

《药物真实世界研究设计与方案框架指导原则（征求意见稿）》起草说明

一、起草目的

《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》、《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则(试行)》发布后日益受到工业界、国内学者及决策者重视，真实世界研究在药物临床研究中的合理应用及其方案设计是使用真实世界数据及证据支持药物监管决策的关键问题之一。为了指导申办者科学合理的设计真实世界研究，明确真实世界研究方案撰写的技术要求，药审中心组织专家起草了本指导原则，旨在阐述药物研发中真实世界研究设计以及研究方案制订的基本考虑，为药物研发中开展真实世界研究提供指导意见。

二、起草过程

（一）起草前期调研论证情况

本指导原则的起草小组基于药审中心与南方医科大学战略合作建立的三方学术协调委员会，由学术界、制药工业界和监管机构代表共同组成，保证了本指导原则高效、高质量完成。

指导原则起草小组人员梳理了国内外药物真实世界研究设计的相关政策文件、技术要求等，主要包括学术机构发

布文献和国际监管机构发布的指导原则等。

（二）指导原则制定或修订情况

本指导原则自 2021 年 10 月正式启动，分别于 2022 年 3 月和 5 月召开两次专家研讨会，对指导原则初稿进行了充分的讨论和交流，并经药审中心内部征求意见与审核，形成征求意见稿。

参与制订本指导原则的专家名单见附录，在此一并致谢。

三、起草思路

我国现发布的真实世界证据指导原则体系中对真实世界证据、真实世界数据的评价、在儿童药物研发中应用和患者报告结局的应用均阐明了具体的技术要求，虽然谈及了真实世界研究设计，但未提供具体的技术考虑和监管要求。

为了指导申办者科学合理的设计真实世界研究，以及明确真实世界研究方案撰写的技术要求，本指导原则将重点阐述药物研发中真实世界研究设计以及研究方案制订的基本考虑，为药物研发中开展真实世界研究提供实操性的指导意见。本指导原则内容与 ICH 指导原则不冲突，可为后续参与 ICH M14 协调积累技术储备。

四、主要内容

本指导原则主要分为 5 个章节和参考文献、附录。

第一节 概述：主要阐述了本指导原则制定的必要性和起草目的，同时明确适用范围。

第二节 真实世界研究设计的主要类型：列述了真实世界研究分为观察性研究设计、实用临床试验设计、单臂研究设计三种类型，并每种设计应重点考虑的因素等进行了阐述。

第三节 真实世界研究方案的框架：以研究方案框架的形式阐述了方案不同要素下的内容和考虑要点。

第四节 真实世界研究设计的其它考虑：对真实世界研究路径的可行性、目标人群的代表性、混合型研究设计、虚拟对照方法、估计目标、模仿目标临床试验等方面的技术要求进行了阐述。

第五节 与监管机构的沟通：强调了与监管机构的沟通交流的重要性和需关注的技术要点。

五、需要说明的问题

本指导原则是药审中心真实世界证据指导原则体系的重要组成部分，是《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》、《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则(试行)》的补充与细化，与现行技术指导原则无冲突。

附件 1

参与制订《药物真实世界研究设计与方案框架指导原则（征求意见稿）》的专家名单

主要执笔人：陈平雁、王骏、陈杰、潘建红、赵骏、魏春敏

外部专家：田海军

三方学术协调委员会：陈平雁、王骏、狄佳宁
(其余按姓氏笔划顺序)：

王秋珍、王武保、王勇、尹平、田正隆、闫波、李康、李新旭、何崑、陈刚、陈杰、陈峰、欧春泉、赵骏、赵耐青、贺佳、郭翔、谭铭、潘建红、衡明莉、魏春敏

秘书：吴莹、段重阳