

《“三结合”中药注册审评证据体系下临床试验的一般原则（征求意见稿）》起草说明

一、起草目的

为贯彻落实《国务院办公厅关于全面深化药品医疗器械监管改革促进医药产业高质量发展的意见》（国办发〔2024〕53号）及《国务院办公厅关于提升中药质量促进中医药产业高质量发展的意见》（国办发〔2025〕11号）关于完善“中医药理论、人用经验和临床试验相结合的中药特色审评证据体系”（以下简称“三结合”体系）的相关要求，推动符合中医药特点的技术审评标准体系建设，配合《中药注册管理专门规定》落地实施，制定本指导原则。

本原则旨在明确在“三结合”体系下开展临床试验的基本原则，引导申请人合理运用中医药理论和人用经验，明确临床研究策略并科学设计临床试验，提升临床试验质量和效率，促进中药传承创新与高质量发展。

二、起草过程

本指导原则由药审中心中药民族药临床部组织起草，2025年2月启动。在前期审评实践梳理总结及专题调研座谈的基础上起草组形成了本指导原则初稿，其后组织中医药行业专家进行了专题研讨，广泛听取了意见建议，起草组按照专家意见对稿件内容进行了修改完善。

2025 年 11 月经中药民族药临床部技术委员会讨论，对本指导原则内容进行了修改和完善，形成了公开征求意见稿。

三、起草思路

本指导原则基于《中药注册管理专门规定》的相关要求，充分参考了国内外药物临床试验相关法规、技术指导原则，针对当前中药新药临床研发的焦点问题，明确了“三结合”体系下开展临床试验的基本原则和需要重点关注的问题，提供了一般性方法学指引。

四、主要内容

（一）主要内容

本指导原则分为概述、“三结合”体系下临床试验的基本考虑、需要重点关注的问题和其他需要关注的问题。

概述部分阐述“三结合”体系的内涵及其对中药新药研发的意义，明确本指导原则的定位和适用范围。

“三结合”体系下临床试验的基本考虑部分强调临床试验在中药研发中的重要作用，强调可根据中医药理论和人用经验的支持程度，灵活选择临床研发路径，不必机械遵循传统 I、II、III 期分期模式。

“三结合”体系下临床试验需要重点关注的问题部分提出了中药新药临床试验在设计与实施过程中需要特别关注的问题，包括坚持以临床价值为导向、根据中医药理论及人用经验确定试验目的并进行相应设计、受试人群应当具有代

表性、疗效指标和评价标准应当符合中医药特点、遵循风险相称性原则并明确关键质量因素、鼓励基于研究目的合理应用新技术、新方法。

其他需要关注的问题部分针对中药新药开展临床试验过程中需要关注的共性问题进行了原则性的提示。

（二）主要特点

一是坚持以问题为导向，聚焦“三结合”体系下中药临床试验设计、实施与评价中的关键问题，提出具有针对性的原则性要求。

二是突出了中药特色，强调了中医药理论和人用经验对临床试验方案设计与实施的支撑作用，明确中药新药临床试验的设计应当与当前诊疗实践相结合，应当符合中医药自身的特点和规律。

三是进一步强化了科学性与规范性，明确了中药新药临床试验在遵循药物临床试验质量管理规范等通用技术要求的基础上，在方案设计、实施与结果解读中需要重点关注的问题。

四是鼓励基于研究目的合理应用新技术、新方法，支持在符合研究目的前提下，合理应用智能化设备、去中心化试验设计等新技术、新方法，提升临床试验的效率与质量。

五、需要说明的问题

一是本指导原则旨在阐述中药新药如何基于中医药理

论、人用经验进行针对性的临床试验设计，以及在试验实施与结果解读中需要重点关注的问题，其他情形的中药可根据品种特点和申报类别参考执行。

二是本指导原则强调中药新药的临床研究应当基于临床试验目的、中医药理论和人用经验对临床关键问题的支持程度等，选择适宜的临床研发模式和路径，合理设计临床试验方案，不设置统一的研发范式，本指导原则不排斥其他科学方法的合理应用，鼓励申请人就关键技术问题与监管机构进行沟通交流。随着实践经验的不断积累和相关法规的更新，本指导原则将随之更新。

三是本指导原则与《中药注册管理专门规定》《基于人用经验的中药复方制剂新药临床研究指导原则（试行）》及具体适应症临床研究技术指导原则和相关方法学技术指导原则等相衔接，强调了临床试验方案设计与实施过程中需要重点关注的问题，申请人在开展中药新药临床研究过程中，除需遵循上述法规及指导原则要求的同时，还应当参照现行药物临床试验的通行技术要求。

四是本指导原则鼓励在符合科学性和伦理要求的前提下，探索应用智能化设备、去中心化试验等新型技术方法，但需进行充分验证。