

《真实世界证据支持儿童药物研发与审评的技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

考虑到我国儿童药物研发及药品注册的实际需要，及时传递药品监管机构对于新研究理念与方法的考虑，配合 ICH E11（R1）指南在我国落地实施，帮助药物研发者和临床研究者更好的理解《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则》在儿童药物研发中的应用，我中心起草了《真实世界证据支持儿童药物研发与审评的技术指导原则》，经中心内部讨论，并征求部分专家意见，形成征求意见稿。

现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

与成人研究相比，设计和执行以儿童为受试者的临床研究面临更多困难与挑战，使得试验难以开展或进展缓慢，因此，按照传统临床试验的设计和研究方法，严重影响了儿童药物的临床可及性以及获得足以评估儿童剂量合理性的数据。这也正是目前全球所共同面临的儿童药品短缺与超说明书用药的重要原因之一。

为寻求更佳的儿童药物研发策略和研究方法，各国药品监管机构、制药工业界和学术界正在进行深入的交流与探索，其出发点非常明确，即利用更多的新方法和新技术获得儿童合理用药的证据，节约儿童临床研究资源且降低试验风险。

应用真实世界研究的方法获得可靠数据，并形成用于支持监管决策的证据是诸多新方法和新技术中的一种，为儿童新药研发、扩展儿童适应症、完善儿童用药剂量等提供支持。

国家药品监督管理局于 2020 年 1 月 7 日发布了《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则》。文中明确指出，利用真实世界证据是儿童药物研发的一种策略。本指导原则在《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则》内容的基础上，着重介绍真实世界证据支持儿童药物研发时的关注点。

二、起草过程

本指导原则由化药临床一部牵头，统计与临床药理学部参与撰写，化药临床二部和中药与民族药临床部参与修订。本项工作自2020年1月启动，2020年4月形成初稿，经药审中心内部各相关专业征求意见，技术委员会审核，形成征求意见稿。

三、主要内容与说明

本指导原则介绍了真实世界研究的应用范围和真实世界证据的应用时机，阐述了真实世界研究与传统临床试验的关系，例举了真实世界证据支持儿童药物研发的案例，最后提出需要注意的问题。

本指导原则仅代表药品监管机构当前的观点和认识，供药物研发者和临床研究者参考。随着科学研究的进展及实践

经验的积累，将不断完善本指导原则的内容。应用本指导原则时，应同时参考ICH E11（R1）指南、《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则》及其他国内外相关技术指导原则。