

《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）》起草说明

为推进脑胶质瘤治疗药物的临床研发，提升与申请人及研究者的沟通效率，我中心已完成了《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）》，现将有关情况说明如下：

一、起草目的

脑胶质瘤是最常见的原发性颅内肿瘤，系统药物治疗仍是以化疗为主，总体疗效差。随着数款靶向药物获批脑胶质瘤适应症，不少企业在该领域布局研发。近年来，随着对胶质瘤分子表型研究的深入，胶质瘤分类进一步细化。同时，胶质瘤影像疗效评估标准亦有频繁的修订。为规范脑胶质瘤治疗药物研发路径，特制定本指导原则，从技术角度阐述监管机构的观点与审评考量。

二、起草过程

本指导原则由化药临床一部牵头，在定向征集临床专家和在研企业意见的基础上，相关适应症小组组织撰写了指导原则初稿。

2026年7月，召开指导原则初稿研讨会并定向征求意见，

结合反馈意见完善初稿内容，经技术委员会审核后形成本次公开征求意见稿。

三、主要内容

本指导原则首先介绍了起草的背景，然后从重要关注点及审评考虑、探索临床研究、确证临床研究、儿童患者人群的研发策略等方面，对脑胶质瘤治疗药物临床开发相关内容进行阐述。

四、其他需要说明事项

本指导原则和在研品种及技术原则无冲突，无需设置过渡期。