

**罕见病创新药物研发鼓励试点计划
（“关爱计划-延伸”）申报指南**

（征求意见稿）

本申报指南旨在介绍“关爱计划-延伸”试点计划以及申请人申请加入该试点计划的具体方案和流程。

纳入“关爱计划-延伸”试点计划的品种需同时依据现行法规和工作程序开展申报及注册工作。

一、申请与纳入

1.1 申请资格

“关爱计划-延伸”试点计划的核心目的在于鼓励创新药在临床治疗需求迫切的罕见疾病领域进行研发，关注并探讨解决源头性创新罕见疾病药物研发过程中的科学问题，因此申请“关爱计划-延伸”试点计划的品种，需同时满足以下条件：

(1) 拟开发的适应症为罕见疾病。

罕见疾病包括《罕见病目录》中列举的疾病（或所包含的亚型）；如所开发的罕见疾病适应症未被包含在《罕见病目录》中，申请人应提供充分的数据表明其发病率/患病率极低，具有临床治疗急需性；

(2) 具有较强创新性。具体包括：

① 首创新药（First-In-Class, FIC），即具有不同于境内、境外已上市药品的新作用机制/新靶点药物（注：“境外”特指美国、欧盟及日本）；或② 在境内尚无药物获批拟开发的罕见疾病适应症；或③ 与现有治疗手段相比，具有明显临床优势，即单用或者与一种或者多种其他药物联用，在一个或者

多个具有临床意义的终点上有显著改善。

(3)对目标罕见疾病适应症的开发尚处于临床研发阶段。

具体包括:

- ①申请加入本试点计划的品种在目标罕见疾病适应症领域尚未推进至关键研究阶段（如尚未递交关键临床试验 IND 申请，或尚未与药审中心就关键临床试验进行沟通交流）；且
- ②境内外无同类产品（相同作用机制及相同靶点）产品获批目标罕见疾病适应症（注：“境外”特指美国、欧盟及日本）。

1.2 纳入标准

“关爱计划-延伸”试点计划不设名额限制。

经审评认为符合“1.1 申请资格”中列举的申报资格，开发目标罕见疾病适应症立项合理，且所提交的《罕见疾病创新药物临床研究实施框架》具备合理性、科学性、可实施性的品种，药审中心将拟纳入“关爱计划-延伸”试点计划。

拟纳入“关爱计划-延伸”试点计划的品种，药审中心将对外公示，公示期为 5 个工作日。公示内容包括药品名称、申请单位、拟开发的罕见疾病适应症。

1.3 申请方式

由申请人基于自愿原则向药审中心提出申请。

申请人可通过申请人之窗，以沟通交流途径，递交加入“关爱计划-延伸”试点计划的申请；将依据《药物研发与技术审评沟通交流管理办法》（2020 年第 48 号）、《药审中心加

快创新药上市许可申请审评工作规范(试行)》确定会议类型。

需注意的是，提交申请加入“关爱计划-延伸”试点计划的沟通交流时，沟通交流中不建议合并其他事项。此外，申请人通过申请人之窗提交沟通交流申请时，需在“会议目的”和“其他情况说明”项下备注填写“关爱计划-延伸申请”。

1.4 申请资料

除《药物研发与技术审评沟通交流管理办法》中对沟通交流提交材料的一般要求以外，所有申请均需填写并提交《罕见疾病创新药物临床研发实施框架》。

除此之外，如申请人认为需要提供其他资料用以支持申请，也可一并提交。

1.5 试点计划申请时间

自“关爱计划-延伸”试点计划正式发布启动之日起，之后五年为申请人可提交申请的时间。申请时间截止后，中心将不再接受加入“关爱计划-延伸”试点计划的申请。

二、项目的执行

中心将在中心网站上发布“关爱计划-延伸”试点计划纳入信息。

纳入“关爱计划-延伸”试点计划品种的管理路径按照现行法规和工作程序实施。

纳入“关爱计划-延伸”试点计划的品种，药审中心将对其进行跟踪随访，并在研发期间与申请人保持密切沟通交流。