

附件 8

《创新药临床试验申请评估报告及评估要点》起草说明

一、指导思想

为落实党中央、国务院关于加快发展新质生产力的工作部署，持续深化药品审评审批制度改革，提升药品审评审批效能，支持创新药研发，国家药监局于 2024 年 7 月 31 日发布《国家药监局关于印发优化创新药临床试验审评审批试点工作方案的通知》（国药监药注〔2024〕21 号，以下简称工作方案），组织开展优化创新药临床试验审评审批（简称优化创新药 IND）试点工作。根据试点工作目标“强化药物临床试验申请人（以下简称申请人）主体责任，提升药物临床试验相关方对创新药临床试验的风险识别和管理能力，探索建立全面提升药物临床试验质量和效率的工作制度和机制”，中心明确改革工作重点，通过试点改革服务区域发展，提高临床试验启动效率、提升临床试验质量、控制临床试验风险，全面优化创新药临床试验研发生态环境，加快医药产业全球同步研发进程，助推医药健康行业全链条创新发展。

根据国家局优化创新药临床试验公告相关工作要求，申请纳入 30 日通道的药物临床试验申请人应充分考查临床试验机构、主要研究者情况，提交临床试验申请前，与临床试验机构合作，同步开展临床试验项目立项、伦理审查工作，加强研制环节风险评估和管理；为了更好地建立临床试验多方协同工作机制，加快统一临床试验相关方评价标准及理念，促进临床试验研发生态改

善，在创新药研发“提速”目标下应首要保证“提质”基本原则，制定本文件为临床试验相关方提供指导和参考。

二、起草过程

药审中心于 2024 年 9 月启动撰写工作。2024 年 10 月，中心对优化创新药临床试验试点工作项目申请审核材料要求进行讨论，重点对项目申请确认基本原则相关内容进行讨论，在国家局《工作方案》基础上，针对临床试验方案、风险管理计划、药物警戒体系、伦理审核意见等内容提出具体要求，明确省级药品监督管理部门（以下简称“省局”）及中心审核标准，进一步规范申请人项目申请材料撰写，提高申请人、伦理委员会及 PI 的临床试验风险控制认识及能力。同时，中心组织试点工作组与试点省局召开协调会，对创新药临床试验审评审批试点项目申请审核表中相关内容进行讨论。

2024 年 12 月，中心完成初稿撰写工作。同时，中心组织召开优化创新药临床试验审评审批试点工作研讨会，国家局药品注册司、试点省局、临床机构伦理委员会、主要研究者及申请人代表参会。会议就试点工作进展情况、存在问题及工作建议进行面对面研究讨论，收到各方积极反馈。

2025 年 3 月，中心组织试点省局、伦理委员会、主要研究者、申办方代表会议，讨论统一的临床试验相关方评价标准及理念，推动临床试验协同工作机制的建设，并组成工作组继续对文件进行修订完善。

为了更大范围听取业界意见，中心于 2024 年 4 月 15 日再次

召开创新药 IND 座谈会，邀请注册司、试点省局、临床机构（主要研究者及伦理委员会）、参与试点以及没有参与试点的企业代表共同参会讨论，就创新药 IND 申报资料要求及药物临床试验申请评估报告相关内容，广泛听取临床试验相关方的意见及建议。

在企业座谈会基础上，中心进一步组织优化创新药临床试验审评审批试点工作小组及相关部门召开会议，根据国家局公告最新要求及企业座谈会反馈，对于新增的中药及预防用生物制品药品类型进一步完善创新药临床试验申请评估报告。

2025 年 5 月，中心相关审评部门对临床试验申请评估报告中相关专业内容进行进一步修改完善，形成了《创新药临床试验申请评估报告》及《创新药临床试验申请评估要点》，即本版文件。

2025 年 6 月，中心将起草的文件及起草说明报送国家局注册司，并按照注册司要求进一步修订完善后，公开征求意见。

三、主要内容

（一）总体思路

本文件建立主要目的是为了进一步提升药物临床试验相关方对创新药临床试验的风险识别和管理能力，通过建立统一的临床试验相关方评价标准及理念，对临床试验风险点把控与审评标准基本保持统一。该评估报告用于申请人对临床试验申请的自我评估，同时向主要研究者、伦理委员会提交该评估报告用于临床机构主要研究者和伦理委员会对该临床试验项目的评价和审核。

（二）文件结构框架

1、文件一《创新药临床试验申请评估报告》

第一至六部分主要为药物及申请人基本信息：包括背景信息、临床整体研发计划、拟提交的临床试验方案、沟通交流情况、临床试验药物警戒管理及研发期间风险管理计划。

第七部分为药学评估：主要是申请人对于药品理化特性、处方工艺及稳定性等基本情况的评价。

第八部分为非临床研究的总体概述及评价，包括药理毒理研究总结、对现有非临床研究资料是否支持申报的临床试验方案进行评估共两部分。

第九部分为对临床研发计划和临床试验方案可行性、风险可控性等的综合评价。根据不同临床研发阶段的研究目的和特点，对Ⅰ期、Ⅱ期和Ⅲ期临床试验方案分别提出评估关注点。

报告中第八、第九部分除申请人总结概述外，增加主要研究者及伦理委员会评价内容，临床机构应按照相应评估要点进行评价并出具审核意见。

2、文件二《创新药临床试验申请评估要点》

基于《创新药临床试验申请评估报告》具体内容，以表格形式提炼出创新药临床试验评估主要关注点。按照评估项目、评估内容及评估要点三项进行展示。

评估内容分别包括：管理能力评估、药物基本信息评估、非临床评估与临床评估四类大项，在每一类大项下细分具体评价内容及评价点。具体内容与评估报告基本一致。

（三）文件内容

文件按照中药、化学药品、治疗用生物制品、预防用生物制品药品特点，分别从药学、药理毒理、临床等专业技术角度对创新药临床试验申请的方案设计、风险识别与控制等技术标准进行说明，明确创新药临床试验申请相关技术评价要求及关注点；同时，增加申办方临床试验药物警戒及风险管理措施等内容说明。

关于非临床研究的总体概述及评价由两部分组成，第一部分“药理毒理研究总结”以示例形式展示，由申请人撰写，并强调实际撰写时应根据药物类别和申报阶段，参考 ICH M3、S6 和 S9 等相关指导原则的要求，总结已完成的支持临床试验申请的相关研究项目。第二部分“现有非临床研究资料是否支持申报的临床试验方案进行评估”为由临床试验主要研究者、伦理委员会从以下几方面进行评价：已完成的非临床研究是否符合现行法规要求，已完成的非临床研究项目、动物种属、给药周期、安全范围等信息是否支持拟定的临床试验方案（包括临床试验起始剂量），非临床研究中暴露的与受试物相关的安全性风险是否在临床试验方案中设置了相应的风险管控措施。

四、需要说明的其他事项

评估报告与评估要点两个文件在内容上基本一致，评价角度及形式稍有不同，后续根据公告发布情况，统筹考虑两个文件发布形式。