

《新生儿/低龄儿剂量推断技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

一、起草目的

药审中心已出台多项儿童用药相关政策和技术指导原则以支持儿科人群用药安全、有效和可及。新生儿和低龄儿作为儿科人群中的极特殊群体，在器官发育、药物代谢等方面与成人及其他年龄段儿科人群存在显著差异，用药剂量选择和临床试验仍存在巨大的困难。

为帮助企业解决新生儿和低龄儿用药研发过程中面临的剂量选择难题，提高该人群药物研发效率，保障新生儿和低龄儿用药安全可及，药品审评中心组织起草了《新生儿/低龄儿剂量推断技术指导原则（征求意见稿）》，通过多种方法挖掘患儿临床数据，结合定量药理学分析，科学推断合理剂量，可提升临床试验的成功率，同时避免因剂量不恰当给患儿带来安全性风险。

二、起草过程

指导原则的起草工作自2024年8月立项启动，经过核心工作组前期调研准备，于2025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。2025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。经药审中心内部各相关专业征求意见和部门技术委员会审核，形成公开征求意见稿。

三、主要内容与说明

本指导原则旨在为2岁及以下儿科人群药物研发过程中的剂量推断提供建议。全文共分为五部分，主要介绍了基于该人群的病理生理与发育药理学特征，推荐采用“有限数据最大化利用与风险最小化平衡”原则，利用定量药理学工具，整合多途径已有患儿临床数据信息，遵循剂量预测、验证优化、确定最终剂量方案的步骤，进行科学剂量推断的具体方法和相关考虑。

指导原则针对该类人群的特殊性，基于“样本量最小、标本最少、痛苦最小”的原则，推荐机会性采样等方法，以尽可能减少侵入性操作，降低患儿采血量，提高临床试验可行性。

新生儿/低龄儿生长发育快速变化，药物和疾病特征存在显著异质性，指导原则推荐通过临床研究和/或广泛的临床实践进行科学验证，对拟采用的给药剂量进行充分评估，同时建议关注对患儿长期神经系统发育的影响。

本指导原则不对具体儿科人群的年龄划分进行界定。新生儿/低龄儿基本生命体征、实验室检查参数及安全性指标等与其他人群显著不同，需要予以特殊考量。鼓励申请人与药审中心就具体产品的相关问题进行沟通。