

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）

国家药品监督管理局药品审评中心

2026年5月

目录

一、概述	1
二、适用范围	2
三、基本原则	2
(一) 科学性原则	2
(二) 以患者为中心原则	3
(三) 年龄/发育阶段适配原则	4
(四) 最小负担原则	4
四、PRO 的选择	5
五、PRO 的应用	8
(一) PRO 在终点体系中的定位	8
(二) 实施 PRO 测量时的关键考虑	9
(三) 统计分析与结果解释	10
(四) 电子化 PRO (ePRO) 及新型测量方法	11
(五) 伦理考虑	11
六、参考文献	12
附录	16

1 一、概述

2 患者报告结局（Patient-Reported Outcome, PRO）是指任
3 何来自患者直接报告且不被他人修改或解读的对自身疾病
4 和相应治疗感受的评估结局。在药物研发过程中，基于患者
5 的主观需求和体验，PRO能够提供关于药物治疗效果和生活
6 质量变化的重要信息，为依赖客观临床终点的评价体系提供
7 有益补充。同时，PRO还能够用于可以识别患者可感知的、
8 具有临床意义的不良反应，用于分析影响患者用药体验和依
9 从性的关键因素，从而更全面地反映药物治疗的整体影响。

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

16 与成人相比，儿童在认知变化、信息理解及语言表达能
17 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
18 在差异。例如，低龄儿童通常难以准确回忆时间范围或症状
19 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
20 以独立完成自我报告。因此，在儿童药物临床试验中直接使
21 用成人PRO方法或工具可能存在适配性不足的问题。在此背

22 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，
23 对儿童药物临床试验中PRO的选择及应用提出建议。

24 本指导原则仅代表药品技术审评机构当前的认识，参考
25 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
26 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
27 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
28 并达成共识。

29 二、适用范围

30 本指导原则适用于在支持药品注册申报的儿童药物临
31 床试验中应用PRO的情形，包括将PRO作为主要疗效终点或
32 关键次要终点，以及用于评估症状改善、功能状态变化和健
33 康相关生活质量等次要终点/探索性终点的研究设计。本指导
34 原则中提到的PRO，包括通用型PRO和疾病特异性PRO。此
35 外，本指导原则也涉及PRO与观察者报告结局（Observer-
36 Reported Outcome, ObsRO）联合应用的部分研究情形。

37 三、基本原则

38 在儿童药物临床试验中应用PRO应遵循的基本原则包括
39 科学性原则、以患者为中心原则、年龄/发育阶段适配原则及
40 最小负担原则。

41 （一）科学性原则

42 根据研究目的决策是否应用PRO，包括评估PRO对于实
43 现整体研究目的的价值，在确定关键研究问题和终点后，评

44 估哪些终点适合由患者直接报告，或是否需要将PRO与临床
45 指标一起进行综合评价。当PRO能够直接回答研究问题并对
46 结果解释具有实际意义时，可将其纳入临床试验。如果将关
47 联性不强或缺乏关联性的PRO指标纳入临床试验，可能导致
48 药物的主要获益维度被冗余信息弱化，或掩盖关键终点未达
49 预期的结果，从而增加整体获益-风险评估的复杂性，并可能
50 导致结果解释上的偏差或误导。即便在收集多维度的PRO信
51 息时，也应紧扣研究目的，重点选择并清晰描述那些与研究
52 问题最相关的主要PRO指标和数据。

53 ICH E9 (R1) 中提出估计目标框架构建的准则和方法对
54 于以PRO为试验终点的药物临床试验同样适用。估计目标框
55 架需在方案和统计分析计划中明确定义，确保PRO表述清晰、
56 具体且可测量，并能够明确反映其在主要研究终点中的作用。
57 所选用的PRO工具需要建立在明确的概念框架上，并通过系
58 统的方法验证其测量学特性，包括信度、效度及反应性等。

59 (二) 以患者为中心原则

60 在儿童药物临床试验中，一般会综合儿童、照护者和医
61 生三方面报告的信息，不同来源报告间的差异通常源于观察
62 视角和关注重点的不同。从PRO应用角度出发，在合理整合
63 多来源报告的基础上，应尤其重视儿童自身的体验及自我评
64 估信息，而非完全依赖成人的替代性判断。比如，试验参与
65 者是具备相对完善的认知功能及语言表达能力的儿童（尤其

66 是青少年)时,在适当指导与支持下独立完成PRO评估是合
67 理的设计。

68 (三) 年龄/发育阶段适配原则

69 试验参与者的年龄/发育阶段是目前常用的与PRO应用
70 相关的首要考虑因素。选择PRO工具及实施方式时,应将其
71 与儿童不同发育阶段认知与表达能力的匹配度作为重要决
72 策考虑。既往研究提供了年龄/发育阶段分层的参考依据,但
73 是儿童在认知、语言及行为发展方面存在个体差异,且受多
74 重因素影响,因此,在应用PRO时尽量避免刻板依赖固定的
75 年龄/发育阶段阈值,必要时可以在研究初期通过认知测试或
76 预试验对试验参与者的理解与报告能力进行评估,提升PRO
77 应用的适配性。在开发与设计新的PRO工具时,需要根据年
78 龄特征调整表达形式。比如,低龄儿童更易理解具体且直观
79 的信息,图形化或游戏化设计优于纯文字,而青少年通常已
80 具备使用标准量表进行评估的能力。

81 (四) 最小负担原则

82 在保证数据质量的前提下,尽量减少对儿童及其家庭的
83 额外负担,包括控制问卷长度,合理安排评估频率,以及优
84 化数据采集方式等。PRO收集频率和具体时间点一般由研究
85 问题驱动,不同研究问题所涉及的PRO实施策略不同。比如,
86 观察PRO随时间的变化可能需要相对密集的数据采集,而获
87 得PRO在给定时间内的差异可能仅需首次及末次采集。对于

88 儿童药物临床试验，在具备使用简短或便捷的PRO评估工具
89 的情况时，一般不再考虑使用耗时长或操作复杂的工具，需
90 要在评估工具的内容效度与实际依从性之间达到平衡。

91 四、PRO 的选择

92 在儿童药物临床试验中应用PRO的前提是充分考虑疾病
93 特征、药物治疗作用及常规临床研究策略并确定与研究目的
94 一致的患者最为关注的治疗结局，同时，评估其在支持监管
95 决策或指导临床合理用药中的价值。患者最为关注的治疗结
96 局如基于PRO工具进行测量，建议聚焦于与药物治疗直接相
97 关的内容，一般包括试验参与者对疾病相关症状变化、对身
98 体功能恢复或恶化、对服药后不适感的体验等。

99 疾病特异性PRO工具更有助于反映与目标疾病密切相关的
100 的变化，因此在以药物治疗效果评估为研究目的的试验中往
101 往更具优势。比如，在评估药物镇痛疗效的儿童药物临床试
102 验中，对于3岁以上的儿童可考虑采用面孔版视觉模拟量表
103 （facial visual analogue scale, F-VAS）或修订版面部表情疼
104 痛评估法（Wong-Baker faces pain scale revision, FPS-R）以
105 反映儿童患者对疼痛变化的主观感受。

106 通用型PRO工具适用于不同疾病或人群之间的横向比较，
107 涵盖的心理社会健康等内容也相对全面，但在捕捉特定疾病
108 相关变化的反应性方面有局限性，且易受非治疗因素影响，
109 通常作为次要终点/探索性终点在试验中使用，其数据作为药

110 物获益-风险评估的支持性证据。有一些特殊的情况，比如，
111 治疗结局与评估学习、同伴交往及家庭互动能力等相关时，
112 也可能将通用型PRO工具作为重要的疗效终点。

113 在PRO工具的选择路径方面，如果已有在目标人群或相
114 似人群中经过充分验证的工具，且匹配本次研究目的，可以
115 作为选用的依据；如果现有可获得的工具尚不具备直接选用
116 的条件，可考虑对其进行情境化调整，比如，从成人扩展至
117 儿童时，通常需在目标儿童人群中进行年龄适配和认知访谈，
118 确认孩子能按原意理解题目与选项，据此决定是否需要工具
119 进行调整。如果通过上述方法仍无法满足需要，可以考虑
120 专门针对研究目的开发新的PRO工具。

121 对现有PRO工具进行调整或者开发新的PRO工具的完整
122 流程可具体参考《患者报告结局在药物临床研究中应用的指
123 导原则（试行）》，一般包括概念框架构建、文献系统回顾、
124 患者及相关方访谈等定性研究、条目生成与优化、认知测试、
125 定量测量学评价（如信度、效度、反应性评价）以及效应量
126 解释策略制定等关键步骤，以确保工具在目标研究人群和使
127 用场景中的科学性、适用性与可解释性。如需跨语言或跨文
128 化使用，还应开展语言翻译与文化调适。

129 在PRO工具的调整与开发中，一般会采用整合定性研究
130 与定量研究的混合方法研究，通常遵循探索性序列设计，即
131 先通过定性研究确立内容效度，再采用定量研究验证工具的

132 测量学特性。

133 定性研究通常包括两个阶段：概念提取访谈和认知访谈。
134 概念提取通过半结构化访谈直接收集目标人群对症状或健
135 康状态的描述与体验，用于识别关键测量概念、指导条目生
136 成，确保工具内容真实反映其体验；认知访谈则有助于确定
137 儿童如何理解问题并形成回答，从而识别潜在的理解偏差，
138 以支持对工具的进一步优化。在访谈实施过程中，建议优先
139 纳入儿童本人直接参与，并采用适龄的沟通方式。对于低龄
140 儿童，可使用照护者代理报告，但需明确区分儿童主观体验
141 与照护者观察之间的差异。访谈过程中尽量使用简洁、具体
142 且符合儿童认知水平的语言，避免使用成人化或专业化术语。
143 开放式提问及建立良好的互动关系尤为重要。鉴于部分儿童
144 （尤其是存在注意力缺陷或精神症状的儿童）在访谈中可能
145 难以集中精神或难以配合，可灵活调整访谈节奏与形式，并
146 适度采用互动技巧。道具或玩具可在一定程度上辅助沟通，
147 但应避免过度使用，以免分散注意力或影响访谈信息采集。

148 定量研究用于检验工具的信度、效度及反应性等测量学
149 特性。对于 PRO 工具，其测量学特性的定量评估与表征通常
150 遵循标准化框架，从多个关键维度对工具进行系统评估，包
151 括在指定情景下的效度、信度等度量性能。其中，内容效度
152 在儿童中尤为重要，应提供充分证据证明测量条目能够全面

153 覆盖测量目的，并能被目标年龄段儿童正确理解；反应性用
154 于验证工具检测患者健康状态、症状严重程度、功能状态、
155 生活质量或者其他体验发生具有临床意义的变化的能力，尤
156 其在疗效评价研究中具有重要意义；信度方面重点评估内部
157 一致性及重测信度；此外，还应结合实际应用场景评估工具
158 的实施可行性，包括问卷长度、操作负担、数据完整性以及
159 电子化实施的可操作性等因素。

160 在开展患者报告结局（PRO）工具开发和验证研究时，
161 采用较窄的年龄分层设计更为合理，有助于获得相对准确的
162 自评估适用年龄范围。必要时，可以开发不同年龄分层的多
163 个版本的量表。

164 五、PRO 的应用

165 在完成基于研究目标和测量学标准的 PRO 工具选择后，
166 进一步明确其在儿童药物临床试验中的应用定位与实施策
167 略。

168 （一）PRO 在终点体系中的定位

169 在试验设计阶段即应充分评估 PRO 应用的必要性与合
170 理性，仅在充分依据支持其应用定位与实施策略的前提下
171 予以使用。通常 PRO 指标在临床试验终点体系中的定位分为
172 两类，一类 PRO 指标具有公认的实际临床意义（通常要求能
173 够直接反映对患者有价值的获益）且与疾病特征具有明确的

174 相关性，可以考虑作为主要终点或关键次要终点。比如，在
175 镇痛药物疗效评估中基于量表的疼痛评估，在过敏性鼻炎临
176 床试验中的鼻部症状总评分（Total Nasal Symptom Score，
177 TNSS）等。除此之外的归为另一类 PRO 指标，仅提供与试
178 验结果相关的支持性信息，设计为次要终点/探索性终点。比
179 如，在某些情况下，当试验中不同药物（或治疗方案）在主
180 要终点方面的差异不显著时，PRO 可以用于评估患者症状体
181 验、日常功能恢复或生长发育影响方面的额外获益，为整体
182 疗效评价提供具有实际临床意义的支持性证据。

183 （二）实施 PRO 测量时的关键考虑

184 在儿童药物临床试验中，照护者往往参与度较高，容易
185 无意中影响儿童回答，从而引入系统性偏倚。在 PRO 测量过
186 程中，应特别关注并尽可能减少照护者对儿童感知信息或报
187 告过程的干预。PRO 数据采集可能在家庭、学校或医疗机构
188 等不同场景中进行，儿童易受到环境因素的影响，因此，建
189 议在同一项试验中尽可能采用统一的测量条件，并通过标准
190 化指导减少环境差异带来的影响。尤其对于 PRO 作为主要终
191 点或关键次要终点的试验，控制人为干预及环境干扰对于保
192 持指标评估过程的一致性及试验结果的评价很重要，需要在
193 方案中设计良好的控制措施。

194 由于理解偏差、注意力波动及依从性不稳定，儿童药物

195 临床试验的数据变异性通常高于成人研究，因此，应特别关
196 注 **PRO** 数据采集及管理的一致性，包括统一培训，标准化测
197 量流程，控制数据产生过程中的行为因素，建立系统的数据
198 质量控制机制等。

199 (三) 统计分析与结果解释

200 建议在统计分析阶段充分考虑儿童的异质性。与成人相
201 比，年龄在儿童药物临床试验中不仅是协变量，也是影响测
202 量方式和结果解释的关键因素。因此，当 **PRO** 作为主要终点
203 或关键次要终点时，应基于估计目标框架明确治疗条件、目
204 标人群、**PRO** 变量、伴发事件处理策略以及汇总指标。通常，
205 应在方案和统计分析计划中预先明确年龄/发育阶段相关的
206 分析策略，包括是否开展年龄分层分析、亚组分析，或在统
207 计模型中纳入年龄相关因素。

208 此外，不同来源的报告（比如，儿童报告与照护者报告）
209 可能反映不同维度的信息，因此，通常不宜简单合并分析，
210 而需要分别报告或通过适当模型进行整合。如果不同来源的
211 报告结果之间存在显著差异，需要结合疾病治疗目标、**PRO**
212 指标特性、数据采集过程等进行分析，不建议简单视为数据
213 不一致。

214 鉴于缺失数据在儿童药物临床试验中可能更为常见，需
215 要在试验方案中预先制定合理的处理策略，并通过敏感性分

216 析评估不同处理策略对结果的影响。同时，需要分析缺失数
217 据产生的原因（比如，年龄因素、疾病严重程度或家庭配合
218 度），判断是否具有系统性偏倚。

219 对于拟支持监管结论或说明书描述的 PRO 结果，仅有统
220 计学显著性通常不足以证明临床获益，应结合预先定义的临
221 床意义阈值进行解释，比如，最小临床重要差异（Minimal
222 Clinically Important Difference, MCID）。

223 （四）电子化 PRO（ePRO）及新型测量方法

224 随着信息技术的发展，电子化 PRO（Electronic Patient-
225 Reported Outcomes，ePRO）在儿童药物临床试验中的应用
226 逐渐增加。ePRO 工具可通过图形界面、交互设计等方式提
227 升儿童参与度和依从性，还可以自动记录数据填写时间，控
228 制补录数据风险，提升数据采集的真实性与完整性。另外，
229 部分 PRO 评估已开始采用基于项目反应理论（Item Response
230 Theory, IRT）的计算机化自适应测试（Computerized Adaptive
231 Testing, CAT），根据受测者既往反应动态调整题目难度，实
232 现评估的个性化定制。在试验方案中应明确阐述应用此类新
233 型测量方法的必要性和合理性，提供操作难度、阅读理解要
234 求，以及是否需要照护者辅助等方面的说明。

235 （五）伦理考虑

236 在儿童药物临床试验中应用 PRO 时，需要严格遵循伦理

237 原则，依法获取监护人的知情同意，并根据儿童年龄、认知
238 水平和理解能力等，决定是否获取儿童患者本人同意。在研
239 究信息提供过程中，采用适龄、易于理解的表达方式，确保
240 儿童能够理解研究内容、参与方式及可能影响，并知悉他们
241 可以在任何时候，以任何理由退出研究，且不会因此影响其
242 后续医疗服务或其他合法权益。

243 PRO 实施过程中，应充分关注儿童的心理负担和参与体
244 验，避免因提问频率过高、内容重复或调查时间过长而引起
245 焦虑、疲劳或症状强化。对于涉及情绪、疼痛、自伤等敏感
246 内容的测量，应建立相应的风险识别、评估与处理措施，必
247 要时及时进行临床干预或心理支持。同时，应加强隐私保护，
248 在数据采集与存储过程中，采取必要的技术与管理措施确保
249 儿童个人信息及健康数据的安全，并符合相关法律法规要求。

250 六、参考文献

251 1、ICH. E11 (R1) : Addendum: Clinical Investigation of Medi
252 cinal Products in the Pediatric Population [EB/OL]. Aug 2017. [https://www.cde.org.cn/ichWeb/guideIch/downloadAtt/1/8ee2a68cc70580330c](https://www.cde.org.cn/ichWeb/guideIch/downloadAtt/1/8ee2a68cc70580330c6aa7d3d9ebf012)
253 [6aa7d3d9ebf012](https://www.cde.org.cn/ichWeb/guideIch/downloadAtt/1/8ee2a68cc70580330c6aa7d3d9ebf012)

255 2、国家药品监督管理局.《患者报告结局在药物临床研发中应用
256 的指导原则（试行）》[EB/OL]. 2022 年 1 月. [https://www.cde.org.cn/](https://www.cde.org.cn/zdyyz/domesticinfopage?zdyyzIdCODE=8a900c1173e7aaf72ea3724796cebb)
257 [zdyyz/domesticinfopage?zdyyzIdCODE=8a900c1173e7aaf72ea3724796ceb](https://www.cde.org.cn/zdyyz/domesticinfopage?zdyyzIdCODE=8a900c1173e7aaf72ea3724796cebb)
258 [beb](https://www.cde.org.cn/zdyyz/domesticinfopage?zdyyzIdCODE=8a900c1173e7aaf72ea3724796cebb)

259 3、国家药品监督管理局.《以患者为中心的药物临床试验设计技
260 术指导原则（试行）》[EB/OL]. 2023年7月. [https://www.cde.org.cn/
261 zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=92122cd363a052ee70be9f40e448
262 7409](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=92122cd363a052ee70be9f40e4487409)

263 4、国家药品监督管理局.《组织患者参与药物研发的一般考虑指
264 导原则（试行）》[EB/OL]. 2022年11月. [https://www.cde.org.cn/zdy
265 z/domesticinfopage?zdyzIdCODE=983e316a54f1890338e7a1083dbdb1e
266 6](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=983e316a54f1890338e7a1083dbdb1e6)

267 5、FDA. Patient-Reported Outcome Measures:Use in Medical Pr
268 oduct Development to Support Labeling Claims [EB/ OL]. Dec.2009.
269 <https://www.fda.gov/media/77832/download>

270 6、FDA. Patient-Focused Drug Development: Methods to Identi
271 fy What Is Important to Patients [EB/ OL]. FEB.2022. [https://www.
272 fda.gov/media/131230/download](https://www.fda.gov/media/131230/download)

273 7、FDA. Patient-Focused Drug Development: Selecting, Develop
274 ing, or Modifying Fit-for-Purpose Clinical Outcome Assessments[EB/
275 OL]. Oct.2025. <https://www.fda.gov/media/159500/download>

276 8、EMA.Reflection paper on patient experience data[EB/ OL]. S
277 ep.2025. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/r
278 eflexion-paper-patient-experience-data_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/reflection-paper-patient-experience-data_en.pdf)

279 9、Arbuckle R, Abetz-Webb L. "Not just little adults": qualitati
280 ve methods to support the development of pediatric patient-reported

281 outcomes[J]. Patient. 2013;6 (3) :143-59. doi: 10.1007/s40271-013-00
282 22-3.

283 10、Bevans KB, Riley AW, Moon J et al. Conceptual and met
284 hodological advances in child-reported outcomes measurement[J]. Ex
285 pert Rev Pharmacoecon Outcomes Res. 2010 Aug;10 (4) :385-96. d
286 oi: 10.1586/erp.10.52.

287 11、Calvert M, King M, Mercieca-Bebber R et al. SPIRIT-PRO
288 Extension explanation and elaboration: guidelines for inclusion of p
289 atient-reported outcomes in protocols of clinical trials[J]. BMJ Open.
290 2021 Jun 30;11 (6) :e045105. doi: 10.1136/bmjopen-2020-045105.

291 12、Coombes L, Bristowe K, Ellis-Smith C et al. Enhancing va
292 lidity, reliability and participation in self-reported health outcome me
293 asurement for children and young people: a systematic review of re
294 call period, response scale format, and administration modality[J]. Q
295 ual Life Res. 2021 Jul;30 (7) :1803-1832. doi: 10.1007/s11136-021-
296 02814-4. Epub 2021 Mar 18.

297 13、Gale V, Carlton J. Including Young Children in the Develo
298 pment and Testing of Patient Reported Outcome (PRO) Instrumen
299 ts: A Scoping Review of Children's Involvement and Qualitative Me
300 thods[J]. Patient. 2023 Sep;16 (5) :425-456. doi: 10.1007/s40271-023
301 -00637-8. Epub 2023 Jul 4.

302 14、Matza LS, Patrick DL, Riley AW et al. Pediatric patient-re

303 ported outcome instruments for research to support medical product
304 labeling: report of the ISPOR PRO good research practices for the
305 assessment of children and adolescents task force[J]. Value Health.
306 2013 Jun;16 (4) :461-79. doi: 10.1016/j.jval.2013.04.004.

307 15、Mercieca-Bebber R, King MT, Calvert MJ et al. The impo
308 rtance of patient-reported outcomes in clinical trials and strategies f
309 or future optimization[J]. Patient Relat Outcome Meas. 2018 Nov 1;
310 9:353-367. doi: 10.2147/PROM.S156279.

311 16、Murugappan MN, King-Kallimanis BL, Reaman GH et al.
312 Patient-Reported Outcomes in Pediatric Cancer Registration Trials: A
313 US Food and Drug Administration Perspective[J]. J Natl Cancer In
314 st. 2022 Jan 11;114 (1) :12-19. doi: 10.1093/jnci/djab087.

315 17、Teodoro P, Fernandes RM, Ribeiro I et al. Incorporating pa
316 tient-reported outcome measures into routine paediatric pharmacovigi
317 lance: opportunities for safety monitoring with practical use scenario
318 s from paediatric oncology[J]. Front Pharmacol. 2026 Feb 9;16:1719
319 963. doi: 10.3389/fphar.2025.1719963.

320 18、万丽,赵晴,陈军,等.疼痛评估量表应用的中国专家共识(2020
321 版)[J].中华疼痛学杂志, 2020, 16(3):11.DOI:10.3760/cma.j.cn101379-2
322 0190915-00075.

323

缩略语表

缩略语	英文全称	中文全称（定义）
PRO	Patient-Reported Outcome	患者报告结局
ObsRO	Observer-Reported Outcome	观察者报告结局
ICH	International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use	国际人用药品注册技术协调会
ICH E9 (R1)	ICH E9 (R1) : Addendum on Estimands and Sensitivity Analysis in Clinical Trials	ICH E9 (R1): 临床试验中的估计目标与敏感性分析 (E9 指导原则增补文件)
F-VAS	facial visual analogue scale	面孔版视觉模拟量表
FPS-R	Wong-Baker faces pain scale revision	修订版面部表情疼痛评估法
TNSS	Total Nasal Symptom Score	鼻部症状总评分
MCID	Minimal Clinically Important Difference	最小临床重要差异
ePRO	Electronic Patient-Reported Outcomes	电子化患者报告结局
IRT	Item Response Theory	项目反应理论
CAT	Computerized Adaptive Testing	计算机化自适应测试
ICH E11 (R1)	ICH E11 (R1) : Addendum: Clinical Investigation of Medicinal Products in the Pediatric Population	ICH E11 (R1): 用于儿科人群的医学产品的临床研究