

# 《抗猴痘病毒药物临床试验技术指导原则（试行） （征求意见稿）》起草说明

## 一、起草目的

2022年5月在非流行区发现的猴痘疫情，已波及全球多个国家和地区。对于抗猴痘病毒治疗存在较大的未被满足的临床需求，也有新药处于临床研发阶段。为推动抗猴痘病毒药物的研发，指导临床试验设计，制定本指导原则。本指导原则适用于抗猴痘病毒药物，包括化学药品和治疗用生物制品。

## 二、起草过程

### （一）起草前期调研论证情况

美国 FDA 2023 年发布的行业指导原则《Mpox: Development of Drugs and Biological Products》。

本指导原则起草前还调研了欧盟 EMA、美国 FDA 的猴痘、天花适应症上市药物研发概况，WHO 关于猴痘治疗药物的全球临床试验方案，国内外相关临床诊疗指南以及急性传染病治疗药物临床研究的一般经验。

### （二）指导原则制定、修订情况

本项工作自 2023 年 7 月启动，2024 年 3 月形成初稿，2024 年 5 月 28 日召开专家会讨论修订初稿，2024 年 6 月 11

日部门技术委员会审议，2024年6月12日-6月19日征求药审中心内部相关专业意见，形成征求意见稿。

### （三）征求意见采纳情况

药审中心内部征求意见收到 2 条建议，将均予以采纳。

## 三、起草思路

结合以下资料起草本指导原则：FDA2023年发布的行业指导原则《Mpox: Development of Drugs and Biological Products》，WHO 猴痘治疗药物的全球临床试验方案及其他国内外相关临床诊疗指南。

## 四、主要内容

本指导原则主要讨论了抗猴痘病毒药物临床试验的总体考虑和确证性临床试验的重点关注内容，仅作为推荐性建议。主要对确证性临床试验的关键要素包括试验目的、试验设计、试验人群、给药方案、有效性终点、治疗周期和随访周期等进行了讨论。

本指导原则适用于抗猴痘病毒药物的临床研发，包括化学药品和治疗用生物制品。