

《治疗间质性肺疾病的抗纤维化药物临床试验技术指导原则（征求意见稿）》

起草说明

间质性肺疾病(ILD)是一组以肺泡单位炎症和间质纤维化为基本病变的异质性非肿瘤性和非感染性肺部疾病。ILD的治疗包括免疫抑制剂、激素类药物、抗纤维化药物,以及氧疗等支持性治疗。目前全球范围内批准用于 PF-ILD 的抗纤维化药物有吡非尼酮和尼达尼布,但这两种药物仅能延缓疾病进展,临床对有效性、安全性更优的药物需求日益显著,研发新机制及结构优化型药物逐渐成为热点。境内外尚缺乏此类指导原则。因此,化药临床一部相关适应症小组经专业会讨论及中心内部定向征求意见,制定了《治疗间质性肺疾病的抗纤维化药物临床试验技术指导原则(征求意见稿)》。现将有关情况说明如下:

一、背景和目的

间质性肺疾病(ILD)是一组以肺泡单位炎症和间质纤维化为基本病变的异质性非肿瘤性和非感染性肺部疾病,包含多种累及肺间质(肺泡壁、血管周围组织)的弥漫性病变,病因涵盖环境暴露(例如,石棉)、自身免疫病(例如,系统性硬化)、药物毒性或感染等,其共同的病理特征是炎症和/或纤维化导致的肺结构破坏。

ILD的治疗包括免疫抑制剂、激素类药物、抗纤维化药

物，以及氧疗等支持性治疗，其中，抗纤维化药物主要用于进行性纤维化性间质性肺疾病（PF-ILD），包括特发性肺纤维化（IPF）。目前全球范围内批准用于PF-ILD的抗纤维化药物是吡非尼酮和尼达尼布，另有在研的新机制药物及结构优化型药物。

本指导原则重点针对治疗间质性肺疾病的抗纤维化药物III期试验的关键设计要素提出相关考虑（并未包含试验方案的全部设计要素），同时提出临床研究中的其他关注点，旨在规范此类药物的临床试验设计，提高研发的质量与效率。

二、起草过程

本指导原则已纳入 2025 年度中心指导原则制定计划，由化药临床一部牵头，自 2025 年 3 月启动。在部门指导原则小组内部进行了多次讨论，于 2025 年 7 月形成初稿。

2025 年 7 月，进一步完善初稿内容，经药审中心内部讨论，根据反馈意见进行修订。

2025 年 8 月 19 日召开部门技术委员会讨论，形成对外公开征求意见稿并报中心同意。

三、主要内容

本指导原则重点针对治疗间质性肺疾病的抗纤维化药物 III 期试验的关键设计要素提出相关考虑（并未包含试验方案的全部设计要素），同时提出临床研究中的其他关注点，旨在规范此类药物的临床试验设计，提高研发的质量与效率。

在“概述”部分，介绍了当前治疗间质性肺疾病的抗纤维化药物的研发进展，以及本指导原则的适用范围及撰写目的。

在“III 期试验的关键设计要素”部分，介绍了治疗间质性肺疾病的抗纤维化药物 III 期试验的关键设计要素的几个重点方面。

在“临床研究中的其他关注点”部分，介绍了治疗间质性肺疾病的抗纤维化药物研发中的一些特殊关注点的考虑。