

《抗肺结核药物临床试验技术指导原则 (征求意见稿)》起草说明

一、起草目的

肺结核病是由结核分枝杆菌引起的一种慢性呼吸道传染病，主要症状为咳痰、咳嗽、咯血、发热、胸痛、体重减轻、夜间盗汗等。结核病是严重危害公众健康的全球性公共卫生问题，我国是全球结核病高负担国家之一，耐药结核菌感染和协同感染人类免疫缺陷病毒为结核病的治疗带来了严峻挑战。

临床对于具有新作用机制、安全有效性更高、药物相互作用更少和疗程更短的抗结核药物具有迫切需求。本指导原则在2020年12月国家局颁布的《抗肺结核药物临床试验技术指导原则》基础上进行修订，以期为肺结核药物临床研究提供技术指导。

二、起草过程

本指导原则由药品审评中心化药临床二部牵头，起草工作自2026年2月启动，指导原则核心工作组内部定期开会讨论，2026年5月形成初稿，2026年6月12日召开专家咨询会。2026年7月22日部门技术委员会审议通过并形成征求意见稿。

三、起草思路

本指导原则起草过程中，充分调研了抗结核病药物研发进展，借鉴参考了国内外监管机构发布的相关指导原则，对临床研发策略、探索性临床试验及确证性临床试验关键要素进行更新。

四、主要内容

本指导原则分为五个章节，包括概述、临床研发的整体考虑、临床设计考虑、术语和参考文献。主要内容包括：

“概述”部分主要介绍了本指导原则制定的背景目的及其适用范围。

“临床研发的整体考虑”部分介绍了开展临床试验的前提、临床研发策略、上市后药物敏感性和耐药性研究、药物敏感性折点。

“临床试验设计考虑”是本指导原则的核心，系统阐述了临床药理学研究、探索性临床试验、确证性临床试验及安全性评估的关键技术考虑，对探索性临床试验终点选择、确证性临床试验设计、试验人群、特殊人群、入选和排除标准、有效性评估等进行了修订。

“术语”部分根据 WHO 最新标准对耐药结核病相关定义进行了更新。

五、其他需要说明事项

探索性临床试验人群选择、入排标准等设计可参考确证性临床试验，故本指导原则仅对探索性临床试验的特殊考

考虑予以阐述。

肺结核的治疗需采用多药联合方案，若同步开发多种试验药物组成全新联合方案，需证明每种药物对联合治疗方案的贡献。本指导原则中对于“包含 1 至多个研究用药的治疗方案”研发策略提出了基本考虑。