

《创新药临床药理学研究技术指导原则(征求意见稿)》

起草说明

随着国内新药研发的日益增多，为引导新药研发企业充分理解创新药临床药理学研究内容，进一步指导创新药临床药理学研究和评价，药品审评中心组织起草了《创新药临床药理学研究技术指导原则》，经中心内部讨论，并征求专家意见，形成征求意见稿。现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

近年来，国内创新药的研发和申报日益增多。临床药理学研究作为支持探索性和确证性临床研究设计和上市申请的重要理论依据，对于支持新药用法用量选择和说明书撰写等十分重要，是创新药上市申请中的重要内容。为引导新药研发企业充分理解创新药临床药理学研究内容，进一步指导创新药临床药理学研究和评价，药品审评中心组织起草《创新药临床药理学研究技术指导原则》，旨在从整体上阐述创新药临床药理学研究相关问题，为创新药研发过程中临床药理学研究的研究内容、研究时机、总体设计等关键问题提出建议。

二、起草过程

本指导原则的起草工作自 2021 年 2 月启动。核心工作组经充分调研国内、外行业现状后，起草了指导原则初稿，

并于 2021 年 6 月 8 日召开第一次专家研讨会，针对初稿进行了深入讨论，会上同时听取了业界代表的意见建议。此后，结合专家和业界代表意见，工作组进行了充分讨论和梳理，对指导原则初稿进行了修订完善，后于 2021 年 7 月 16 日召开第二次专家改稿会，同时邀请了业界代表参会讨论。在吸收专家意见的基础上，经部门技术委员会讨论以及药审中心内部征求意见，形成征求意见稿。

三、主要内容与说明

本指导原则主要围绕创新药上市前临床药理学研究相关问题进行阐述，旨在为创新药研发过程中临床药理学研究的研究内容、研究时机、总体设计等关键问题提出建议。主要内容包括前言、创新药临床药理学研究的目的和作用、临床药理学研究总体计划、研究内容和研究时机、研究方法、研究设计的总体考虑、化学创新药和生物制品创新药的基本考虑、监管考虑，具体如下：

（一）前言部分：介绍指导原则的起草背景、目的、适用范围以及临床药理学研究需基于“具体药物具体问题具体分析”的总体原则。

（二）创新药临床药理学研究的目的和作用部分：阐述临床药理学研究在创新药研发、评价和说明书撰写中的意义和价值。

（三）临床药理学研究总体计划部分：阐述创新药临床

药理学研究的整体计划以及制定研究计划时的考虑要点。

（四）研究内容和研究时机部分：详细阐述创新药临床药理学研究的具体内容和时机，分别包括药代动力学研究、药效动力学研究和暴露-效应关系研究共三个部分。其中，药代动力学研究部分逐一介绍单次/多次给药剂量递增研究、患者药代动力学研究、物质平衡研究、食物效应研究、药物相互作用研究、肝/肾功能不全等特殊人群患者研究、儿科人群研究、生物利用度和生物等效性研究等研究内容及其在创新药研发中的研究时机考虑。

（五）研究方法部分：阐述创新药临床药理学研究的常用方法，包括经典研究方法、基于模型的研究方法以及其他前沿的新技术和新方法等。

（六）研究设计的总体考虑部分：阐述创新药临床药理学研究的整体研究策略和试验设计考虑，包括独立研究设计、合并研究设计以及嵌套研究设计。

（七）化学创新药和生物制品创新药的基本考虑部分：阐述化学创新药和生物制品创新药在临床药理学研究中的差异以及相关考虑。

（八）监管考虑部分：阐述创新药临床药理学研究在数据分析、申报资料整理以及说明书撰写时，除常规要求外还需注意的事项，并提出对于罕见病用药和附条件批准上市等特殊情况需基于具体问题具体讨论的考虑。