以患者为中心的临床试验实施技术指导原则

起草说明

一、起草目的

“以患者为中心”的药物研发是指以患者需求为出发点、视患者为主动参与者、以临床价值为最终目的，该理念已成为当前药物研发的核心指导思想。为了指导以患者为中心的临床试验的实施，即实施更加患者可及、友好、便利的临床试验，药品审评中心组织起草了《以患者为中心的临床试验实施技术指导原则》，旨在阐明以患者为中心的临床试验的一般原则、临床试验实施整体和具体环节中的考虑以及其他注意事项，为临床试验实施提供指引和参考。

1. 起草过程

本指导原则由药审中心化药二部牵头立项。起草工作自2021年6月末启动，进行多方调研后于2022年3月末形成大纲，5月中形成前期初稿，在指导原则核心工作组内定期开会讨论。6月24日召开了第一次专家讨论会，邀请了研究者和业界代表对指导原则初稿进行了充分的讨论和交流，会后针对关键问题再次在核心工作组内展开讨论，并结合专家们的意见形成本征求意见稿。

三、起草思路

国际人用药品注册技术协调会（International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use，ICH)以及美国食品药品监督管理局（FDA）等各国监管机构均在探索如何将“以患者为中心”作为核心指导思想，将患者的体验、观点和需求纳入到药品临床试验的设计、实施和获益-风险评估中。目前，我国也着力发展以患者为中心的药物临床研发，先后发布了《以临床价值为导向的抗肿瘤药物临床研发指导原则》、《患者报告结局在药物临床研究中应用的指导原则》、《罕见病药物临床研发技术指导原则》、《组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则（征求意见稿）》等指导原则。

起草过程中，工作组通过查阅国内外监管法规指南及文献资料、组织专家讨论、患者问卷调研等方法，构建了以患者为中心的药物临床试验设计、实施和评价体系的思路框架。本指导原则提出以患者为中心的临床试验实施的一般原则，并提出临床试验实施过程中可能考虑采用的新技术、新方法及其相关风险考量。

四、主要内容

本指导原则主要分为五个章节，分别为引言、一般原则、临床试验实施中的考虑、其他注意事项、结语和参考文献。主要内容包括：

第一节 引言：主要阐述了本指导原则的背景、意义、患者体验数据的定义和以患者为中心的临床试验实施的内涵、本指导原则主要内容及适用范围。

第二节 一般原则：强调在遵循GCP的基本原则下，提出三个应重点关注的方面，即可采用一些新技术、新方法、新模式改善受试者体验、减轻受试者负担，同时应关注随之而引入的受试者安全和权益的保护、数据质量方面的风险。

第三节 临床试验实施中的考虑：分为两个部分。第一部分阐述了整体实施计划的考虑，包括采用新技术、新方法、新模式时应关注其必要性和合理性、应经过充分风险评估和论证、可采用完全或混合模式等考虑，避免盲目推进。第二部分阐述了临床试验实施中受试者招募、知情同意、访视、给药、采集数据、安全性监测和报告、监查、报销和补偿等八个环节中的考虑，每部分提出以患者为中心的临床试验实施中应考虑的原则、可采用的新模式以及采用新模式时可能引入的风险及考量，包括受试者权益和安全保护及数据质量可能面临的风险及其相应考量。

第四节 其他注意事项：分为两部分。第一部分阐述了实施中应加强多方的沟通，包括与受试者的沟通、团队各方的沟通及与审评机构进行沟通。第二部分阐述了对研究团队及受试者的培训和教育的重要性。

第五节 结语：对本指导原则进行了总结，并提出目前存在的困难和挑战及对未来的展望。