

附件 3

《移植抗宿主病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

异基因造血干细胞移植治疗过程中由于免疫功能正常的供者细胞识别并对受者组织作出反应，导致患者出现的临床综合征即为移植抗宿主病，根据临床表现和发病时间主要分为急性移植抗宿主病、慢性移植抗宿主病。移植抗宿主病是异基因造血干细胞移植后常见且严重的并发症，严重影响患者的生存率和生活质量。

治疗移植抗宿主病的药物主要为抑制T细胞等免疫抑制药物。糖皮质激素是移植抗宿主病的一线系统治疗。临床对于具有新作用机制、安全有效性更高的移植抗宿主病治疗药物具有迫切需求。本指导原则旨在为移植抗宿主病治疗药物的研发提供技术指导。

二、起草过程

本指导原则由药品审评中心化药临床二部牵头，起草工作自 2026 年 2 月启动，指导原则核心工作组内部定期开会讨论，2026 年 7 月形成初稿。2026 年 7 月 7 日经部门技术委员会审议通过，并根据技术委员会委员提出的建议进一步修订完善，征求中心内部意见后形成此外部征求意见稿。

三、起草思路

本指导原则起草过程中，充分调研了移植物抗宿主病治疗药物研发进展，借鉴参考了国内外监管机构发布的相关指导原则，广泛查询国内外诊疗指南、教材书籍、移植物抗宿主病治疗药物在国内已批准上市药物相关信息等。

四、主要内容

本指导原则主要讨论了移植物抗宿主病治疗药物临床试验总体设计、适应症定位、研究人群以及疗效评价等重点关注内容。仅作为推荐性建议。指导原则分为七个章节，包括概述、临床药理学研究、探索性临床试验、确证性临床试验、安全性评价、其他需要关注的问题和参考文献。

本指导原则适用于移植物抗宿主病治疗药物的临床研究，包括化学药品和治疗用生物制品。