

《抗肿瘤药物基于后线研究数据开展前线适应症 临床试验技术指导原则（征求意见稿）》 起草说明

随着肿瘤学基础研究的不断深入与治疗手段的日益丰富，多项抗肿瘤药物的研究结果表明，具有相同病理生理特征或基因改变的肿瘤患者，早期接受针对性治疗的获益可能更为显著。在此背景下，抗肿瘤药物研发模式也逐步从传统的“后线向前线逐步推进”，向研发早期即布局前线临床试验的模式转变。为在保障患者安全、确保试验设计科学严谨的前提下，稳健且高效地推动抗肿瘤药物临床研发向前线阶段推进，药品审评中心组织撰写了《抗肿瘤药物基于后线研究数据开展前线适应症临床试验技术指导原则》，形成征求意见稿。现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

传统抗肿瘤药物临床试验通常遵循“从后线治疗向前线治疗逐步推进”的研发路径。近年来，随着肿瘤学基础研究与治疗手段的持续发展，靶向药物及免疫治疗相关研究证实，对于具有相同病理生理特征或基因改变的肿瘤疾病，无论患者处于不同影像学诊断分期，或是否接受过系统性抗肿瘤治疗，均有可能从对应的靶向或免疫治疗中获益，且早期接受针对性治疗的患者获益往往更为显著。基于这一特点，越来越多药物从药物研发的早期阶段即布局前线临床试验。

本指导原则针对基于后线研究数据开展前线适应症临床试验的研发场景提供科学技术建议，旨在保障患者安全、坚持试验设计科学严谨的前提下，推动抗肿瘤药物研发过程兼顾效率与科学性。

二、起草过程

本指导原则由化药临床一部牵头，自 2025 年 4 月启动，过程中通过问卷就主要观点向业界进行了调研。指导原则起草小组内部进行了多次讨论与修订，于 2025 年 12 月形成初稿。

2026 年 1 月，经药审中心内部讨论及定向征求意见，于 2026 年 3 月结合反馈意见进一步完善初稿内容，经技术委员会审核后形成本次公开征求意见稿。

三、主要内容

本指导原则围绕抗肿瘤药物基于后线数据开展前线适应症临床试验的核心科学问题展开，聚焦研发过程中的关键技术要点，为药物研发者提供系统性的试验设计思路与核心考量因素，具体章节内容如下：

第一章节“背景”主要阐述抗肿瘤药物研发模式的转变背景，同时明确本指导原则的适用范围、撰写目的与核心定位。

第二章节“治疗线次的界定”清晰界定本指导原则中“前线”与“后线”的基本概念，并明确相关概念的界定依据。

第三章节“基于后线研究数据开展前线临床试验重点评估因素”围绕药物作用机制、后线疗效数据、药物安全性特征三大核心维度，提出开展前线临床试验前的系统评估要求与考量要点。

第四章节“晚期患者前线研究设计考量”以晚期肿瘤患者为核心研究场景，将给药策略作为试验设计核心，分别明确单药、联合用药向前线推进的具体策略及适用条件，同时提出前线治疗阶段药物剂量优化的具体情形与试验设计参考。

第五章节“早期肿瘤适应症研发的特殊考量”结合早期肿瘤患者与晚期肿瘤患者在治疗目标、人群特征及安全性要求上的显著差异，针对性讨论启动早期肿瘤人群前线临床试验的基础数据要求，以及试验设计中的重点关注要点。