

《腺相关病毒载体类体内基因治疗产品临床试验申请药学研究与评价技术指导原则》起草说明

由于早期《体内基因治疗产品药学研究与评价技术指导原则》修订过程中，部分意见反馈希望中心能针对体内基因治疗产品在申报临床阶段的药学研究要求制定相应的指导原则。基于以上诉求，考虑到近年腺相关病毒载体类基因治疗产品在血友病等遗传病和罕见病中呈现出的独特治疗优势，中心收到腺相关病毒载体类体内基因治疗产品的咨询和受理数量增长迅速，因此，组织相关人员起草了《腺相关病毒载体类体内基因治疗产品临床试验申请药学研究与评价技术指导原则（征求意见稿）》，提出了 AAV 类体内基因治疗产品在申报临床时需要关注或完成的药学研究要求。

本征求意见稿在遵循《体内基因治疗产品药学研究与评价技术指导原则》基本理念和一般原则的基础上，充分考虑了腺相关病毒载体的特点。指南撰写过程中，主要针对腺相关病毒载体类体内基因治疗产品早期研发过程中需要关注的药学研究问题进行阐述，其他在中国药典和早期发布指南中介绍的要求将不在指南中重复强调。本指导原则包括前言、使用范围、一般原则、生产用物料、生产工艺、质量研究与质量标准、稳定性研究、包装与密封容器系统、参考文献等章节。

本征求意见稿已于 2023 年 5 月完成了第一次专家咨询会，根据咨询意见，对指南进行了补充和完善，现向社会公开征求意见，欢迎各界提出宝贵意见和建议。