

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)

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、III 期试验的关键设计要素	2
(一) 试验总体设计	2
(二) 试验参与者入排标准	2
(三) 疗效指标与评估方法	3
(四) 安全性指标与药物暴露要求	4
三、临床试验中的其他关注点	4
(一) 青少年临床试验的启动时点及一般步骤	4
(二) 国际多中心临床试验	5
(三) 儿童 (≥6 岁至<12 岁) 体重管理临床试验	6
(四) 起草药品说明书	6
四、参考文献	7

1
2
3
4
5
6
7
8
9
10
11
12
13
14
15
16
17
18
19
20
21

一、概述

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了较好的控制肥胖所致合并症时，会选择联合使用减重药物用于青少年体重管理。

胰高血糖素样肽-1受体激动剂（Glucagon Like Peptide-1 Receptor Agonists, 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。为指导此类药物的临床研究策略，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，结合青少年超重和肥胖特征及临床诊疗实践，充分考虑我国药物临床试验条件，制定本指导原则。本指导原则中将青少年界定在 ≥ 12 岁至 < 18 岁的人群。

对于创新药物临床试验需要遵从的一般原则在本指导原则中不再赘述。应用本指导原则时，请同时参考药物临床试验质量管理规范（Good Clinical Practice, GCP）、国际人用药品注册技术协调会（International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ICH）和其他国内外已发布的相关指导原则。

本指导原则内容仅代表药品技术审评机构当前观点，随

22 着疾病认识的深入和药物研发的进展，相关内容需持续完善。
23 参考本指导原则制定研发策略或进行试验设计并不能替代
24 在临床试验各关键节点与药审中心的沟通交流，对于本指导
25 原则未能覆盖的内容及可能存在的局限性，鼓励申请人与药
26 审中心积极沟通，达成共识。

27 二、III期试验的关键设计要素

28 青少年体重管理适应症III期试验的关键设计要素包括
29 以下几个方面（并未包含试验方案的全部设计要素）：

30 （一）试验总体设计

31 通常采用随机、双盲、安慰剂对照设计。试验参与者接
32 受健康行为和生活方式干预作为基础治疗，以证明在控制饮
33 食、锻炼和行为改变的基础上，试验药物具有治疗作用。试
34 验中应对体重相关合并症治疗药物进行管理，保持其标准化
35 与持续性。

36 试验中可以采用固定剂量或滴定剂量的给药方式，但应
37 包括至少24周目标治疗剂量的稳定给药期，总治疗期至少52
38 周，以观察长期用药的安全性。

39 （二）试验参与者入排标准

40 体重指数（Body Mass Index, BMI）是临床中用于识别
41 超重和肥胖的常用指标，以体重除以身高的平方值表示，
42 $BMI = \text{体重} / \text{身高}^2 (\text{kg}/\text{m}^2)$ 。青少年超重和肥胖是根据年龄和

43 性别特定的百分位数来确定。可参考卫生行业标准 WS/T586-
44 2018 “学龄儿童青少年超重与肥胖筛查”表中青少年超重和
45 肥胖定义筛选试验参与者，青少年超重患者：相应年龄和性
46 别的第 85 百分位数 \leq BMI $<$ 相应年龄和性别的第 95 百分位
47 数；青少年肥胖患者：BMI \geq 相应年龄和性别的第 95 百分位
48 数。

49 试验中可单独纳入青少年肥胖患者，也可以同时纳入青
50 少年肥胖患者和青少年超重伴合并症的患者。合并症通常是
51 指伴有一种或多种体重相关的高血糖、高血压、血脂异常、
52 脂肪肝、阻塞性睡眠呼吸暂停综合征等。

53 试验参与者应满足经过至少3个月生活方式调整体重下
54 降仍不足5%，甚至体重仍有上升趋势。

55 试验参与者性别比例应满足人群代表性，男女患者在有
56 效性和安全性特征方面的差异是试验结果评价的重要内容。

57 (三) 疗效指标与评估方法

58 考虑到生长因素影响，青少年体重管理的临床试验，建
59 议采用 BMI 相对基线变化的百分比作为主要终点指标评估
60 药物的减重疗效。关键次要终点指标通常选择 BMI 相对基线
61 下降 \geq 5%的试验参与者比例。

62 其他终点指标包括BMI的变化、BMI标准差评分的变化、
63 体重的变化、体重下降 \geq 5%的试验参与者比例、腰围的变化

64 等。

65 应在试验方案中对指标监测仪器和方法进行规定，例如，
66 测量身高所使用的测量仪及测量程序，并在试验中严格执行。

67 (四) 安全性指标与药物暴露要求

68 试验中需持续监测不良事件，并重点关注药物相关的不
69 良反应及特殊风险。根据 GLP-1 RA 类药物作用机制及试验
70 药物在成人中的安全性特征，制定青少年试验中安全性评估
71 要点，重点关注药物对生长发育和骨骼的影响，考察指标包
72 括青春周期性发育进程(例如, Tanner 分期)、身高标准差评分、
73 骨龄等。

74 如果药物对中枢神经系统有潜在效应，需设计神经精神
75 症状相关的安全性指标，例如，激越、焦虑、失眠、异常行
76 为或情绪反应、注意力变化等。

77 青少年参与的独立 III 期试验的样本量一般是以适应症
78 扩展为目标进行设计与评价。可参考 ICH E11 (R1)《用于儿
79 科人群的医学产品的药物临床研究》和 ICH E11A《儿科外
80 推》，以及统计相关指导原则。

81 三、临床试验中的其他关注点

82 (一) 青少年临床试验的启动时点及一般步骤

83 建议在获得成人体重管理的有效性和安全性数据之后
84 (至少已基本确定了成人体重管理的 III 期试验剂量方案)，

85 启动青少年体重管理的临床试验。

86 根据已发布的《体重控制药物临床试验技术指导原则》，
87 建议开展青少年超重和肥胖患者的药代动力学
88 (Pharmacokinetics, PK) 试验，或者在青少年超重和肥胖患
89 者的随机对照剂量探索试验中采集 PK 数据。基于与成人试
90 验数据的对比分析，以暴露效应关系为依据预测试验药物在
91 青少年超重和肥胖患者中的目标治疗剂量，作为 III 期试验
92 剂量方案设计的依据。

93 (二) 国际多中心临床试验

94 青少年体重管理的国际多中心临床试验设计应首先考
95 虑跨地区/种族间疾病特征的相似性和临床诊疗方式的差异。
96 治疗药物或干预方式可及性方面的差异可能影响试验设计，
97 例如，部分境外批准用于青少年体重管理的药物尚未在境内
98 上市等。在申请国际多中心临床试验时，建议对此类问题进行
99 说明，并提供可行的设计考虑及风险控制策略。

100 基于目前认识，各地区间对儿童及青少年肥胖和超重的
101 判定标准基本一致，多是以相应年龄和性别的第 95 百分位
102 数和第 85 百分位数来界定。因此，对于采用国际多中心临床
103 试验方式支持全球同步研发申报的药物，在依据清晰合理的
104 条件下，可以接受其试验参与者的筛选标准，例如，采用美
105 国疾病控制与预防中心 (Center for Disease Control and

106 Prevention, CDC) 年龄和性别特定生长曲线标准。

107 (三) 儿童(≥6岁至<12岁)体重管理临床试验

108 根据临床治疗需求, 试验药物可以考虑儿童(≥6岁至<12
109 岁) 体重管理适应症的扩展。建议结合非临床研究及前期临
110 床试验结果, 遵循从成人到青少年, 再到≥6岁至<12岁儿
111 童的基本模式。研发策略及试验设计可以参考 ICHE11(R1)
112 《用于儿科人群的医学产品的药物临床研究》和 ICH E11A
113 《儿科外推》, 以及其他国内外发布的儿童试验相关指导原
114 则。

115 目前可供参考的支持儿童(≥6岁至<12岁) 体重管理
116 适应症扩展的具体试验设计要点有限。建议申请人就具体研
117 发计划与药审中心进行沟通。

118 (四) 起草药品说明书

119 建议药品说明书中【适应症】根据药物临床试验结果确
120 证的治疗效应及试验参与者特征进行起草, 写明允许使用的
121 人群年龄段。【用法用量】内容与【适应症】中人群年龄段相
122 对应。

123 药品说明书中【适应症】【用法用量】等条目的内容需要
124 根据试验结果进行判定, 以最终审批确认的内容为准。申请
125 人可以在申报上市前的沟通交流中针对药品说明书关键条
126 目内容提出起草意见。

127
128
129
130
131
132
133
134
135
136
137
138
139
140
141
142
143
144
145
146
147

四、参考文献

- [1] 国家卫生健康委办公厅.国家卫生健康委办公厅关于印发肥胖症诊疗指南（2024年版）的通知[EB/OL].2024-10-12. [2026-03-30] <https://wjw.hunan.gov.cn/wjw/xxgk/tzgg/202410/33483285/files/79a659467876423895ca9a8120f8c578.pdf>
- [2] 国家药品监督管理局.体重控制药物临床试验技术指导原则[EB/OL].2021-12-06. [2026-03-30]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/75001677bbb075c037aff20e96461d1>.
- [3] US Food and Drug Administration. Obesity and Overweight: Developing Drugs and Biological Products for Weight Reduction Guidance for Industry (DRAFT GUIDANCE) [EB/OL]. (2025-01-07) [2025-03-30]. <https://www.fda.gov/media/71252/download>
- [4] WS/T 586-2018, 学龄儿童青少年超重与肥胖筛查 [S]. 2018
- [5] Center for Disease Control and Prevention. CDC Growth Charts. <https://www.cdc.gov/growthcharts/extended-bmi.htm>.