

斑秃治疗药物临床试验技术指导原则

国家药品监督管理局药品审评中心

2026 年 10 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.....	5
（六）安全性评价.....	7
五、参考文献.....	7
六、附录.....	7

一、概述

斑秃 (Alopecia areata, AA) 是一种常见的炎症性非瘢痕性脱发。中国人群斑秃患病率为0.27%。斑秃的病因尚不完全清楚，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。斑秃轻症患者大部分可自愈，约半数患者反复发作，可迁延数年或数十年。少数患者病情严重，脱发可累及整个头皮，甚至全身的被毛。广泛脱发或长期病程会显著影响患者生活质量，合并焦虑、抑郁等心理障碍。目前，斑秃的治疗选择有限，研发斑秃治疗药物存在临床需求。

本指导原则主要针对斑秃治疗药物的临床开发及确证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。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。

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

二、临床试验总体考虑

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

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

轻度斑秃患者大部分可自愈。中度斑秃患者也有部分可以自发缓解，但呈现慢性病程或反复复发；还有部分中度斑秃患者无法自发缓解。重度斑秃患者因脱发严重且不容易自发缓解，治疗需求最为迫切。因此，建议药物研发重点人群为重度斑秃患者，也可基于药物特点及研发目标开展中度斑秃患者的研发。关于中度斑秃的研究设计，建议与监管机构进行沟通。

儿科人群斑秃患者中抑郁和焦虑障碍发生率较高，可能会导致引发自卑，或伴有行为改变，因此儿科人群相对于成人治疗需求更为迫切，鼓励在儿科人群中根据年龄逐步递进地开展斑秃临床试验。在试验设计时应充分考虑不同年龄段儿科人群的生长发育特点。在疗效评估时，应结合儿科人群特点，选择适合且经过验证的量表。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。在获益-风险评价时也应较成人更为慎重。申请人应尽早考虑制定儿科研发计划，包括研发时间表、幼龄动物毒理研究、不同年龄段儿科人群的临床试验设计等。

斑秃为非危及生命的疾病，治疗目标为促进毛发生长以提高生活质量，因此对于药物获益-风险评价应十分慎重，尤

其对于安全性评价。同时，不同年龄段患者对疗效的期望和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的满意程度也存在个体差异，因此进行获益-风险评价时，应对获益的大小、可接受的安全性特征和患者的需求，进行充分权衡和综合评估。

三、早期探索性临床试验

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

四、确证性临床试验

（一）总体设计

确证性临床试验建议采用随机、双盲、对照、平行分组试验设计。

（二）试验人群

试验人群应符合国内外斑秃诊疗指南与行业共识，可参考临床指南或共识更新斑秃严重程度判断标准。如选择重度斑秃人群作为试验人群，通常要求 SALT(Severity of Alopecia Tool)评分 ≥ 50 分，并建议入组一定比例的全秃和普秃患者。建议病程 ≥ 6 个月，且近 6 个月内无自发缓解迹象。

建议排除合并瘢痕性脱发、雄激素性脱发等其他脱发疾

病的患者；既往接受系统糖皮质激素、免疫抑制剂、JAK 抑制剂，生物制剂等斑秃相关治疗，在排除标准中设置合理的洗脱期。

试验纳入的人群需具有广泛代表性，覆盖不同年龄、性别、病程和临床类型（可包括全秃、普秃、匍行型等），以符合临床实践。

（三）研究周期

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

斑秃是一种慢性疾病，需要长期治疗，建议考察试验药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，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情况。应在方案中对获益进行明确定义。

斑秃可能间断复发，因此，建议对复发的情况进行观察。

（四）对照的选择

对于新药的研发，在无标准治疗方法且不涉及伦理问题的前提下，通常建议开展随机、双盲、安慰剂对照的优效性临床试验。在有公认安全有效的标准治疗方法时，可根据疾病特点、临床需求、试验目的等，开展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为对照的三臂试验。

（五）有效性终点

临床试验应选择经验证的评分量表。

主要终点的考虑

SALT 评分是一种目前公认的秃发严重程度评分工具。

对于纳入重度斑秃患者的临床试验，SALT 评分 ≤ 20 分通常被认为是治疗后外观上可接受的毛发生长程度，是目前认为的具有临床意义的改善。因此，推荐达到 SALT 评分 ≤ 20 分的试验参与者百分比作为主要终点指标。也可根据新药的预期疗效，选择反映更大临床获益的指标，如 SALT 评分 ≤ 10 分等。对于纳入中度斑秃患者的临床试验，建议结合试验药物特点，选择能够充分反应临床获益的有效性终点，建议与监管机构就拟定终点的科学性进行沟通。

主要终点评价时间需根据药物作用机制、药代动力学特点、治疗目标、探索性研究数据等进行合理设定。

次要疗效终点的考虑

建议申办者根据研究目的选择合适的次要疗效终点。推荐在整个试验周期，在不同访视点，从毛发生长情况和患者生活质量方面进行充分的疗效评价。

1、SALT 评分相关指标

对于重度斑秃患者，可从以下不同维度对 SALT 评分进行评价，例如：

（1）治疗后，达到 SALT 评分 ≤ 10 分、 ≤ 20 分的试验参

与者百分比。

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

(3)SALT 评分较基线的绝对值变化和/或变化的百分比。

对于纳入中度斑秃患者的临床试验, 建议结合试验药物特点, 选择能够充分反应临床获益的次要疗效终点, 建议与监管机构就拟定终点的科学性进行沟通。

2、对眉毛、睫毛的评价

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

眉毛评估仅对合并眉毛脱落者进行, 睫毛评估仅对合并睫毛脱落者进行。

可考虑评估用药后, 眉毛/睫毛脱落达到基本恢复正常或较基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意义的眉毛/睫毛脱落的改善进行明确定义。

3、对生活质量的评估

斑秃对患者的生活质量和心理健康会产生较大负面影响, 建议对患者用药后的改善进行评价, 可考虑选择皮肤病生活质量指数 (DLQI) 和医院焦虑抑郁量表 (HADS) 等指标。

（六）安全性指标

斑秃为一种慢性疾病，会反复发作，应收集试验药物的长期安全性数据。临床试验过程中，常规对不良事件、实验室检查、体格检查、生命体征、心电图等安全性指标的记录和分析。

此外，还需特别关注：影响免疫系统的药物中潜在安全性问题，包括感染和恶性肿瘤等。生物制品在临床试验中应同时检测免疫原性，并分析对药物疗效、安全性和药代动力学的影响。

五、参考文献

- [1] Jinran Lin, Xiangqian Li, Cheng Zhou, et al. Chinese Guidelines for the Diagnosis and Treatment of Alopecia Areata (2026 Edition) [J]. Skin 2026;1(1):61-74.
- [2] 中国儿童斑秃诊断和治疗专家共识（2026版）[J].
中华皮肤科杂志，2026, 59(4): 291-303.
- [3] 国家药品监督管理局.《药物临床试验的生物统计学指导原则》[EB/OL]. 2016年6月.
<https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=faf2ca6b8fc2989eb660ac2b9e4053c2>.

六、附录

秃发严重程度评分工具评分（SALT）

头皮脱发评估基于美国斑秃基金会工作委员会发明的评

估工具。该工具被称为“秃发严重程度评分工具”（SALT 评分）。根据 SALT，将头皮分为 4 个区域，即，

顶部（头顶）：头皮表面积的 40%（0.4）；

头皮右侧：头皮表面积的 18%（0.18）；

头皮左侧：头皮表面积的 18%（0.18）；

后部（头皮后部）：头皮表面积的 24%（0.24）。

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

