

# 《中药复方制剂新药研发人用经验收集整理技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

## 一、起草目的

人用经验是“三结合”中药注册审评证据体系的重要环节。如何产生可评价的人用经验、怎样收集整理人用经验数据，对于筛选确定临床有效处方、合理利用人用经验支持后续研发及决策至关重要，也是目前中医药学术界、工业界关注的热点问题。

本指导原则旨在进一步阐明人用经验在中药研发全过程中对研发决策和注册上市的作用，打通具有中药特点的“三结合”研发新路径，从实操层面进一步指导申请人如何运用“三结合”中药注册审评证据体系在中医临床实践过程中规范收集和整理人用经验，采用科学、合理的研究方法挖掘适用人群、剂量疗程、疗效特点和临床获益等信息，说明白、讲清楚中医药的疗效，形成支持药物研发决策的依据，促进名医验方、医疗机构中药制剂等向中药新药转化。

## 二、起草过程

本指导原则于 2023 年立项启动，药审中心围绕人用经验收集整理过程中存在的问题并对审评实践中遇到的案例进行了全面梳理并多次进行了专题调研、座谈和研讨，通过反复讨论明确了本指导原则起草的意义、目的和方向，并汇

集学术界知名专家力量完成了稿件的起草，并于 2024 年 10 月首次对外公开征求意见。

随着中药审评机制改革的不断深入和审评实践的积累，结合公开征求意见和后续会议讨论过程中学术界、工业界和监管三方专家意见等对稿件内容进一步修改完善。经定向征求意见和中心内部征求意见，现拟再次公开征求意见。

### 三、起草思路

本指导原则基于《中药注册管理专门规定》的相关要求，在《基于人用经验的中药复方制剂新药临床研究指导原则（试行）》的基础上，进一步明确人用经验收集整理的目的，提出人用经验收集整理的步骤、基本方法和需要关注的问题，提供人用经验收集整理的一般性方法学指引。

### 四、主要内容

#### （一）主要内容

本指导原则基于当前中药研发实际和审评实践经验，从筛选确定临床有效处方、开展人用经验研究前的初步评估、规范收集整理人用经验数据和对人用经验的整理总结四个方面，强调了“三结合”中药注册审评证据体系下的中药新药研发应当基于中医临床实践的积累、探索、挖掘和总结，阐明了人用经验收集整理的全过程，明确了各环节需要关注的重点问题。

#### （二）主要特点

一是本指导原则是基于当前的中医临床实践及对人用经验收集整理的基本认识而制定，旨在为中药研发过程中如何基于临床实践数据形成可评价的人用经验提供指导。

二是基于中药复方制剂研发的规律和特点，强调中药新药的处方应当来源于中医药理论指导下的临床实践，支持临床医生基于当前未被满足的临床需求，在临床实践中不断总结证治规律，不断验证、优化处方，并不断探索该处方的临床定位、适用人群、用药剂量、疗效特点和临床获益。

三是强调在开展人用经验研究前，应当在对处方组成所依据的中医药理论和中医临床实践情况进行充分分析挖掘，在处方固定后对其临床定位的明确性、数据的适用性和可靠性、药学关键信息等进行初步评估，厘清开展人用经验收集整理的目的和需要在人用经验收集整理过程中进一步探索或挖掘的关键问题，为后续收集整理人用经验奠定基础，为研发决策提供支持依据。

四是提出了人用经验的收集整理应当基于拟解决的关键临床问题，通过适宜的方法开展研究。特别强调了用于支持注册申请的人用经验不是前置的Ⅱ期临床试验，无需照搬药物临床试验的设计与方法。

五是明确了应当基于临床定位等关键临床问题，对人用经验形成过程中所获得的临床实践数据进行全面、系统地总结。

## 五、需要说明的问题

对于人用经验收集整理的具体研究方法，目前学术界、工业界尚缺乏共识，本指导原则仅提供了人用经验收集整理的一般性方法学指导，未对研究设计和方法进行具体的限定，鼓励研究者探索符合中医药特点的新工具、新方法。对于研发过程中的具体问题，申请人可按照相关程序与监管机构进行沟通交流。随着实践经验的不断积累和相关法规的更新，本指导原则将随之更新。