

# 《单臂临床试验用于支持抗肿瘤药物常规上市申请技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

在抗肿瘤治疗领域，为了推动新药及早上市，解决患者未满足的临床急需性，对于有效性结果十分突出的抗肿瘤药物，可以依据以替代终点为主要终点的单臂临床试验的试验结果支持附条件上市。目前大部分基于单臂临床试验结果获批附条件上市的抗肿瘤药物是以随机对照研究作为确证性研究。但是在某些情况下，确证性研究难以采用需要较大样本量的随机对照设计，因此需要一些新的临床研发模式，对药物的获益风险进行确证性评价。基于此，化药临床一部起草了《单臂临床试验用于支持抗肿瘤药物常规上市申请技术指导原则》，形成征求意见稿。现将有关情况说明如下：

## 一、背景和目的

目前大部分基于单臂临床试验结果获批附条件上市的抗肿瘤药物是以随机对照研究作为确证性研究。在某些情况下，例如一些非常罕见的肿瘤，确证性研究难以采用需要较大样本量的随机对照设计，因此需要一些新的临床研发模式，对药物的风险获益进行确证性评价。在无法开展随机对照研究的情况下，单臂临床试验可以作为一种替代选择。随着新技术的发展、精准治疗的兴起，抗肿瘤药物的疗效显著提升，这在一定程度上增强了单臂临床试验所反映的临床获益的

可靠性与稳健性。然而，要“确证”药物在目标适应症人群中的获益，仍需要尽可能降低单臂临床试验设计本身局限性所带来的风险，因此需要严格明确单臂临床试验作为确证性研究支持抗肿瘤药物常规批准的适用条件以及相应要求。

本指导原则旨在为以单臂临床试验作为确证性研究支持抗肿瘤药物常规批准提供技术建议。

## **二、起草过程**

本指导原则由化药临床一部牵头，自 2025 年 1 月启动。在部门指导原则小组内部进行了多次讨论，于 2025 年 6 月形成初稿。

2025 年 7 月，进一步完善初稿内容，经药审中心内部讨论，根据反馈意见进行修订。

2025 年 7 月 24 日召开部门技术委员会讨论，形成对外公开征求意见稿并报中心同意。

## **三、起草思路**

在未设立随机化平行对照的情况下，单臂临床试验在评价药物时会引入偏倚因素，很难独立确证药物的有效性，这导致采用结果作为获益风险评估依据时，存在多种局限性；因此，以单臂临床试验作为确证性研究在当前原则上只能作为无法开展随机对照研究时的一种替代选择。

当必须以单臂临床试验作为确证性研究时，须尽可能降低单臂临床试验设计本身局限性所带来的风险；需要通

过疾病致病/发病机制、药物作用机制、单臂临床试验呈现的有效性结果、药物的整体安全性数据，综合形成证据链，共同确证药物的获益风险比。

本技术指导原则在撰写过程中充分参考了国内现已执行和正在征求意见的相关指导原则，如《单臂试验支持抗肿瘤药上市申请的适用性技术指导原则》、《抗肿瘤药物临床试验技术指导原则》、《单臂试验支持注册的抗肿瘤创新药进入关键试验前临床方面沟通交流技术指导原则》、《单臂试验支持注册的抗肿瘤创新药申请上市前临床方面沟通交流技术指导原则》和《以临床价值为导向的抗肿瘤药物临床研究指导原则》等相关内容等。

#### **四、主要内容**

本指导原则适用于抗肿瘤治疗性药物，不涵盖细胞治疗和基因治疗产品，旨在为以单臂临床试验作为确证性研究支持抗肿瘤药物常规批准提供技术建议。

在“概述”部分，介绍了当前单臂临床试验的应用现状，以及本指导原则的适用范围及撰写目的。

在“单臂临床试验作为确证性研究的适用性考虑”部分，介绍了当必须以单臂临床试验作为确证性研究需满足的条件。

在“以单臂临床试验结果支持常规批准的研发模式”部分，阐述了当以单臂临床试验作为确证性研究的两种研发模式：

组合式单臂临床试验模式和单一示单臂临床试验模式。

在“总结”部分，阐述了对于单臂临床试验作为确证性研究的统一要求。