

《药物上市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

药物上市申请临床评价是创新药全生命周期获益-风险评估的关键环节。为更好地指导评价者对药物上市申请中临床安全性、有效性、获益-风险进行科学、规范、高效的评价，让申请人了解临床评价的关键考虑，指导申请人科学研究，药品审评中心组织起草了《药物上市申请临床评价技术指导原则(征求意见稿)》，以期促进有临床价值的新药研发上市。本指导原则提供了不同疾病领域在探索其未被满足的临床需求时所遵循的共同原则，将药物上市所必须开展的有效性、安全性评价的循证逻辑链加以结构化，并把各个结构单元采集、分析数据和相关信息的要求以及相关的关系加以明确。

二、起草过程

为保障本技术指导原则顺利完成，本指导原则由化药临床二部负责制定，成立了起草小组并制定了工作方案、根据工作方案有序开展工作。本项工作自2025年2月启动，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，对指导原则进一步修订完善后形成征求意见稿。

三、起草思路

本指导原则详细梳理了新药上市申请临床审评过程中关注的要素、评价逻辑、如何进行获益-风险评估等关键技术问题，参考了ICH的相关指南、欧美有关评价机构的临床评价指南，以及国家药监局药审中心发布的《新药获益-风险评估技术指导原则》、《新药临床安全性评价技术指导原则》、《药物暴露-效应关系研究技术指导原则》等相关指导原则，并借鉴已形成的《化药及生物制品新药上市申请（NDA）临床专业审评报告撰写规范》等内部资料。

四、主要内容

本指导原则分为五个章节，包括概述、适用范围、申报背景信息、临床评价和总体评价。本指导原则用于新药上市申请临床评价工作，内容包括完整评价报告的结构、内容、方法和标准。其中，临床评价的内容有伦理和临床试验规范、临床试验数据源、其它学科与安全性和有效性相关的重要问题、有效性评价、安全性评价、上市后经验、获益-风险评价以及说明书审核。总体评价为与注册申请事项相关的关键信息，并对评价结论及处理建议进行简要阐述。