

# 《药物临床试验申请临床评价技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

## 一、起草目的

临床研发是药物创新的关键环节，临床整体研发计划和临床试验设计的科学性对药物有效性和安全性充分评价至关重要。为了进一步提升药物临床研发的效率和临床试验的科学设计，本指导原则对药物临床试验申请时临床评价的关键技术考虑提出具体建议，以期供申请人、研究者和监管机构参考。

## 二、起草过程

本指导原则由药品审评中心化药临床二部牵头，起草工作自 2025 年 2 月启动，指导原则核心工作组内部定期开会讨论，2025 年 7 月形成初稿。2025 年 8 月 27 日部门技术委员会审议通过并形成征求意见稿。

## 三、起草思路

本指导原则起草过程中，详细梳理了药物临床试验申请时临床评价的关键技术考虑，并借鉴参考了国内外监管机构、ICH 等发布的相关指导原则、已形成的《化学药品及治疗用生物制品临床试验申请临床专业审评报告撰写规范》等内部资料。

## 四、主要内容

本指导原则分为四个章节，包括概述、总体考虑、临床评价的主要内容和参考文献。主要内容包括：

“概述”部分主要介绍了本指导原则制定的背景目的及其适用范围。

“总体考虑”部分介绍了临床试验申请时临床评价的整体思路。

“临床评价的主要内容”是本指导原则的核心，系统阐述药物临床试验申请时临床评价的关键技术考虑，并对临床需求评估、前期研究数据评价、研发计划和临床试验方案的评价、临床试验规范及相关风险控制、临床试验过程中安全性评估等评价关注点进行了详细描述。

## **五、其他需要说明事项**

本指导原则中，对于“（四）临床试验方案评价”主要包括 I 期临床试验方案及 II/III 期临床试验方案的评价考量。在对 II/III 期临床试验方案的评价中，强调了在启动 III 期临床试验前，应评价研究药物所有已开展的临床试验数据，并应关注支持 III 期临床试验的前期证据是否充分，该部分已包括对 II 期临床试验方案及结果评价的要求，同时考虑 II 期和 III 期临床试验方案评价相近，故予以合并未再单独列出 II 期临床试验方案评价考虑。