

《组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则 (征求意见稿)》起草说明

患者参与到药物研发的全生命周期中，符合以临床价值为导向的药物研发宗旨。为了便于申办者更好地通过组织工作获得患者的体验信息和数据，药审中心撰写了《组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则》，形成征求意见稿。

一、起草目的

本指导原则主要阐述在组织患者参与药物研发工作中的重点内容及其框架，旨在为申办者如何组织患者参与到药物研发中来提供参考。

申办者可以依据研发目的决定是否以及何时开展患者参与研发工作，本指导原则鼓励申办者在药物研发整体计划中纳入患者体验信息和数据。

二、起草过程

(一) 指导原则制定情况

本指导原则由药审中心生物制品临床部牵头，起草工作自2022年2月初启动，2月末形成大纲，4月末完成前期初稿的撰写后，在指导原则核心工作组内部征求意见并开会讨论，5月16日征求了国内外有组织患者参与药物研发经验企业的意见，据上述意见对前期初稿进行了完善，于5月24日完成正式初稿。药审中心于6月2日组织召开了本指导原则初稿专家研讨会，会议邀请了研究者、行业协会代表和部分

企业代表。会后，与会人员针对尚需完善和斟酌内容分头修订，并再次开展了讨论，于6月16日完成初稿的修订工作，并在中心内部征求意见，同时征求了初稿专家研讨会参会者的意见。经对初稿的多次讨论和完善，并经部门技术委员会审核，于6月29日形成征求意见稿。

（二）征求意见采纳情况

初稿征求意见，共计收到123条修订意见，其中采纳83条，部分采纳5条，不采纳19条，问题澄清16条。指导原则核心工作组针对收到的反馈意见逐一进行了详细答复，对于需要澄清的问题也进行了沟通。采纳的意见主要是补充完善应进一步明确的内容以及对容易产生误解的内容进行了调整。不采纳的意见主要是修订前后的描述差别不大、举例内容无法穷尽或者是相同内容在其他章节已经有描述等。

三、起草思路

本指导原则充分考虑申办者实施组织患者参与药物研发工作的实际，明确了需遵循的基本原则、阐述组织工作的具体内容，并对需要关注的事项进行了列举。

四、主要内容

本指导原则主要分为6个章节，分别为概述、基本原则、组织工作、注意事项、示例和参考文献。主要内容包括：

第一节 概述：主要阐述了本指导原则制定的必要性和患者参与到药物研发中的重要性，同时明确适用范围和文件

中名词定义。

第二节 基本原则：分为六段内容，分别从对患者的保护、对申办者的保护以及申办者在组织工作中的责任、义务及行为规范等进行明确。

第三节 组织工作：包括三部分内容，第一部分阐述了药物研发不同阶段组织患者参与的目的不同；第二部分把组织患者参与的基本要素进行了详细的描述，包括患者方面要素的考虑以及申办者在组织形式、文件形成、人员培训等方面的考虑；第三部分是说明完成组织患者的工作之后，数据的采纳、汇总及与患者后续的沟通等内容。

第四节 注意事项：列举了申办者组织患者参与研发工作中需要关注的事项，是一种非穷尽的列举，申办者可在不断积累经验中逐步完善。

第五节 示例：通过举例的方式，简单梳理如何基于目的来组织患者参与药物研发工作的思路。