

附件 1

**以患者为中心的罕见疾病药物研发
试点工作（“关爱计划”）申报指南
（征求意见稿）**

1 本申报指南旨在介绍关爱计划以及申请人申请加入“关爱计划”
2 的具体方案和流程。

3 纳入“关爱计划”的项目需同时依据现行法规和工作程序开展药
4 物申报及注册工作。

5 一、申请与纳入

6 1.1 申请方式

7 基于自愿原则，由申请人向药审中心提出申请；可根据药物所处
8 的研发阶段，申请加入“关爱计划”中相应的阶段。

9 申请人可通过申请人之窗，以沟通交流途径，递交加入“关爱计
10 划”的申请。

11 沟通交流会议类型及工作时限依据《药物研发与技术审评沟通交
12 流管理办法》（2020 年第 48 号）、《儿童用药沟通交流中 I 类会议申请
13 及管理工作细则》、《药审中心加快创新药上市许可申请审评工作规范
14 （试行）》确定。

15 需注意的是，提交申请加入“关爱计划”的首次沟通交流时，沟通
16 交流中不建议同时申请沟通其他事项。此外，申请人通过申请人之窗
17 提交沟通交流申请时，需在“会议目的”和“其他情况说明”项下备注填
18 写“关爱计划申请”；如所申报适应症为罕见病目录中疾病，还需注明
19 “XXX 适应症为第 X 批罕见病目录第 X 个疾病”。

20 1.2 申请资料

21 除《药物研发与技术审评沟通交流管理办法》中对沟通交流提交
22 材料的一般要求以外，所有申请均需提交《“关爱计划”项目申报表》。

23 此外，申请人需根据不同的申请阶段，依据《“以患者为中心的罕见
24 疾病药物研发”实施框架》中相应阶段的要求提交所需的资料。提交
25 的资料如表 1 所示。

表 1 “关爱计划”申报资料要求

申请阶段	建议提交的资料
A 阶段：研发立项阶段	A-1: A 阶段工作要点总结表*; A-2: A 阶段患者体验数据研究计划/研究报告; A-3: 临床结局报告评估工具开发计划书 (如适用); A-4: 疾病自然史研究计划/结果 (如适用); A-5: 其他 (如适用)。
B 阶段：临床试验开展前 (Pre-IND) 阶段	B-1: B 阶段工作要点总结表*; B-2: 患者体验数据/患者观点总结 (如适用); B-3: 目标产品特征表 (如有); B-4: 临床开发计划书; B-5: 疾病自然史研究结果 (如适用); B-6: 临床前实验结果; B-7: 早期探索性研究方案; B-8: 数字健康技术的应用计划; B-9: 临床结局报告评估工具开发计划书 (如适用); B-10: 其他 (如适用)。
C 阶段：关键研究前阶段	C-1: C 阶段工作要点总结表*; C-2: 关键临床试验方案概述; C-3: 关键临床试验中应用的 COA 介绍; C-4: 数字健康技术的应用计划; C-5: 前期临床试验结果; C-6: 前期临床试验中患者临床结局报告结果 (如适用); C-7: 临床结局报告评估工具开发过程与确认 (如适用); C-8: 其他 (如适用)。
D 阶段：上市申请前/上市申请阶段	D-1: D 阶段工作要点总结表*; D-2: D 阶段以患者为中心的获益风险评价总结表*; D-3: 临床试验数据 (关键临床试验需提供临床试验报告或 top-line 数据); D-4: 组织患者参与获益风险评价/说明书/RMP 讨论情况说明/计划; D-5: 其他 (如适用)。
E 阶段：上市后阶段	E-1: E 阶段工作要点总结表*; E-2: 患者体验数据研究计划 E-3: 以患者为中心的上市后研究方案 (如适用); E-4: 基于 PED 数据的 RMP/说明书修订计划; E-5: 药物进一步研发计划 (包括新增适应症) (如适用); E-6: 其他 (如适用)。

27 除标注“如适用”的资料以外，其他资料均为申请人在申请时必须
28 提交的资料。“*”所标注的表格见《“以患者为中心的罕见疾病药物研
29 发”实施框架》中各阶段所附附件。除“*”所标注的表格以外，药审中

30 心对其他资料无统一格式要求。

31 需说明的问题如下：

32 ①申请人可开展实施框架中所列举的所有工作，或选择其中一项
33 或几项工作开展。

34 ②涉及临床试验实施的 B 阶段与 C 阶段，建议包含数字健康技
35 术(Digital health technologies, DHT)/去中心化临床试验(Decentralized
36 Clinical Trials, DCT)的相关元素。

37 1.3 纳入标准

38 “关爱计划”为试点项目，计划 A、B、C、D、E 阶段各纳入 1-2
39 个品种，中心将选择各个阶段中具有代表性的品种纳入“关爱计划”。

40 申请的阶段不同，选择纳入品种的考量也有所不同。整体而言，
41 在选择纳入品种时，将从以下四个维度进行考虑：

- 42 ● 对疾病的认知程度；
- 43 ● 治疗急需性；
- 44 ● 产品机制的创新性：可分为“全球首创(First in class)”、“已有
45 同机制产品上市获批其他适应症”、“已有同机制产品上市并获
46 批相同罕见疾病适应症”等情形；
- 47 ● 所提交药物研发期间患者参与方法(包括获取患者观点的计划
48 书/已获取的患者观点/上市后患者治疗反馈收集计划)的可行
49 性。

50 表 2 “关爱计划”品种纳入标准

	对疾病的认知程度	治疗急需性	产品机制的创新性	方法的可行性
A 阶段	所开发适应症认知度较低的产品将被优先考虑	所开发适应症的治疗急需性强的产品将被优先考虑	机制创新性高的产品将被优先考虑	可行性强
B 阶段	对所开发适应症有一定的认知		将纳入创新程度不同的产品；在“关爱计划”执行早期，将优先选择	

C 阶段	对所开发适应症		产品机制相对成熟的产品	
D 阶段	有较为充分的认		--	
E 阶段	知		--	

51 对经评价拟纳入“关爱计划”的品种药审中心将对外公示，公示期
52 为 5 日。无异议的品种方可纳入“关爱计划”。

53 二、项目的执行

54 中心将定期在中心网站上发布和更新“关爱计划”纳入信息。

55 纳入“关爱计划”品种/项目的管理路径按照现行法规和工作程序
56 实施。

57 纳入“关爱计划”的品种将参照中心已发布的《组织患者参与药物
58 研发的一般考虑指导原则》，由申请人组织研究者、患者在各个阶段
59 参与药物研发。

60 申请人在“关爱计划”的实施过程中，需将前一阶段所获得的信息
61 应用于下一阶段的药物临床开发，并遵循“计划-执行-评估-处理”的模
62 式，根据获得的信息，对当前药物临床研发进行调整，或对整体临床
63 研发计划进行修订；同时，后续工作还应对前期工作进行验证。

64 对于被纳入“关爱计划”的产品，药审中心将在其药物临床研发过
65 程中，与申请人开展密切沟通，对申请人所提出的患者参与药物研发
66 的计划、将患者观点应用于药物研发的方法等问题及时予以反馈，提
67 出建议和/或要求；同时可能在审评期间组织沟通交流会，并邀请患者
68 代表参与，以期在审评监管决策过程中，纳入患者观点。

69 为加速罕见疾病的药物研发及审评速度，对于纳入 C 或 D 阶段
70 的品种，申请人可在关键研究数据库锁定后以首要结果（top line 数
71 据，即研究报告完成前临床研究的有效性和安全性结果）和数据集与
72 中心进行沟通交流，以支持药审中心尽早启动对临床数据的审评工作，
73 使审评人员更早地识别数据质量和发现潜在的审评问题，并可能向申
74 请人提供早期反馈，从而使审评过程更加高效。