

目 录

前 言	1
一、恶性肿瘤	2
二、干燥综合征	4
三、类风湿关节炎	6
四、慢性非细菌性前列腺炎	8
五、慢性心力衰竭	9
六、特应性皮炎	11
七、胃食管反流病	13
八、腺样体肥大	15
九、原发性肾病综合征	17
十、子宫内膜异位症	19

前言

《中药注册管理专门规定》提出，中药新药研制应当坚持以临床价值为导向，重视临床获益与风险评估，发挥中医药防病治病的独特优势和作用，注重满足尚未满足的临床需求。为了明确各专科的具体临床需求，中华中医药学会试点组织肿瘤分会、风湿病分会、男科分会、心血管病分会、皮肤科分会、脾胃病分会、儿科分会、妇科分会、肾病分会和肺系病分会 10 个分支机构，以及北京中医药大学东方医院转化医学中心的相关专家，基于流行病学资料充分分析临床需求、结合中药治疗的特点，以背靠背的方式，经征集调研、梳理论证、公开征求意见等程序，形成《中药新药研发用临床需求清单（第一批）》，共涉及恶性肿瘤、干燥综合征、类风湿关节炎、慢性非细菌性前列腺炎、慢性心力衰竭、特应性皮炎、胃食管反流病、腺样体肥大、原发性肾病综合征、子宫内膜异位症 10 个病种。

本项工作是我会在该领域的重要尝试，具有创新性。下一步，我会将扩大病种范围，组织更多分支机构和专家参与进来，以更好地服务于满足临床用药需求。本清单的内容以及中药研发临床定位，是目前行业内的专家共识，不能代替研究者的临床实践与思考，研究设计时应结合具体情况确定主要疗效指标。随着疾病谱的变化、治疗方法的不断发展，临床治疗需求始终处于动态变化中，本清单相关内容也将随之动态更新。

中药新药研发用临床需求清单（第一批）

疾病名称	恶性肿瘤
临床需求	<ol style="list-style-type: none"> 1. 生存期改善被认为是恶性肿瘤患者获益的首选终点，延长患者生存时间是临床需求； 2. 在手术、化疗、放疗、靶向药物等常规治疗后，延长患者无病生存期和无进展生存期等均是临床需求； 3. 肿瘤患者因其自身疾病的特点，往往伴随一些常见的临床症状，针对由恶性肿瘤引起的某个突出症状、相关并发症，改善症状、延缓症状进展是临床需求； 4. 对于不适合或拒绝常规治疗患者，以及常规治疗后肿瘤病灶未消失患者的疾病无不利影响的情况下，改善生存质量是患者的临床需求； 5. 恶性肿瘤临床治疗复杂，可能引发不良反应，在不影响原有常规治疗方法疗效的前提下，预防或减轻治疗中的不良反应，提高患者对现代医学推荐方案的耐受性是临床需求； 6. 客观缓解率是反映药物具有抗肿瘤活性的初步可靠证据，缩小瘤体、提高客观缓解率是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	<ol style="list-style-type: none"> 1. 延长患者总生存期； 2. 延长常规治疗后患者无病生存期和无进展生存期； 3. 改善恶性肿瘤引起的某个突出症状，包括疼痛、发热、疲乏，及合并症如胸腔积液、腹腔积液等，或延缓症状进展； 4. 改善患者生存质量； 5. 预防或减轻肿瘤治疗产生的不良反应； 6. 缩小患者瘤体、提高客观缓解率。
流行病学资料	<p>1. 疾病状况：恶性肿瘤是严重威胁人类生命的常见病、多发病。临床表现可以是单一症状，也可以是多个症状；可以由单一放疗、化疗等治疗方法导致的，也可以是一类治疗方法或多种方法导致的较为典型的不良反应。世界卫生组织最新统计数据显示，2020年全球新发恶性肿瘤病例约2000万，死亡病例约1000万，其中中国发病例数占比23.7%，死亡例数占比30.7%。目前，我国恶性肿瘤的发病率、死亡数仍在持续上升，防控形势严峻，带来的各项负担严重。</p> <p>恶性肿瘤的发病率农村略低于城市，死亡率农村高于城市。发病率和死亡率的地区分布亦不均衡。2023年国家癌症中心发布的最近一期全国恶性肿瘤统计数据显示，肺癌位居我国恶性肿瘤发病例数首位，其他高发恶性肿瘤依次为结直肠癌、胃癌、肝癌、乳腺癌（女性）等，前5位恶性肿瘤发病例数约占全部恶性肿瘤发病例数的57.27%。男性</p>

发病例数首位为肺癌，女性发病例数首位为乳腺癌。城市前5位高发恶性肿瘤依次为肺癌、结直肠癌、肝癌、胃癌和乳腺癌（女性），农村前5位高发恶性肿瘤依次为肺癌、胃癌、肝癌、食管癌和结直肠癌。在全国31个省市中，除西藏、甘肃和青海外，肺癌的发病例数均位居首位。值得注意的是，鼻咽癌在广东、广西、海南、江西、贵州发病例数均位居前10位；甲状腺癌发病例数在全国位居第7位，但在天津、浙江、新疆上升为第2位；食管癌在北京、天津、上海、广东的发病例数位居第15位左右。在城市和农村，男性死亡率均较女性更高，且差异随年龄的增加而增大，但在低年龄段中，男女死亡率接近。肺癌位居我国恶性肿瘤死亡例数首位，其他主要恶性肿瘤死亡顺位依次为肝癌、胃癌、结直肠癌、食管癌等，前5位恶性肿瘤死亡例数约占全部恶性肿瘤死亡例数的69.25%。鼻咽癌位居全国恶性肿瘤死亡例数第15位，但在广东、广西和海南均位居死亡例数第5位；前列腺癌在上海和新疆已位居死亡例数前10位；食管癌在上海和天津已经下降至第10位。此外，子宫颈癌死亡例数在山西、河南、湖南、贵州、甘肃、青海等省均位居前10位。

2. 治疗现状：恶性肿瘤有很多种，其性质类型各异、累及的组织和器官不同、病期不同、对各种治疗的反应也不同，西医学多综合应用手术治疗、化疗、放疗、免疫治疗、介入治疗、微波治疗等手段。尽管现有治疗手段取得了一定疗效，但恶性肿瘤患者仍然缺乏有效的可以治愈的药物，延长生存期、缩小瘤体依然是临床面临的重要难题。恶性肿瘤的临床治疗复杂，可能引发不良反应及并发症，如放疗导致的放射性肺炎、口腔溃疡，化疗导致的血细胞下降、消化道症状、手足麻木、心脏毒性，靶向治疗导致的皮疹等，都可能导致延迟治疗、降低剂量等事件的发生。随着近年来肿瘤基础研究的不断进步和对恶性肿瘤疾病认识的不断深入，新的作用机制、作用靶点的抗肿瘤药物不断涌现，出现不同于以往的治疗理念。恶性肿瘤的临床治疗已从追求肿瘤客观缓解率转变为延长肿瘤患者的总生存期、改善生活质量、减轻身体机能衰退或肿瘤相关症状等患者直接的临床获益。一些已上市中成药在改善临床症状、抑制肿瘤生长方面显示出了一定疗效，在与西医学推荐治疗方案序贯应用、分阶段应用或联合应用时增加临床疗效、减少不良反应，但药物疗效仍有待提高，临床需要更多具有高质量循证证据的好药。

中药新药研发用临床需求清单（第一批）

疾病名称	干燥综合征
临床需求	<p>1. 对于出现干燥、乏力、肌肉关节疼痛、皮疹、腮腺肿大等症状、体征的患者，改善症状、体征是临床需求；</p> <p>2. 对于症状顽固、长病程患者，生活质量及身心健康受到严重影响，出现睡眠障碍、焦虑抑郁等，改善生存质量是临床需求；</p> <p>3. 对于病情严重、病情进展较快的患者，临床应用激素、免疫抑制剂治疗，减少药物用量及其不良反应是临床需求。</p>
与临床需求匹配的中药研发临床定位	<p>1. 改善患者干燥（包括但不限于口、眼、鼻、咽、气道、皮肤、阴道干燥）、乏力、肌肉关节疼痛、皮疹、腮腺肿大等的单个症状或体征；</p> <p>2. 改善患者焦虑抑郁状态或改善患者生存质量；</p> <p>3. 在维持病情稳定前提下，减少治疗本病常用的具有明显不良反应化学药的使用时间、剂量或种类。</p>
流行病学资料	<p>1. 疾病状况：干燥综合征（Sjgren's syndrome, SS）是一种主要累及外分泌腺体的慢性系统性自身免疫病，病因尚未完全明确，可能与遗传、病毒感染、性激素水平等有关，是多因素共同作用导致免疫功能紊乱的结果。研究表明，SS以B细胞过度激活为致病标志，产生大量自身抗体，并与自身抗原相结合形成免疫复合物，沉积在多种器官组织内，触发后续免疫炎症过程，引起包括外分泌腺在内的靶器官结构和功能损伤。</p> <p>SS属全球性疾病，在我国患病率为0.29%~0.77%，在老年人群中患病率为3%~4%，30~60岁为高发年龄，呈逐年上升趋势，以女性多见，男女比为1:22.9。SS起病隐匿，临床表现多样，除有因涎腺和泪腺结构受损、功能下降而出现口眼干燥外，尚有外分泌腺体以外的其他器官受累出现系统损害者。研究表明，SS的病人发展为淋巴瘤的风险比健康人高10~50倍，2%~9%的SS患者发展为淋巴瘤。</p> <p>由于SS具有病程长、难治疗和高度异质性等特点，患者常表现为烦躁不安、焦虑、抑郁等不同程度的心理障碍。SS患者的焦虑、抑郁状态与疲劳、疼痛和睡眠障碍等有密切的关系，严重影响工作和生活。SS是影响人民健康的常见疾病之一，随病程推移，约1/3患者会出现至少一次新发系统受累，影响社会生产力，使患者提前退休的发生率超出普通人群4倍，带来极大的社会负担。</p>

2. 治疗现状: 当前, SS 临床治疗不理想, 缺乏针对性治疗药物。针对口眼干等干燥症状, 临床多采用人工泪液、人工唾液补充治疗, 疗效欠佳。毒蕈碱激动剂 (盐酸毛果芸香碱和盐酸西维美林) 的使用在一定程度上缓解了干燥症状, 但产生的不良反应以及并不能延缓腺体破坏和疾病进程限制了其使用范围。此外, 对于病情严重和病情进展较快的患者, 西医使用糖皮质激素、免疫抑制剂、生物制剂等治疗, 临床需警惕副作用的同时, 也存在卫生经济学方面的担忧。

中药新药研发用临床需求清单（第一批）

疾病名称	类风湿关节炎
临床需求	<ol style="list-style-type: none"> 1. 对于以关节疼痛，肿胀、压痛、晨僵及关节功能受限等症状、体征为主要临床表现，以及抗风湿药应答不良的患者，缓解疼痛等与类风湿关节炎疾病相关的症状、体征是临床需求； 2. 对类风湿关节炎患者而言，改善病情、降低疾病活动度，保持躯体健康，治疗达标是临床需求； 3. 对于以关节滑膜慢性炎症为主要表现的患者，延缓软骨与骨破坏、关节结构失常，以及因疾病进展所引起的关节活动受限、肢体残疾是临床需求； 4. 本病目前无法治愈，关节炎症状长期存在，随病情发展最终会导致不可逆的骨关节破坏，并可伴随关节外损害，严重影响患者的生活质量及身心健康，生存质量的改善是长期患病者的临床需求； 5. 治疗本病常用的化学药物具有明显的副作用，避免或减少药品不良反应（如胃肠道反应、肝功能损害、血细胞减少、皮疹等）是患者的临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	<ol style="list-style-type: none"> 1. 缓解患者疼痛或与类风湿关节炎相关的临床症状、体征； 2. 单独使用或联合应用抗风湿药，达到临床缓解或降低疾病活动度，实现治疗达标率的提升； 3. 延缓疾病放射学进展； 4. 改善患者生存质量； 5. 在不加重病情的前提下，减少治疗本病常用的具有明显副作用化学药的使用时间、剂量或种类。
流行病学资料	<p>1. 疾病状况：类风湿关节炎（Rheumatoid Arthritis, RA）是一种以侵蚀性多关节炎为主要临床表现的系统性自身免疫病，常表现为关节肿胀、疼痛、屈伸不利等。RA 以小关节受累为主，受累关节以近端指间关节、掌指关节、腕关节最为多见；肘、肩、膝、颈椎、颞颌关节、胸锁和肩锁关节也可受累。RA 还可出现关节外受累，如间质性肺炎、心包积液、贫血等。目前认为本病发病原因与遗传、感染、性激素水平、环境等因素相关。基本病理改变为慢性滑膜炎和血管翳，逐渐出现关节软骨和骨破坏，最终导致关节畸形和功能丧失。</p> <p>RA 在各年龄人群中皆可发病，25 ~ 50 岁为好发年龄，未经治疗的 RA 致残率高，发病 5 ~ 10 年的致残率可高达 60%，并可伴随关节外损害，累及心、肺、肾等多脏器、多系统，严重影响患者的生活质量。全世界的患病率为 0.46%，我国的患病率大约为 0.42%。人均年经济负</p>

担为 1250.45 元，属于典型的高社会负担慢性疾病。

2. 治疗现状：目前 RA 缺乏根治方法，临床治疗以控制关节炎症症状、改善体征，达到临床缓解或降低疾病活动、延缓关节破坏、保持躯体功能、减少并发症、提高生活质量为目标。RA 治疗包括一般治疗、药物治疗、外科治疗，主要的治疗药物包括非甾体类抗炎药 (NSAIDs)、激素、缓解病情抗风湿药 (DMARDs) 等均存在一定的不足。NSAIDs 能够缓解症状，起效快但不能控制病情的发展；激素长期应用副作用大，仅可作为短期桥接治疗药物；传统合成 DMARDs 一定程度上可以延缓和控制病情进展，但起效缓慢，且存在骨髓抑制、肝功能异常等风险。随着不同作用机制生物 DMARDs 药物的出现，在进一步控制病情进展、达到病情缓解或最小的疾病活动度方面带来了希望，然而数据显示，我国 RA 患者的临床达标率不足 50%，即使使用生物制剂仍有 10% 的患者应答不良，部分充分治疗的 RA 患者仍出现骨破坏及并发症。较低的达标率、频繁发生的药物副作用、难以遏制的骨破坏及并发症发生仍是客观存在的治疗困境。一些已上市中成药能够缓解疼痛、肿胀、晨僵，改善乏力等症状，但药物疗效仍有待提高，治疗副反应亦有待优化，临床需要更多具有高质量循证证据的好药。

中药新药研发用临床需求清单（第一批）

疾病名称	慢性非细菌性前列腺炎（III型前列腺炎）
临床需求	<ol style="list-style-type: none"> 1. 对于前列腺周围或盆底区域的疼痛、坠胀或不适，缓解疼痛、改善症状是临床需求； 2. 本病病情复杂且反复发作，部分患者伴有焦虑、抑郁、失眠、记忆力下降等精神心理障碍，除改善较顽固的临床症状外，改善精神心理状态也是临床需求； 3. 对于出现阳痿、早泄、遗精等症状的患者，改善性功能是临床需求； 4. 由于病情复杂、缠绵难愈、容易复发，严重影响患者身心健康和生活质量，提高生存质量是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	<ol style="list-style-type: none"> 1. 缓解患者前列腺周围或盆底区域疼痛； 2. 改善患者精神心理症状； 3. 改善本病引起的性功能障碍； 4. 改善患者生存质量。
流行病学资料	<p>1. 疾病状况：慢性非细菌性前列腺炎（Chronic nonbacterial prostatitis, CNP）是临床常见病，好发于青壮年男性，占前列腺炎发病数的90%～95%。发病率为10%～15%，复发率为25%～50%，有50%的男性曾受到该病影响。CNP的发病机制尚未明确，病因复杂，寄生虫（如滴虫）、病毒、支原体、衣原体感染等也可以引起前列腺炎，前列腺的经常与反复性充血，也容易诱发CNP。</p> <p>CNP以疼痛、排尿异常及精神神经症状为主要临床症状。疼痛症状主要表现为以前列腺为中心辐射周围组织的疼痛，常见于阴囊、睾丸、小腹、会阴、腰骶、股内侧等部位的疼痛、坠胀或不适感。排尿异常表现为尿频、尿急、尿痛、尿等待、尿道口异常分泌物（滴白）等。由于病情复杂、缠绵难愈、容易复发，患者普遍存在焦虑、抑郁、失眠、记忆力下降等精神心理障碍，部分患者合并有性功能障碍，出现阳痿、早泄、遗精等，严重影响身心健康和生活质量。</p> <p>2. 治疗现状：CNP目前缺乏特异性治疗方法，中医药治疗能够缓解疼痛，改善排尿症状，但使用中医外治及理疗等方法的患者依从性较差，已上市中成药用药周期较长、效果欠佳、容易复发，药物疗效仍有待提高，且较少兼顾治疗心理及性功能方面的问题，临床需要更多具有高质量循证证据的好药。</p>

疾病名称	慢性心力衰竭
临床需求	<ol style="list-style-type: none"> 1. 慢性心衰病死率高、再住院率高，减少死亡 / 再住院、改善预后是临床需求； 2. 心肌重构是慢性心衰发生发展的基本病理、生理过程，延缓或逆转心肌重构、改善心功能是临床需求； 3. 慢性心衰患者通常以呼吸困难、乏力和水肿为主要临床症状、体征，改善临床症状、体征是临床需求； 4. 心功能低下导致患者运动耐量受限，显著降低生活质量，增加运动耐量、提高生存质量是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	<ol style="list-style-type: none"> 1. 减少患者死亡率 / 再住院率； 2. 延缓或逆转心肌重构，改善患者心功能； 3. 改善患者呼吸困难、乏力和水肿等临床症状、体征； 4. 增加运动耐量，改善患者生存质量。
流行病学资料	<p>1. 疾病状况：慢性心力衰竭 (Chronic heart failure, CHF) 是多种原因导致心脏结构 / 功能异常改变，使心室收缩 / 舒张功能发生障碍，从而引起的一组复杂临床综合征，是一种严重的进展性疾病，为各种心脏疾病的严重或终末期阶段。神经内分泌系统激活导致心室重构是主要发病机制。CHF 患者常有呼吸困难、疲倦、乏力、运动耐量下降、咳嗽、咯痰、腹胀、纳差、恶心、呕吐、尿量减少、下肢水肿等症状，部分病情严重患者可出现反复发作心衰、需要长期住院、等待心脏移植、恶病质等情况，严重危害患者身体健康，影响其生活质量，并给家庭、社会带来沉重的经济负担。</p> <p>欧美流行病学数据显示成人 CHF 患病率为 1% ~ 2%，并随年龄增长而增加，70 岁以上可达 10%。CHF 患者面临病情突然恶化的风险，需紧急入院治疗，是 65 岁以上患者住院的首要原因。在全球 2600 万例心衰患者中，83% 的患者因急性心衰发作至少住院 1 次，43% 的患者至少住院 4 次。在美国和欧洲国家，每年大约有 100 万人因心衰住院，平均住院时间为 5 ~ 10 天。据美国 2012—2018 年医疗记录显示，CHF 患者平均直接医疗总费用为 9290 美元 / 月，我国 CHF 患者次均住院费用为 8968 元，年人均住院费用则高达 29746 元，CHF 患者的高再入院率和高医疗成本已成为全世界共同面对的难题。随着对 CHF 发病机制认识的不断更新，多种全新机制药物不断出现，提高了患者的</p>

生存率，但 CHF 患者 4 年死亡率仍达 50%，严重 CHF 患者 1 年死亡率高达 50%。

2. 治疗现状：在 CHF 治疗方面，目前西医主要给予血管紧张素受体脑啡肽酶抑制剂（ARNI）或血管紧张素转换酶抑制剂（ACEI）/ 血管紧张素 II 受体拮抗剂（ARB）、 β 受体阻滞剂、盐皮质激素受体拮抗剂（MRA）、钠 - 葡萄糖共转运蛋白 2 抑制剂（SGLT2i）等改善预后的治疗。此外伊伐布雷定、洋地黄制剂、血管扩张剂、能量代谢药物也有助于改善症状及提高患者生活质量，心脏植入型电子器械治疗提高了患者的生存率，但患者本身疾病进展程度、合并症情况、药物不良反应对心衰预后的影响仍然是临床面临的难题。一些已上市中药制剂对该疾病有效，但疗效仍有待提高，临床需要更多具有高质量循证证据的中药。

疾病名称	特应性皮炎
临床需求	<ol style="list-style-type: none"> 慢性湿疹样皮损是本病重要的临床特征，减轻皮损严重程度，缩小皮损面积是临床需求； 皮肤干燥、瘙痒是特应性皮炎主要的临床症状，改善临床症状、缓解皮肤干燥、瘙痒程度是临床需求； 由于病程持续时间长、病情反复发作，剧烈瘙痒导致睡眠障碍，严重影响患者精神状态和生活质量，提高患者生存质量是临床需求； 特应性皮炎病情反复发作，停药后容易反弹和复发，减少病情复发是临床需求； 对于中重度特应性皮炎患者，长期维持治疗的不良反应大，减少系统治疗药物用量、避免或减轻可能发生的不良反应是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	<ol style="list-style-type: none"> 减轻患者皮损严重程度，缩小皮损面积； 缓解患者干燥、瘙痒等症状； 改善患者生存质量； 减少患者停药后病情复发情况； 减少系统治疗药物种类、用量及可能发生的不良反应。
流行病学资料	<ol style="list-style-type: none"> 疾病状况：特应性皮炎（atopic dermatitis，AD）是一种慢性、复发性、炎症性皮肤病，其病因与遗传、免疫和环境等多种因素有关，其间还存在复杂的相互作用。AD的发病机制涉及多种免疫通路。AD患者在免疫通路和临床表现方面均存在异质性，临床主要以皮肤干燥、慢性湿疹样皮损和明显瘙痒为基本特征，由于病程持续时间长、病情反复发作，剧烈瘙痒导致睡眠障碍，且常合并过敏性鼻炎、哮喘等其他特应性疾病，严重影响患者精神状态和生活质量。 AD是皮肤常见疾病，大多初发于婴儿期，1岁前发病者约占全部患者的50%，部分患者病情可以迁延到成年，但也有成年发病者。发达国家儿童特应性皮炎患病率为10%~25%，成人患病率为2%~8%，我国AD患病率近年来增长迅速，中重度AD患者随年龄增大而增加。 治疗现状：AD目前无法根治，常用治疗药物分为外用治疗药物和系统治疗药物，当外用药物控制不佳或患者不适合使用外用药物治疗时，应考虑系统治疗。目前外用治疗药物主要包括外用皮质类固醇（TCS）、外用钙调磷酸酶抑制剂（TCI）、外用磷酸二酯酶4（PDE-4）抑制剂等，但长期、大量应用TCS会出现毛细血管扩张、

中药新药研发用临床需求清单（第一批）

皮肤萎缩、色素沉着、继发感染等不良反应，且对肥厚性皮炎和干燥脱屑疗效不理想。中重度 AD 患者常需长期系统治疗缓解病情，系统治疗药物包括传统的抗组胺药物、免疫抑制剂等、新型生物制剂抗 IL-4/IL-13 受体单克隆抗体、JAK 抑制剂等生物制剂，但仍有约 30% 的患者不能取得良好的临床疗效，且对于顽固性皮炎、特殊部位皮损疗效欠佳，部分患者出现特定部分皮损加重而停药。JAK 抑制剂等小分子药物长期应用有继发感染与血小板、淋巴细胞和脂质的潜在变化及肿瘤的风险，且特定年龄患者不宜使用，临床应用受限，停药后病情会出现反复，甚至出现戒断反应，长期维持治疗带来的副作用不容忽视。部分中成药对皮损及瘙痒有一定的改善作用，但缺乏针对性治疗药物。

疾病名称	胃食管反流病
临床需求	<p>1. 对于内镜下无食管黏膜损伤的征象但出现烧心和反流症状的患者，改善症状是临床需求；</p> <p>2. 对于难治性胃食管反流病，病情相对复杂，该类患者多重叠功能性消化不良、肠易激综合征等功能性胃肠病，同时伴有焦虑、抑郁等情绪问题，改善重叠症状、提高生存质量是临床需求；</p> <p>3. 对于存在黏膜病损的反流性食管炎患者，促进受损食管黏膜修复是临床需求；</p> <p>4. 部分胃食管反流病患者需要长期服用抑酸药尤其质子泵抑制剂进行维持治疗，带来的不良反应不容忽视。减少抑酸治疗药物用量、避免或减轻可能发生的不良反应是长期维持治疗患者的临床需求。</p>
与临床需求匹配的中药研发临床定位	<p>1. 改善内镜阴性的胃食管反流病样症状；</p> <p>2. 改善难治性胃食管反流病的重叠症状，改善患者生存质量；</p> <p>3. 修复患者受损的食管黏膜组织；</p> <p>4. 降低抑酸药物长期使用可能的不良反应。</p>
流行病学资料	<p>1. 疾病状况：胃食管反流病（gastroesophageal flux disease, GERD）是指胃内容物反流至食管引起的不适症状或相关的并发症，属于常见的消化系统慢性疾病。食管防御机制平衡遭到破坏及其反流物对食管黏膜的损伤是胃食管反流病的主要发病机制，此外，还包括食管下括约肌松弛、胃内容物暴露于食管、食管廓清能力障碍、胃排空能力下降等因素；而嗜好烟酒、偏嗜甜食、情绪不佳、体重指数升高等都是引起胃食管反流病的风险因素。根据反流是否导致食管黏膜糜烂、溃疡，分为非糜烂反流病（NERD）和反流性食管炎（RE），随反流物接触食管黏膜的时间延长，易导致攻击食管黏膜和食管黏膜损伤，约 10% 的 GERD 患者可发展为 Barrett 食管，伴有显著肠上皮化生者被认为是食管腺癌癌前病变，癌变率约为 0.61%，因而需要及早治疗。</p> <p>GERD 是世界范围内的常见病，患病率在不同国家和地区差异较大。全球基于人群的研究结果显示，每周至少发作 1 次 GERD 症状的患病率为 13%，西方国家发病率较高，亚太地区有上升趋势。我国基于人群的流行病学调查显示，每周至少发作 1 次烧心症状的患病率为 1.9% ~ 7.0%，且呈现出南方低北方高的特点，可能与饮食习惯等因素</p>

有关。虽然目前我国 GERD 患病率较西方国家低，但随着我国生活方式西化、人口老龄化，GERD 患者数量呈逐年上升趋势。在具有 GERD 相关症状的人群中，NERD 的患病率为 50% ~ 70%。

GERD 以反流、烧心为典型症状，常伴随胸痛、上腹烧灼感、上腹痛、上腹胀、嗝气等不典型症状，表现为与功能性消化不良 (FD)、肠易激综合征 (IBS) 等功能性胃肠病 (FGIDs) 的共病，称为症状重叠。国外一项大样本研究显示，在 GERD 发病率为 11.2% 的丹麦，约 5.2% 的人群为 GERD 重叠 IBS 和 FD。部分严重患者可出现反流物反流至咽喉部或口腔，引发食管外症状，如咽炎、咳嗽、哮喘和牙蚀症等，称为食管外综合征。由于症状反复发作，通常需要长期维持治疗，尤其是难治性 GERD 的重叠症状及食管外症状，以及可能的并发症，对患者生活质量造成一定程度影响。

2. 治疗现状：在 GERD 治疗方面，西医内镜治疗或抗反流手术均存在一定的术后并发症风险，质子泵抑制剂 (PPI) 及新型抑酸药钾离子竞争性酸阻滞剂 (P-CAB) 在缓解酸相关症状、促进糜烂性食管炎病损愈合等方面有效，但对于内镜阴性的 GERD 患者疗效并不理想。部分患者需要长期维持用药，不良反应也随之增加，包括消化不良、胃内 pH 值升高引起细菌过度增长、增加难辨梭状芽孢杆菌感染的机会、增加骨质疏松风险等。P-CAB 可能出现与抑酸相关的高胃泌素血症。难治性 GERD 患者症状的改善和维持仍然是临床治疗的难点。一些已上市中成药对该疾病有效，但药物疗效仍有待提高，临床需要更多具有高质量循证证据的好药。

疾病名称	腺样体肥大
临床需求	<p>1. 腺样体切除术不易被患儿家属接受，缩小病理性增生的腺样体，避免手术治疗是临床需求；</p> <p>2. 对于长期使用鼻用激素和白三烯受体拮抗剂口服治疗的患儿，减少药物使用的频次、用量，以及减少不良反应是临床需求；</p> <p>3. 腺样体肥大常继发儿童阻塞性睡眠呼吸暂停综合征，对患儿的生活学习产生较大影响，改善临床症状、体征以提高患者生存质量是临床需求。</p>
与临床需求匹配的中药研发临床定位	<p>1. 缩小患者病理性增生的腺样体；</p> <p>2. 减少激素和白三烯受体拮抗剂用药频次及药量，减少不良反应；</p> <p>3. 改善鼻塞、打鼾、张口呼吸、流涕、咳嗽等临床症状、体征，改善患儿生存质量。</p>
流行病学资料	<p>1. 疾病状况：腺样体又称咽扁桃体，属于淋巴组织，受到外界抗原的刺激会引发免疫反应，引起局部充血和水肿，从而使腺样体在体积和外观上显著增大。因反复炎症刺激而发生病理性增生、肥大，并引起相应的症状者称为腺样体肥大（adenoid hypertrophy, AH）。AH常见原因是鼻咽部及其邻近器官和组织的炎症，如急慢性鼻咽炎、鼻炎、咽炎等，且多与慢性扁桃体炎、扁桃体肥大同时存在，临床症状主要包括鼻塞、打鼾、张口呼吸、流涕、咳嗽，伴随症状包括咯痰、清嗓、咽痛、尿床、耳闷等，夜间加重。</p> <p>腺样体在正常生理情况下2岁开始发育，在6~7岁发育为最大，10岁之后逐渐萎缩，故AH常见于3~5岁儿童，成年人少见。AH是儿童常见疾病，好发于寒冷、潮湿的地区，近年来，AH发病率逐渐上升，国外一项荟萃分析指出，本病在儿童和青少年中的发病率高达34.46%。由于常继发中耳炎、反复上呼吸道感染、儿童阻塞性睡眠呼吸暂停综合征、哮喘等相关疾病，且长期张口呼吸将影响面颌骨的发育，形成腺样体面容，长期上呼吸道阻塞导致的缺氧还会影响患儿的认知能力、生长发育，对患儿的生活学习均产生较大影响，AH应引起重视。</p> <p>2. 治疗现状：AH临床治疗以腺样体切除术为主，但存在术后出血等不良反应，且术后发生下呼吸道感染的可能性增加，手术切除程度尚未有明确共识，不易被患儿家属接受。AH目前尚无特异性治疗</p>

中药新药研发用临床需求清单（第一批）

	<p>药物，对症治疗药物主要包括激素和白三烯受体拮抗剂两大类，鼻喷激素能够减少鼻塞、打喷嚏、流鼻涕等症状，白三烯受体拮抗剂可降低气道反应性、缓解鼻塞症状、改善肺功能和上呼吸道通气情况，但长期效果不理想，存在不良反应，患儿及家长依从性受限。</p>
--	---

疾病名称	原发性肾病综合征
临床需求	<ol style="list-style-type: none"> 1. 大量蛋白尿是肾病综合征最主要的临床表现，也是最基本的病理、生理机制，降低尿蛋白是临床需求； 2. 频繁使用激素治疗的患儿会出现激素依赖、激素耐药的情况，减少激素使用的频次、用量，减少不良反应是临床需求； 3. 后期部分原发性肾病综合征患儿需要辅以免疫抑制剂来限制长期使用类固醇激素，因其本身具有肾脏毒性，避免或减少免疫抑制剂的使用，减少不良反应是临床需求； 4. 本病复发率高、病程迁延，部分患儿预后较差，严重影响身心健康，提高患儿生存质量是临床需求； 5. 对于持续的脂代谢紊乱患儿，调节血脂代谢异常是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	<ol style="list-style-type: none"> 1. 降低尿蛋白； 2. 在不加重病情的前提下，减少激素使用的频次、用量，减少不良反应； 3. 避免或减少疾病后期免疫抑制剂的使用剂量和种类，减少不良反应； 4. 改善患儿生存质量； 5. 改善脂代谢紊乱患儿的高脂血症。
流行病学资料	<p>1. 疾病状况：肾病综合征 (nephrotic syndrome, NS) 是一种发病率仅次于急性肾炎的常见的小儿肾小球疾病，其原因是由于异常介质促使肾小球滤过膜通透性显著增高，导致很多的血浆蛋白随尿液排出，从而引起一系列的病理生理过程，主要表现为经典的“三高一低”，即大量蛋白尿、低蛋白血症、高脂血症和各种程度的水肿。NS 可分为 3 种类型，其中原发性肾病综合征 (Primary Nephrotic Syndrome, PNS) 约占小儿时期 NS 总数的 90%，而继发性和先天性肾病综合征较为少见。儿童 PNS 的发病机理尚未完全阐明，免疫、遗传、药物、感染及环境等诸多因素都可能参与 PNS 的发生。</p> <p>据国外相关文献报道，儿童 PNS 年发病率 (2 ~ 4)/10 万，患病率为 16/10 万。据全国 37 家合作医院的数据显示，发现在同阶段泌尿系疾病住院患儿总数中，PNS 所占比例为 20%。男孩和女孩的比例是 3.2 : 1，学龄前期儿童居多，3 ~ 5 岁是发病高峰，婴幼儿期次之。本病复发率高、病程迁延，20% ~ 30% 的 PNS 患儿最终发展为慢性</p>

肾功能衰竭，严重影响儿童身心健康，给患者家庭及社会造成极大的精神和经济负担。

2. 治疗现状：口服糖皮质激素自 20 世纪 50 年代开始用于治疗儿童 PNS，至今都是首要的、基本的治疗方法。PNS 经激素治疗后能获得缓解，但复发率高。据对我国儿童 PNS 的调查资料表明，77.6% ~ 91.0% 的 PNS 患儿初治获得缓解后，有 80% ~ 90% 的患儿随后出现复发，其中 25% ~ 43% 的复发出现激素依赖、激素耐药等难治性肾病，随着病情的反复，长期使用会诱发感染、骨髓移植、骨质疏松等不良反应。因此，后期部分 PNS 患儿需要辅以免疫抑制剂来限制长期使用类固醇激素，从而减少不良反应的发生，但免疫抑制剂本身所带来的肾脏毒性和感染风险也会导致预后变得难以控制、更为复杂。高脂血症是本病临床四大病症之一，其所代表的脂代谢紊乱会随病情缓解而得到纠正，但仍有近半数的缓解期患儿存在持续的脂代谢异常，持续的脂代谢紊乱也被认为是疾病复发及病情进展的危险因素。对于脂代谢紊乱的患儿常辅以他汀类药物调脂，但对于激素耐药及持续脂代谢紊乱的患儿，他汀类药物的应用缺乏随机研究证据证实其有效性及安全性。一些已上市中成药对该疾病有效，但药物疗效仍有待提高，临床需要更多具有高质量循证证据的好药。

疾病名称	子宫内膜异位症
临床需求	<p>1. 对于以痛经、慢性盆腔痛、性交痛、排便痛、尿痛、阴道后穹隆或阴道直肠隔痛性结节等症状、体征为主要临床表现的患者，减轻和消除疼痛是临床需求；</p> <p>2. 对于合并不孕症或有生育需求的患者，用药期间改善卵巢功能是临床需求；</p> <p>3. 保守性手术术后复发率高，对于保守性手术术后患者，减少和避免复发是临床需求；</p> <p>4. 对于以盆腔结节或包块为主要临床表现的患者，减灭和消除病灶是临床需求；</p> <p>5. 本病目前无法治愈，疼痛、不孕、包块等长期存在，复发仍然是最困扰患者的术后问题，随病情发展严重影响患者的生活质量及身心健康，生存质量及心理健康的改善是长期患病者的临床需求；</p> <p>6. 治疗本病常用的化学药具有明显的副作用，避免或减少药物不良反应，如阴道不规则出血、低雌激素血症引起的围绝经期症状、血栓风险、胃肠道反应、肝功能异常等是患者的临床需求。</p>
与临床需求匹配的中药研发临床定位	<p>1. 减轻和消除子宫内膜异位症患者相关疼痛；</p> <p>2. 用药期间保护有生育需求患者的卵巢功能；</p> <p>3. 降低卵巢型内异症患者保守性手术术后复发率、延长复发时间；</p> <p>3. 减灭和消除患者子宫内膜异位病灶；</p> <p>4. 改善患者生存质量或改善心理健康；</p> <p>5. 减少治疗本病常用的具有明显副作用的化学药用量及不良反应。</p>
流行病学资料	<p>1. 疾病状况：子宫内膜异位症 (endometriosis, EMs) 是一种慢性炎症性、激素依赖性疾病，其主要特征为有生长能力的子宫内膜结构（腺体和间质）出现在子宫腔被覆内膜和宫体肌层之外的其他位置，临床以疼痛、不孕、结节或包块为主要表现。疼痛主要表现为进行性加重的痛经、慢性盆腔痛、性交痛，还可出现与月经周期相关的胃肠道症状如排便痛，泌尿系统症状如尿痛，阴道后穹隆或阴道直肠隔痛性结节。EMs 发病机制尚不明确，目前认为本病的发生与性激素、免疫、炎症、遗传等因素有关。</p> <p>EMs 是妇科常见病，发病率 5% ~ 10%，好发于育龄期的女性，育龄期女性患病率约为 10%。20% ~ 50% 的不孕症女性合并 EMs，</p>

71% ~ 87% 的慢性盆腔疼痛女性患有 EMs。本病虽为良性疾病，但具有恶性肿瘤复发性高、侵袭性强的临床特征。EMs 是终身性疾病，需要长期用药和管理，严重损害女性的社会关系和心理健康，社会经济影响每年超过 800 亿美元，与糖尿病相当，属于典型的高社会负担慢性疾病。

2. 治疗现状：EMs 难以治愈，临床治疗以减灭和消除病灶、减轻和消除疼痛、改善和保护生育、减少和避免复发为治疗目标。治疗方法主要包括手术治疗和药物治疗，治疗方案因病情的轻重、患者的年龄和生育情况而有所不同。手术的目的是尽可能切除内异症病灶，使解剖结构正常化，消除可能导致盆腔环境恶化的病变，但是不可避免会影响卵巢功能、引起盆腔粘连，且难以切净病灶，腹腔镜下病灶切除术（保守性手术）术后复发是妇科领域至今没有解决的难题，术后复发率每年以 10% 递增，5 年复发率高达 50%，术后复发中位数 8 ~ 10 个月。

主要的治疗药物包括非甾体类抗炎药 (NSAID)、孕激素类、复方口服避孕药 (COC)、促性腺激素释放激素激动剂 (GnRH-a) 等，均存在一定的不足。NSAID 能缓解疼痛症状，起效快但不能延缓 EMs 的进展，且有胃肠道反应；激素类药物虽能延缓疾病进展，但治疗疾病的同时会抑制排卵，无法满足患者生育需求，还可引起阴道不规则出血、肝功能异常；COC 对于 40 岁以上或有高危因素患者具有血栓风险；GnRH-a 易造成低雌激素血症引起围绝经期症状，如潮热、阴道干燥、性欲下降、失眠及抑郁等，长期应用则有骨质丢失的可能。目前，渐进性加重的盆腔疼痛、复发的盆腔包块、不孕及频繁发生的药物副作用仍是客观存在的治疗困境。一些已上市中成药能够缓解疼痛、缩减包块、保护生育等，但药物疗效仍有待提高，治疗副作用亦有待优化，临床需要更多具有高质量循证证据的好药。