

斑秃治疗药物临床试验技术指导原则（征求意见稿）

国家药品监督管理局药品审评中心

2026年6月

目 录

一、概述	1
二、临床试验总体考虑	1
三、早期探索性临床试验	3
四、确证性临床试验	3
（一）总体设计	3
（二）试验人群	3
（三）研究周期	4
（四）对照的选择	4
（五）有效性终点	4
五、安全性评价	7
六、儿科人群临床试验的考虑	7
七、参考文献	7
八、附录	8

1 **一、概述**

2 斑秃 (Alopecia areata, AA) 是一种常见的炎症性非瘢痕
3 性脱发。中国人群斑秃患病率为0.27%。斑秃的病因尚不完全
4 清楚，目前认为斑秃是由遗传因素与环境因素共同作用所致
5 的毛囊特异性自身免疫性疾病。斑秃典型的临床表现为突然
6 发生的边界清晰的圆形或椭圆形斑状脱发。斑秃轻症患者大
7 部分可自愈，约半数患者反复发作，可迁延数年或数十年。
8 少数患者病情严重，脱发可累及整个头皮，甚至全身的被毛。
9 广泛脱发或长期病程会显著影响患者生活质量，合并焦虑、
10 抑郁等心理障碍。目前，斑秃的治疗选择有限，因此，研发
11 斑秃治疗药物存在未被满足的临床需求。

12 本指导原则主要针对斑秃治疗药物的临床开发及确证
13 性临床试验设计的关键问题进行探讨。本指导原则不具有强
14 制性的法律约束力，仅代表药品监管部门当前的观点和认知。
15 随着科学研究的进展，将不断完善本指导原则中的相关内容。

16 本指导原则适用于化学药品及治疗用生物制品的临床
17 研发。应用本指导原则时，还请同时参考药物临床试验质量
18 管理规范 (GCP)、国际人用药品注册技术协调会 (ICH) 和
19 其他国内外已发布的相关指导原则。

20 **二、临床试验总体考虑**

21 斑秃治疗目标是控制病情进展、促使毛发再生，预防或
22 减少复发，提高患者生活质量。临床试验目的应根据治疗目

23 标确定。在此基础上，结合疾病特点及研究药物特性，制定
24 合理的临床研发计划，选择相应的研究周期、有效性和安全
25 性评价终点等设计因素。

26 轻度斑秃患者大部分可自愈，中度斑秃患者也有一定自
27 发缓解概率，使得评价有效性的难度有所增加。重度斑秃患
28 者因脱发严重且不容易自发缓解，治疗需求最为迫切，且能
29 更真实地反映试验药物的疗效，因此，药物研发重点人群建
30 议纳入重度斑秃患者，包括全秃和普秃两种更为严重的类型。
31 重度斑秃并非仅见于成人，儿童及青少年亦可罹患，因此，
32 鼓励在儿科人群中开展斑秃临床试验。

33 患者是对疾病状态和药物治疗的直接感受者和体验者，
34 在药物研发和决策的全过程中，将患者对疾病和相关治疗的
35 经验、观点、需求和偏好等数据，作为药物研发设计、实施
36 的依据，并纳入获益-风险评估体系，可为符合患者需求的有
37 价值的药物研发和上市提供科学证据。

38 斑秃为非危及生命的疾病，治疗目标为促进毛发生长以
39 提高生活质量，因此对于药物获益-风险评价应十分慎重，尤
40 其对于安全性评价。同时，不同年龄段患者对疗效的期望和
41 安全性的可接受程度存在差异，同年龄段患者间对斑秃改善
42 的满意程度也存在个体差异，因此进行获益-风险评价时，应
43 对获益的大小、可接受的安全性特征和患者的需求，进行充
44 分权衡和综合评估。

45 三、早期探索性临床试验

46 早期探索性临床试验为初步的人体安全性和临床药理
47 学研究，目的是获得初步的耐受性、安全性、药代动力学和
48 药效学特征，为确证性临床试验的给药方案等设计提供依据。
49 建议设计多个给药方案，如不同的给药剂量、不同的给药间
50 隔等，进行充分的剂量-暴露-效应和剂量-暴露-安全性探索。

51 四、确证性临床试验

52 (一) 总体设计

53 确证性临床试验建议采用随机、双盲、对照、平行分组
54 试验设计。

55 斑秃有可能在停药后复发，建议考虑评估停药后疾病应
56 答的维持时间，以及复发情况。

57 (二) 试验人群

58 试验人群应符合国内外斑秃诊疗指南与行业共识。如选
59 择重度斑秃人群作为试验人群，其诊断标准一般为
60 SALT(Severity of Alopecia Tool)评分 ≥ 50 分；病程 ≥ 6 个月，
61 且近6个月内无自发缓解迹象，同时建议包括一定比例的全
62 秃和普秃患者。

63 建议排除标准包括合并瘢痕性脱发、雄激素性脱发等其
64 他脱发疾病；近3个月内接受过系统糖皮质激素、免疫抑制
65 剂、生物制剂等斑秃相关治疗的情况。

66 试验人群需具有广泛代表性，覆盖不同年龄、性别、病

67 程和临床类型(如全秃、普秃、匍行型等),以符合临床实践。

68 (三) 研究周期

69 试验持续时间和疗效评估时间应根据治疗目的、药物作
70 用机制、预期起效时间和毛发生长特点,以及预期可观察到
71 临床获益的时间确定。

72 斑秃是一种慢性疾病,需要长期治疗,建议考察试验药
73 物的长期疗效和安全性。对于在双盲治疗期已有获益的患者,
74 建议继续观察足够长的周期,以评价这部分患者持续获益的
75 情况。应在方案中对获益进行明确定义。

76 斑秃可能间断复发,因此,建议对停药后复发的情况进
77 行考察。停药后应有充足的随访时间,以充分评估试验药物
78 的安全性和试验参与者停药后的复发时间及复发比例。

79 (四) 对照的选择

80 对于新药的研发,在无标准治疗方法且不涉及伦理问题
81 的前提下,通常建议开展随机、双盲、安慰剂对照的优效性
82 临床试验。在有公认安全有效的标准治疗方法时,建议开展
83 与阳性药物对照的临床试验,也可考虑以安慰剂和阳性药物
84 为对照的三臂试验。

85 (五) 有效性终点

86 临床试验应选择经验证的评分量表。

87 主要终点的考虑

88 SALT 评分是一种目前公认的秃发严重程度评分工具,

89 是任一区域脱发占总头皮面积的百分比，为该区域的脱发百
90 分比乘以该区域的头皮表面积百分比。SALT 评分为所有区
91 域脱发占总头皮面积的百分比之和。

92 SALT 评分 ≤ 20 分通常被认为是治疗后外观上可接受的
93 毛发生长程度，是目前认为的具有临床意义的改善。因此，
94 推荐 SALT 评分 ≤ 20 分的试验参与者百分比作为主要终点指
95 标。主要终点评价时间需根据药物作用机制、药代动力学特
96 点、治疗目标、探索性研究数据等进行合理设定。也可根据
97 新药的预期疗效，选择反映更大临床获益的指标，如 SALT
98 评分 ≤ 10 分等。

99 SALT 评分需要拍摄头部 4 个区域照片并进行盲态评估，
100 每次在同一位置和相同光线条件下进行拍照，减少偏倚对试
101 验结果的影响。针对普秃存在眉毛、睫毛脱落的参与者，需
102 对双侧眉部和睫毛拍照。应在临床试验开展前，建立完善的
103 拍照和评估标准操作流程（SOP），确保试验数据的质量。

104 次要疗效终点的考虑

105 次要疗效终点应包含主观和客观评价指标。

106 推荐在整个试验周期，在不同访视点，从毛发生长情况
107 和患者生活质量方面进行充分的疗效评价，包括但不限于以
108 下指标：

109 1、SALT 评分相关指标

110 推荐从不同维度对 SALT 评分进行评价：

111 (1) 治疗后, SALT 评分 ≤ 10 分、 ≤ 20 分、 ≤ 30 分的试验
112 参与者百分比。

113 (2) SALT50 表示治疗后 SALT 评分较基线下降 $\geq 50\%$,
114 是治疗成功的可接受目标。可选择评价达到 SALT50、SALT75、
115 SALT90 和 SALT100 的试验参与者百分比。

116 (3) SALT 评分较基线的绝对值变化和/或变化的百分比。

117 2、对眉毛、睫毛的评价

118 眉毛、睫毛脱落对外观影响较大, 因此, 除了评价头皮
119 毛发生长情况外, 建议次要疗效终点包括对眉毛和睫毛生长
120 情况的评价。

121 眉毛评估仅对合并眉毛脱落者进行, 睫毛评估仅对合并
122 睫毛脱落者进行。

123 可考虑评估用药后, 眉毛/睫毛脱落基本恢复正常或较基
124 线有临床意义的改善的参与者比例。应在方案中对于有临床
125 意义的眉毛/睫毛脱落的改善进行明确定义。

126 3、对生活质量的评估

127 斑秃对患者的生活质量和心理健康会产生较大负面影
128 响。建议对影响生活质量的毛发生长满意度进行评价, 可考
129 虑选择如患者报告的头发满意度 (SPRO)、患者报告的头发
130 质量 (QPRO)、患者头发生长满意度 (P-Sat) 等指标; 还应
131 对患者心理状态和生活质量进行评价, 可选择如斑秃症状/影
132 响量表 (AASIS)、皮肤病生活质量指数 (DLQI) 和医院焦虑

133 抑郁量表（HADS）等指标。

134 五、安全性评价

135 斑秃会反复复发，且尚不能根治，需要接受长期治疗，
136 因此试验药物长期治疗的安全性需要高度关注。建议开展长
137 期给药的安全性研究，观察至少 52 周以上，确保有足够的暴
138 露时长用以充分评估药物的安全性。

139 六、儿科人群临床试验的考虑

140 儿科人群斑秃患者中抑郁和焦虑障碍发生率较高，可能
141 会导致儿童社会退缩行为、引发自卑，或伴有行为改变；同
142 时，儿科人群相对于成人，治疗需求更为迫切，鼓励在儿科
143 人群中逐步递进地开展斑秃临床试验。

144 在试验设计时应充分考虑不同年龄段儿科人群的生长
145 发育特点。在疗效评估时，如儿科评估量表与成人量表存在
146 差异，应结合儿科人群特点，选择适合且经过验证的量表。
147 在安全性评估时，应额外收集儿科人群生长发育的评价结果。
148 在获益-风险评价时也应较成人更为慎重。

149 申请人应尽早考虑制定儿科研发计划，包括研发时间表、
150 幼龄动物毒理研究、不同年龄段人群的临床试验设计等。在
151 获得充分的非临床数据、成人初步疗效和安全性数据，以及
152 青少年药代动力学特征等基础上，如未显示额外年龄相关安
153 全性担忧时，可考虑尽早开展斑秃儿科患者的临床试验。

154 七、参考文献

- 155 [1] 张建中等,中国斑秃诊疗指南(2019)[J]. 临床皮肤科杂
156 志, 2020年49卷第2期: 69-72。
- 157 [2] 国家药品监督管理局. 《药物临床试验的生物统计学
158 指导原则》[EB/OL]. 2016年6月.
159 <https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfo?page?zdyzId>
160 [CODE=faf2ca6b8fc2989eb660ac2b9e4053c2.](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfo?page?zdyzId)
- 161 [3] 《以患者为中心的药物临床试验设计技术指导原
162 则》[EB/OL]. 2023年7月
163 <https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfo?page?zdyzId>
164 [CODE=92122cd363a052ee70be9f40e4487409.](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfo?page?zdyzId)

165 八、附录

166 秃发严重程度评分工具评分 (SALT)

167 头皮脱发评估基于美国斑秃基金会工作委员会发明的评
168 估工具。该工具被称为“秃发严重程度评分工具”(SALT评
169 分)。根据 SALT, 将头皮分为 4 个区域, 即,

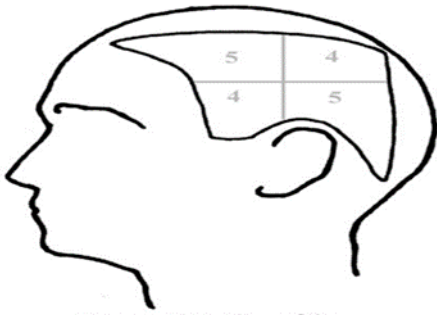
170 顶部(头顶): 头皮表面积的 40% (0.4);

171 头皮右侧: 头皮表面积的 18% (0.18);

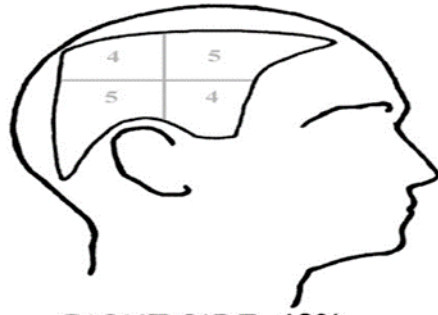
172 头皮左侧: 头皮表面积的 18% (0.18);

173 后部(头皮后部): 头皮表面积的 24% (0.24)。

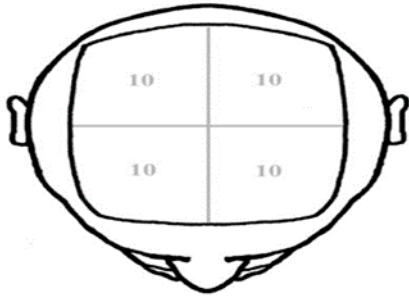
174 任一区域脱发占总头皮面积的百分比为该区域的脱发百
175 分比乘以该区域的头皮表面积百分比。SALT 评分为所有上
176 述区域脱发占总头皮面积的百分比之和。



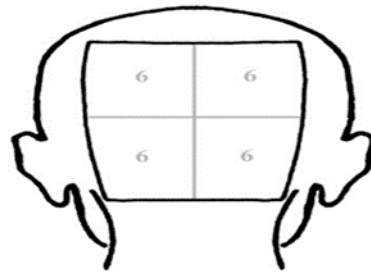
LEFT SIDE: 18%



RIGHT SIDE: 18%



TOP: 40%



BACK: 24%

177