《药物临床试验中应用贝叶斯外部信息借用方法的指导原则（征求意见稿）》 起草说明

一、起草目的

在药物研发面临的困难和挑战愈发艰巨的情况下，使用复杂创新临床试验设计和方法正成为新的趋势。基于贝叶斯理论的概率统计学，由于其可以定量整合历史临床试验数据和更易面临复杂情形的优势，正在药物临床研发中发挥重要作用。当前贝叶斯统计正在被工业界和各国监管机构鼓励和加速应用。

本指导原则旨在加强贝叶斯统计作为统计学新技术和新工具的研究，结合临床实际，规范和建立贝叶斯统计用于药物临床试验的评价体系和技术标准。

目前国内已发布指导原则和 ICH 中已实施和正在制定的指导原则提及贝叶斯统计方法，例如《药物临床试验适应性设计指导原则》、《罕见疾病药物临床研究统计学指导原则》、《成人用药外推至儿科人群的定量方法学指导原则》、《ICH E20: 适应性设计》、《ICH E11A: 儿科外推》。本指导原则与以上相关指导原则不相冲突，是对贝叶斯方法在临床研究中应用的具体要求。

二、起草过程

本指导原则为《国家药品监督管理局药品监管科学研究

2023年重点项目——《贝叶斯方法研究》的研究成果，自2024年6月正式启动。

于2024年6月28日召开《贝叶斯统计药物研发和审评中的应用》线下会议，为指导原则的制定指出了具体方向。于2024年7月制定了《贝叶斯统计监管科学研究项目实施方案》并报中心请示同意，实施方案确定了指导原则具体实施计划和起草小组成员。

于2024年10月10日召开了指导原则首次线上会议，会中介绍了指导原则制定计划，并与起草小组成员初步讨论了指导原则大纲。于2024年12月20日召开了指导原则大纲线下定稿会，会议确定了指导原则大纲，以及各部分需解决的问题。

于2024年12月底至2025年7月起草指导原则初稿，并在起草过程中与起草小组成员进行多次线上会议讨论。于2025年7月8日召开指导原则征求意见稿线下定稿会，会后基于讨论内容形成指导原则拟征求意见稿。

于2025年7月10日至17日在部门内部和中心相关部门进行征求意见。

于2025年7月25日经统计与临床药理学部技术委员会审议，认为该指导原则与国内外相关指南和目前审评实践无冲突，同意按程序报请中心审核。

三、起草思路

本指导原则的起草主要无直接参考的相关指南和共识，为国际创新成果。

本指导原则主要起草思路如下：

首先确定本指导原则主要适用范围是确证性临床研究，并为确保指导原则的实用性，仅针对贝叶斯外部信息借用方法。考虑到贝叶斯统计作为新颖试验设计方法，具有一定先进性，因此阐述了贝叶斯统计理论基础，包括数学原理、计算原理等。

然后，本指导原则从适应性评估、试验设计和统计分析、模拟技术要求共三个方面提出了应用贝叶斯外部信息方法的要求。同时，提供了贝叶斯统计框架下的结果解读，为非统计专业了解和使用贝叶斯方法临床研究结果提供了指导。

最后，说明了三种不同情形下沟通交流的要求。

四、主要内容

本指导原则分为 7 个部分，内容如下：

第一部分为概述，介绍了本指导原则起草目的，并说明了适用范围和主要涉及的方法；

第二章为理论基础，主要介绍贝叶斯统计相关基础理论和定义；

第三章为适用性评估，介绍在临床试验中使用贝叶斯方法的适用性评估内容；

第四章为试验设计和统计分析，包括借用信息来源及评

价、先验分布构建、试验假设和决策标准、样本量、统计分析的考虑共五个方面；

第五章为模拟技术要求，主要介绍试验设计的模拟要求、统计分析的模拟要求、文档要求，提供了供参考的模拟研究报告示例文档；

第六章为结果的解读，主要介绍了贝叶斯框架下统计分析结果的临床解读、综合评价、全面考量。

第七章为与监管机构的沟通交流，包括不同情形下沟通交流的要求。

五、需要说明的问题

无。