

# 《罕见病药物临床药理学研究技术指导原则 (征求意见稿)》起草说明

## 一、起草目的

近年来，我国在研的罕见病药物数量大幅增加。但由于罕见病基础研究不足、单病种患者数量少等原因，导致新药研发面临诸多挑战。临床药理学和定量药理学在加速罕见病药物研发方面发挥至关重要的作用，研究结果可为潜在临床有效性和安全性以及剂量-暴露-效应关系等提供关键信息，为临床研究设计提供依据，并指导说明书撰写。为指导罕见病药物研发过程中科学合理开展临床药理学研究，药品审评中心组织起草了《罕见病药物临床药理学研究技术指导原则》，形成征求意见稿。

## 二、起草过程

本指导原则的起草工作由统计与临床药理学部牵头，自2024年3月底启动，核心工作组经过前期调研准备，于2024年4月召开第一次专家研讨会对关键技术问题达成共识，并在此基础上形成指导原则初稿，2024年9月召开第二次专家会，对指导原则初稿进行了修订完善。经中心内部各相关专业征求意见和技术委员会审核后，现对外征求意见。

## 三、主要内容与说明

本指导原则旨在阐明临床药理学研究的一般考量，为罕见病药物研发过程中科学合理开展临床药理学研究提供指导，为整体研发策略和新药评价提供科学依据。指导原则主体内容包括五个章节，分别为“前言”、“一般考虑”、“研究设计的基本考虑”、“常见分子类型药物的临床药理学研究考虑”、“沟通交流”。“前言”章节主要阐述本指导原则的起草背景和适用范围；“一般考虑”章节主要阐述罕见病药物临床药理学研究的总体原则和特殊性；“研究设计的基本考虑”章节主要涵盖了研究人群、受试者样本量、用药方案以及药效学指标；“常见分子类型药物的临床药理学研究考虑”章节主要涵盖了基因治疗药物、细胞治疗药物、小分子药物以及其他类型药物的临床药理学研究考虑；“沟通交流”章节主要说明在沟通交流会议中需提供的信息和资料。

本指导原则仅代表药品监管部门当前的观点和认识，不具有强制性的法律约束力。随着科学研究的进展，本指导原则中的相关内容将不断完善与更新。