

组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则
（征求意见稿）

2022年7月

目 录

一、概述.....	2
二、基本原则.....	3
(一) 尊重患者意愿.....	3
(二) 获得知情同意.....	4
(三) 保护患者隐私.....	4
(四) 保证患者参与过程的透明.....	4
(五) 保守商业秘密.....	5
(六) 明确主体责任.....	5
三、组织工作.....	6
(一) 不同阶段的组织目的.....	6
(二) 基本要素考虑.....	7
(三) 组织后工作	15
四、注意事项.....	16
(一) 重点注意事项.....	16
(二) 其他注意事项.....	17
五、示例.....	18
六、参考文献.....	19

1 **组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则**

2 **(征求意见稿)**

3 **一、概述**

4 在药物研发过程中，倾听患者感受，关注患者视角，有
5 助于确保获取来自患者的体验、需求和区分优先级，这些信
6 息可作为临床试验关键质量要素之一，纳入整体药物研发计
7 划。患者的意见在药物研发的所有阶段都能体现其重要意义
8 和价值。申办者通过良好的组织患者参与药物研发工作，可
9 提高整体药物研发的质量和成功率，惠及患者、改善临床用
10 药现状，增加临床用药的选择。

11 良好的组织是有效地与患者互动、获得有意义信息的基
12 础，本指导原则主要阐述在组织患者参与药物研发工作中的
13 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
14 研发中来提供参考。同时，申办者应依据药物特点及自身实
15 际情况等依法依规开展组织工作。

16 申办者可以依据研发目的决定是否以及何时开展患者
17 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
18 中纳入患者体验信息和数据。

19 本指导原则适用于以注册为目的药物研发，其他临床研
20 究也可参考。

21 本指导原则中术语“患者”，不仅包括患者个体，还包括
22 患者的家属、监护者、看护者以及患者组织、联盟或者患者
23 团体等。同时，“患者个体”可以不是参加药物临床试验的受
24 试者；“组织患者参与药物研发”不是招募药物临床试验受试
25 者。

26 本指导原则主要包括第一节概述，第二节基本原则，第
27 三节组织工作、第四节注意事项和第五节示例等内容。

28 本指导原则仅代表药品监管部门当前的观点和认识，不
29 具有强制性的约束力。随着科学研究的进展，本指导原则中
30 的相关内容将不断完善与更新。

31 应用本指导原则时，还请同时参考药物临床试验质量管
32 理规范（Good Clinical Practice, GCP）、国际人用药品注册技
33 术协调会（International Council for Harmonisation of Technical
34 Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ICH）和其他
35 国内外已发布的相关指导原则。

36 **二、基本原则**

37 **（一）尊重患者意愿**

38 应本着患者自愿参与的原则。申办者不能因患者参与了药物
39 研发等的讨论，而认定患者必须参加药物临床试验；患者也不能
40 因为参与了药物研发而要求必须采纳其相关意见。

41 在参与过程中，注意保持患者之间、申办者与患者之间的平

42 等。

43 申办者对于参与的患者所提供的自身体验或者意见等，应保
44 持理解予以尊重。

45 （二）获得知情同意

46 在开展组织工作前，申办者应给予患者充分时间了解参与
47 工作的详情，在完成参与患者的知情同意书签署后，方可开展组
48 织工作。知情同意书的内容可包含：参与内容简介、参与形式、
49 预计时间、涉及录音录像材料和组织工作产出的所属权、保密协
50 议、协议生效和终止日期、应遵守的法律法规等。

51 （三）保护患者隐私

52 应严格遵守国家相关法律法规等，保护患者隐私和来自患者
53 的信息。

54 患者的个人信息包括但不限于：姓名、性别、年龄、患病情
55 况等基本信息以及收集的患者体验和意见等内容，申办者应明确
56 规定何种岗位可以知晓何种范围的信息等。

57 对于不愿意以集体形式参与的患者，可以采取一对一面会、
58 电话或者视频、互联网链接或者电子邮件等方式，应尊重患者个
59 人意愿和选择方式，并且不强制患者视频时打开摄像头。

60 （四）保证患者参与过程的透明

61 申办者应明确收集到的信息将如何使用、信息公开的范畴、
62 产生的费用等内容。应向参与的患者公开申办者联系方式、联系

63 人员、网址等内容。如果可能，建议申办者设专项部门和/或项
64 目负责人对接。

65 鉴于临床试验是药物研发的关键内容之一，如果是征求临床
66 试验方案设计或实施等有关的内容，那么，对于没有药物临床试
67 验经验的患者，应首先保证患者了解什么是临床试验；在哪里可
68 以获得临床试验相关信息，例如：临床试验的目的及风险、药物
69 研发的整体背景和临床试验进展、临床试验募集什么样的受试者
70 等基本内容。

71 鼓励申办者在适当时间将参与患者的反馈建议信息以及药
72 物研发信息等对患者进行定向公开或者一般公开，增加透明性，
73 例如：通过《患者社群沟通函》汇总最新研究进展和研究结果等
74 资料，还有患者常见问题回答等。

75 (五) 保守商业秘密

76 参与药物研发的患者不得披露申办者的商业秘密、未披露信
77 息或者保密商务信息等，以保护知识产权和投资等。

78 (六) 明确主体责任

79 在组织患者参与药物研发工作中，申办者应依据法律法规等
80 承担药物研发的相关责任和义务，鼓励申办者直接组织患者参与
81 药物研发工作。申办者无论是否委托其他独立主体开展组织工作，
82 均应确保获得数据的客观性，避免已知或潜在的利益冲突导致的
83 偏倚。

84 **三、组织工作**

85 （一）不同阶段的组织目的

86 鼓励患者参与到药物研发的全生命周期中。从研发立题
87 到整体研发计划，从临床试验开始前、临床试验实施中以及
88 完成临床试验后等各个阶段，都能够纳入患者来全程参与。
89 患者参与研发可以加深其对研究的理解，消除疑虑，增加信
90 任，一旦药物研发进入临床试验阶段，还可促进受试者招募
91 并提高依从性。

92 在药物研发的不同阶段，组织患者参与到药物研发的目的
93 的会有所变化。

94 在研发立题阶段，主要是获取患者实际需求、患者当前
95 治疗经验（如适用）、对获益-风险权衡的信息等，从而有助
96 于申办者明确研发计划的可行性，特别是罕见病用药、创新
97 药的研发。

98 在临床试验开始之前，患者可以提供其所患疾病或状
99 况的自身认知，及其预期经药物治疗之后获益程度和愿意接
100 受的风险水平等，这可能有助于确定对患者有意义的研究终
101 点、选择合适的研究人群和研究持续时间，以及使用合适的
102 对照。申办者基于一定原则、选择性地将所获得的患者体验
103 或意见纳入临床试验方案、临床试验知情同意书、研究者手
104 册等文件中，明确是否将患者报告结局（PRO, Patient-reported

105 outcome) 作为评价指标(可参考《患者报告结局在药物临床
106 研发中应用的指导原则(试行)》)等。

107 在临床试验实施过程中,必要时组织收集非受试患者的
108 意见,主要目的是完善、优化临床试验方案,也包括分析关
109 于招募困难或者临床试验开展前未预料的问题等。

110 临床试验结束后,可以通过适当方式、选择适当时机,
111 与患者分享临床试验结果,并获得患者的反馈,为进一步的
112 研发提供支持。申办者如果拟提出药物上市申请,在制定说
113 明书阶段,考虑药物临床使用实际,也可征求患者意见。

114 药物获批准上市之后,患者亦可以作为获益风险评估的
115 参与者之一。

116 (二) 基本要素考虑

117 1. 患者方面

118 申办者应考虑患者的人口学背景、文化及教育背景、生
119 活环境、地域差异、临床特征等。在一个环境下或者在一个
120 项目中,尽量保持上述因素的均衡。同时应兼顾参与到其中
121 的患者的多样性,如患者的经验、观点、需求等。

122 人口学背景包括年龄、性别、种族等。文化及教育背景
123 主要指受教育程度,具体体现在各级阅读、写作、计算、理
124 解问题能力、语言表达能力以及获取和理解健康信息的能力
125 等。

126 临床特征包括疾病或状况的严重程度范围。例如：出现的
127 的症状和/或功能影响范围；合并症范围；身体和认知能力范
128 围等。

129 2.申办者方面

130 在组织患者参与药物研发工作之前，应从组织形式、文
131 件形成、人员培训等方面考虑。

132 2.1 组织形式

133 组织形式可以多样化。例如：面对面会议、线上会议（视
134 频或者电话）、电话、互联网链接、电子邮件等。

135 采取何种形式，取决于申办者的整体研发计划，包括适
136 用性、可行性以及时间、地点、经费等的事先评估，并且考
137 虑到患者对参与形式的偏好，应尽可能保证在不增加参与患
138 者负担的前提下，按照方案完成，获得有意义的信息。

139 每种组织形式都存在潜在的优势和局限性。

140 例如：

141 （1）面对面会议，可以通过语言、表情等充分交流，增
142 进相互的理解和信赖，直观地获取患者行为上的表现或者体
143 征，信息的收集更准确、更全面。但是，可能存在增加参与
144 患者的负担或者存在经费等限制。

145 （2）视频和电话会议，可以大幅度提高参会的便捷性和
146 灵活度，对于因疾病造成行动不便的患者更有益，但是，对

147 申办者把控能力提出更高的要求，否则会对信息质量产生影
148 响。通过电话方式，可能无法确认患者身份，对真实、可靠
149 性的把握会有挑战。视频或者电话会议方式，都有可能因通
150 信或者外部干扰等，中断或者反复重复相同内容，造成时间
151 的拖延或者其他参与患者的反感等。另外，还要考虑参与患
152 者对这种方式的熟练掌握程度等。线上会议（视频或者电话），
153 由于影响因素较多，很难在短时间内让更多的参与患者明确
154 目的。

155 针对上述局限性，申办者需要建立应对策略。例如：可
156 以通过选择有经验的、经过培训的引导者带领面对面会议和
157 讨论；可以分层开会，如区分不同地区、不同文化教育背景、
158 不同年龄、不同性别、不同疾病或状况严重程度等；任何形
159 式的会议，如果在同时间参与的患者人数较多时，可以在同
160 一会议期间分成不同的小组，最后进行总结和统筹。

161 通过应对策略的实施，保证能够获得每位参与患者的深
162 度回复，又能兼顾在不同严重程度水平的目标疾病或状况的
163 代表人群中获得多样性的观点。同时还要考虑到该讨论组中
164 患者之间彼此影响。

165 然而，不是所有的参与都是面对面、集体的方式更适合，
166 例如：在立项敏感疾病或者状况（如可能涉及个人生理隐私）、
167 传染病等的药物研发时，电话、互联网链接或者电子邮件方

168 式可能更适合。

169 2.2 文件形成

170 经立题、策划、调研等，形成初步组织方案。可基于组
171 织工作的目的不同，形成不同的组织方案，方案中可包含相
172 关文件，例如：患者参与药物研发的知情同意书、组织患者
173 访谈的计划书、拟计划研发药物的基本情况说明、初步的临
174 床试验方案草案等。

175 考虑到药物研发的科学性和专业性，针对组织方案的形
176 成，有两点建议。其一，建议针对组织方案征求临床专家意
177 见。可通过直接征求意见、通过学会或者协会征求意见等多
178 种方式。应顾及不同层面的专家、不同城市或者地区的临床
179 实际等情况。也可按发病分布等的不同，实施专家意见的征
180 求工作。另外，部分研究机构或者专家建立了相关疾病的患
181 者数据库，通过组织这部分患者参与到药物研发设计中，可
182 以提高质量和效率。其二，建议首先在少部分有药物临床试
183 验经验或者了解临床试验并且无利益冲突的患者中，开展小
184 范围的征求意见。先行测试访谈指南（即在少数参与患者中
185 进行访谈），以便在正式开展组织工作之前识别和纠正方法
186 学或逻辑问题、时长的适当性等问题。通过以上程序，从不
187 同角度完善方案，为方案的科学性、全面性、客观性等提供
188 支持。

189 关于征求意见的内容，包括但不限于以下内容：

190 （1）整体研发计划。包括从立题到实施的可行性等。

191 （2）组织患者访谈的计划书。组织目的、组织形式、会
192 议（或访谈）时间、地点、会议（或访谈）日程等。

193 （3）临床试验方案草案。主要针对给药方式、给药疗程、
194 随访期限、随访方式、入组标准、排除标准、有效性和安全
195 性评价指标等。如果计划在临床试验中使用电子记录、穿戴
196 设备等，还可了解患者对这类新兴方式的认知程度和接受程
197 度，从而完善说明性文件等。

198 访谈问题设计注意事项：

199 （1）设计适当的访谈问题和访谈指南时，应重点关注使
200 用背景和研究目的等重要概念。

201 例如：在某药物的临床研发前，为了解疾病诊疗和看护
202 现状，了解患者的疾病负担和尚未满足的临床需求，评估研
203 究的可行性，优化临床研究方案设计，开展组织患者参与工
204 作。

205 问题设计：

206 ①在您的经历中，该疾病的确诊过程如何？一般需要多
207 久时间？进行了哪些检查？

208 ②该疾病现在的治疗现状如何？您是否有用药困难？
209 是否有非药物干预？

210 ③您曾经接受过哪些治疗药物？是否有哪些治疗药物/
211 非药物干预手段是您不愿意接受的？

212 ④您最想改善的问题是什么？

213 ⑤您是否了解专注于此疾病的医疗研究机构或者治疗
214 联盟？

215 ⑥您一般间隔多长时间去医院进行随访？是否需要陪
216 同者？都会进行哪些检查？

217 ⑦您对某有创性检查或者治疗是否有顾虑？

218 ⑧您会考虑参加临床研究吗？顾虑是什么？

219 （2）问题可大致分为几种类型：结构化问题，指申办者
220 提出一组预先定义的问题；半结构化问题，指申办者提出一
221 组预先定义的问题和探索性问题；非结构化面谈问题，指申
222 办者提出计划外或自发问题。

223 （3）无论采用何种方法，问题的组织方式对于收集无偏
224 倚的患者信息都是至关重要的。尽管自发回复是理想的，但
225 在某些情况下，可能需要提示患者。

226 例如在讨论开放式问题时，特别是在患者最开始没有提
227 供详细回答的情况下，申办者组织人员的提示有利于鼓励和
228 激发患者回答，有利于帮助访谈者或者主持人获得更多信息。
229 但是，也应注意，提示应避免引导患者。需要患者回答的问
230 题措辞中不应包含或暗示期望答案的内容。

231 (4) 申办者应保持中立的态度。请勿假设您知道患者的
232 想法或感觉。请勿询问对患者的信念、选择或观点做出刻板
233 判断的问题。

234 (5) 提出的问题应采用标准、完整、简单的中文。

235 (6) 不要在一个问题中出现双重或者多重问题。

236 (7) 如果问题中包含专业术语和概念，需通过判断患者
237 想了解多少术语的细节及其对自身病情的熟悉程度，根据需
238 求量身定制。

239 例如：

240 方案①：使用简明的语言，避免使用含糊或过于专业的
241 术语。如患者更容易理解“渐冻症”，而不是“肌萎缩侧索硬化
242 症病”。

243 方案②：当文字无法完全传达信息时，可使用辅助工具。
244 如骨折的 X 光片或血糖水平等视觉辅助工具等。

245 方案③：为患者提供解释专业术语的查询资源及名词解
246 释列表等。

247 2.3 人员培训

248 申办者应根据不同的组织工作目的，提供背景信息和相
249 应培训。

250 如果是基于临床试验方案的设计或者可行性等为目的
251 的组织工作，对于参与的患者，可分为几种情况。第一种，

252 曾经参加过药物临床试验，熟识基本概念；第二种，没有参
253 加过药物临床试验，但是有基本的了解；第三种，以上两种
254 情况之外。因此，在组织患者参与之前，应针对不同患者的
255 情况，采用不同的基本培训，可以采用申办者制成的通用培
256 训资料，从什么是药物临床试验等基本理念到具体项目的详
257 细内容分别阐述。但是，要考虑不同情况的患者所需要的培
258 训时间和培训方式会有差异，还应关注患者的心理负担，如
259 潜在的强烈情绪，包括焦虑和不适等，可能会影响回答。申
260 办者可制定有关药物研发、临床试验、如何获取临床试验信
261 息、伦理学基本常识，如包括隐私权在内的患者权益保障等
262 相关基本概念和内容的标准化文件，用于患者参与之前的培
263 训。

264 如果是基于收集患者未满足的医疗需求等目的，培训的
265 内容或者说明材料会有针对性的变化。

266 对于申办者组织团队人员，应建立标准化程序，以保持
267 申办者内部对于如何与患者合作以及保证获取信息的一致
268 性。应明确团队人员的分工和职责，选择具有适当技能且经
269 过培训的主持人，能够准确把握会议（访谈）目的，充分评
270 估复杂性，在预定的时间内完成，并获得目标信息。申办者
271 主持人应对研究说明、预热问题、核心主题相关问题等全面
272 熟练掌握，并且具备总结问题、明确讨论结论的能力。申办

273 者要有足够的人数保证会议的秩序、应对突发情况等。

274 (三) 组织后工作

275 在组织患者参与药物研发工作结束后，形成文字记录或
276 者会议纪要，并且需将通过组织工作获得的具有代表性的患
277 者个人观点与来自多个患者群体的广泛建议相结合，通过定
278 性或者定量分析，采纳有价值信息和数据，并采取适用的方
279 法进行信息和数据的管理，为整体药物研发计划提供支持。
280 申办者应按既定的保密程序妥善完成相关工作，并建立患者
281 反馈信息原始文件数据存档机制。

282 例如：

283 1. 根据患者对当前治疗现状的反馈，可以了解在该地区
284 患者的用药情况，对于后续临床试验方案中对照组用药、伴
285 随给药和紧急用药等设计，提供重要的参考意见。

286 2. 根据患者对诊断、检查方式的了解，可以优化后续临
287 床试验方案中相关检查项目的设计，判断这些检查项目的可
288 行性，决定是否需要提前进行准备以及教育。此外这些信息
289 还可以帮助优化后续研究的随访时间等信息。

290 3. 根据患者对该地区治疗医院的反馈信息，可以为后续
291 临床试验选择合适的临床试验机构及相关科室提供参考信
292 息。

293 同时，需要和参与患者保持联系。建议将采纳和不采纳

294 的信息，分门别类阐述理由，通过邮件、电话或者也可采用
295 会议的形式反馈给参与患者。这样有利于增进患者的信任度。
296 例如：申办者在确定了药物临床试验机构后，亦建议通知参
297 与患者，或者告知其可随时查询到临床试验信息的网址，如
298 监管机构平台或者申办者网页，尽可能告知详细的查询步骤
299 等。

300 **四、注意事项**

301 在组织患者参与药物研发过程中，需要不断积累经验，建议
302 关注以下内容（但不限于）：

303 **（一）重点注意事项**

304 1. 不应通过支付高于市场公允价值的报酬或者其他形
305 式诱导。

306 2 申办者不得向患者提供任何个人、医疗或产品建议，
307 包括不应为申办者的其他产品或者在研产品做广告。

308 3. 应确保患者在充分理解的基础上签署同意参与和保
309 密文书等文件。

310 4. 应在提前明确范围的人群中开展相关活动。

311 5. 无论是何种形式的参与，都要建立确定患者身份的手
312 段、流程等。患者的身份确认应在组织工作的早期阶段进行
313 处理，并制定信息管理计划和标准。

314 6. 鼓励建立定期机制、长效机制。

315 (二) 其他注意事项

316 1. 使用语言应在不偏离专业内容的前提下, 通俗易懂,
317 不会引起歧义, 全面准确表达。

318 2. 针对特殊人群, 如老年人、儿童、残障人士(精神疾
319 病患者)等, 在前期制定方案、设计访谈问题、组织工作以
320 及文件形成中要充分考虑其身体、认知和精神状态的特殊性,
321 保护其特殊人身权益, 用图片、提示卡、视频、动画等更精
322 准和灵活的方式进行沟通, 收集他们能够理解和回答的问题,
323 并恰当准确解读。

324 3. 申办者应统筹时间, 既保证获取信息时间充分, 又给
325 患者留有询问的时间, 不会给患者带来身体或者精神上的压
326 力。

327 4. 可以考虑允许患者个体和患者家属同时参会, 增加对
328 内容理解的补充, 也为将来可能参加药物研发临床试验获得
329 家庭支持奠定基础。但是, 鉴于可能会顾及彼此感受, 干扰
330 回答, 因此, 针对患者个体问题, 应建议家属保持中立和客
331 观, 不要干扰患者个体的表达。并且基于患者个体观点优先
332 的原则, 对于反映目标患者群体意见应优先考虑。

333 5. 申办者对会议使用的文书、音像制品等内容应充分讨
334 论, 同时建议相关专家参与审核。

335 6. 跨国、跨地区或者资料中包含外文时, 应翻译为中文,

336 并且符合国人中文阅读习惯，同时还要考虑当地的文化因素。

337 7. 参与患者的描述或者阐述的内容与专业化内容会有
338 一定的差距，申办者在转化过程中应关注不能脱离本意。

339 8. 应关注参与患者的教育程度差异，在资料的制作、会
340 议目的说明等各个环节中，考虑更贴近对象人群。

341 9. 鉴于患者在研发的不同阶段均可参与，因此，需要预
342 先设定患者参与解决的重要问题，明确会议目的，防止无效
343 沟通。

344 10. 应区分患者状态，考虑患者参与的合理方式。例如：
345 对于疾病严重的患者，要考虑参与形式的可行性。

346 11. 鉴于特殊情况，如当下的疫情等，虽然提倡线上会议，
347 但是，需要考虑是否所有参与的患者都具备参会的技能，考
348 虑如何能保证一定数量和对象患者参与。

349 12. 区分患者的自身背景因素和疾病状态等，从而使数
350 据客观、准确，并且具备代表性。

351 这些考虑并不详尽，可能不适用于所有的组织工作。在
352 不同组织工作中，可能需要考虑其他方面。

353 **五、示例**

354 以研发某哮喘用药时开展的组织患者参与立项工作为
355 例。

356 1. 组织工作目的：确定不同地区患者在哮喘严重程度自

357 我评估方面的差异，并探索中国哮喘患者的疾病进程。

358 2. 具体组织工作：

359 (1) 患者人群：诊断为中度或重度哮喘；N 名来自城
360 市的受访者和 M 名来自农村的受访者。

361 (2) 问题设计：1. 您是如何定义您的哮喘严重程度的？
362 从 1 到 10，1 是最轻微的，10 是最严重的，您会用哪个
363 数字定义您哮喘的严重程度？（视觉模拟评分法）2. 是什
364 么原因让您有这样的评价？比如可能是哮喘发作次数或
365 限制您的活动？

366 (3) 组织方式：单独线上访谈。

367 (4) 分析方法：定性、定量并行的分析方法。

368 3. 组织后工作：

369 (1) 进行患者反馈数据分析，城市和农村患者在对自身
370 哮喘严重程度判断时，主要参考了三个原因：发作次数、症
371 状是否得到控制以及是否需要长期用药。关于影响自我评估
372 的因素，意见分为 2 组：1 组是更关注疾病发作次数，2 组更
373 关注对生活质量的影晌。

374 (2) 汇总组织工作的结论并与内部和外部利益相关者
375 分享。

376 **六、参考文献**

377 [1] ICH: ICH E8(R1): GENERAL CONSIDERATIONS FOR
378 CLINICAL STUDIES

379 [2] FDA: Development: Collecting Comprehensive and
380 Representative Input

381 [3] FDA: Patient-Focused Drug Development: Methods to Identify
382 What Is Important to Patients

383 [4] FDA: Patient Engagement in the Design and Conduct of Medical
384 Device Clinical Studies

385 [5] CTTI: CTTI Recommendations: Patient Group Engagement

386 [6] EMA: Qualification Opinion of IMI PREFER

387 [7] IMI-PREFER: PREFER Recommendations. [https://imi-](https://imi-prefer.eu/recommendation)
388 [prefer.eu/recommendation](https://imi-prefer.eu/recommendation)

389 [8] JPMA: 患者の声を活かした医薬品開発

390 [9] JPMA: 製薬企業が Patient Centricity に基づく活動を実施す
391 るためのガイドブック-患者の声を活かした医薬品開発
392