

《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）》起草说明

为鼓励临床新药研发，进一步为原发免疫性血小板减少症（ITP）新药研发的临床研发计划和方案设计提供可参考的技术标准，药品审评中心组织起草了《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）》，并征求部分专家意见后，形成初稿。现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

ITP 是一种获得性免疫介导的血小板减少疾病，临床表现为无症状血小板减少、皮肤粘膜出血，严重时可致内脏出血甚至颅内出血等症状。各年龄阶段均可发病，成年人一般为隐匿发病，病程为慢性过程，在儿童一般病程较短，80% 患儿在 6 个月内自发缓解。目前，随着 ITP 发病机制研究越发清晰明确，自身免疫机制生物学各项研究不断突破，随之针对自身免疫性疾病的靶点药物研发热点越发高涨，因此，对于 ITP 新药临床研究需求更加迫切。鉴于该疾病发病人群宽泛、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。

本技术指导原则将立足于当前的临床实践，结合 ITP 的疾病特征和近年来新药研发的经验和挑战，就 ITP 新药临床

研究的思路和具体设计要素提出观点。该指导原则积极推动以患者为核心的新药研发理念，有助于 ITP 适应症的新药研发人员更准确地把握疾病特征，在临床试验设计和执行过程中更深入地关注和了解患者的需求。

二、起草过程

本技术指导原则由化药临床一部负责撰写。本项工作自 2026 年 3 月启动，2026 年 6 月形成初稿，经药审中心内部各相关专业征求意见、技术委员会审核，并征求部分专家意见后，形成征求意见稿。

三、主要内容与说明

本技术指导原则将从 ITP 疾病特征出发，从早期临床试验探索阶段相关要求、III 期注册临床试验关键设计要素、疗效评价指标、特殊关注人群要求等方面探讨 ITP 新药研发的关注点和技术要点，致力于为 ITP 新药研发的医药研发企业和研究者提供参考意见。