

《化学药创新药临床单次和多次给药剂量递增药代动力学研究技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

为规范化学药创新药的研发和评价，进一步指导临床单次和多次给药剂量递增药代动力学研究，药品审评中心组织起草了《化学药创新药临床单次和多次给药剂量递增药代动力学研究技术指导原则》，经中心内部讨论，并征求专家意见，形成征求意见稿。现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

近年来，创新药的研发和申报日益增多。临床单次和多次给药剂量递增药代动力学研究是化学创新药早期临床研究的重要内容，对于支持药物临床安全有效剂量探索、确定给药方案具有十分重要的作用。国家药监局曾于 2005 年发布《化学药物临床药代动力学研究技术指导原则》涉及该内容，距今已有 16 年，相关技术要求已无法充分满足目前创新药研发的需要。为规范创新药物的研发和评价，进一步指导创新药临床单次和多次给药剂量递增药代动力学研究，药品审评中心组织起草了《化学药创新药临床单次和多次给药剂量递增药代动力学研究技术指导原则》，旨在为创新药的临床研究提供技术参考。

二、起草过程

本指导原则的起草工作自 2021 年 2 月启动。核心工作

组经充分调研国内外行业现状和相关技术要求后，形成指导原则初稿。于2021年5月召开专家改稿会，进行充分讨论，在吸收专家意见的基础上，经核心工作组多次讨论、部门技术委员会和药审中心内部征求意见，形成征求意见稿。

三、主要内容与说明

本指导原则在借鉴国内外相关技术要求和文献资料的基础上，提出化学药创新药临床单次和多次给药剂量递增药代动力学研究的指导性建议，旨在为化学创新药的研发提供技术参考，主要内容包括前言、总体考虑、研究设计、数据分析、研究报告，具体如下：

（一）前言部分：介绍指导原则起草背景和目的，指导原则的适用范围。

（二）总体考虑部分：阐述临床单次和多次给药剂量递增药代动力学研究中的主要内容及各项内容的意义。

（三）研究设计部分：阐述临床单次和多次给药剂量递增药代动力学研究的具体研究设计考虑，包括受试人群、样本量、剂量选择、采样设计、检测物质、其他影响因素的考虑等。

（四）数据部分：阐述药代动力学的参数估算、剂量-暴露关系分析、多个研究数据汇总分析的要求。

（五）研究报告部分：阐述研究报告撰写时应关注的事项。