

《生理药代动力学模型在儿科人群药物研发中应用的技术指导原则(征求意见稿)》起草说明

生理药代动力学 (physiologically based pharmacokinetic, PBPK) 模型目前在儿科人群药物研发方面应用广泛, 为了合理规范使用该模型, 药品审评中心组织起草了《生理药代动力学模型在儿科人群药物研发中应用的技术指导原则 (征求意见稿)》, 形成征求意见稿。现将有关情况说明如下:

一、起草目的

与成人临床试验相比, 儿科人群临床试验在伦理学、试验设计、临床操作等诸多方面具有特殊性, 临床试验的开展存在一定的困难。定量药理学、个体发育学等学科的发展, 为解决上述困难提供了途径和方法。

PBPK模型是儿科药物研发常用的定量分析方法之一。作为一种机制性模型, 其预测结果依赖于知识的完整度及数据的准确性和完备性。本指导原则旨在对儿科人群药物研发过程中PBPK模型的构建、评价和应用给出一般性建议。

二、起草过程

本指导原则的起草工作自2021年10月启动。工作组经调研国内、外行业现状后, 于2022年5月形成指导原则初稿, 并于2022年5月27日召开专家研讨会, 对指导原则初稿进行了修订完善。在征求部分专家意见后, 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、主要内容和说明

儿科人群PBPK模型一般建立在成人数据的基础上，根据儿科人群的特征，通过对生理相关参数进行调整，使模型适用于儿科人群。

本指导原则围绕儿科人群药物研发过程中PBPK模型应用涉及的相关内容进行了阐述，为模型的规范使用提出建议。主要内容包括概述、总体考虑、研发应用、模型实施与评价、格式与提交以及讨论。