以患者为中心的临床试验获益-风险评估技术指导原则（征求意见稿）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获益风险评估，将患者需求纳入到药物的获益-风险评估体系中，药品审评中心组织起草了《以患者为中心的临床试验获益-风险评估技术指导原则》，旨在阐明患者体验数据的定义、分类，和基于患者体验数据进行获益-风险评估的适用范围、科学考量、与审评机构的沟通等，为申办者如何运用患者体验数据支持上市注册申请及全生命周期的获益-风险评估提供参考。

二、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，进行了多方调研，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部定期开会讨论。6月24日召开第一次专家讨论会，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，并结合专家意见形成初稿。经药审中心内部征求意见，部门技术委员会审核，形成征求意见稿。

三、起草思路

国际人用药品注册技术协调会（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、开展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获益-风险评估的一般原则，并提出基于患者体验数据进行获益-风险评估的适用范围和相关因素考量。

四、主要内容

本指导原则主要分为六个章节和参考文献，六章节分别为引言、一般原则、患者体验数据的分类、患者体验数据支持获益-风险评估、沟通交流和结语。主要内容包括：

第一节 引言：主要阐述了本指导原则的背景和意义、患者体验数据的定义、本指导原则主要内容及适用范围。

第二节 一般原则：明确了患者体验数据使用的基本原则，可靠的患者体验数据可作为获益-风险评估的证据之一，应用方法学合理的、适用于目的收集工具获得的患者体验数据，可增加其在获益-风险评估中的适用性。此外，体验数据的收集过程是贯穿药品研发全生命周期的、是动态的、逐步深入的。

第三节 患者体验数据的分类：首先讨论了患者体验数据的几种分类方法，其次重点阐述了临床结局评估（COA）和患者偏好信息（PPI）两类患者体验数据，主要描述了两者定义、分类以及在获益-风险评估中的应用考量。

第四节 患者体验数据支持获益-风险评估：分为三部分。第一部分阐述了获益风险评估的重要因素，包括疾病背景分析、当前治疗选择、具体药物获益、风险及风险管理。第二部分阐述了患者体验数据在获益风险评估的不同环节中的适用性，重点内容归纳于指导原则正文表1。第三部分阐述了患者体验数据在药物全生命周期的不同阶段用于获益风险评估的场景。

第五节 沟通交流：鼓励申办者在计划收集和利用患者体验数据作为获益-风险评估时，尽早与审评机构沟通，以获得关于研究设计、数据采集和监管是否符合要求的及时反馈。

第六节 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。