

《神经病理性疼痛治疗药物临床试验技术指导原则 (征求意见稿)》起草说明

一、背景和目的

神经病理性疼痛(NP)是损伤或疾病影响到躯体感觉神经系统所引起的一种慢性疼痛,临床表现多样(如烧灼痛、电击样痛),常伴随焦虑、抑郁、睡眠障碍、疲劳等症状。基于损伤或疾病的解剖位置,神经病理性疼痛可分为周围神经病理性疼痛和中枢神经病理性疼痛。随着社会的发展,舒适医疗的临床需求日益显著,研发治疗神经病理性疼痛的药物逐渐成为热点。

近年来,境外有多个新靶点的疼痛药物获批,国内也陆续开展了相关新药的研发,但我国尚无针对性的技术指导原则。为规范和指导神经病理性疼痛治疗药物临床试验,提高研发质量与效率,药品审评中心组织起草了《神经病理性疼痛治疗药物临床试验技术指导原则(征求意见稿)》,重点针对III期试验的关键设计要素提出相关考虑,为神经病理性疼痛治疗药物的临床研发和评价提供参考。

二、起草过程

(一) 起草前期调研论证情况

国内外相关指导原则发布情况:2006年欧洲药品管理局(EMA)发布了《神经病理性疼痛治疗药物的临床研究指导原则(草案)》,并于2016年发布了《疼痛治疗药物临床研

发指导原则》。目前，国内尚未发布针对神经病理性疼痛治疗药物的临床试验技术指导原则，仅于 2014 年在中国临床药理学杂志发表过一篇题为《神经病理性疼痛药物的临床研究设计考虑要点》的文章。

在起草本指导原则前，工作组还系统调研了国内外神经病理性疼痛的疾病流行病学现状、现有治疗手段及未满足的临床需求；神经病理性疼痛治疗领域已上市药物的临床研发经验；在研药物的最新临床进展。

（二）指导原则制定或修订情况

本指导原则由药品审评中心化药临床一部牵头，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 5 月形成初稿。2025 年 7 月 30 日工作组就重点关注内容召开专家咨询会征求专家和业界的意见，对指导原则进一步修订完善。2025 年 8 月 18 日完成中心内部征求意见，2025 年 8 月 19 日部门技术委员会审议通过，形成公开征求意见稿。

三、起草思路

在现有法律法规框架下，借鉴国内及 ICH 等国外相关法规和指导原则，并结合以下资料起草本指导原则：EMA 发布的神经病理性疼痛相关指导原则，国内外神经病理性疼痛诊疗指南，已批准药物的临床研发经验（如普瑞巴林、苯磺

酸美洛加巴林、苯磺酸克利加巴林)和在研药物(如 VX-548)的临床进展的文献资料。

四、主要内容与说明

本指导原则分为六部分，包括概述、研发策略及试验设计的基本原则、III 期试验的关键设计要素、临床研究中的其他关注点、参考文献、附录。主要内容如下：

(一) 概述

主要介绍了神经病理性疼痛的定义、分类（周围性和中枢性）、常见疾病模型（如带状疱疹后神经痛 PHN、糖尿病性周围神经病理性疼痛 DPNP）及治疗现状，并提出了本指导原则的制定目的及适用范围。

(二) 研发策略及试验设计的基本原则

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。

(三) III 期试验的关键设计要素

该部分是本指导原则的核心，重点阐述了试验的总体设计、受试者选择、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。

(四) 临床研究中的其他关注点

针对研发中可能遇到的特定问题提出了相关建议，包括：试验数据外推、阳性对照选择、观察药物快速起效作用的策略、老年人群和儿童临床试验的总体考虑以及药品说明书（特别是【适应症】和【用法用量】条目）的起草原则。