

# 《慢性心力衰竭相关中药新药临床研究 技术指导原则（征求意见稿）》 起草说明

## 一、起草目的

此前，我国先后发布的中药新药用于治疗慢性心力衰竭（心衰）的临床研究指导原则有 3 个：1993 年卫生部发布的《中药新药治疗充血性心力衰竭的临床研究指导原则》、2002 年国家食品药品监督管理局颁布的《中药新药治疗心力衰竭的临床研究指导原则》和 2017 年国家食品药品监督管理总局药品审评中心《中药新药用于慢性心力衰竭临床研究技术指导原则》，这 3 个文件在不同的历史时期对我国治疗慢性心衰中药新药的临床研究起了积极的作用。随着医疗实践的发展和中药审评审批改革的推进，近几年慢性心力衰竭中药新药研发活跃，因此有必要对用于治疗慢性心衰中药新药研发的指导原则进行修订，以适应中药新药研发的需求，以期慢性心力衰竭相关中药新药的研发提供指导，体现中医药治疗的优势和特点。

## 二、起草过程

2026 年 8 月 25 日邀请 8 位中医、西医心血管临床专家围绕慢性心力衰竭诊疗现状，中药新药临床定位、中医证候标准的处理方式、影响疗效评价的关键分层因素、疗效评价

指标与人用经验应用等问题进行研讨。

其后，起草组根据中药用于慢性心力衰竭的治疗和审评实践，“三结合”注册审评证据体系的要求，结合专家意见，经技术委员会讨论后形成指导原则征求意见稿。

### **三、起草思路**

本指导原则根据“三结合”审评证据体系下中药临床研发和审评的新要求，制定新的体例框架，打破既往中药适应症临床研究指导原则仅关注试验设计的撰写模式，突出中医药理论和人用经验对中药新药研发的支持作用，加强对慢性心力衰竭中药人用经验收集需重点关注内容的指导，引导申请人在进行慢性心力衰竭相关中药新药临床研发时，关注中医药理论、人用经验和临床试验的有机整合，共同构成有效性评价的证据。

内容方面，从现阶段中医药治疗慢性心力衰竭的临床实际需求出发，以突出中医药的特点和优势为目标，梳理并调整了慢性心力衰竭相关中药新药的研发方向，并针对人用经验和临床试验研究提出了需关注的问题，以指导和鼓励研发。

### **四、主要内容**

#### **（一）主要内容**

本指导原则旨在为慢性心力衰竭相关的中药新药临床研发提供建议和一般性方法学指导，其内容涵盖基于“三结合”注册审评证据体系的研发一般原则、研发方向、人用经

验研究和临床试验过程中需要关注的问题等。

## （二）主要特点

一是体现了“三结合”的研发和审评理念。关注中医药理论和人用经验在中药新药研发中的作用，特别提出人用经验收集中需关注的问题。鼓励在临床实践中分析总结慢性心力衰竭病机的演变规律，鼓励收集慢性心力衰竭原发疾病、分期、分型、中医证候、可能影响有效性结果的生物标志物等；鼓励融合临床表型、影像、心电、遗传、生物标志物以及新型可穿戴式心电生理监测参数等多源异构信息。引导研发者在临床实践中挖掘最佳获益人群的特征和临床获益。

二是突显中医药特色。结合中医临床实践和中药新药审评实践，特别鼓励基于中医“治未病”理论和“以患者为中心的药物研发”理念，在心衰各阶段，特别是早期阶段（阶段 A、阶段 B），针对慢性心力衰竭发生发展的基本病理生理过程，挖掘中药新药的未病先防的临床价值。

三是对于研发方向和疗效评价指标，尽可能的举例说明，不再限定主要疗效指标和疗效评价标准，鼓励临床医生和申请人基于临床实践发现、探索和确认中药特点，拓展中药新药的研发思路。

## 五、需要说明的问题

一是本指导原则中的研发方向和对技术要求的考虑，仅适用于申请人认为申报品种可治疗、预防慢性心力衰竭时参

照执行。在具体研发过程中，研究者应当根据中药新药的自身优势和特点，合理确定研发方向并设计人用经验研究和临床试验方案。

二是目前尚无符合中医药特点的公认的中医证候相关评价工具和方法，是研发的难点之一。指导原则针对现阶段可借鉴的评价工具进行了举例说明，鼓励研究者以患者为中心，确定疗效评价标准，充分体现患者获益。

三是指导原则仅针对慢性心力衰竭相关中药新药临床研究中的特殊性问题进行阐述，其他共性问题，如样本量和安全性评价要求等，应当参照相关指导原则执行，指导原则中未做重复表述。

四是 2017 年 12 月发布的《中药新药用于慢性心力衰竭临床研究技术指导原则》不再适用。