

《针对泛肿瘤的抗肿瘤药物临床研发技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

针对泛肿瘤的抗肿瘤药物研发是当前新药研发的热点之一。由于泛肿瘤不同于传统基于病理组织定义的肿瘤，因此泛肿瘤药物的研发也有不同于常规抗肿瘤药物研发、需关注的问题。泛肿瘤药物通常是针对肿瘤驱动因素的靶向治疗手段，因其治疗精准性而往往显示出突出的疗效。通过创新性的科学设计，将有利于加速疗效突出的抗肿瘤药物上市，尽早满足肿瘤患者，特别是伴有罕见突变的罕见肿瘤患者的未满足的临床需求。基于此，化药临床一部起草了《针对泛肿瘤的抗肿瘤药物临床研发技术指导原则》，形成征求意见稿。现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

传统临床实践依据病理学检查，通过判定肿瘤的组织来源进行诊断、判断预后、以及支持治疗决策。分子诊断学的发展推动了对肿瘤关键驱动性分子改变（如驱动基因突变）的发现，从而改变了医学界对肿瘤的认识方式。一些分子改变可能同时存在于不同组织来源的肿瘤中，导致这些肿瘤具有相似的生物学发生发展机制。因此，“不限组织来源的肿瘤”（Tumour-Agnostic）或“泛肿瘤”（Pan-cancer）（以下简称“泛肿瘤”）的概念被提出。泛肿瘤从肿瘤起源和病因的角度，将

多种组织来源的肿瘤视为同一种疾病，并寻求治疗手段。当针对共有的分子改变开发药物时，不同肿瘤的患者均有可能从相同的治疗药物中获益。针对泛肿瘤的抗肿瘤药物研发是当前新药研发的热点之一，同时其研发也不同于常规抗肿瘤药物的研发，通过创新性的科学设计，将有利于加速疗效突出的抗肿瘤药物上市。

本指导原则旨在阐述当前针对泛肿瘤药物临床研发中相关技术问题的考虑。

二、起草过程

本指导原则由化药临床一部牵头，自 2025 年 1 月启动。在部门指导原则小组内部进行了多次讨论，于 2025 年 6 月形成初稿。

2025 年 7 月，进一步完善初稿内容，经药审中心内部讨论，根据反馈意见进行修订。

2025 年 7 月 31 日召开部门技术委员会讨论，形成对外公开征求意见稿并报中心同意。

三、起草思路

随着分子诊断学的发展，肿瘤临床治疗进入精准的靶向治疗时代。然而并不是所有靶向治疗药物，都具备开发泛肿瘤适应症的可行性。当计划开发泛肿瘤适应症时，申请人需先充分评估立题合理性。同时在研发过程中需要关注研究设计、研究终点的选择、伴随诊断的开发，以及儿童适应症开

发等。

本技术指导原则在撰写过程中充分参考了国内现已执行和正在征求意见的相关指导原则，如《单臂试验支持抗肿瘤药上市申请的适用性技术指导原则》、《单臂试验支持注册的抗肿瘤创新药进入关键试验前临床方面沟通交流技术指导原则》、《单臂试验支持注册的抗肿瘤创新药申请上市前临床方面沟通交流技术指导原则》、《以临床价值为导向的抗肿瘤药物临床研发指导原则》、《生物标志物在抗肿瘤药物临床研发中应用的技术指导原则》和《儿童抗肿瘤药物临床研发技术指导原则》等相关内容等。

四、主要内容

本指导原则适用于抗肿瘤治疗性药物，不涵盖细胞治疗和基因治疗产品，旨在阐述当前针对泛肿瘤药物临床研发中相关技术问题的考虑。

在“背景”部分，介绍了当前针对泛肿瘤的抗肿瘤药物研发现状，以及本指导原则的适用范围及撰写目的。

在“开发泛肿瘤适应症的立题合理性”部分，介绍了当计划开发泛肿瘤适应症时，需从几个方面充分评估立题合理性。

在“临床研发过程中的关注要点”部分，阐述了在临床研发中需要关注的问题：关键临床试验设计、伴随诊断的开发以及儿童适应症的开发。

在“总结”部分，阐述了应依据肿瘤特点，科学、合理、

适时地开发泛肿瘤适应症，同时鼓励与监管机构进行积极沟通。