

# 《地中海贫血基因治疗产品临床试验技术指导原则 (征求意见稿)》起草说明

## 一、背景和目的

近年来，随着医药行业对基因治疗产品研发热情不断增加，我中心收到多个地中海贫血基因治疗产品的沟通交流和临床试验申请。目前中心尚无针对基因治疗产品在地中海贫血领域的指导原则出台，为指导和规范该类临床试验设计，我中心起草了《地中海贫血基因治疗产品临床试验技术指导原则》。

本指导原则结合地中海贫血基本特征、基因治疗产品特征，对临床研发提出建议，为基因治疗产品开展地中海贫血临床试验提供参考。

## 二、起草过程

### (一) 起草前期调研论证情况

本指导原则由生物制品临床部牵头，纳入了《药审中心2024年指导原则制修订计划》。于2024年2月至8月调研输血依赖型地贫治疗现状和基因治疗地贫的临床需求，召开专家研讨会、查阅同类临床试验相关文献、调研国外已上市产品的评价标准。

### (二) 指导原则制定或修订情况

在前期调研论证过程中，起草小组对调研内容和指导原则基本框架进行讨论，形成了基本框架和主要考虑要点，并

于 2024 年 9 月初形成对中心内部征求意见稿。经征求中心意见，进一步修订后又经部门技术委员会审核，形成公开征求意见稿。

### **三、起草思路**

本指导原则尚无可借鉴的已发布的指导原则，主要围绕临床试验的考虑及建议进行阐述，结合地中海贫血基本特征、基因治疗产品特征，对地贫基因治疗产品的临床研发提出建议，为开展临床试验提供参考。

### **四、主要内容**

本指导原则的主要内容分为三个部分，分别是概述、临床试验设计要点、风险管理。本指导原则主要提出临床试验应重点考虑的因素，更多细节申办者可以及时与监管机构沟通，适用于以注册为目的的药物研发。