

《新药全球同步研发中基于多区域临床试验数据进行 获益风险评估的指导原则（征求意见稿）》 起草说明

一、起草目的

近年来，药物研发日趋全球化，申办者越来越多的采用多区域临床试验策略支持药物全球同步注册申请。药物全球同步研发，是一种共享资源的开发模式，可以减少不必要的重复临床试验，缩短区域或国家间药物上市延迟，提高患者获得新药的可及性。目前，ICH 已经发布了《E17: 多区域临床试验计划与设计的一般原则》，目前是中国审评机构评价多区域临床试验(MRCT)所遵循的主要依据。

与此同时，药物全球同步研发也给申办者和监管机构都带来了很多新的挑战，如全球同步研发时早期临床研究如何开展、MRCT 中区域间样本量如何分配、如何评价各区域间受试者由于内在和/或外在因素导致的异质性、如何进行区域间疗效和安全性一致性评估等。在研发实践中，业界呼吁审评机构能够给出更明确的技术要求，以更好地指导开展新药全球同步临床研发，以及基于多区域临床试验数据进行区域间疗效一致性评价和不确定性分析，以支持基于 MRCT 进行单区域获益风险评估。为此在 ICHE17 的基础上，审评机构出台相关技术考虑和规范性要求非常有必要，是对 ICH E17 在中国落地实施的进一步细化和补充。目前尚未见其他监管

机构从获益风险评估角度制订相关指南。

本指导原则是在 ICHE17 以及药品审评中心发布的《新药获益-风险评估技术指导原则》基础上制订，主要阐述基于全球新药研发临床试验数据在中国进行上市申请时，对单区域进行获益-风险评估的一般要求，重点关注在获益-风险评估框架下对于全球同步研发试验数据的具体技术考虑。

二、起草过程

本指导原则自 2023 年 3 月正式启动，期间经过多次讨论修订，并于 2023 年 9 月召开专家研讨会，最终形成该征求意见稿。

三、起草思路

指导原则的起草主要参考了国内外发布的相关指南和共识，以及目前国内外临床试验的实践经验。

四、主要内容

本指导原则分为五个部分，内容如下：

第一部分为“概述”，首先介绍了全球新药研发及获益-风险评估的相关概念和意义，并进而引出了本指导原则的起草目的。

第二部分为“全球新药研发临床试验的研究设计考量”，主要描述在设计确证性全球新药研发临床试验时，应对有关区域间差异及其对有效性和安全性的潜在影响进行充分的预先考虑，同时将区域与总体间一致性评价纳入设计考量，

以满足对全球和区域的评价需求。

第三部分为“基于全球新药研发临床试验数据进行获益-风险评估”，基于上市申请的获益-风险评估的要点，包括治疗背景、获益评估、风险评估和风险管理、获益-风险评估及结论，介绍了在全球新药研发临床试验数据背景下的考虑思路。

第四部分为“监管考虑”，介绍了监管机构对全球新药研发策略的基本考虑，鼓励申办者按照 ICH E17 指导原则的思路考虑、设计和实施 MRCT，同时也鼓励申办者在获益-风险评估的框架下对试验数据进行充分的分析和探索。

第五部分为“参考文献”。

五、需要说明的问题

无。