

**原发免疫性血小板减少症创新药
临床研究技术指导原则
(征求意见稿)**

国家药品监督管理局药品审评中心

2026 年 7 月

目 录

一、 概述.....	1
二、 临床研发策略和试验设计的基本原则	2
三、 确证性临床试验开展时机.....	3
四、 确证性临床试验的设计要点	5
(一) 二线或以上 ITP 患者	5
1. 治疗目标	5
2. 临床试验总体设计	6
3. 目标人群及入排标准	6
4. 合并用药与紧急治疗	8
5. 疗效评价指标.....	9
6. 安全性评价	10
(二) 一线 ITP 患者	11
五、 临床试验中的其他关注点.....	12
(一) 临床药理学试验	12
(二) 国际多中心临床试验	13
(三) 儿童人群临床试验	14
(四) 老年人群临床试验	14
(五) 药品说明书	15
六、 小结.....	15
七、 参考文献.....	16
附录.....	19

1 一、概述

2 原发免疫性血小板减少症（Primary immune
3 thrombocytopenia, ITP）是一种获得性自身免疫性出血性疾
4 病，以无明确诱因的孤立性外周血血小板减少为主要特点，
5 临床表现为无症状血小板减少、皮肤粘膜出血，严重时可致
6 内脏出血甚至颅内出血等症状。根据国内部分地区流行病学
7 调查数据推测，我国 ITP 年发病率为（3-7）/10 万。老年
8 患者出血发生率高于年轻患者，部分患者有乏力、焦虑表现，
9 可影响生活质量。ITP可分类为：新诊断ITP（确诊0-3个月）、
10 持续性ITP（确诊后3-12个月）和慢性ITP（超过12个月）。

11 ITP主要发病机制是由于机体对自身抗原的免疫失耐受，
12 导致细胞免疫和体液免疫异常活化，介导血小板破坏增多和
13 巨核细胞产生血小板不足。阻止血小板过度破坏和促进血小
14 板生成是ITP的主要治疗方法。目前，ITP的治疗药物有：糖
15 皮质激素、静注人免疫球蛋白（IVIg）、促血小板生成药物
16 （rh-TPO、TPO-RA类等）、利妥昔单抗和脾切除术等。ITP
17 初始治疗选择糖皮质激素、IVIg单药或联合应用，后续治疗
18 首选促血小板生成药物，靶向药物为耐药患者的重要选择。
19 全程重视出血与血栓双风险评估，动态监测生活质量，个体
20 化治疗方案。ITP患者初始治疗长期用药的安全性不佳，多数
21 患者治疗反应欠佳或不稳定，复发难治的持续性或慢性患者
22 出血风险大且可选择的治疗方案有限，儿童、妊娠及老年患

者等缺乏明确的个体化治疗指导，仍存在未被满足的临床需求。

随着对ITP发病机制研究的进展，不同作用机制的新药不断研发，如BTK抑制剂、SYK抑制剂、FcRn拮抗剂、CD38单抗、补体C1单抗、Baff抑制剂等。鉴于该疾病发病人群广泛、病情复杂、疗效评估指标与临床意义的差异性，导致此类药物的研发策略及试验设计存在较多挑战，为确保上市药品能够更好地满足临床治疗需求，故制定本指导原则。

对于创新药物临床试验需要遵从的一般原则在本指导原则中不再赘述。本指导原则主要阐述治疗ITP的创新药在临床试验设计中的重点关注问题，尤其是进入确证性临床试验的时机、确证性临床试验设计以及其他关注点。应用本技术指导原则时，还请同时参考药物临床试验质量管理规范（GCP）国际人用药品注册技术协调会（ICH）和其他国内外已发布的相关技术指导原则。

本指导原则内容仅代表药品技术审评机构当前观点，随着疾病认识的深入和药物研发的进展，相关内容需持续完善。参考本指导原则制定研发策略或进行试验设计并不能替代在临床试验各关键节点与药审中心的沟通交流，对于本指导原则未能覆盖的内容及局限性，鼓励申请人与药审中心积极沟通，达成共识。

二、临床研发策略和试验设计的基本原则

45 药物研发持续贯彻以临床需求为导向的理念，把为患者
46 提供更优（更有效、更安全、更便利）治疗选择作为整体研
47 发目标。结合药物作用机制及拟解决的临床问题，明确研发
48 策略，通过临床试验加以确证。临床试验包括临床药理学研
49 究、探索性临床试验及确证性临床试验。

50 ITP创新药物的开发应根据药物靶点作用机制的特点，
51 充分结合现有的临床需求，初步明确其临床定位，包括目标
52 人群、给药途径等。早期探索性研究阶段，应开展充分的剂
53 量探索性研究，关注药效学指标是否能够体现临床获益，明
54 确最佳获益人群、合理给药剂量、给药频率、评估周期等，
55 为确证性临床试验相关设计提供依据。同时，早期研究应关
56 注安慰剂对照组的设定，排除疾病自然恢复过程中对于药物
57 药效学分析和评估的影响。

58 具有可接受的获益风险比是药物获得上市许可的科学
59 标准。由于药物特征、应用目的、创新程度等存在差异，不
60 同药物的研发策略及试验设计可能不尽相同，但药物获得上
61 市许可的科学标准是统一的，即均应满足获益风险评估这一
62 核心目标。

63 三、确证性临床试验开展时机

64 进入确证性临床试验前，应有充分的临床数据为试验设
65 计提供明确的依据。

66 目标人群方面，应关注早期探索性研究阶段，试验参与

者不同基线特征对药物的敏感性、疗效和安全耐受性的差异特征，包括年龄、体重、疾病自然史、血小板基线值、促血小板生成素（thrombopoietin, TPO）基线值等特征，明确本品最佳获益人群。

剂量探索方面，包括起始剂量、维持剂量、剂量调整策略、给药频率等均需要充分的支持依据。获得明确的PK/PD是制定合理给药方案的前提，鼓励采用定量药理学模型辅助推算后续推荐给药方案，但应有合理的推算方式和明确的推算结果，尤其是拟在临床试验中包含儿童人群时，应提供充分合理的依据。

若采用联合给药方式，应在明确单药的有效性和安全耐受性特征的前提下，再探索联合用药中各个药物合理的联合给药剂量，早期尽可能开展小样本随机对照研究，完善析因分析，明确联合用药的临床优势。

若早期研究主要为境外数据，应在开展确证性临床试验前明确本品的种族敏感性特征；若是境内外同步开发，应关注要有足够样本量的中国试验参与者数据，评估其有效性和安全耐受性。

安全性方面，除了在不同临床试验阶段尽量全面收集安全性信息外，还应根据药物作用机制及前期非临床暴露风险，参考同类作用机制药物临床试验数据等相关信息，在临床试验阶段设置相应的安全性考察指标。

四、确证性临床试验的设计要点

ITP的治疗遵循个体化治疗原则，兼顾患者意愿，在治疗不良反应最小化的基础上提升血小板计数至安全水平，减少出血事件，尽量采用有限期治疗，实现疾病长期缓解，关注患者健康相关生活质量（HRQoL）。不同治疗线数、疾病状态下的患者，在治疗需求上存在一定差异。用于治疗ITP的创新药物确证性临床试验的关键设计要点包括（但不限于）以下内容：

（一）二线或以上 ITP 患者

1.治疗目标

提升血小板计数且稳定在安全水平（一般建议 $> 50 \times 10^9/L$ ）、防止严重出血事件，同时又不因过度治疗而引起严重不良反应，是目前监管机构评价ITP治疗药物有效性的共识，也是国内外诊疗指南推荐的治疗原则和目的。在慢性ITP中，治疗目标还应包括避免或推迟使用毒性更强或损伤更重的治疗方案（如非靶向性免疫抑制治疗或脾切除术），将糖皮质激素的使用剂量降至最低并缩短用药时间，从而获得持久疗效。

创新药物的研发应明确以患者为中心的临床获益目标，如血小板计数持续提升至安全阈值以上、降低出血事件发生率或改善生活质量等可测量且具有临床意义的终点；避免仅依赖替代终点而忽视患者临床获益。

2. 临床试验总体设计

确证性临床试验建议采用随机、双盲、安慰剂对照设计。需要对试验参与者进行随机分组，选择合适的分层因素，包括是否接受脾切除术、基线血小板计数（如 $\geq 15 \times 10^9/L$ 、 $< 15 \times 10^9/L$ ）以及是否使用联合治疗等。关于对照组，也可结合创新药的作用机制、同靶点产品批准及临床应用情况、拟解决的临床问题、目标人群等，合理增加阳性药物对照组。通常情况下，需验证创新药优于安慰剂和/或阳性药物；如采用与阳性药物对照的非劣效设计，则需阐明理由，并明确非劣效界值的合理性。试验中阳性药物的用法用量应符合药品说明书及临床治疗指南。

临床试验的治疗期一般至少为24周，14周至24周是主要疗效指标的评估时间，也可基于药物作用机制以及药效达到稳态且持续一定时间等因素灵活制定明确的疗效评估周期，同时提供合理的支持依据。根据研究目的不同，在完成24周访视后，试验参与者可继续或转为接受试验药物治疗至最终试验完成，或者直接进入安全性随访期。在完成III期临床试验主要疗效评估目标，以及满足安全性评价所需要的暴露量后，可以考虑进行长期安全性随访研究，以识别罕见不良反应、延迟发生的不良反应或长期使用面临的潜在风险。

3. 目标人群及入排标准

建议重点关注目标人群入排标准中涉及年龄、疾病诊断、

133 病程、既往治疗史、治疗需求等内容，使纳入的试验参与者
134 具有临床代表性。

135 临床试验中首选纳入 ≥ 18 岁成人患者，排除其他继发性
136 血小板减少症（其它疾病所致的血小板减少）。对于儿童ITP
137 适应症的研发，需依据儿童疾病特点、药物研发相关技术指
138 导原则，结合整体研发策略，适时开展，具体见下文儿童人
139 群临床试验部分。

140 目标人群为既往至少经一种标准治疗无效或治疗后复
141 发的，或者对标准治疗方案不耐受或反应不佳的慢性ITP患
142 者，并且要求对既往治疗有应答史。糖皮质激素目前仍为首
143 选标准治疗，因此对于既往治疗史，应必须经过糖皮质激素
144 治疗无效、复发或耐药。激素治疗无效通常定义为标准剂量
145 泼尼松（ 1mg/kg/d ）治疗4周末达有效；激素治疗后复发指应
146 用糖皮质激素治疗有效的患者在停药或减量的过程中出现
147 血小板计数降至 $30 \times 10^9/\text{L}$ 以下；激素耐药指激素治疗无效或
148 经3-6个月治疗,仍需泼尼松 15mg （儿童泼尼松 $>0.2\text{mg/公斤体}$
149 重/天 ）及以上剂量才能维持血小板计数 $>30 \times 10^9/\text{L}$ 。需考虑
150 近期接受的紧急治疗的影响，设置足够的洗脱期。

151 基线血小板计数通常要求为2-3个月内至少3次检测结果
152 的平均值 $<30 \times 10^9/\text{L}$ ，且每次均 $\leq 35 \times 10^9/\text{L}$ ，其中2次为筛
153 选期内至少间隔3天以上的测定值。其余血细胞计数通常在
154 正常范围之内，如存在出血症状，血红蛋白可以偏低，但应

≥ 100g/L。基线状态WHO出血评分建议为0-1分，预计2周内无需紧急治疗。

某些情况下，可依据产品作用机制、临床定位及前期研究基础，适时推进纳入≥3个月病程的持续性ITP患者。但考虑持续性ITP的自然病程转归对疗效评估带来的影响，能否真正满足患者的临床治疗需求。

4.合并用药与紧急治疗

试验参与者允许合并接受一种ITP治疗药物，该治疗药物需已维持稳定剂量至少1个月，并且在临床试验期间保持药品种类、给药剂量、给药频率、给药方式不变。允许的治疗药物有糖皮质激素、达那唑、免疫抑制剂、TPO-RAs等。随机时应将是否存在合并ITP治疗作为分层因素之一。在研究期间，依据血小板计数情况，可考虑将合并ITP治疗药物减量或停药。

允许的紧急治疗包括IVIG、糖皮质激素大剂量冲击，危及生命出血可以考虑血小板输注治疗。建议优选IVIG，一般不建议使用糖皮质激素冲击治疗。接受紧急治疗的患者，在接受紧急治疗期间应视为治疗无应答，直至紧急治疗结束且血小板计数 $< 50 \times 10^9/L$ ；在进行持续应答评价时需要谨慎处理。建议对临床试验中的其他合并用药进行明确严格的规定。对于除试验药物外允许使用的药物，均应明确其使用条件，列出可接受的剂量范围及使用期限。

5.疗效评价指标

确证性临床试验中常用的主要疗效评价指标为持续有效率，通常定义为随机双盲治疗期间不使用紧急治疗的前提下，第14-24周数次随访血小板计数达到 $\geq 50 \times 10^9/L$ 的患者比例，一般为6次非缺失随访（每2周随访）至少4次或12次非缺失随访（每周随访）至少8次达标。血小板计数以具有良好质控的中心实验室检测结果为准。

次要疗效评价指标通常包含但不限于完全反应、有效、无效、复发的试验参与者的例数和比例，完全反应或有效出现的时间和持续时间，还应包括不同访视点血小板计数及变化趋势、接受紧急治疗的试验参与者比例等。结合ITP治疗目标及临床需求，同时应将出血事件的评估（发生率及严重程度）、患者生活质量相关评分、合并ITP治疗药物的剂量降低或停药等作为重要的评价指标，对创新药的有效性进行更全面的评价。

随着创新机制靶点药物的研发，建议在临床研发过程中加强对于生物标志物的探索性研究，关注耐药性、不同作用机制药物协同作用及交叉耐药性等机制的研究。

完全反应（CR）、有效（R）、无效（NR）、复发的定义如下：

完全反应（CR）：治疗后血小板计数 $\geq 100 \times 10^9/L$ 且无出血表现。

有效（R）：治疗后血小板计数 $\geq 30 \times 10^9/L$ 且较治疗前基础血小板计数增加至少2倍，同时无出血表现。

无效（NR）：治疗后血小板计数 $< 30 \times 10^9/L$ ，或血小板计数增加不到基础值的2倍，或有出血。

复发：治疗有效后，血小板计数降至 $30 \times 10^9/L$ 以下，或降至不到基础值的2倍，或出现出血症状。

在定义CR或R时，应至少检测2次血小板计数，间隔至少7天。定义复发时，应至少检测2次血小板计数，间隔至少1天。

ITP除血小板减少及出血风险外，还可能持续影响患者疲劳、日常活动能力、工作与社会参与以及整体生活质量。鼓励根据药物作用机制、目标人群及研发阶段，结合生活质量、疲劳改善及功能恢复等多个患者关注维度，对临床获益进行综合评价，从而更全面反映创新药物为患者带来的实际临床价值。

6.安全性评价

随着FcRn拮抗剂、BTK抑制剂、SYK抑制剂等不同作用机制创新药物的发展，其潜在安全性关注点呈现差异化特点。对于不同作用机制药物，建议结合其药理机制、同类产品已知风险、非临床研究发现以及早期临床研究观察到的安全性信号，制定针对性的风险识别和监测策略；同时结合长期随访研究，持续完善药物风险管理措施。

在确证性临床试验中，需持续监测不良事件，重点关注

221 药物相关的不良反应及特殊风险。观察期设置包含完整给药
222 期及停药后一段时间。根据临床实践及治疗需求，ITP治疗药
223 物安全性评价预期需要目标人群300例、至少6个月或更长时间
224 间的暴露数据；同时参考ICHE1《人群暴露程度：评估非危及
225 及生命性疾病长期治疗药物的临床安全性》。安全性数据的
226 累积最终依赖试验药物的性质及拟定临床用途。

227 就ITP疾病本身，包括推荐的标准治疗方案，可能会增加
228 感染、动静脉血栓栓塞、肝功能异常、血液系统恶性疾病等
229 风险，在进行安全性评价时需要特别关注。同时需关注停止
230 研究治疗后血小板计数短时间内快速降低或出现计数偏高的
231 潜在风险。

232 （二）一线 ITP 患者

233 由于长期暴露后仍缺乏疗效、耐受性较差等原因，大多
234 数患者最终需要在糖皮质激素一线治疗后开始后续治疗。随
235 着时间的推移，更多后线治疗可能会导致伴血小板计数非常
236 低、出血风险增加的难治性疾病状态。目前获批和可用的二
237 线治疗（如TPO-RA）能诱导较高的缓解率，但这些患者中有
238 70%-80%在治疗期结束后未能维持。因此，在ITP疾病早期阶
239 段，对新的、潜在的疾病改善疗法仍存在未满足的临床需求。

240 在获得二线及以上ITP患者中充分的临床安全有效性数
241 据后，鼓励创新药物适时推进至一线ITP患者。依据ITP治疗的
242 诊疗指南及临床实践，可在一线首选治疗糖皮质激素（+/-

IVIG)的基础上联合治疗,以期提高疗效并延长缓解持续时间,逐步探索停药后维持持续缓解的治疗药物和方案,实现有期限治疗,减少糖皮质激素长期应用的不良反应,进而改善生活质量、减轻疾病负担。

在开展一线人群的临床试验时,根据创新药的作用机制及临床定位,通常选择新诊断并且在随机化前对糖皮质激素(+/-IVIG)有应答的ITP患者。建议采用与安慰剂联合糖皮质激素(+/-IVIG)的随机对照研究,研究主要终点通常建议为与持续缓解时间相关的指标,如至治疗失败时间、持续缓解时间等,其他有效性指标的设置可参照上文中疗效评价指标。

五、临床试验中的其他关注点

(一) 临床药理学试验

临床药理学试验是药物临床研究的重要组成部分,其结果是支持剂量探索和确证性临床试验设计的重要依据,也是用于支持药品说明书相关内容撰写的依据。ITP治疗药物需要遵循创新药物研发中临床药理学试验的常规策略,重点关注以下内容:

药代动力学(PK)研究:需遵循现行技术指导原则。针对不同人群(如新诊断ITP、难治性慢性ITP或接受脾切除术的患者)、治疗目的(如紧急出血或维持治疗)、给药方案(如单次或长期使用)及药物特性(如化学药品或生物制品)

开展相关研究，以获得充分的数据来描述药物的药代动力学特征。通过群体药代动力学研究，识别可能影响药物暴露量的潜在协变量。

药效学（PD）研究：血小板计数为主要的药效学指标。探索研究阶段应进行充分的剂量探索，结合PK/PD研究结果，同时鼓励采用定量药理学方法，为推荐给药剂量的合理性提供充分的支持依据。随着对ITP发病机制研究的深入，多种作用机制的创新药获批上市或进入临床研究，鼓励采用相应的药效学指标、生物标志物等作为探索性研究内容，并及早纳入整体研究策略。

药物相互作用研究：遵循ICH M12《药物相互作用研究》及相关技术指导原则开展。ITP患者常需联合治疗（糖皮质激素或其他不同作用机制的药物），或者接受常规临床操作及手术治疗，应对联合用药、围术期用药或急救药物等的相互作用进行评估。

（二）国际多中心临床试验

如计划在全球同步研发，在设计开展国际多中心临床试验时应遵循ICH E17《多区域临床试验计划与设计的一般原则》，同时应考虑到不同地区/种族疾病特征的相似性以及临床诊疗方式的差异。临床诊疗实践、检测访视及相关标准治疗药物可及性方面的差异，可能会影响试验设计及结果分析，如部分境外批准用于治疗ITP的创新靶点药物尚未在国内获

批上市或批准适应症存在一定差异，在既往治疗史要求或疗效评估时需要进一步考虑。在申请国际多中心试验时，建议对此类问题进行说明，并提供可行的设计考虑及风险控制策略。

（三）儿童人群临床试验

ITP是儿童最常见的出血性疾病之一，通常病程较短，约2/3患者可在6个月内自愈，年龄较大的儿童则易发展为慢性ITP。儿童患者治疗的核心目标为通过一线标准疗法维持血小板稳定，同时尽量减少长期使用糖皮质激素，一线治疗无效时更倾向于采用其他药物治疗而不是脾切除。

在ITP药物临床研发过程中需要结合整体研发计划扩展至儿童患者，建议参考 ICH E11（R1）《用于儿科人群的医学产品的药物临床研究》、ICHE11A《儿科外推》、CDE发布的《成人用药数据外推至儿科人群的技术指导原则》以及其他国内外发布的儿童试验相关指导原则进行整体布局。关注药物长期应用的安全性及对生长发育可能存在的远期影响。若考虑扩展至儿童人群，建议尽早与药审中心进行沟通。

（四）老年人群临床试验

建议老年患者尽早参与临床研究。关注老年患者基础疾病及相关治疗用药可能存在的影响，并关注生活质量的改善。

根据临床实践及治疗需求，ITP治疗药物研发可以参照

ICH E7《特殊人群的研究：老年医学》指南要求，允许在包括老年人群的年龄层中开展临床试验。涉及老年人群的试验或者考虑适老化设计时，可以参考《老年人群参与创新药临床试验的关键要素及试验设计要点（试行）》、《创新药研发中涉及适老化设计时的一般原则及考虑要点（试行）》、《药品说明书中涉及老年人群用药信息的撰写要点（试行）》。

（五）药品说明书

建议药品说明书中【适应症】应根据药物临床试验结果确证的治疗效应及试验参与者特征进行起草，通常限制在确证性临床试验目标人群中确证有效性的给药方式、试验参与者年龄段。【用法用量】内容与【适应症】相对应。

药品说明书中【适应症】【用法用量】等条目的内容需根据试验结果进行判定，以最终审批确认的内容为准。申请人可以在申报上市前的沟通交流中，针对药品说明书关键条目内容提出起草意见。

六、小结

药物全生命周期的规划与管理涵盖丰富的目的和任务，涉及不同研发阶段，不仅包括药物首次上市，也包括持续提升药物价值的内容，如扩展新适应症或特殊人群应用、研发新剂型或新的给药途径、优化给药方案等，以更好的适应临床需求的动态变化，满足患者对药品治疗获益持续提升的要求。在药物上市前研究阶段即开始考虑全生命周期的安排，

331 进行研究证据的储备是必要的，将为后续扩展应用范围或满
332 足人群多样性治疗需求提速增效。

333 伴随着不同靶点新药的研发，有关ITP治疗的证据链日
334 益丰富，药物临床试验的设计趋于复杂。在现阶段，提升血
335 小板计数和减少出血事件是ITP治疗的核心目标，早期获得
336 缓解并持续维持、避免进展为难治性疾病状态的治疗方案也
337 在初步探索。科学的进步必将推动ITP药物的研发，鼓励申请
338 人、临床专家与监管机构积极沟通，探索创新的试验设计。
339 本指导原则将基于ITP的临床实践适时进行更新。

341 七、参考文献

- 342 [1] Lee JY, Lee JH, Lee H, et al. Epidemiology and management
343 of primary immune thrombocytopenia: A nationwide population-
344 based study in Korea[J] Thromb Res. 2017;155:86–91. doi:
345 10.1016/j.thromres.2017.05.010.
- 346 [2] 中国儿童原发性免疫性血小板减少症诊断与治疗改编指
347 南（2021版）[J]。中华儿科杂志, 2021, 59(10): 810-819.
- 348 [3] Anne Zufferey, Rick Kapur, John W Semple. Pathogenesis
349 and Therapeutic Mechanisms in Immune Thrombocytopenia(ITP)
350 [J].J.Clin.Med.2017,6,16;doi:10.3390/jcm6020016.
- 351 [4]EMA. Guideline on the clinical development of medicinal
352 products intended for the treatment of chronic primary immune
353 thrombocytopenia.

354 [5] Cindy Neunert, Deirdra R Terrell, Donald M Arnold, et al.
 355 American Society of Hematology 2019 guidelines for immune
 356 thrombocytopenia. Blood Advance. 10 December 2019, Volume
 357 3, number 23.

358 [6] 成人原发免疫性血小板减少症诊断与治疗中国指南
 359 (2025 年版) [J]. 中华血液学杂志, 2025, 46 (12): 1105-
 360 1113.

361 [7] 彭军. 皮质激素耐药或依赖的成人免疫性血小板减少症
 362 的治疗 [J]. 临床血液学杂志, 2024, 37(1): 1-5.
 363 DOI:10.13201/j.issn. 1004-2806.2024.01.001。

364 [8] ICH E11 (R1). 用于儿科人群的医学产品的临床研究
 365 [EB/OL]. 2017 年 8 月.
 366 [https://www.cde.org.cn/ichWeb/guideIch/downloadAtt/2/8ee2a6](https://www.cde.org.cn/ichWeb/guideIch/downloadAtt/2/8ee2a68cc70580330c6aa7d3d9ebf012)
 367 [8cc70580330c6aa7d3d9ebf012](https://www.cde.org.cn/ichWeb/guideIch/downloadAtt/2/8ee2a68cc70580330c6aa7d3d9ebf012)

368 [9] ICH E11A. 儿科外推 [EB/OL]. 2024 年 8 月.
 369 [https://www.cde.org.cn/ichWeb/guideIch/downloadAtt/2/94bf62](https://www.cde.org.cn/ichWeb/guideIch/downloadAtt/2/94bf625c9b29e09a68f34c944bdfdfa0)
 370 [5c9b29e09a68f34c944bdfdfa0](https://www.cde.org.cn/ichWeb/guideIch/downloadAtt/2/94bf625c9b29e09a68f34c944bdfdfa0)

371 [10] 国家药品监督管理局. 《儿童药物临床试验安全信息评
 372 估与报告技术指导原则》 [EB/OL]. 2025 年 5 月.
 373 [https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/d3762909](https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/d3762909c55ef21c7fc533d8ba826d40)
 374 [c55ef21c7fc533d8ba826d40](https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/d3762909c55ef21c7fc533d8ba826d40)

375 [11] 国家药品监督管理局.《成人用药数据外推至儿科人群
376 的技术指导原则》[EB/OL]. 2017 年 5 月 .
377 [https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=8](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=836cb4dbe6962972b14a7030b6aae972)
378 [36cb4dbe6962972b14a7030b6aae972](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=836cb4dbe6962972b14a7030b6aae972)

379 [12] 国家药品监督管理局.《老年人群参与创新药临床试验
380 的关键要素及试验设计要点》[EB/OL]. 2025 年 10 月 .
381 [https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=b](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=b02f383a02ffc9089eedce36dd4412ee)
382 [02f383a02ffc9089eedce36dd4412ee](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=b02f383a02ffc9089eedce36dd4412ee)

383 [13] 国家药品监督管理局.《创新药研发中涉及适老化设计
384 时的一般原则及考虑要点》[EB/OL]. 2025 年 10 月 .
385 [https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=4](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=4644a30742c0172e9d94257450624a3a)
386 [644a30742c0172e9d94257450624a3a](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=4644a30742c0172e9d94257450624a3a)

387 [14] 国家药品监督管理局.《药品说明书中涉及老年人群用
388 药信息的撰写要点》[EB/OL]. 2025 年 10 月 .
389 [https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=c](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=cba72026cf190193a1269cc815650a6b)
390 [ba72026cf190193a1269cc815650a6b](https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=cba72026cf190193a1269cc815650a6b).

391

392

393

394

395

396

缩略语	英文全称	中文全称
ITP	Primary immune thrombocytopenia	原发性免疫性血小板减少症
IVIg	Intravenous immunoglobulin	静脉注射人免疫球蛋白
rh-TPO	Recombinant Human Thrombopoietin	重组人血小板生成素
TPO-RA	Thrombopoietin Receptor Agonist	血小板生成素受体激动剂
SYK	Spleen Tyrosine Kinase	脾酪氨酸激酶
BTK	Bruton's tyrosine kinase	布鲁顿酪氨酸激酶
FcRn	Neonatal Fc Receptor	新生儿 Fc 受体
GCP	Good Clinical Practice	药物临床试验质量管理规范
ICH	The International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use	国际人用药品注册技术协调会
HRQoL	Health related quality of life	健康相关生活质量
CR	Complete response	完全有效
R	Response	有效
NR	Non-Response	无效