

《抑郁障碍治疗药物临床试验技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

因现有的抑郁障碍治疗药物存在起效慢、不良反应多及长期用药疗效不明显等问题，全球抑郁障碍治疗药物的研发已进入探索可快速及精准治疗特定类型的抑郁障碍阶段。境内外已有数个治疗伴自杀抑郁、难治性抑郁及产后抑郁的新药获批上市。因此，化药临床一部相关适应症小组经专业会讨论及中心内部定向征求意见，在已发布的抑郁障碍治疗药物指导原则基础上，重新修订了《抑郁障碍治疗药物临床试验技术指导原则（征求意见稿）》。现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

抑郁障碍治疗药物III期试验中使用的主要疾病模型是抑郁症（MDD）。

心境低落是抑郁症（MDD）患者的核心症状，抑郁症（MDD）治疗的首要目标是改善患者对自身情绪的痛苦感受。因此，III期试验的研究目的应与疾病特征及临床治疗目标一致，在试验中采用测量患者体验的量表作为工具，以治疗前后的量表评分变化为疗效指标，评估药物治疗效果，证明药物所产生的治疗效果足以让患者自身察觉到，从而体现药物的治疗价值。

通常，有效性评估的主要研究证据来自至少两项独立III期试验，II期阶段的临床研究结果可以作为支持性证据。如果

已有多个相同/相似药理机制的药物通过科学系统的研究证明了对抑郁症（MDD）的有效性和安全性，临床实际使用后的获益风险比并未发生明显改变，后续药物的临床研究策略可以着重在提供差异化的有临床意义的创新证据、提供额外临床获益的证据，包括有效性、安全性、便利性、特殊人群适用性等方面。

本指导原则重点针对抑郁障碍治疗药物III期试验的关键设计要素提出相关考虑（并未包含试验方案的全部设计要素），同时提出临床研究中的其他关注点，旨在规范此类药物的临床试验设计，提高研发的质量与效率。

二、起草过程

本指导原则由化药临床一部牵头，自 2025 年 3 月启动。在部门指导原则小组内部进行了多次讨论，于 2025 年 7 月形成初稿。

2025 年 7 月，进一步完善初稿内容，经药审中心内部讨论，根据反馈意见进行修订。

2025 年 8 月 19 日召开部门技术委员会讨论，形成对外公开征求意见稿并报中心同意。

三、主要内容

在“概述”部分，介绍了当前抑郁障碍治疗药物的研发进展，以及本指导原则的适用范围及撰写目的。

在“III 期试验的关键设计要素”部分，介绍了抑郁障碍治

疗药物 III 期试验的关键设计要素的几个重点方面。

在“临床研究中的其他关注点”部分，介绍了抑郁障碍治疗药物研发中的一些特殊关注点的考虑。