

《慢性鼻窦炎伴鼻息肉治疗药物临床试验 技术指导原则（征求意见稿）》 起草说明

一、起草目的

慢性鼻窦炎伴鼻息肉（CRSwNP）是鼻窦炎临床分型之一，主要症状为鼻塞，黏性或黏脓性鼻涕，同时可伴有头面部胀痛，嗅觉减退或丧失，严重影响患者的生活质量。那些对传统治疗反应不佳的患者迫切需要新的、有效且安全的治疗药物。目前已有 CRSwNP 治疗用生物制剂获批上市，并多个新机制、新靶点药物处于临床研发阶段。为了科学引导企业开发 CRSwNP 治疗药物，药品审评中心组织起草了《慢性鼻窦炎伴鼻息肉治疗药物临床试验技术指导原则（征求意见稿）》，旨在明确技术标准，包括对临床试验设计的具体考虑以及申报上市的临床证据要求等，以期为工业界和监管机构提供有益指导。

二、起草过程

本指导原则起草工作于 2024 年 9 月初启动，在参考国外相关指导原则基础上，经起草小组充分调研和讨论，明确了本技术指导原则的主要框架。在借鉴国外相关指导原则的基础上，结合审评实践，9 月末形成初稿。10 月 9 日经部门技术委员会审核，会议总体认可本指导原则框架及内容。

2025 年 6 月 17 日召开了专家讨论会，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展开讨论。7 月 8 日经化药临床二部技术委员会审核，形成外部征求意见稿。

三、起草思路

本指导原则聚焦 CRSwNP 治疗药物临床试验设计要点和审评要求。通过分别阐述早期探索性临床试验以及确证性临床试验的设计要点，对 CRSwNP 治疗药物的研发整体策略和临床试验设计提供参考。指导原则中主要对研究人群、研究周期以及疗效指标的选择等多个关键设计要素进行分析和评估。同时对 CRSwNP 治疗药物的安全性评价关注点进行相应论述。旨在基于申报上市申请时提供充分的有效性和安全性数据评估药物的总体安全性特征，为获益-风险充分评估提供支持。

四、主要内容

本指导原则主要分为五个章节和附录，五章节分别为概述、早期探索性临床试验、确证性临床试验、临床试验一般性考虑、主要参考文献。

五、需要说明的问题

1.关于总体架构，在借鉴国际相关技术指南的基础上，基于科学原则并参考国内临床研究实践，结合国内其它相关

适应症指导原则内容，按照药物开发的不同阶段序贯阐述包括探索性临床试验和确证性临床试验等各阶段的关键要素和审评考虑，以提供指导。

2.本指导原则基于国内外 CRSwNP 患者人群特点，基于科学性原则，合理推荐确证性临床试验纳入人群特征的考虑，并基于 CRSwNP 疾病特点，描述了在主要疗效数据观察和收集方面的关键要素，以及合理的观察周期，为 CRSwNP 治疗药物临床试验设计提供指导。