

脑胶质瘤治疗药物研发临床试验设计

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、背景	1
(一) 适应症特点和临床实践现状.....	1
(二) 适用范围	2
二、重要关注点及审评考虑	3
(一) 概念验证	3
(二) 分子标志物	4
(三) 外部对照数据	4
(四) 疗效判定	4
三、探索临床研究	6
(一) 人群选择	6
(二) 剂量选择	6
(三) 试验设计	7
(四) 试验终点	8
(五) 联合治疗	8
四、确证临床研究	9
(一) 人群选择	9
(二) 试验设计	9
(三) 试验终点	10
(四) 安全性评估	12
(五) 伴随诊断的开发	12
五、儿童患者人群的研发策略	13
六、结语	14

参考文献	15
附录	18
缩略语表	18

1 一、背景

2 （一）适应症特点和临床实践现状

3 脑胶质瘤（Glioma）通常指来源于或表现为胶质细胞分
4 化特征的中枢神经系统神经上皮性肿瘤，主要包括星形细胞
5 系和少突胶质细胞系肿瘤，年发病率为 5/10 万~8/10 万，是
6 最常见的原发颅内恶性肿瘤^[1]。恶性程度最高的胶质母细胞
7 瘤（glioblastoma, GBM）年发病率约为 3.2/10 万，于 2023
8 年 9 月纳入国家第二批罕见病目录。脑胶质瘤具有高致残率、
9 高复发率的特征，严重威胁患者生命，影响患者生存质量，
10 亦给患者带来沉重的经济负担。

11 基于肿瘤的组织学形态、生物学行为及分子遗传学特征，
12 世界卫生组织（WHO）将胶质瘤按照恶性程度分为 1-4 级。
13 低级别胶质瘤（LGG, WHO 1/2 级）肿瘤生长相对缓慢，患
14 者在接受手术治疗后存在肿瘤残留、局部复发及恶性程度进
15 展至高级别的风险；而高级别胶质瘤（HGG, WHO 3/4 级）
16 恶性程度高，即便采用手术联合放化疗、肿瘤电场治疗以及
17 针对敏感突变的靶向药物治疗等综合手段，多数患者仍不可
18 避免地出现疾病复发或进展，生存期有限，亟需研发新的治
19 疗药物。

20 2021 年 WHO 发布的第 5 版中枢神经系统（CNS）肿瘤
21 分类^[2]将分子标志物作为重要指标进一步广泛纳入胶质瘤病
22 理诊断体系，凸显了分子诊断在 CNS 肿瘤分类中的重要作

用。第五版的修订不仅有助于提升诊断准确性、优化预后评估，更利于指导精准治疗，促进临床试验标准化。与此同时，脑肿瘤影像相关的疗效评价标准也经历了重要更新，自 1990 年 Macdonald 标准^[3]提出以来，2023 年已迭代为 RANO 2.0 标准^[4]。上述进展对该疾病领域的药物临床研究设计提出了新的挑战。

针对脑胶质瘤临床研究中的关键问题，本指导原则从技术角度阐述监管机构的观点与审评考量，希望能够推进脑胶质瘤治疗药物的临床研发进程，提升与申请人及研究者的沟通效率。

（二）适用范围

本指导原则适用于支持化学药品和治疗用生物制品的注册临床试验设计，不适用于细胞治疗（CAR-T）、基因治疗、溶瘤病毒、肿瘤疫苗等生物疗法。本指导原则所涉及的抗肿瘤药物试验设计遵循临床试验设计的一般原则，包括但不限于人用药品注册技术要求国际协调会议（ICH）所发布的 E8、E9、E10 和 E17 等指导原则，以及国家药品监督管理局（NMPA）已发布的《抗肿瘤药物临床试验终点技术指导原则》、《抗肿瘤药物临床试验技术指导原则》、《儿童抗肿瘤药物临床研发技术指导原则》等相关内容。

本指导原则所述观点仅反映 NMPA 当前对脑胶质瘤临床试验设计的观点，尚不能完全涵盖研发过程中可能遇到的

所有情形，鼓励申请人就具体问题及时与药品监管机构进行沟通交流。

二、重要关注点及审评考虑

（一）概念验证

概念验证(Proof of Concept, POC)是肿瘤药物研发早期阶段的重要内容，旨在验证药物是否具备进一步开发的潜力。由于胶质瘤存在异质性强、血脑屏障、免疫豁免等有别于其他实体瘤的特点，POC 在脑肿瘤药物研发中尤其重要。系统全面的 POC 可有效降低后续临床开发失败的风险。

临床前研究阶段，根据目标适应症选择匹配的脑肿瘤细胞系开展体外试验，验证药物的作用机制，观察潜在的细胞毒性；根据研究目的选择合适的动物模型，验证药物穿透血脑屏障的效率，阐明药物的药代动力学和药效学特征，评价药物对肿瘤生长和动物生存期等重要指标的影响^[5]。鼓励采用经验证的新兴替代模型开展药理学试验，如器官芯片、患者来源的肿瘤类器官（PDTO）^[6]等。

早期探索临床试验阶段，在完成剂量探索、有效性和安全性数据收集等常规研究目的的同时，建议遵循伦理的前提下在人体试验参与者中对药物作用机制进行再确认。

因自身理化或生物学特性难以有效穿透血脑屏障的药物，采用新型药物递送技术是重要的研发策略。此类技术的开发需构建贯穿非临床与临床阶段的完整证据链，以证明该

技术能安全、可控地提高药物在脑肿瘤部位的暴露量，并最终转化为临床获益。

（二）分子标志物

分子标志物不仅是胶质瘤诊断分型的关键依据，也是靶向药物临床开发中确定目标人群的重要抓手。临床研究中，根据前期 POC 结果，通过特定分子标志物筛选试验参与者，实现试验参与者基线均一，研究结果可充分表征精准治疗的疗效。

（三）外部对照数据

历史对照数据是探索临床研究疗效分析常用的对照选择。囿于脑胶质瘤既往研究多为小样本、单臂设计，且相关研究开展时间跨度大，疗效判定标准与现有标准存在显著差异，meta 分析也多基于上述特点的临床研究汇总分析产出，导致结论缺乏足够的稳健性。因此，与其他实体瘤相比，现阶段的历史对照数据在胶质瘤研发中的参考价值有一定局限性。

（四）疗效判定

在脑胶质瘤治疗药物临床研发过程中，总生存期（OS）作为评估临床获益的金标准，目前仍是关键 III 期研究首要采用的主要研究终点。

肿瘤影像学亦是脑胶质瘤疗效评价的重要方法之一，目前国际广泛使用的评价体系已从 2010 年首次发布高级别胶

质瘤的反应评价标准（RANO-HGG）更新至 2023 年不区分
肿瘤级别的 RANO 2.0 标准。

相较于 Macdonald 标准，RANO 2.0 标准的核心优势在于引入 T2/FLAIR 序列评估非强化病灶，明确了假性进展的判断原则，确定疗效评估不仅基于影像学改变，还需整合临床症状和皮质类固醇药物使用情况等临床参数进行综合研判。在临床研究实施过程中，疗效相关信息采集的完整性与方法学的合理性亦是监管审评的重要考量维度。

假性进展（Pseudoprogression，PsP）或假性缓解（Pseudoresponse）是影响胶质瘤疗效准确评估的重要因素。RANO 2.0 标准肯定了增强病灶（Enhancing Lesions）影像学改变与临床疗效评价的相关性，但放化疗或免疫治疗可引起 PsP，更新标准提出了确认扫描（confirmation scans）的必要性。此外，某些影响血管通透性（vascular permeability）的药物可在增强影像上出现假性缓解的表现，此时需结合对应的非增强病灶（nonenhancing lesions）在 T2/FLAIR 平扫序列上的改变综合评价进展情况。

依据 RANO 2.0 标准，非增强胶质瘤的影像学判读将轻微缓解（minor response，MR）纳入客观缓解的范畴。然而，在靶病灶偏小的情况下，MR 的判定容易存在较大误差。因此，此类肿瘤的疗效判定重点关注靶病灶出现完全缓解（CR）和部分缓解（PR）的占比。

儿童胶质瘤的生物学行为、影像学特征与成人存在显著差异，因此疗效判定不能完全套用成人 RANO 2.0 标准，可采用儿童神经肿瘤疗效评价标准（RAPNO）^{[7][8]}。

三、探索临床研究

探索性临床研究主要目标如下：验证药物在人体试验参与者中的药理学作用、明确药代动力学特征、获取剂量-效应关系等重要信息，并对有效性和安全性开展初步评价，为后续研究决策和选择合理剂量提供关键依据。同时，此阶段需充分探索潜在生物标志物并建立可靠的检测方法，为后续在目标人群中开展确证性研究奠定基础。

（一）人群选择

早期探索性临床试验也是概念验证的重要阶段之一，可在经过标准治疗后失败或尚无有效治疗手段的多种实体肿瘤患者中开展，不仅可以获取药物在不同瘤种中的有效性和安全性信息，而且可以快速推进剂量探索的进程。同时，在该阶段需要合理设计以满足验证药理学机制的需求。

随着对脑胶质瘤分子特征的深入了解，部分分子分型具有明确的疗效相关性，建议在探索性临床试验中，基于药效学特征分析药物在不同分子分型亚组人群中的有效性，为后续目标人群的选择提供证据。相关内容可参考《生物标志物在抗肿瘤药物临床研发中应用的技术指导原则》^[9]。

（二）剂量选择

鼓励申请人进行充分的药物剂量探索。剂量递增结束后或过程中，选择 2-3 个给药方案进行剂量扩展/优化研究。尤其是新技术、新靶点、安全性风险较高或安全性变异度大的药物，需结合药效学结果、人体药代动力学特征、安全性及有效性数据等信息综合评估后得到 II 期试验推荐剂量（RP2D）。

在其他实体瘤探索研究中获得 RP2D 的情况下，综合系统 PK、安全性边界、CNS 渗透系数、未结合药物暴露、靶点抑制阈值和颅内早期疗效信号等因素，选择合理的给药方案在脑胶质瘤试验参与者中开展剂量确认研究，必要时可应用模型引导的药物研发（MIDD）作为剂量选择的补充依据。建议参考已经发布的《模型引导的药物研发技术指导原则》^[9]、《模型引导的创新药物剂量探索和优化技术指导原则》^[11]。

（三）试验设计

常规采用单臂设计进行剂量递增研究。鼓励选择创新高效的试验设计，如采用贝叶斯最优区间（BOIN）设计优化剂量递增和剂量选择。

探索初步疗效阶段，可采用主方案设计下的伞式试验，在同一试验框架下纳入针对不同分子标志物的研究队列；或者针对同一分子标志物采用篮式试验设计，实现跨瘤种的数据收集。

由于历史对照数据可能变异较大，建议采用盲态下小型 RCT 研究获取更为可靠的临床获益证据。研究者需要根据目标人群的特点、药物机制及主要研究目的等要素科学估算探索性研究的样本量。

（四）试验终点

单臂研究的有效性终点通常选择客观缓解率（ORR），其他有效性终点如缓解持续时间（DOR）、无进展生存期（PFS）、总生存期（OS）等也是疗效判定的重要补充，上述指标为确证性试验研究终点的选择和统计学假设提供重要依据。安全性风险较高或风险尚不明确的药物或联合用药方案更加需要关注 PFS、OS 等生存相关终点的获益程度。

（五）联合治疗

在联合治疗的探索性研究中，建议采用析因设计，以提供联合治疗优于单药治疗的证据^[12]。当开展 A+B+SOC 或 A+B 等多药联合的研究时，建议进行科学的析因分析，阐明组合的合理性，具体包括各组分的剂量选择、给药方式、给药顺序、获益贡献等。

脑胶质瘤中新靶点或新机制的药物研发存在挑战，部分药物研发立题是预期发挥增强 SOC 的疗效。放疗增敏类药物的联合治疗需在探索性阶段完成较为充分的析因设计，明确药物的放疗增敏效应的大小和持续时间、最佳给药时机和剂量；化疗增效类药物的联合治疗需在探索性阶段评估联合

方案的安全性、药物相互作用、初步疗效信号。如果单药的药效有限，在非临床研究验证立题的基础上，探索性临床研究证实单药以及联合 SOC 具有可接受的安全性特征，则后续可尽早采用对比 SOC 的小型随机对照试验（RCT）设计，以验证联合治疗的增效作用。

四、确证临床研究

确证性临床试验是对探索性临床研究得到的药物疗效和安全性信息进行系统科学的验证，为新药获得上市许可提供可靠的证据。在开展确证临床试验前，应全面评估探索阶段临床试验数据的充分性，进行严谨科学的临床方案设计，并在试验开展前与监管机构进行充分的沟通交流。

（一）人群选择

基于探索性临床试验结果选择预期临床获益明确的人群开展确证性临床试验。根据国际公认的最新版中枢神经系统（CNS）肿瘤分类确定入排标准，并对分子分型的检测方法进行明确定义，以支持后续评价。如果增加新发现的生物标志物筛选目标人群，建议由中心实验室统一检测，检测方法应在前期经过充分的验证。

（二）试验设计

双盲 RCT 是确证药物疗效最可靠的方法，且肿瘤创新药物研发通常仅接受优效设计。对照组通常选用目标人群在当前临床实践中广泛认可的标准治疗方案，并随着国内外研

发进展适时更新，为患者提供可及的最佳治疗。如果适应症无标准治疗时可考虑以研究者的选择，并在方案中明确具体治疗类型及依据。若选择安慰剂对照，可考虑联合最佳支持治疗（BSC）。

由于脑胶质瘤疾病的特殊性 & 肿瘤缓解与预后的相关性尚不充分，因此需谨慎评估单臂试验用于支持脑胶质瘤适应症内创新药上市的适用性。如果试验药物显示出了突出的 ORR，并结合 DOR、PFS 和 OS 等综合评价其具有显著临床优势，申请人可考虑选择单臂试验作为关键注册临床试验与监管机构沟通。具体适用情形建议参考《单臂临床试验用于支持抗肿瘤药上市申请的适用性技术指导原则》^[13]。

（三）试验终点

OS 既是评估药物疗效获益的关键终点，也是衡量治疗安全性的重要指标。高级别脑胶质瘤患者总体生存期短，OS 应作为确证研究的主要研究终点之一。低级别脑胶质瘤患者，鉴于其自然病程较长，为加速具有显著疗效潜力的药物研发进程，可采用经充分验证的替代终点。

PFS 获益对 OS 的预测价值需结合肿瘤病理分级、药物作用机制及获益幅度进行综合评估。值得注意的是，若 PFS 获益优势未超过一个评估周期且未能得到其他疗效终点的支持，即使统计学差异显著，其临床获益的可靠性仍需审慎考量。

221 基于肿瘤测量评估（如 ORR、PFS）的主要研究终点通
222 常应由 BICR 进行评估，以最大程度地减少在影像学评估和
223 独立裁决过程中出现的偏倚。值得注意的是，BICR 应该能获
224 取患者既往影像资料、KPS 评分、糖皮质激素和抗肿瘤血管
225 生成药物的使用等信息，以充分降低评估偏倚。在开展研究
226 前，可参考《抗肿瘤药临床试验影像评估程序标准技术指导
227 原则》，制定清晰的章程计划，明确 IRC 的职能和评估流程。

228 临床试验过程中需对糖皮质激素和抗肿瘤血管生成药
229 物的使用进行标准化管控：临床试验设计时，方案中需明确
230 上述药物的使用指征、剂量范围、给药方式，禁止超指征、
231 超剂量使用；试验实施中，需详细记录每日使用剂量、给药
232 时间、用药原因，并将糖皮质激素和抗肿瘤血管生成药物的
233 暴露量纳入统计分析。

234 申请人可以探索新型替代研究终点并进行科学论证，以
235 更合理评估特定脑胶质瘤亚型的临床获益。申请人可及时与
236 药品监管机构沟通，讨论创新性研究终点作为临床获益支持
237 依据的合理性。

238 此外，支持药物获益的证据还包括患者临床症状和体征
239 的获益，如癫痫发作频率和严重程度，神经或精神系统相关
240 症状变化等。申请人可以选择经充分验证的量表进行评估，
241 但需根据中国临床实践对量表的内容进行合理性修订，并与
242 中心就修订目的和内容进行沟通确认。

243 （四）安全性评估

244 确证临床试验阶段，根据前期探索临床研究阶段获得的
245 安全性信息，制定严格的风险控制计划，实现不良事件全面
246 监控与规范采集；及时识别风险信号并进行科学评价和合理
247 处置，为最终的临床用药安全提供支持。

248 脑胶质瘤治疗药物通常需穿透血脑屏障发挥治疗效应，
249 可能对神经系统功能产生不可预测的影响。需要特别关注神
250 经系统不良事件的发生或加重，例如，颅内压增高症状、癫
251 痫和神经功能缺损等方面。对于需长期接受抗肿瘤药物治疗
252 的低级别胶质瘤患者，更需重点关注药物对认知功能、生长
253 发育等关键领域的潜在不可逆损害^[14]。

254 不良事件(AE)的收集应注意控制偏倚。由于疾病特征，
255 脑胶质瘤患者疾病发展过程中可存在认知功能障碍或语言
256 障碍，难以准确和客观地表达不适症状。必要时应系统性增
257 加随访频率以降低漏判或错判的风险。识别 AE 时，除患者
258 自述外，可结合看护者报告、客观量表评估等多维度信息来
259 交叉验证。

260 （五）伴随诊断的开发

261 胶质瘤具有显著异质性，通常需要以特定生物标志物筛
262 选富集目标人群。因此，脑胶质瘤创新药物研发需尽早将伴
263 随诊断纳入研发计划：伴随诊断检测方法、判读标准需在确
264 证临床试验开展前完成充分的分析验证和临床验证；伴随诊

断试剂需与试验药物同步开发、同步申报；若采用实验室自建检测方法（Laboratory Developed Test, LDT），需提前完成方法学验证，明确检测的性能指标、质量控制要求，确保多中心检测结果的一致性。具体可参考《与抗肿瘤药物同步研发的原研伴随诊断试剂临床试验注册审查指导原则》^[15]。

五、儿童患者人群的研发策略

在成人临床试验中获得初步的疗效信号和安全性确认时，与成人存在相同病理生理机制的儿童患者可尽早开展剂量探索及疗效观察。结合年龄、脏器发育成熟度、疾病生物学、药物作用机制、暴露-效应关系的可量化程度，对数据外推进行分层管理（完全外推，部分外推，无法外推）。发生于儿童的脑胶质瘤通常具有独特的分子病理学特征和机制，如成人关键研究中未能纳入儿童人群，则需要在儿童人群中开展独立的确证研究。作用靶点同时覆盖成人与儿童的新药，在申报成人适应症时，可同步提交完整的儿科研发计划，鼓励同步开发儿童适宜剂型。

强化儿童试验参与者全流程保护，同时获得法定监护人及适龄儿童本人知情同意。儿童低级别胶质瘤试验需重点关注药物对儿童神经认知功能、生长发育、生育能力及继发二次肿瘤的远期影响。儿童联合用药临床试验开展前，需先明确单药儿童合理剂量，或该联合方案已在成人被验证安全有效且优于单药治疗。严格限制有创检查频次，影像检查优先

287 采用低辐射参数。提高安全性风险评估标准，定期提交安全
288 性报告至监管机构。一旦出现非预期严重不良事件(SUSAR)，
289 立即暂停入组并对试验参与者实施紧急救治，依规及时完成
290 上报和风险再评估。

291 六、结语

292 脑胶质瘤的药物研发是肿瘤治疗领域最具挑战性的课
293 题之一。当前脑胶质瘤治疗药物的研发需要在优化药物递送
294 技术体系、建立分子分型指导的精准诊疗策略、发掘新型药
295 物作用靶点、开发革新性治疗手段、推动多种治疗模式的优
296 势整合与协同应用等方面持续深入探索。监管机构积极鼓励
297 申请人及科研工作者及时反馈临床试验与研发过程中遇到
298 的关键问题，通过多方协作、集思广益的方式，系统性地解
299 决技术瓶颈与监管科学难题，加速推进该治疗领域的药物研
300 发进程。

参考文献

- [1] 中国抗癌协会脑胶质瘤专业委员会, 中国抗癌协会脑胶质瘤整合诊疗指南 (2024 更新版) [J]. 中国微侵袭神经外科杂志, 2025, 29 (11) : 631-642.
- [2] Louis DN, Perry A, Wesseling P, et al. The 2021 WHO Classification of Tumors of the Central Nervous System: a summary. *Neuro Oncol.* 2021, 23(8):1231-1251.
- [3] Nowosielski M, Wen PY. Imaging Criteria in Neuro-oncology. *Semin Neurol.* 2018 Feb;38(1):24-31.
- [4] Wen PY, van den Bent M, Youssef G, et al. RANO 2.0: Update to the Response Assessment in Neuro-Oncology Criteria for High- and Low-Grade Gliomas in Adults. *J Clin Oncol.* 2023 Nov 20;41(33):5187-5199.
- [5] Lenting K, Verhaak R, Ter Laan M, et al. Glioma: experimental models and reality. *Acta Neuropathol.* 2017 Feb;133(2):263-282.
- [6] Xu X, Li L, Luo L, Shu L, Si X, Chen Z, Xia W, Huang J, Liu Y, Shao A, Ke Y. Opportunities and challenges of glioma organoids. *Cell Commun Signal.* 2021 Oct 11;19(1):102.
- [7] Erker C, Tamrazi B, Poussaint TY, et al. Response assessment in paediatric high-grade glioma: recommendations from the Response Assessment in Pediatric Neuro-Onco

logy (RAPNO) working group. Lancet Oncol. 2020 Jun; 21(6):e317-e329.

- [8] Fangusaro J, Witt O, Hern áz Driever P, et al. Response assessment in paediatric low-grade glioma: recommendations from the Response Assessment in Pediatric Neuro-Oncology (RAPNO) working group. Lancet Oncol. 2020 Jun;21(6):e305-e316. doi: 10.1016/S1470-2045(20)30064-4. Erratum in: Lancet Oncol. 2020 Dec;21(12):e553.
- [9] 国家药品监督管理局.《生物标志物在抗肿瘤药物临床研发中应用的技术指导原则》[EB/OL].2021 年 12 月. <https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=dc95d72f57101c44c09ed5a0df4dcbeb>
- [10] 国家药品监督管理局.《模型引导的药物研发技术指导原则》[EB/OL].2021 年 02 月. <https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=e0651af6eba8cc2f5f31efb7add1f0a0>
- [11] 国家药品监督管理局.《模型引导的创新药物剂量探索和优化技术指导原则》[EB/OL].2024 年 12 月. <https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=aedd7891b591c77683ee7e201961c6b4>
- [12] 国家药品监督管理局.《抗肿瘤药联合治疗相关技术指导原则》[EB/OL].2020 年 12 月. <https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=70c43f6aac23f2e819c219775bd81850>

- [13] 国家药品监督管理局.《单臂临床试验用于支持抗肿瘤药上市申请的适用性技术指导原则》[EB/OL].2023 年 03 月. <https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=35629bbab068c2df46f88705b1226e28>
- [14] 国家药品监督管理局.《新药临床安全性评价技术指导原则》[EB/OL].2023 年 12 月. <https://www.cde.org.cn/zdyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=7e29accad2068260ce5fea15debf3347>
- [15] 国家药品监督管理局.《与抗肿瘤药物同步研发的原研伴随诊断试剂临床试验注册审查指导原则》[EB/OL].2022 年 06 月.<https://www.cmde.org.cn/flfg/zdyz/zdyzwbk/20220711100756101.html>

附录

缩略语表

缩略语	英文全称	中文全称
AE	Adverse Event	不良事件
BICR	Blinded Independent Central Review	盲态独立中心评审
BOIN	Bayesian Optimal Interval Design	贝叶斯最优区间设计
BSC	Best Supportive Care	最佳支持治疗
CNS	Central Nervous System	中枢神经系统
CR	Complete Response	完全缓解
DOR	Duration of Response	缓解持续时间
GBM	Glioblastoma	胶质母细胞瘤
HGG	High-Grade Glioma	高级别胶质瘤
ICH	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
LDT	Laboratory Developed Test	实验室自建检测方法
LGG	Low-Grade Glioma	低级别胶质瘤
MIDD	Model-Informed Drug Development	模型引导的药物研发
MR	Minor Response	轻微缓解
NMPA	National Medical Products Administration	国家药品监督管理局
ORR	Objective Response Rate	客观缓解率
OS	Overall Survival	总生存期

PDTO	Patient-Derived Tumor Organoid	患者来源的肿瘤类器官
PFS	Progression-Free Survival	无进展生存期
POC	Proof of Concept	概念验证
PR	Partial Response	部分缓解
PsP	Pseudoprogression	假性进展
RANO	Response Assessment in Neuro-Oncology	神经肿瘤疗效评价标准
RAPNO	Response Assessment in Pediatric Neuro-Oncology	儿童神经肿瘤疗效评价标准
RCT	Randomized Controlled Trial	随机对照研究
RP2D	Recommended Phase 2 Dose	II 期推荐剂量
SOC	Standard of Care	标准治疗
SUSAR	Suspected Unexpected Serious Adverse Reaction	非预期严重不良事件
WHO	World Health Organization	世界卫生组织