《临床急需药品附条件批准上市技术指导原则》

起草说明

一、背景

为落实《关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》（厅字〔2017〕42号），鼓励以临床需求为核心的药物创新，加快具有临床价值的临床急需药品上市，根据《中华人民共和国药品管理法》、《中华人民共和国疫苗管理法》、《药品注册管理办法（征求意见稿）》，借鉴国际经验，结合我国药品审评工作实践，制定本指导原则。

本指导原则共分为6个部分，分别为前言、附条件批准上市的基本条件、附条件批准药物的疗效评价、附条件批准上市的申请、附条件批准上市的上市后要求、附条件批准上市的撤销。

本指导原则（原技术指南）于2017年12月20日-2018 年1月15日期间在原国家食品药品监督管理总局网站面向全社会征求意见，根据反馈意见进行了修订。后续在卫建委等相关部委、国家局相关司局及直属单位范围内征求意见并进行修订。现根据《中华人民共和国药品管理法》、《中国人民共和国疫苗管理法》《药品注册管理办法（征求意见稿）》再次进行修订。需要指出的是，本指导原则是根据国内临床试验研究现状和现有药品审评工作实践制定，随着临床研究经验积累和审评工作的改革，本指导原则亦可进行相应的调整和完善。

二、征求意见反馈信息情况

（一）网上征求意见反馈

2017年12月20日至2018 年1月15日征求意见期间，共收到19份有效反馈，其中个人2份，企业15份，其他组织和团体2份。整理出反馈意见96条，其中总体意见8条，第一章总则相关意见22条，第二章基本条件相关意见16条，第三章疗效指标选择相关意见21条，第四章责任和义务相关意见29条。

反馈意见包括以下内容：指南适用范围、罕见病的定义或目录、企业申请有条件批准上市的时间、早期或中期临床试验数据的范围、境外上市境内未上市的治疗罕见病药品的有条件批准、有条件批准上市后撤市的规定等问题。

（二）定向征求意见反馈

2018年定向征求意见期间，收集到卫建委反馈意见3条，包括以下内容：临床急需药品的遴选、上市后研究的要求及再评价、上市后研究及临床应用的风险控制等。

（三）药审中心内部征求意见反馈

2019年10月28日、11月4日分别以邮件和会议的形式在药审中心内部征求意见，收集到的反馈意见包括以下内容：附条件批准药品的药学和药理毒理学的要求、附条件批准上市药品的说明书和标签描述等。

三、修订说明

主要修订内容包括：

1. 标题由“临床急需药品有条件批准上市的技术指南”修订为“临床急需药品附条件批准上市技术指导原则”。
2. 指南适用范围统一为“未在中国境内上市销售，但临床急需的中药、化学药和生物制品。”
3. 增加了附条件批准上市药品的药学、药理毒理学要求。
4. 附条件批准上市的基本条件增加了疫苗的相关描述。
5. 附条件批准上市的申请部分，细化了“沟通交流”和“提交上市申请的要求”部分的内容。
6. 增加了附条件批准上市药品的《药品注册批件》、说明书和标签的描述规定，明确了以补充申请的形式提交附条件批准上市后完成的临床试验以推动药品常规批准上市。