

# 《阻塞性睡眠呼吸暂停治疗药物临床试验技术 指导原则（征求意见稿）》起草说明

为提高阻塞性睡眠呼吸暂停治疗药物研发的质量和效率，我中心组织起草了《阻塞性睡眠呼吸暂停治疗药物临床试验技术指导原则（征求意见稿）》。该文件已通过部门讨论、技术委员会审核，并向相关临床专家及研发企业初步定向征求意见，现形成征求意见稿。有关情况说明如下：

## 一、背景和目的

目前全球已有获批上市和在研的阻塞性呼吸睡眠暂停（OSA）治疗药物，但国内外尚未发布相关的研发技术指南。我国《成人阻塞性睡眠呼吸暂停诊治指南（2025）》首次纳入了药物治疗——葡萄糖依赖性促胰岛素多肽（GIP）受体和胰高血糖素样肽-1（GLP-1）受体激动剂替尔泊肽，用于合并肥胖的中度至重度 OSA 患者。

在此背景下，本指导原则基于目前审评中的共性问题，就我国研发阻塞性呼吸睡眠暂停治疗药物的临床试验设计提出要点和建议，旨在弥补技术要求空白，提高我国 OSA 治疗药物研发的质量和效率。

## 二、起草过程

本指导原则已纳入 2026 年度中心指导原则制定计划，由化药临床一部牵头，于 2026 年 2 月正式启动起草工作。期间，部门指导原则小组进行了多轮内部讨论，并于 2026 年

4 月形成初稿。

2026 年 5 月，向相关临床专家及研发企业初步定向征求意见，根据反馈意见进一步完善初稿内容。

2026 年 6 月 3 日，召开部门技术委员会，对指导原则的内容进行了讨论，形成对外公开征求意见稿，并报中心审议同意。

### 三、主要内容

“概述”部分简要介绍了阻塞性睡眠呼吸暂停的定义、发病机制和临床诊疗现状，以及本指导原则的制定目的及适用范围。

“研发策略及试验设计的基本原则”部分，概述了创新药研发策略及试验设计的基本原则，强调以临床需求为导向，以实现可接受的获益风险比为上市科学标准，同时鼓励上市前规划药物全生命周期管理并进行证据储备。

“III 期试验的关键设计要素”部分，重点阐述了试验总体设计、入排标准、给药方案、疗效指标与评估方法、安全性指标、药物暴露要求等临床试验关键设计要素。

“临床研究中的其他关注点”部分，主要围绕剂量探索试验、远程访视与可穿戴技术的应用，以及特殊人群研究等方面，就研发中可能遇到的特定问题提出了相关建议。

### 四、需要说明的问题

本指导原则仅代表药品技术审评机构当前的认识，参考

本指导原则制定研发策略或进行试验设计不能替代在药物研发关键节点与药审中心的沟通。对于本指导原则未涵盖的问题或可能存在的局限性，鼓励申请人与药审中心加强交流并达成共识。