

《治疗卵巢癌新药临床研究技术指导原则 (征求意见稿)》起草说明

现阶段国内尚无治疗卵巢癌新药临床研究指南，审评过程中发现正在开发卵巢癌适应症的新药临床试验存在一些研究设计上的问题，为解决上述问题，提高新药研发效率，化药临床一部相关适应症小组组织撰写了《治疗卵巢癌新药临床研究技术指导原则（征求意见稿）》，现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

卵巢癌年发病率居女性生殖系统肿瘤第 3 位，而病死率却居于首位，是严重威胁女性健康的恶性肿瘤。由于发病隐匿，早期症状不明显，因此 70% 的患者确诊时已处于晚期，5 年生存率仅有 40%。随着抗血管生成靶向治疗、PARP 抑制剂等进展改变了卵巢癌的治疗模式，从而大幅度提高了其生存率。随着卵巢癌患者生存期的不断延长，对新药临床试验设计和终点选择带来了挑战。现有的指导原则尚不能涵盖和专门针对卵巢癌的临床试验设计的考虑，本指导原则旨在阐述当前卵巢癌新药临床试验一般性设计和审评考虑，为抗肿瘤药物研发人员在卵巢癌临床试验设计和终点选择方面提供参考，提高研发效率，使患者早日获益。

二、起草过程

本指导原则由化药临床一部牵头，自2022年3月启动，2021年6月形成初稿，经药审中心内部讨论，征求部分临床专家及企业的意见，经部门技术委员会审核，形成征求意见稿。

三、主要内容与说明

本指导原则首先介绍了起草指导原则的背景以及卵巢癌诊疗现状，之后从新药临床开发的探索性阶段和确证性阶段介绍了方案设计需关注的重点问题，对治疗卵巢癌新药临床研发的技术考虑要点进行详细阐述。