

## 附件3

# 《晚期前列腺癌临床试验终点技术指导原则 (征求意见稿)》起草说明

### 一、背景和目的

前列腺癌是常见的泌尿系统恶性肿瘤，和其他实体瘤相比具有独特的疾病特征，如按照对雄激素剥夺治疗的敏感性及是否转移分为不同疾病阶段、有高发骨转移及血清生物标志物PSA等，临床试验终点有特殊的定义及考量，国内现行指导原则不能涵盖。

针对不同疾病阶段的晚期前列腺癌患者，如何选择合适的临床试验终点，科学客观的评价药物的临床价值，节约研发时间，让患者及早获得有效治疗，是目前亟需解决的重要问题，因此我中心起草了《晚期前列腺癌临床试验终点技术指导原则（征求意见稿）》供业界参考。

### 二、起草过程

本指导原则于2020年立项，自2021年5月启动，2021年9月形成初稿，经中心内部讨论，征求部分企业及临床专家的意见，部门技术委员会审核，形成征求意见稿。

### 三、主要内容与说明

晚期前列腺癌具有独特的疾病特征，疗效评价终点和其它实体肿瘤不同，本指导原则旨在系统阐述前列腺癌特有终

点如rPFS、MFS、BOR、PSA90等指标的定义及影响因素，以及在不同临床研发阶段如何进行选择和评价。

第一部分前言阐述了指导原则的撰写背景、主要目的和适用范围。第二部分整体考虑部分介绍了前列腺癌的多个终点指标，包括基于生存期和影像学检查的终点、基于PSA水平的终点、基于骨转移相关事件和肿瘤相关症状评估的终点、探索性终点指标。第三部分撰写临床研究终点选择考虑，包括早期研究及关键临床研究终点如何选择及评价。第四部分其他关注的要点包括随着新的诊断方法如PSMA-PET的发展，终点指标的评价可能变化，建议加强沟通和合作。