

《嗜酸性粒细胞性食管炎治疗药物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

嗜酸性粒细胞性食管炎（EoE）是一种慢性食管疾病，若不予以治疗，可进展为食管纤维性狭窄，导致吞咽困难和食物嵌顿甚至食管穿孔，严重影响患者生活质量。近年来 EoE 在成年人和儿童中的发病率有明显提高，成为年轻人出现慢性吞咽困难和食物嵌顿的主要原因。目前存在未满足的临床需求。

目前国内外有多个治疗药物在研发阶段。为规范和指导 EoE 治疗药物临床试验，药品审评中心组织起草了《嗜酸性粒细胞性食管炎治疗药物临床试验技术指导原则（征求意见稿）》，旨在通过对 EoE 临床试验设计关键要素的讨论，为 EoE 治疗药物的临床研发和评价提供参考。

二、起草过程

（一）起草前期调研论证情况

国内外相关指导原则发布情况：2020 年美国发布了《嗜酸性粒细胞性食管炎：治疗药物研发指导原则》。国内尚无嗜酸性粒细胞性食管炎新药临床试验指导原则。

本指导原则起草前还调研了国内外嗜酸性粒细胞性食管炎疾病流行病学、现有治疗和未满足的临床需求，嗜酸性

粒细胞性食管炎治疗领域已上市药物的临床研发经验，在研药物的临床进展。

（二）指导原则制定、修订情况

本指导原则由药品审评中心化药临床二部牵头，起草工作自 2025 年 2 月启动，指导原则核心工作组内部定期开会讨论，2025 年 6 月形成初稿。2025 年 6 月 26 日部门技术委员会审议通过，形成公开征求意见稿。

三、起草思路

结合以下资料起草本指导原则：美国 2020 年发布的指导原则，国内外嗜酸性粒细胞性食管炎诊治指南，已批准药物的临床研发经验和在研药物的临床进展的文献资料。

四、主要内容与说明

本指导原则分为六部分，包括概述、总体考虑、确证性临床试验、安全性评价、儿童临床试验、参考文献。主要内容如下：

（一）概述

概述包括疾病特点、目的和适用范围两部分。主要介绍了嗜酸性粒细胞性食管炎的疾病特点、治疗目标和治疗现状，并提出了本指导原则的制定目的及适用范围。

（二）总体考虑

总体考虑包括临床整体研发计划和疗效评价两个部分。

（三）确证性临床试验

该部分重点阐述了确证性临床试验的总体设计、受试者、给药方案、合并治疗、疗效指标、统计分析等临床试验关键设计要素。

（四）安全性评价

该部分介绍了对安全性评价总体要求，以及对特定药物如糖皮质激素药物和治疗性蛋白药物的安全性评价要求。

（五）儿童临床试验

该部分包括儿童临床试验的总体考虑、临床药理学和剂量探索研究、有效性研究、安全性研究。