

《罕见病基因治疗产品临床试验技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

一、背景和目的

近年来，随着医药行业对罕见病药物研发热情不断增加，我中心收到多个罕见病基因治疗产品的沟通交流和临床试验申请。目前中心尚无针对基因治疗产品在罕见病领域的指导原则出台，为指导和规范罕见病基因治疗产品的临床试验设计，我中心起草了《罕见病基因治疗产品临床试验技术指导原则》。

本指导原则结合罕见病特征、基因治疗产品特征，对罕见病基因治疗产品的临床研发提出建议，为基因治疗产品开展罕见病临床试验提供参考。

二、起草过程

（一）起草前期调研论证情况

本指导原则由生物制品临床部牵头，纳入了《药审中心2023年指导原则制修订计划》。于2023年2月至6月对国内外罕见病相关临床试验设计、基因治疗产品临床研发等相关指南进行了调研。

（二）指导原则制定或修订情况

在前期调研论证过程中，起草小组对调研内容和指导原则基本框架进行讨论，形成了基本框架和主要考虑要点，并于2022年7月底形成对中心内部征求意见稿。经征求中心意见，进一步修订后又经部门技术委员会审核，形成公开征

求意见稿。

三、起草思路

首先在概述部分介绍撰写背景和目的，然后阐述针对罕见病的疾病自然史和生物标志物的一般考虑，临床试验设计要点部分，对罕见病基因治疗产品开展临床试验的受试人群、受试者、研究设计、给药方案、有效性评价、安全性评价统计假设、免疫原性研究、药代动力学研究、药效学研究、合并用药等方面进行指导。最后从基因治疗产品开展罕见病临床试验总体考虑、特殊人群的考虑、临床试验设计角度考虑对风险管理提出建议。

本指导原则将结合罕见病特征、基因治疗产品特征，对罕见病基因治疗产品的临床研发提出建议，为罕见病基因治疗产品开展临床试验提供参考。

四、主要内容

本指导原则的主要内容分为四个部分，分别是概述、一般考虑、临床试验设计要点、风险管理。