

《慢性失眠治疗药物临床试验技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

随着对慢性失眠病因病理学认识的深入，药物创新机制研究的进展，对睡眠整体质量与效率的改善已逐渐成为慢性失眠治疗药物研发的目标，即一种药物能够同时改善入睡效率并保持更久的持续睡眠，同时，在长期治疗中维持良好的安全性（无滥用潜力）。境内外已有数个治疗失眠的新药获批上市。因此，化药临床一部相关适应症小组经专业会讨论以及中心内部定向征求意见，制定了《慢性失眠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

慢性失眠的典型症状特征表现为患者对睡眠时长和/或质量不满（存在痛苦感受），日间功能受损，并且伴有可通过客观参数描述的（采用多导睡眠仪 PSG 测量）睡眠启动和/或睡眠维持方面的生理指标变化。因此，慢性失眠治疗药物 III 期试验的研究目的需要包括在客观睡眠参数（采用多导睡眠仪 PSG 测量）和主观睡眠参数（患者通过填写睡眠日记问卷 SDQ 自我报告）上证明药物对慢性失眠患者的有效性和安全性。有效性方面需要同时评估睡眠启动及睡眠维持两个维度，同时，日间功能改善（患者通过填写功能评估量表或生活质量评估量表自我报告）也作为研究目的纳入试验设计中，支持药物有效性评估。

通常，慢性失眠治疗药物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慢性失眠的有效性和安全性，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慢性失眠治疗药物 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，介绍了当前慢性失眠治疗药物的研发进

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，介绍了慢性失眠治疗药物 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，介绍了慢性失眠治疗药物研发中的一些特殊关注点的考虑。