

《儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则》

解读

药品审评中心

2022年3月8日

《关于发布化学药品注册分类改革工作方案的公告》 (2016年第51号)



国家药品监督管理局
National Medical Products Administration

中 En

请输入关键字



索引号	GGTG-2016-11040	主题分类
标题	总局关于发布化学药品注册分类改革工作方案的公告(2016年第51号)	
发布日期	2016-03-09	

总局关于发布化学药品注册分类改革工作方案的公告(2016年第51号)



发布时间: 2016-03-09

根据2015年11月4日第十二届全国人民代表大会常务委员会第十七次会议审议通过的《关于授权国务院在部分地方开展药品上市许可持有人制度试点和有关问题的决定》，国家食品药品监督管理总局制定了化学药品注册分类工作改革方案，已经国务院同意，现予以公告，并自公告发布之日起实施。

附件：化学药品注册分类改革工作方案

食品药品监管总局

2016年3月4日

 2016年第51号公告附件.doc

《关于发布化学药品注册分类改革工作方案的公告》 (2016年第51号)

2 类

改良型新药

指在已知活性成份的基础上，对其结构、剂型、处方工艺、给药途径、适应症等进行优化，且具有明显临床优势的药品。

注册分类	分类说明	包含的情形
2	境内外均未上市的改良型新药。	2.1 含有用拆分或者合成等方法制得的已知活性成份的光学异构体，或者对已知活性成份成酯，或者对已知活性成份成盐（包括含有氢键或配位键的盐），或者改变已知盐类活性成份的酸根、碱基或金属元素，或者形成其他非共价键衍生物（如络合物、螯合物或包合物），且具有明显临床优势的原料药及其制剂。
		2.2 含有已知活性成份的新剂型（包括新的给药系统）、新处方工艺、新给药途径，且具有明显临床优势的制剂。
		2.3 含有已知活性成份的新复方制剂，且具有明显临床优势。
		2.4 含有已知活性成份的新适应症的制剂。

《化学药品改良型新药临床试验技术指导原则》 (2020年12月30日)



国家药品监督管理局药品审评中心

CENTER FOR DRUG EVALUATION, NMPA

网站地图

联系我们

CD

请输入关键词

搜

当前位置：新闻中心>>工作动态>>通知公告>>新闻正文

国家药监局药审中心关于发布《化学药品改良型新药临床试验技术指导原则》的通告（2020年第54号）

发布日期：20201231

为鼓励我国改良新药的临床开发，在国家药品监督管理局的部署下，药审中心组织制定了《化学药品改良型新药临床试验技术指导原则》（见附件）。根据《国家药监局综合司关于印发药品技术指导原则发布程序的通知》（药监综药管〔2020〕9号）要求，经国家药品监督管理局审查同意，现予发布，自发布之日起施行。

特此通告。

国家药品监督管理局药品审评中心

2020年12月30日

化学药品改良型新药临床试验
技术指导原则

2020年12月

《儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则》 (2021年9月3日)



国家药品监督管理局药品审评中心

CENTER FOR DRUG EVALUATION, NMPA

网站地图

联系我们

CD

请输入关键词

搜

当前位置：新闻中心>>工作动态>>通知公告>>新闻正文

国家药监局药审中心关于发布《儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则（试行）》的通告 (2021年第38号)

发布日期：20210913

为解决临床儿童用药紧缺问题，鼓励药物研发者研发适宜儿童使用的剂型和规格等，在国家药品监督管理局的部署下，药审中心组织制定了《儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则（试行）》（见附件）。根据《国家药监局综合司关于印发药品技术指导原则发布程序的通知》（药监综药管〔2020〕9号）要求，经国家药品监督管理局审查同意，现予发布，自发布之日起施行。

特此通告。

附件：儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则（试行）

国家药监局药审中心

2021年9月3日

儿童用化学药品改良型新药临床试验
技术指导原则
(试行)

国家药品监督管理局
2021年9月

1

改良药

儿童药

化学药品改良型新药临床试验技术指导原则

儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则

化学药品改良型新药临床试验
技术指导原则

2020 年 12 月

? 改良对儿童药研发的意义
? 儿童对改良药研发的影响

儿童用化学药品改良型新药临床试验
技术指导原则
(试行)

国家药品监督管理局
2021 年 9 月

1

三批鼓励研发申报儿童药品清单 (2016年5月31日、2017年5月26日、2019年7月22日)

第一批

关于印发首批鼓励研发申报儿童药品清单的通知

发布日期：2016-06-01 来源

国卫办药政函〔2016〕573号

各省、自治区、直辖市卫生计生委（卫生局）、工业和信息化主管部门、食品药品监督管理局，新疆生产建设兵团卫生局、工业和信息化委、食品药品监督管理局：

根据中央全面深化改革领导小组办公室2016年重点改革任务分工安排，为深化医改，进一步做好保障儿童用药工作，促进儿童适宜品种、剂型、规格的研发创新和申报审评，满足儿科临床用药需求，国家卫生计生委、工业和信息化部、食品药品监管总局组织专家制定了《首批鼓励研发申报儿童药品清单》。现印发给你们，请推动相关工作。

国家卫生计生委办公厅 工业和信息化部办公厅
食品药品监管总局办公厅
2016年5月31日

第二批

关于印发第二批鼓励研发申报儿童药品清单的通知

发布日期：2017-05-21 来源

国卫办药政函〔2017〕528号

各省、自治区、直辖市卫生计生委（卫生局）、工业和信息化主管部门、食品药品监督管理局，新疆生产建设兵团卫生局、工业和信息化委、食品药品监督管理局：

为进一步落实国家卫生计生委等部门《关于保障儿童用药的若干意见》（国卫药政发〔2014〕29号）要求，促进儿童适宜品种、剂型、规格的研发创新和申报审评，满足儿科临床用药需求，国家卫生计生委、工业和信息化部、食品药品监管总局继续紧密围绕我国儿童疾病谱以及相关企业研发生产能力，组织专家制定了《第二批鼓励研发申报儿童药品清单》。现印发给你们，请推动相关工作。

国家卫生计生委办公厅 工业和信息化部办公厅
食品药品监管总局办公厅
2017年5月26日

第三批

关于印发第三批鼓励研发申报儿童药品清单的通知

国卫办药政函〔2019〕642号

各省、自治区、直辖市卫生健康委、工业和信息化主管部门、食品药品监督管理局，新疆生产建设兵团卫生健康委、工业和信息化委、市场监管管理局：

为进一步落实国家卫生健康委等部门《关于保障儿童用药的若干意见》（国卫药政发〔2014〕29号）要求，促进儿童适宜品种、剂型、规格的研发创新和申报审评，满足儿科临床用药需求，国家卫生健康委、工业和信息化部、国家药监局继续紧密围绕我国儿童疾病谱以及相关企业研发生产能力，制定了《第三批鼓励研发申报儿童药品清单》。现印发给你们，请推动相关工作。

附件：第三批鼓励研发申报儿童药品清单

国家卫生健康委办公厅 工业和信息化部办公厅
国家药监局综合司
2019年7月22日

三批鼓励研发申报儿童药品清单 (2016年5月31日、2017年5月26日、2019年7月22日)

剂型

第一
批

59.3%

序号	品种	剂型	规格
1	苯海索	口服制剂	0.4mg/ml
2	苯妥英钠	注射剂	50mg/ml (5ml)
3	地高辛	注射剂	0.05mg/ml (1ml)
4	地西洋	灌肠剂	1mg/ml
5	咪塞米	口服溶液	4mg/ml
6	氟哌啶醇	口服溶液	2mg/ml
7	卡托普利	口服溶液	5mg/ml
8	劳拉西泮	注射剂	2mg/ml (1ml)
9	氯硝西泮	口服溶液	0.1mg/ml
10	咪达唑仑	口腔黏膜溶液	5mg/ml(1ml)
11	尼莫地平	口服溶液	3mg/ml
12	普萘洛尔	口服溶液	1mg/ml
13	肾上腺素	注射剂	0.1mg/ml(1ml)
14	碳酸氢钠	注射剂	1.4%(100ml)
15	水合氯醛	口服溶液、口服混悬液或灌肠液	
16	二氯喹	口服溶液	50mg/ml (30ml)
17	长春碱 (长春花碱)	注射剂	1mg
18	苯丙氨酸氮芥 (马法兰)	注射剂	50mg
19	琥珀胆碱	口服混悬液	20mg/ml
20	华法林	口服混悬液	1mg/ml
21	熊去氧胆酸	口服混悬液	50mg/ml
22	左乙拉西坦	注射剂	500mg/5ml
23	异烟肼	糖浆剂	10mg/ml
24	柳氮磺吡啶	口服混悬液	50mg/ml
25	利福平	口服混悬液	20mg/ml
26	重组人甲状腺激素	注射剂	20ug
27	胰高血糖素	注射剂	1mg
28	多粘菌素 E	口服制剂	
29	胰岛素样生长因子-1	注射剂	10mg
30	双氢睾酮	注射剂	20mg
31	双氢睾酮	凝胶	80g
32	促皮质素 (ACTH)	注射剂	40IU, 80IU

序号	品种	剂型	规格
1	苯海索	口服制剂	0.4mg/ml
2	苯妥英钠	注射剂	50mg/ml (5ml)
3	地高辛	注射剂	0.05mg/ml (1ml)
4	地西洋	灌肠剂	1mg/ml
5	咪塞米	口服溶液	4mg/ml
6	氟哌啶醇	口服溶液	2mg/ml
7	卡托普利	口服溶液	5mg/ml
8	劳拉西泮	注射剂	2mg/ml (1ml)
9	氯硝西泮	口服溶液	0.1mg/ml
10	咪达唑仑	口腔黏膜溶液	5mg/ml(1ml)
11	尼莫地平	口服溶液	3mg/ml
12	普萘洛尔	口服溶液	1mg/ml
13	肾上腺素	注射剂	0.1mg/ml(1ml)
14	碳酸氢钠	注射剂	1.4%(100ml)
15	水合氯醛	口服溶液、口服混悬液或灌肠液	
16	二氯喹	口服溶液	50mg/ml (30ml)
17	长春碱 (长春花碱)	注射剂	1mg
18	苯丙氨酸氮芥 (马法兰)	注射剂	50mg
19	琥珀胆碱	口服混悬液	20mg/ml
20	华法林	口服混悬液	1mg/ml
21	熊去氧胆酸	口服混悬液	50mg/ml
22	左乙拉西坦	注射剂	500mg/5ml
23	异烟肼	糖浆剂	10mg/ml
24	柳氮磺吡啶	口服混悬液	50mg/ml
25	利福平	口服混悬液	20mg/ml
26	重组人甲状腺激素	注射剂	20ug
27	胰高血糖素	注射剂	1mg
28	多粘菌素 E	口服制剂	
29	胰岛素样生长因子-1	注射剂	10mg
30	双氢睾酮	注射剂	20mg
31	双氢睾酮	凝胶	80g
32	促皮质素 (ACTH)	注射剂	40IU, 80IU

三批鼓励研发申报儿童药品清单 (2016年5月31日、2017年5月26日、2019年7月22日)

剂型

第二批

序号	药品通用名	剂型	规格
1	胆法辛	缓释片	2mg
2	环磷酰胺	片剂	25mg
3	埃索美拉唑	颗粒剂	10mg
4	万古霉素	口服液体剂	125mg
5	乙酸丁醇	口服溶液剂	25mg/ml
6	吡嘧酮胺	口服溶液剂	30mg/ml
7	盐酸二甲双胍	口服溶液剂	100mg/ml
8	波生坦	片剂	20mg
9	多佐胺+噻吗洛尔	滴眼剂	噻吗洛尔 5mg/ml, 多佐胺 20mg/ml
10	氯巴占	片剂	10mg
11	甲基苯胍	胶囊剂	50mg
12	抗 D 免疫球蛋白	注射用无菌粉末	500IU
13	氯己烯酸	散剂	500mg
14	艾司洛尔	片剂	50mg
15	氯氮平	口服混悬剂	50mg/ml
16	美司钠	片剂	200mg
17	奥美拉唑	口服溶液剂	2mg/ml
18	美沙拉嗪	栓剂	500mg
19	去氧加压素	口服溶液剂	360μg/ml
20	硫唑嘌呤	鼻用喷雾剂	10μg/瓶
21	阿托品	注射用无菌粉末	50mg
22	红霉素	滴眼剂	0.10%
23	巴氯芬	口服溶液剂	40mg/ml
24	巴氯芬	口服溶液剂	1mg/ml
25	氯氮地平	口服混悬剂	1mg/ml
26	骨化三醇	口服溶液剂	1μg/ml
27	羧基腺	片剂	100 mg
28	磺胺甲噁唑+甲氧苄啶	注射液	磺胺甲噁唑 80mg/ml, 甲氧苄啶 16mg/ml
29	氟氯可的松	口服液体剂	适宜规格
30	吸入一氧化氮	吸入气体	适宜规格
31	布洛芬赖氨酸盐	注射液	2ml:10mg/ml
32	依库珠单抗	注射液	10mg/ml
33	制霉菌素	糊剂 (口腔黏膜用)	适宜规格
34	阿替卡因	注射用无菌粉末 (低渗透压)	13.3mg
35	生物素	片剂	5mg
36	维拉昔酮a	注射用无菌粉末	400IU
37	塞内酯	片剂	50mg
38	塞内酯	缓释片	2mg
39	二巯基丁二钠	片剂	100mg
40	活性炭	口服混悬剂	208mg/ml

47.5%

序号	药品通用名	剂型	规格
1	胆法辛	缓释片	2mg
2	环磷酰胺	片剂	25mg
3	埃索美拉唑	颗粒剂	10mg
4	万古霉素	口服液体剂	125mg
5	乙酸丁醇	口服溶液剂	25mg/ml
6	吡嘧酮胺	口服溶液剂	30mg/ml
7	盐酸二甲双胍	口服溶液剂	100mg/ml
8	波生坦	片剂	20mg
9	多佐胺+噻吗洛尔	滴眼剂	噻吗洛尔 5mg/ml, 多佐胺 20mg/ml
10	氯巴占	片剂	10mg
11	甲基苯胍	胶囊剂	50mg
12	抗 D 免疫球蛋白	注射用无菌粉末	500IU
13	氯己烯酸	散剂	500mg
14	艾司洛尔	片剂	50mg
15	氯氮平	口服混悬剂	50mg/ml
16	美司钠	片剂	200mg
17	奥美拉唑	口服溶液剂	2mg/ml
18	美沙拉嗪	栓剂	500mg
19	去氧加压素	口服溶液剂	360μg/ml
20	硫唑嘌呤	鼻用喷雾剂	10μg/瓶
21	阿托品	注射用无菌粉末	50mg
22	红霉素	滴眼剂	0.10%
23	巴氯芬	口服溶液剂	40mg/ml
24	巴氯芬	口服溶液剂	1mg/ml
25	氯氮地平	口服混悬剂	1mg/ml
26	骨化三醇	口服溶液剂	1μg/ml
27	羧基腺	片剂	100 mg
28	磺胺甲噁唑+甲氧苄啶	注射液	磺胺甲噁唑 80mg/ml, 甲氧苄啶 16mg/ml
29	氟氯可的松	口服液体剂	适宜规格
30	吸入一氧化氮	吸入气体	适宜规格
31	布洛芬赖氨酸盐	注射液	2ml:10mg/ml
32	依库珠单抗	注射液	10mg/ml
33	制霉菌素	糊剂 (口腔黏膜用)	适宜规格
34	阿替卡因	注射用无菌粉末 (低渗透压)	13.3mg
35	生物素	片剂	5mg
36	维拉昔酮a	注射用无菌粉末	400IU
37	塞内酯	片剂	50mg
38	塞内酯	缓释片	2mg
39	二巯基丁二钠	片剂	100mg
40	活性炭	口服混悬剂	208mg/ml

三批鼓励研发申报儿童药品清单 (2016年5月31日、2017年5月26日、2019年7月22日)

剂型

第三批

61.8%

序号	药品通用名	剂型	规格
1	地西洋	口服溶液剂	1mg/ml, 100ml
2	利多卡因	喷雾剂	10mg/瓶, 50ml
3	螺内酯	口服溶液剂	1mg/ml, 5ml
4	西地那非	口服混悬剂	10mg/ml, 112ml
5	依那普利	口服溶液剂	1mg/ml, 150ml
6	索他洛尔	口服溶液剂	1mg/ml
7	双嘧达莫	口服混悬剂	10mg/ml
8	蛋白C	注射剂	500 IU
9	氯吡格雷	口服混悬剂	1mg/ml, 50ml
10	XIII 因子	注射剂	250 IU
11	四氢生物蝶呤	片剂	20mg、100mg
12	无水甜菜碱	散剂	180g
13	他克莫司	颗粒剂	0.2mg、1mg
14	阿那白滞素	注射剂	100mg/0.67ml
15	乙酰胺	糖浆剂	100ml:5g
16	舒喘喘	片剂	100mg
17	盐酸右美托咪定	鼻用喷雾剂	1.0g:200µg
18	阿司匹林	口服溶液剂 (或口服混悬剂、口服乳剂)	5mg/ml
19	后叶加压素	注射剂	20IU/ml
20	Ataluren	颗粒剂	125mg
21	羧酮	注射剂	100mg/ml, 10ml
22	伏立康唑	口服混悬剂	40mg/ml
23	磺胺甲噁唑+甲氧苄啶	口服混悬剂	200mg/ml (磺胺甲噁唑); 40mg/ml (甲氧苄啶), 5ml
24	吗替麦考酚酯	口服混悬剂	200mg/ml, 175ml
25	硫酸曲恩汀	胶囊剂	250mg
26	吡斯的明	注射剂	1mg/ml
27	缬沙坦	口服溶液剂	3mg/ml, 160ml
28	奎尼丁	口服溶液剂 (或口服混悬剂、口服乳剂)	1mg/ml
29	苯丁酸钠	片剂	500mg
30	甲硝唑	口服溶液剂	40mg/ml, 5ml
31	胺碘酮	口服混悬剂	1mg/ml, 100ml
32	苯乙酸钠+苯甲酸钠	注射剂	100mg/ml (苯乙酸钠); 100mg/ml (苯甲酸钠), 50ml
33	曲普瑞林	注射剂	11.25mg
34	奈拉滨	注射剂	250mg

序号	药品通用名	剂型	规格
1	地西洋	口服溶液剂	1mg/ml, 100ml
2	利多卡因	喷雾剂	10mg/瓶, 50ml
3	螺内酯	口服溶液剂	1mg/ml, 5ml
4	西地那非	口服混悬剂	10mg/ml, 112ml
5	依那普利	口服溶液剂	1mg/ml, 150ml
6	索他洛尔	口服溶液剂	1mg/ml
7	双嘧达莫	口服混悬剂	10mg/ml
8	蛋白C	注射剂	500 IU
9	氯吡格雷	口服混悬剂	1mg/ml, 50ml
10	XIII 因子	注射剂	250 IU
11	四氢生物蝶呤	片剂	20mg、100mg
12	无水甜菜碱	散剂	180g
13	他克莫司	颗粒剂	0.2mg、1mg
14	阿那白滞素	注射剂	100mg/0.67ml
15	乙酰胺	糖浆剂	100ml:5g
16	舒喘喘	片剂	100mg
17	盐酸右美托咪定	鼻用喷雾剂	1.0g:200µg
18	阿司匹林	口服溶液剂 (或口服混悬剂、口服乳剂)	5mg/ml
19	后叶加压素	注射剂	20IU/ml
20	Ataluren	颗粒剂	125mg
21	羧酮	注射剂	100mg/ml, 10ml
22	伏立康唑	口服混悬剂	40mg/ml
23	磺胺甲噁唑+甲氧苄啶	口服混悬剂	200mg/ml (磺胺甲噁唑); 40mg/ml (甲氧苄啶), 5ml
24	吗替麦考酚酯	口服混悬剂	200mg/ml, 175ml
25	硫酸曲恩汀	胶囊剂	250mg
26	吡斯的明	注射剂	1mg/ml
27	缬沙坦	口服溶液剂	3mg/ml, 160ml
28	奎尼丁	口服溶液剂 (或口服混悬剂、口服乳剂)	1mg/ml
29	苯丁酸钠	片剂	500mg
30	甲硝唑	口服溶液剂	40mg/ml, 5ml
31	胺碘酮	口服混悬剂	1mg/ml, 100ml
32	苯乙酸钠+苯甲酸钠	注射剂	100mg/ml (苯乙酸钠); 100mg/ml (苯甲酸钠), 50ml
33	曲普瑞林	注射剂	11.25mg
34	奈拉滨	注射剂	250mg

三批鼓励研发申报儿童药品清单

(2016年5月31日、2017年5月26日、2019年7月22日)

剂型

适宜剂型的总占比**超过50%**

在满足迫切临床需求的基础上，**优选**儿童适宜剂型

临床迫切需求



儿童适宜剂型



鼓励研发申报

药品注册管理办法

第三节 优先审评审批程序

第六十八条 药品上市许可申请时，以下具有明显临床价值的药品，可以申请适用优先审评审批程序：（二）符合**儿童**生理特征的儿童用药品**新品种、剂型和规格**；

《药品上市许可优先审评审批工作程序（试行）》

3. 符合儿童生理特征的儿童用药品新品种、剂型和规格。

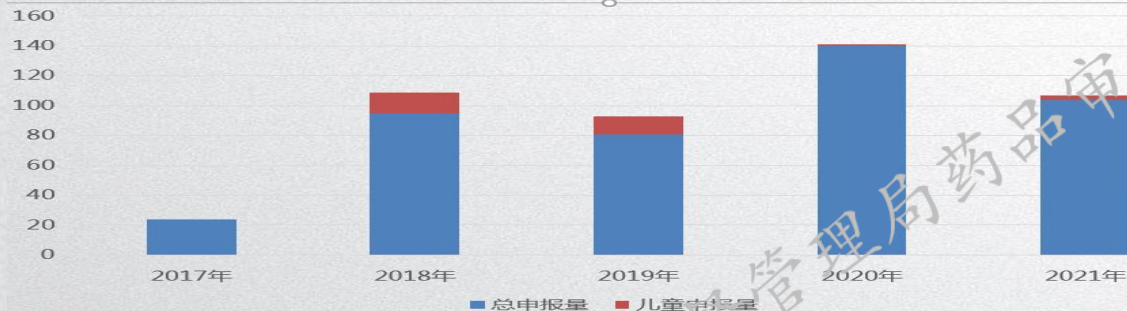
（1）对于新品种，应当满足以下任一条件：①针对严重威胁儿童生命或者影响儿童生长发育，且目前无有效治疗药物或治疗手段的疾病；②相比现有上市药品，具有明显治疗优势；

（2）对于新剂型，应当同时满足以下两个条件：①现有上市剂型的药品说明书中包含有明确的儿童适应症和儿童用法用量信息；②现有上市剂型均不适用于儿童人群，新剂型属于儿童人群适宜剂型；

（3）对于新规格，应当同时满足以下两个条件：①现有上市规格的药品说明书中包含有明确的儿童适应症和儿童用法用量信息；②现有上市规格均不适用于儿童人群，新规格适于儿童人群使用；

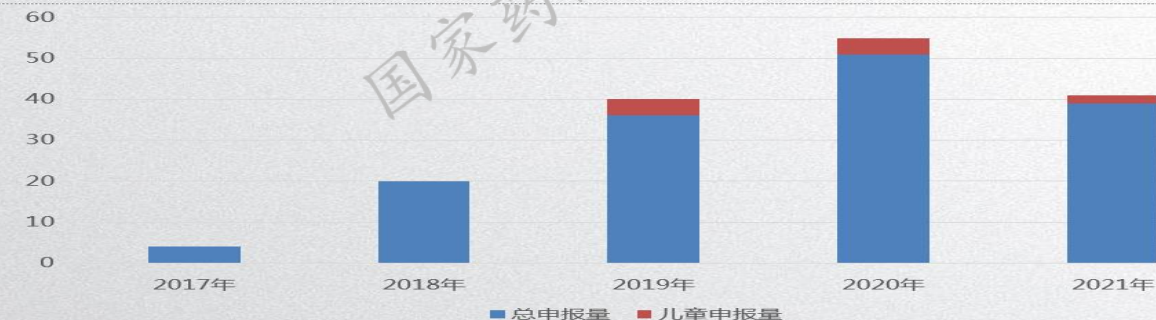
此外，根据国家卫生健康委员会等部门公布的《鼓励研发申报儿童药品清单》等文件，对于明确为市场短缺且鼓励研发申报的儿童用药品实行优先审评审批。

改良IND申报中儿童相关占比



儿童相关改良IND
申报占比约7%

改良NDA申报中儿童相关占比



儿童相关改良NDA
申报占比约6%

改良药

儿童药

化学药品改良型新药临床试验技术指导原则

儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则

化学药品改良型新药临床试验
技术指导原则

2020年12月

? 改良对儿童药研发的意义

应用端迫切需要

研发端重视不足

? 儿童对改良药研发的影响

儿童用化学药品改良型新药临床试验
技术指导原则
(试行)国家药品监督管理局
2021年9月

1

改良药

儿童药

化学药品改良型新药临床试验技术指导原则

儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则

化学药品改良型新药临床试验
技术指导原则

2020年12月

? 改良对儿童药研发的意义

应用端迫切需要

儿药短缺

品种少

剂型不合适

无儿童适应症

分割困难

研发端重视不足

? 儿童对改良药研发的影响

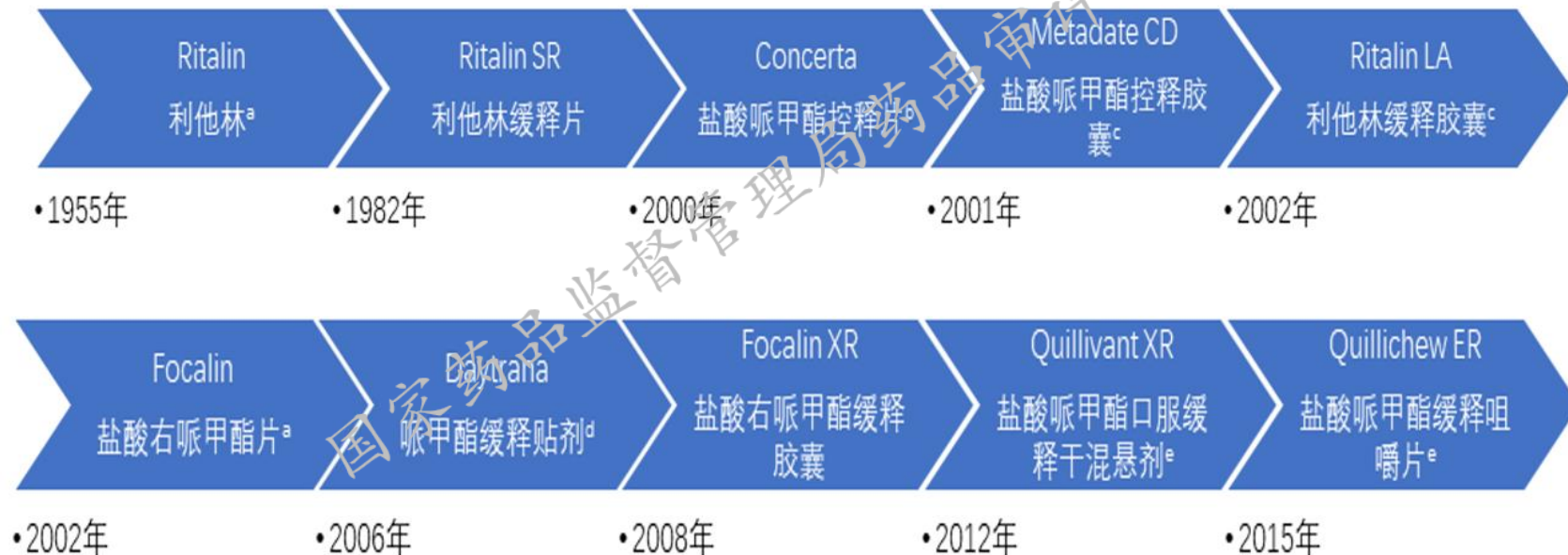
儿童用化学药品改良型新药临床试验
技术指导原则
(试行)国家药品监督管理局
2021年9月

1

咪达唑仑



哌甲酯



求多求全

没有啥剂型，就代表缺啥剂型，就开发啥剂型

- ≥ 12 岁儿童X病，已有片剂上市，申请开发咀嚼片
- 滴剂？ or 口服溶液？
- ...

求新求变

为了不同，而不同...在缺乏临床实际意义的方面进行“创新”

- 装量：口服溶液瓶装量
- 包装：仍需分割的小包装
- 口感：过分个体化的口感
- ...

老药的局限

围绕上市多年的老药循环往复，忽略新药在成人适应症后扩展儿童应用

- 成人——>儿童
- 大龄儿童——>低龄儿童
- A儿童——>B儿童
- ...

常见病的局限

围绕儿童常见病循环往复，忽略非常见但有需要的儿童应用

- 常见：抗过敏、祛痰、退热、消化...
- 非常见：麻醉、镇痛、循环、免疫...

改剂型的局限

局限在已有儿童适应症产品的改剂型，忽略其他有意义的改良

- 共患病药品，已批准成人适应症，增加儿童应用？
- 已批准儿童应用，扩展年龄段？
- 已批准儿童应用，优化剂量方案？
- ...

单一维度改良的局限

局限在某一特征的改进，忽略全面适用性目的

- 适应症、剂型、途径、规格、口感等的整体适用性
(疾病-人群特征-给药途径-剂型-规格-口感——>改良设计)

“删除成人，保留儿童”

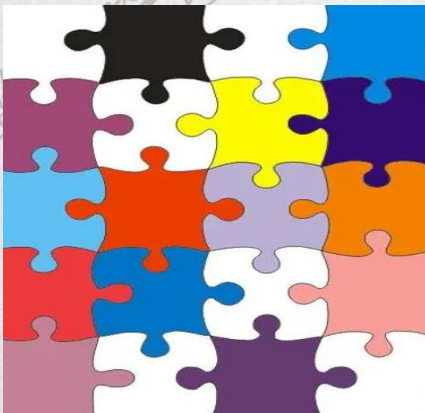
在成人+儿童制剂基础上，采用“删除成人，保留儿童”的方式

国家药品监督管理局药品审评中心

进行恰到好处的补充，满足临床需要的适宜



X



X

共识性需求、时效性价值

保护和促进公众健康

《儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则》

(2021年9月3日)

二、常见改良情形

(一) 开发/扩展儿童应用

1. 由成人应用扩展至儿童应用
2. 扩展新的儿童应用范围

(二) 改良儿童制剂

1. 改变剂型
2. 改变规格

《儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则》

(2021年9月3日)

三、临床研究设计考虑

(一) 基本原则

(二) 具体考虑

1. 开发/扩展儿童应用

2. 改良儿童制剂

《儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则》

(2021年9月3日)

四、需关注的问题

- (一) 改良制剂的临床优势评价
- (二) 多目标同时优化制剂特征
- (三) 新复方的开发
- (四) 特殊或复杂剂型的考虑
- (五) 鼓励沟通交流

问题1：临床价值与改良立题

具象临床价值：临床用药中存在问题？

与药物相关的问题是什么？

药物相关问题是否必须通过改良来解决？

可以通过何种改良方式解决药物相关问题？

具象临床价值的过程就是支持改良立题合理性的依据

问题1：临床价值与改良立题

具象临床价值：儿童发育时期长
特征变化跨度大
舒适感和接受度要求高

临床需求更细化

改良立题空间更大

调研越充分，定位越准，立题越牢

具象临床价值的过程就是支持改良立题合理性的依据

问题2：支持改良的临床研究思路

临床研究思路：围绕立题，明确研究问题

针对研究问题，考虑研究策略（如何回答问题？）

充分利用已有研究数据（成人、大龄、文献...）

充分利用disease-dose-exposure-response(**D-D-E-R**)桥梁

遵循“问题导向”“高效节约”的临床研究思路

问题2：支持改良的临床研究思路

D-D-E-R桥梁： D-D-E-R = D-D-E-R

无需新研究证据（规格、口感...）

D-D-E-R -> D-**D**-E-R

BA/BE研究证据（提高利用度...）

D-D-E-R -> D-**D-E**-R

BA/BE研究证据（缓控释...）

D-D-E-R -> **D-D-E-R**

新的临床研究证据（扩展适应症、人群）

D-D-E-R -> D-**D-E-R**

新的临床研究证据（新途径提高效应）

遵循“问题导向”“高效节约”的临床研究思路

问题3：改良时点

改良时点：已上市药品
创新药

根据临床需要，有针对性开发

配合儿童临床研究计划（扩展儿童、剂型）

- 成人适应症批准后
- 成人适应症研究中

“查漏补缺”与“未雨绸缪”

问题3：改良时点

改良时点：已上市药品

创新药

已上市药品

创新药

已上市药品

创新药

“查漏补缺”与“未雨绸缪”

- ！明确具备改良条件的情形，“从临床中来，到临床中去”
- ！明确研究思路建议，“思路一致性，设计个体化”
- ！鼓励沟通，减少误区，降低无效投入

国家药品监督管理局药品审评中心

- ！ 鼓励有临床价值的改良
- ！ 鼓励通过合理改良，解决临床困境，提高便利性和舒适度
- ！ 丰富儿药市场，保障疗效和安全

国家药品监督管理局药品审评中心

！ 儿童健康关系全人类的未来

！ 丰富优质的儿童可用药是医药卫生市场繁荣的象征

！ 药品创新研发的快车不应只载成人

国家药品监督管理局药品审评中心

感谢！

国家药品监督管理局药品审评中心