

《真实世界证据支持已上市药品扩展儿童适应症的沟通交流技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

为了进一步落实以患者为中心的研发理念，鼓励儿童用药研发，丰富儿童用药临床研究模式，完善儿童用药供应保障机制，规范引导应用真实世界研究支持已上市药品增加儿童适应症研发路径，我中心组织起草了《真实世界证据支持已上市药品扩展儿童适应症的沟通交流技术指导原则（征求意见稿）》。该文件已通过部门讨论、技术委员会审核，并初步征求了中心相关部门的意见，现形成征求意见稿。有关情况说明如下：

一、起草目的

儿童用药短缺是全球性难题，我国在儿童用药治疗领域仍存在极大的未被满足的临床需求。开展儿童临床试验面临伦理、招募、设计等多重挑战，导致许多已上市药品难以补充儿童适应症。真实世界研究作为一种实践性研究方法，能够利用常规收集的临床数据，为药品评价提供宝贵的证据。

在此背景下，本指导原则旨在以真实世界研究为核心证据来源，为已在中国上市、仅成人获批、临床急需儿童适应症的药品，建立简化、高效、可落地的儿童适应症拓展路径，通过尽早建立多方沟通机制，严格数据质量要求，缩短研发周期，降低研发成本，提升我国儿童用药可及性。

二、起草过程

本指导原则已纳入 2026 年度中心指导原则制定计划，由化药临床一部牵头，于 2026 年上半年启动起草工作。期间，部门指导原则小组进行了内部讨论，并于 2026 年 6 月 18 日形成初稿。

2026 年 7 月 1 日，经药审中心内部讨论，根据定向征求的反馈意见对文本进行了修订。

2026 年 7 月 2 日，召开部门技术委员会，对指导原则的内容进行了讨论，形成对外公开征求意见稿，并报中心审议同意。

三、主要内容

“概述”部分简要介绍了真实世界证据在儿童适应症扩展中的重要意义以及应用背景，指出本指导原则的适用范围及撰写目的。

“沟通交流品种要求”部分明确了拟申报品种的适用范围。

“沟通交流资料要求”和“沟通交流资料撰写模板（供参考）”部分，介绍了拟申报资料需涵盖的内容及要点。涉及研究背景与立题依据、真实世界数据来源与治理方案、研究设计与统计分析方法、风险控制与药物警戒计划、研究实施与质量控制、伦理与合规性、预期成果与监管沟通计划。并提供了具体的撰写模板供参考。

“其他”部分对参考的管理办法、工作细则以及鼓励的申报对象进行说明。

四、需要说明的问题

本指导原则仅代表药品技术审评机构当前的认识，参考本指导原则制定研发策略或进行试验设计不能替代在药物研发关键节点与药审中心的沟通。对于本指导原则未涵盖的问题或可能存在的局限性，鼓励申请人与药审中心加强交流并达成共识。

本指导原则不涉及具体申报品种、在审品种技术要求，无过渡期设置需求。