

# 《儿童药物临床试验中应用患者报告结局（PRO） 技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

当前，儿童药物研发日益受到重视，儿童药物临床试验中对于反映患儿真实治疗体验和生活方式变化的需求不断增加。为了进一步落实以患者为中心的研发理念，推动我国儿童用药研发，提高临床研究的质量和效率，我中心组织起草了《儿童药物临床试验中应用患者报告结局（PRO）技术指导原则（征求意见稿）》。该文件已通过部门讨论、技术委员会审核，并初步征求了中心相关部门的意见，现形成征求意见稿。有关情况说明如下：

## 一、背景和目的

随着以患者为中心的药物研发理念不断深化，PRO在支持药物获益-风险评估及药品说明书相关信息撰写等方面的重要性也日益受到各方（药品监管、临床使用、研制开发、医疗保险等）重视。近年来国内外药品监管机构陆续发布了PRO相关的技术指导原则，为PRO在药物研发中的科学应用提供了基本原则和方法学参考。

与成人相比，儿童在认知变化、信息理解及语言表达能力等方面尚处于发育发展阶段，不同年龄阶段儿童之间也存在差异。例如，低龄儿童通常难以准确回忆时间范围或症状严重程度等抽象概念，婴幼儿及部分认知受损的儿童往往难以独立完成自我报告。因此，在儿童药物临床试验中直接使

用成人 PRO 方法或工具可能存在适配性不足的问题。

在此背景下，本指导原则旨在提供涉及儿童特征性问题的指导意见，对儿童药物临床试验中 PRO 的选择及应用提出建议。

## 二、起草过程

本指导原则已纳入 2026 年度中心指导原则制定计划，由化药临床一部牵头，于 2026 年 2 月正式启动起草工作。期间，部门指导原则小组进行了多轮内部讨论，并于 2026 年 4 月形成初稿。

2026 年 5 月，进一步完善初稿内容的基础上，经药审中心内部讨论，根据反馈意见对文本进行了修订。

2026 年 5 月 21 日，召开部门技术委员会，对指导原则的内容进行了讨论，形成对外公开征求意见稿，并报中心审议同意。

## 三、主要内容

“概述”及“适用范围”部分，简要介绍了 PRO 在儿童药物临床试验中的应用背景，以及本指导原则的适用范围及撰写目的。

“基本原则”部分，重点介绍了儿童药物临床试验中应用 PRO 应遵循的四项基本原则，包括科学性原则、以患者为中心原则、年龄/发育阶段适配原则及最小负担原则。

“PRO 的选择”部分，结合儿科人群特点，介绍了 PRO 工

具的选择、开发及改进的思路。

“PRO 的应用”部分，主要围绕 PRO 在终点体系中的定位、实施测量时的关键考虑、统计分析与结果解释、电子化 PRO (ePRO) 及新型测量方法，以及伦理学等方面，阐述了儿童药物临床试验中应用 PRO 的总体考虑。

#### **四、需要说明的问题**

本指导原则仅代表药品技术审评机构当前的认识，参考本指导原则制定研发策略或进行试验设计不能替代在药物研发关键节点与药审中心的沟通。对于本指导原则未涵盖的问题或可能存在的局限性，鼓励申请人与药审中心加强交流并达成共识。