

《原发性胆汁性胆管炎治疗药物临床试验技术指导原则（公开征求意见稿）》起草说明

一、起草目的

原发性胆汁性胆管炎（primary biliary cholangitis, PBC）是一种以肝脏为主要靶器官的自身免疫性胆汁淤积性疾病，呈慢性进展性，最终导致肝纤维化及肝硬化。目前国内外有多个品种处于临床研发阶段。为规范和指导 PBC 治疗药物临床试验，制定本指导原则。

二、起草过程

（一）起草前期调研论证情况

国内外尚无正式发布的 PBC 治疗药物研发指导原则。2018 年欧盟发布“关于慢性非传染性肝病（原发性胆汁性胆管炎、原发性硬化性胆管炎、非酒精性脂肪性肝炎）药品开发监管要求”的文件，处于完成对外征求意见阶段。

本指导原则起草前还调研了国内 PBC 诊疗指南、诊疗规范，PBC 治疗领域已批准药物[熊去氧胆酸(UDCA)、奥贝胆酸（OCA）]的临床研发经验，PBC 在研药物的临床进展。

（二）指导原则制定、修订情况

本指导原则由药品审评中心化药临床二部负责组织起草。本项工作自 2021 年 10 月启动，2022 年 5 月形成初稿，

2022年6月15日召开专家初稿会讨论修订，2022年6月23日-6月30日征求药审中心内部相关专业意见。2022年7月4日部门技术委员会审议通过，形成征求意见稿。

（三）征求意见采纳情况

药审中心内部征求意见未收到意见或建议。

三、起草思路

结合以下资料起草本指导原则：欧盟2018年发布的相关指导文件、国内PBC诊疗指南、诊疗规范，已批准药物的临床研发经验和在研药物的临床进展。

四、主要内容

指导原则主要讨论了PBC治疗药物临床试验设计的总体考虑和不同研发阶段的重点关注内容。仅作为推荐性建议。其中，根据PBC当前诊疗和药物研发情况，将试验药物临床定位分为3类并分别阐述：用于初治患者、用于UDCA应答不佳或不耐受的患者、用于缓解PBC瘙痒症状。

本指导原则适用于PBC治疗药物的临床研发，包括化学药品和治疗用生物制品。