

# 《斑秃治疗药物临床试验技术指导原则 (征求意见稿)》起草说明

## 一、起草目的

斑秃 (Alopecia areata, AA) 是一种常见的炎症性非瘢痕性脱发, 可累及全身毛发, 最常累及头皮, 病因尚不完全清楚。轻症患者大部分可自愈, 广泛脱发或长期病程可显著影响患者生活质量, 合并焦虑、抑郁等心理障碍。伴随对斑秃发病机制的研究, 目前已有多个 JAK 抑制剂获批上市, 并有其他新机制、新靶点药物处于临床研发阶段。

为了科学引导企业开发斑秃治疗药物, 药品审评中心组织起草了《斑秃治疗药物临床试验技术指导原则》, 旨在明确技术标准, 包括对临床试验设计的具体考虑以及申报上市的临床证据要求等, 以期为工业界和监管机构提供有益指导。

## 二、起草过程

本指导原则起草工作于 2025 年 11 月启动, 在参考国内外相关指导原则基础上, 经起草小组充分调研和讨论, 明确了本技术指导原则的主要框架。在借鉴国内外相关指导原则的基础上, 结合审评实践, 于 2026 年 2 月形成初稿, 于 4 月 27 日经部门技术委员会审核讨论, 确定了本指导原则内容, 并于会后形成外部征求意见稿。

## 三、起草思路

本指导原则聚焦于斑秃治疗药物临床试验设计要点和审评要求。通过分别阐述早期探索性临床试验以及确证性临床试验的设计要点，对斑秃治疗药物的研发整体策略和临床试验设计提供参考。指导原则中主要对试验人群、研究周期、对照的选择、有效性终点指标的选择等多个关键设计要素进行分析和阐述。同时，对斑秃治疗药物的安全性评价关注点进行相应论述，旨在申报上市申请时能够提供充分的有效性和安全性数据用以评估药物的总体特征，为获益-风险评估提供支持。

#### **四、主要内容**

本指导原则主要分为八个章节，分别为概述、临床试验总体考虑、早期探索性临床试验、确证性临床试验、安全性评价、儿科人群临床试验的考虑、参考文献和附录。

**第一章节 概述：**主要阐述了斑秃的病因、患病率、临床表现、转归情况以及对患者的影响。声明本指导原则仅代表药品监管部门当前的观点和认知，还将随着科学研究的进展不断完善。

**第二章节 临床试验总体考虑：**主要阐述了试验目的及试验设计应根据治疗目标确定。重度斑秃患者因自发缓解概率低且治疗需求迫切，建议作为药物研发的重点人群。在试验设计全过程中，应秉持以患者为中心的原则进行设计。基于斑秃疾病特点，患者人群主要因外观受影响导致生活质量

下降，因此在获益-风险评价时，应结合获益的大小、可接受的安全性特征和患者的需求，综合评估。

第三章节 早期探索性临床试验：主要阐述了对剂量-暴露-效应和剂量-暴露-安全性探索的要求。

第四章节 确证性临床试验：对试验设计、试验人群特征、研究周期、对照的选择，以及有效性终点进行了推荐。

第五章节 安全性评价：斑秃会反复复发，因此需要开展长期给药的安全性研究，以满足评估药物安全性的需要。

第六章节 儿科人群临床试验的考虑：主要阐述儿科人群较成人患者具有更为迫切的治疗需求，并且在试验设计中应关注药物对该人群生长发育的影响，在获益-风险评价时，也应较成人更为慎重。

## 五、其他需要说明事项

1. 关于总体架构，在借鉴国际相关技术指导原则的基础上，基于科学原则并参考国内临床研究实践，结合国内其他相关适应症指导原则内容，按照药物开发的不同阶段序惯阐述了包括探索性临床试验和确证性临床试验等各阶段的关键要素和审评考虑，以提供指导。

2. 本指导原则结合斑秃患者人群特点，基于科学性原则，阐述了确证性临床试验纳入人群特征的考虑，推荐了疗效终点指标、研究周期和对照的选择等试验设计关键要素，并提供了相关考虑，为斑秃治疗药物临床试验设计提供指导。