

《间充质干细胞防治移植物抗宿主病 临床试验技术指导原则（征求意见稿）》 起草说明

一、起草目的

移植物抗宿主病（graft-versus-host disease, GvHD）是异基因造血干细胞移植术后并发症和非复发性死亡的主要原因，防治 GvHD 对保证移植成功及移植后长期生存有重要意义。间充质干细胞治疗 GvHD 的临床试验进展较为迅速。目前国内外无相关的临床试验技术指导原则，为提供关于间充质干细胞防治移植物抗宿主病临床试验的建议，提高相关产品的研究和申报效率，尽快满足患者的临床需求，生物制品临床部起草了本指导原则。

二、起草过程

起草人员梳理了国内外间充质干细胞防治移植物抗宿主病的临床研究、诊疗指南等，完成了初稿，经中心内部征求意见、技委会讨论，形成了指导原则对外征求意见稿。

三、起草思路

本指导原则并非直接借鉴国外已发布的指导原则，主要围绕临床试验的考虑及建议进行阐述，申办者可以依据研发目的在开展间充质干细胞防治移植物抗宿主病临床试验时参考。

四、主要内容

本指导原则主要分为 3 个部分，分别为概述、临床试验考虑、与监管机构的沟通。本指导原则主要提出临床试验应重点考虑的因素，更多细节申办者可以及时与监管机构沟通。适用于以注册为目的的药物研发，其他临床研究也可参考。