

# 治疗常染色体显性多囊肾病研究中生物标志物-肾脏总体积的 资格认证 行业指南草案

本指南草案，一旦定稿，将代表食品药品监督管理局（FDA 或机构）对这一主题的现有见解。它没有创造或赋予任何人任何权利，也不会约束 FDA 或公众。如果有方法能够满足适当的法令和法规的要求，您可以使用替代的方法。如果您想讨论替代的方法，请联系药物评价和研究中心（CDER）生物标志物认定程序（电子邮箱：CDER-BiomarkerQualificationProgram@fda.hhs.gov）。

**药物研发工具（DDT）类型：生物标志物**

**参比生物标志物：肾脏总体积（TKV）**

TKV 定义为左右肾脏体积之和。

## I. 指南摘要

### A. 指南的目的

本指南草案为治疗常染色体显性多囊肾病（ADPKD）研究中生物标志物 TKV 提供了合格的使用背景（COU）。本指南草案也对该生物标志物合格通过 CDER 生物标志物认定程序的试验条件和限制进行了说明。药物研究人员可以在没有相关 CDER 检查组重新考虑和确认生物标志物的适用性条件下，使用该生物标志物在合格 COU 进行新药临床申请（IND）、新药申请（NDA）和生物制品许可申请（BLA）。

### B. 指南的应用

本指南适用于治疗 ADPKD 研究中 TKV 的使用。它不改变任何监管状态、决定或医疗保健患者使用的任何医疗成像设备的标签。

在药品研发中超出合格 COU 范围使用 TKV，将由 FDA 依据监管意见书逐个进行考量。在这种情况下，CDER 产品审查小组可以要求与超范围使用有关的额外信息。

DDT 追踪号码: [DDTBMQ-000021]

## II. 使用背景

### A. 使用声明

本指南草案为 TKV 的使用提供了资格认证条件，在基线测定，作为预后富集生物标志物选择肾功能逐渐下降高风险 ADPKD 患者（定义为患者估算肾小球滤过率（eGFR）确定下降 30%）介入性临床试验中。在这些试验中该生物标志物可以结合患者年龄和基线 eGFR 作为富集因子一起使用。

### B. 合格使用的条件

#### 1. 定量成像生物标志物

TKV 应该从左右肾脏进行计算，在试验中以验证和标准化成像采集和分析方案进行测定。（详细内容请参见支持文件[生物标志物认定程序：生物标志物资格认证和支持信息](#)）

#### 2. 临床试验中 TKV 基础的患者选择

##### a. 患者人群

ADPKD 患者至少应为 12 周岁。

##### b. 患者选择

在 ADPKD 临床试验中将基线 TKV 与患者年龄和基线 eGFR 作为富集因子结合使用，选择肾功能逐渐下降的高风险 ADPKD 患者。（详细内容参见支持文件[生物标志物资格认证程序：生物标志物认定和支持信息](#)）

##### c. 测定方法的适用性

各种成像模式和后处理方法都可用于确定 TKV。这些方式具有不同水平的精密程度。对于 eGFR 确定下降 30% 的高风险 ADPKD 患者，TKV 资格认证是基于多个研究地收集的数据，其结果也可以来自成像方式（例如，核磁共振成像（MRI）、

包含不具约束力的建议

草案-未实施

DDT 追踪号码: [DDTBMQ-000021]

计算机断层扫描 (CT) 或者超声波 (US)) 和来自分析方法学研究 (例如, 立体学和椭圆柱计算)。