安全性验证，患者需承担未知风险。本共识建议，鼓励制药企业免费提供同情用药。

3 小结

在中国医疗体系不断完善的背景下，同情用药制度作为一项基于人道主义精神的特殊医疗实践，为患有严重危及生命且缺乏有效治疗手段疾病的患者提供了“最后一线希望”。然而，该制度因其高风险性、复杂性和伦理争议性，对医疗机构的临床实践提出了严峻挑战。本共识立足于中国医疗实践，以《中华人民共和国药品管理法》为法律框架，系统构建了医疗机构同情用药的规范化管理体系，旨在为危重患者提供基于人道主义的帮助。

同情用药制度的本质是对生命权的优先尊重，其适用条件与流程设计均体现了对患者生存需求的深切关怀。适用条件明确要求患者“无法参与临床试验”且处于“严重危及生命”状态，这一规定直接指向人道主义的核心——在常规医疗手段失效时，通过未上市药物为患者争取宝贵的生存机会。知情同意不仅需明确药物风险与不确定性，还需强调患者方参与的

“自愿性”与“可退出性”。在这一框架下，医生、患者方、制药企业与医疗机构形成责任共同体，共同履行人道主义救助的使命。

药物的未上市属性决定其安全性与有效性证据尚不充分。此种不确定性使得同情用药本质上成为一种“高风险医疗实践”。为平衡人道主义目标与风险控制，本共识界定了医疗机构、医生、制药企业及患者的多方责任，建议医疗机构建立严重不良反应的应急预案和急救流程，并提出动态追踪在研药物安全性数据的要求。共识倡导制药企业秉持人道主义精神免费提供药物，同时提出多部门协作、依托国家级及区域性医疗中心开展试点，并推动法律协议的规范化。作为医疗机构同情用药的参考依据，本共识以患者为中心，为构建兼具人文温度与科学严谨的危重症救治体系提供了可行路径。

作者贡献：本专家共识由北京协和医院罕见病协作组、中国药学会罕见病药物专业委员会和中华医学会罕见病分会共同发起，张抒扬组织建立了指导委员会、证据工作组和共识专家组，并任命张波全权负责共识的制订工作；陈耀龙为共识制订提供方法学指导；尚俊美、左玮共同起草了共识初稿，在张抒扬、张波、陈耀龙的组织下联合其他专家对共识进行讨论、凝练推荐意见；共识专家组负责对共识拟解决的关键问题进行讨论与审定、对推荐意见进行投票、对共识全文进行定稿；证据工作组负责协调其他工作组的工作，开展拟解决的关键问题的文献调研、检索、评价以及证据合成，组织推荐意见共识会议，并撰写共识初稿；张抒扬、张波对共识全文进行了最终审校，所有作者均对共识终稿表示认同。

利益冲突：所有参与本共识制订的人员均声明不存在利益冲突

指导委员会（以姓氏首字母排序）：陈耀龙（中国医学科学院循证评价与共识研究创新单元兰州大学基础医学院，中华医学会杂志社共识与标准研究中心），张抒扬（中国医学科学院北京协和医学院，北京协和医院心内科），张波（中国医学科学院北京协和医学院，北京协和医院药剂科）

证据工作组（以姓氏首字母排序）：安鹏姣、窦玮、李涤非、刘容吉、刘清扬、刘鑫、路璐、阮晓、尚俊美、时舒萍、田欣、吴嘉昱、于佳鑫、张宝爽、赵宇璇（中国医学科学院北京协和医学院，北京协和医院药剂科）

共识专家组（以姓氏首字母排序）：白桦（中国医学科

学院北京协和医学院，北京协和医院科研处），丛璐璐（北京药学会），崔丽英（中国医学科学院北京协和医学院，北京协和医院神经科），崔一民（北京大学临床药理研究所），邓利强（中国卫生法学会，北京市华卫律师事务所），翟晓梅（中国医学科学院生命伦理学研究中心），冯岚（中国医药创新促进会），韩冰（中国医学科学院北京协和医学院，北京协和医院血液科），胡欣（北京医院药学部），冷家骅（北京大学肿瘤医院医疗保险处），李大魁（中国医学科学院北京协和医学院，北京协和医院药剂科），李林康（中国罕见病联盟），刘东阳（北京大学第三医院药物临床试验机构），刘丽（广州市妇女儿童医疗中心遗传与内分泌科），刘炫麟（中国政法大学法律学院），刘跃华（清华大学公共管理学院），马小军（中国医学科学院北京协和医学院，北京协和医院医务处），梅丹（中国医学科学院北京协和医学院，北京协和医院药剂科），倪鑫（首都医科大学附属北京儿童医院），单国洪（武田制药），史录文（北京大学药学院），王晓玲（首都医科大学

附属北京儿童医院药学部），薛群（北海康成制药有限公司），杨悦（清华大学药学院），张燕玲（中国健康传媒集团健康中国研究院），张颖（北京诺华制药有限公司），张玉（华中科技大学同济医学院附属协和医院），赵岩松（北京诺华制药有限公司）
执笔人：尚俊美（中国医学科学院北京协和医学院，北京协和医院药剂科），左玮（中国医学科学院北京协和医学院，北京协和医院药剂科）

参 考 文 献
(请扫描下方二维码获取)



(收稿：2026-04-28 录用：2026-05-21 在线：2026-07-21)
(本文编辑：董 哲)

· 读者 · 作者 · 编者 ·

本刊对来稿中名词术语的有关要求

医学名词应使用全国科学技术名词审定委员会公布的名词。中医基础理论术语、中医临床诊疗术语、腧穴名称与部位、耳穴名称与定位均遵照相应的国家标准执行。没有通用译名的名词术语于文内第1次出现时应注明原词。中西药名以中国药典委员会编写的最新版本《中华人民共和国药典》和《中国药品通用名称》为准。确需使用商品名时应先注明其通用名称。冠以外国人名的体征、病名、试验、综合征等，人名可以用中译文，但人名后不加“氏”（单字名除外，例如福氏杆菌）；也可以用外文，但人名后不加“s”。例如：Babinski 征，可以写成巴宾斯基征，不写成Babinski's 征，也不写成巴宾斯基氏征。已被公知公认的缩略语可以不加注释直接使用。例如：DNA、RNA、PCR 等。不常用的、尚未被公知公认的缩略语，以及原词过长在文中多次出现者，若为中文可于文中第1次出现时写出全称，在圆括号内写出缩略语；若为外文可于文中第1次出现时写出中文全称，在圆括号内写出外文全称及其缩略语。例如：流行性脑脊髓膜炎（流脑），阻塞性睡眠呼吸暂停综合征（obstructive sleep apnea syndrome, OSAS）。中国地名以最新公布的行政区划名称为准；外国地名的译名以新华社公开使用的译名为准。