

《青少年体重管理适应症临床试验设计指导原则（征求意见稿）》起草说明

胰高血糖素样肽-1 受体激动剂（GLP-1 RA）类药物通常会在成人体重管理适应症开发的后期，进入青少年体重管理适应症的扩展。为指导此类药物临床研究策略，规范临床研究设计，在已发布的《体重控制药物临床试验技术指导原则》基础上，我中心组织起草了《青少年体重管理适应症临床试验设计技术指导原则（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

青少年肥胖被认为是重大公共健康问题，其发生率有持续上升趋势。青少年体重管理已成为重要的儿科临床治疗需求。在生活方式干预无法达到减重目标或为改善肥胖伴发疾病时，可以选择联合使用减重药物用于青少年体重管理。中国目前尚无获批的青少年体重管理药物，青少年体重管理存在重大未满足的医疗需求。

胰高血糖素样肽-1 受体激动剂（GLP-1 RA）类药物通常会在成人体重管理适应症开发的后期，进入青少年体重管理适应症的扩展。青少年体重管理临床试验和成人有所不同：第一，和成人超重肥胖根据 BMI 界值确定不同，青少年的超重和肥胖根据年龄和性别特定的百分位数确定。第二，对青

少年体重管理药物进行疗效判断时，要考虑线性生长对体重变化的影响。第三，在安全性评估时，要关注药物对青少年生长发育、性发育进程以及骨骼的影响。

在此背景下，本指导原则在已发布的《体重控制药物临床试验技术指导原则》基础上，结合青少年超重和肥胖特征及临床诊疗实践，旨在为申请人提供青少年体重管理临床试验设计的指导意见。

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 1 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 3 月形成初稿。2026 年 4 月定向征集部分企业和专家意见，对初稿进行了修订。

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”部分，简要介绍了本指导原则的背景、所依据的相关法规及指南、适用范围以及撰写目的。

“III 期试验的关键设计要素”部分，重点介绍了 III 期试

验的总体设计、试验参与者的入排标准、疗效指标与评估方法、安全性指标与药物暴露要求。

“临床试验中的其他关注点”部分，主要围绕青少年体重管理临床试验的启动时点及一般步骤、国际多中心临床试验、儿童（ ≥ 6 岁至 < 12 岁）体重管理临床试验及药品说明书起草等方面，阐述了相关考量。

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。

本指导原则不涉及具体申报品种、在审品种技术要求，无过渡期设置需求。