

广东省药学会文件

粤药会〔2025〕61号

关于发布《罕见病超药品说明书用药专家共识 (儿科·2025年版)》的通知

各医疗机构：

当前，罕见病诊疗技术快速发展与药品说明书更新滞后的矛盾凸显，临床实践中儿童罕见病超说明书用药因系统性难题难以避免：低患病基数导致药企研发动力不足，儿童用药数据匮乏；伦理限制下儿童临床试验开展困难，常依赖成人数据外推；加之罕见病发病机制复杂及儿童生长发育的特殊性，药品研发审批周期长，难以匹配临床救治的迫切需求。在此背景下，医患双方基于潜在治疗获益选择超说明书用药。然而，目前儿童罕见病超说明书用药领域缺乏指南或专家共识作为临床参考。

为进一步规范儿童罕见病超说明书用药管理，协助各医疗机构制定儿童罕见病药品超说明书目录，促进合理用药，广东省药学会罕见病专家委员会组织多领域专家编写了《罕见病超药品说明书用药专家共识（儿科·2025年版）》，经由广泛征求意见，最终形成本共识。

本共识已通过《今日药学》杂志在中国知网优先发表，引用格式为：[1]广东省药学会. 罕见病超药品说明书用药专家共识（儿科·2025年版）[J/OL]. 今日药学, 1-5[2025-04-25]. <http://kns.cnki.net/kcms/detail/44.1650.R.20250423.1254.002.html>。

现予以发布，供各医疗机构参考。各医疗机构在执行过程中有任何问题，请与本会联系。

联系地址：广州市东风东路753号东塔701房 广东省药学会 510080

联系电话：（020）37886326, 37886321 传 真：37886330

电子邮箱: gdsyxh45@126.com

网 址: <http://www.sinopharmacy.com.cn>

附件:

1、《罕见病超药品说明书用药专家共识（儿科•2025 年版）》起草专家组

2、《罕见病超药品说明书用药专家共识（儿科•2025 年版）》（请在本会网站“下载专区”下载）



附件 1

《罕见病超药品说明书用药专家共识（儿科•2025 年版）》

起草专家组

顾问：

郑志华	广东省药学会	主任药师
周文浩	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
孙竞	南方医科大学南方医院	主任医师
陈孝	中山大学附属第一医院	主任药师
夏苏建	暨南大学基础医学与公共卫生学院	教授

执笔：

莫小兰	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任药师
邓后亮	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主管药师
杨金连	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主管药师
李佳乐	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主管药师
欧阳珊	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任药师

医学专家（以姓氏拼音为序）：

陈锋	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
崔彦芹	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
高霞	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
江华	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
李小晶	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
刘丽	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
刘杰	广州医科大学附属第一医院	主任医师
邱琳	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
容小明	中山大学孙逸仙纪念医院	副主任医师
温哲	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
王嘉怡	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
曾萍	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
张文	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师

赵小鹏	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师
周娟	广州医科大学附属妇女儿童医疗中心	主任医师

药学专家（以姓氏拼音为序）：

陈杰	中山大学附属第一医院	主任药师
陈攀	中山大学附属第一医院	副主任药师
陈文瑛	南方医科大学第三附属医院	主任药师
陈泽彬	深圳市儿童医院	主任药师
方瑞	广东省妇幼保健院	主任药师
范晓梅	深圳市宝安区妇幼保健院	主任药师
贾运涛	重庆医科大学附属儿童医院	主任药师
李亦蕾	南方医科大学南方医院	主任药师
李志玲	上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心	主任药师
李学娟	深圳市儿童医院	主任药师
黎小妍	中山大学附属第六医院	主任药师
林芸竹	四川大学华西第二医院	主任药师
刘茂昌	华中科技大学同济医学院附属武汉儿童医院	主任药师
麦海燕	中山大学附属第三医院	副主任药师
缪静	浙江大学医学院附属儿童医院	主任药师
王晓玲	首都医科大学附属北京儿童医院	主任药师
王勇	广东省药学会	副主任药师
王景浩	暨南大学附属第一医院	主任药师
魏理	广州医科大学附属第一医院	主任药师
伍俊妍	中山大学孙逸仙纪念医院	主任药师
喻珊珊	南方医科大学珠江医院	主任药师
曾力楠	四川大学华西第二医院	主任药师
张波	北京协和医院	主任药师
张宏亮	广西医科大学附属第一医院	主任药师