

《慢性乙型肝炎肝纤维化治疗药物临床试验技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

一、起草目的

肝纤维化是各种慢性肝病向肝硬化发展过程中的关键步骤和影响慢性肝病预后的重要环节，在我国慢性乙型肝炎（chronic hepatitis B, CHB）是导致肝纤维化的主要病因之一。CHB 肝纤维化目前主要通过病因治疗（即抗病毒治疗）进行防治，然而单纯抗病毒治疗不能完全解决肝纤维化的问题，特别是对于显著纤维化和肝硬化患者。目前尚无公认特异有效的 CHB 抗纤维化化学药物和生物制剂，临床对于 CHB 抗肝纤维化治疗药物存在需求。

国内外有多个创新药正在进行相关研发，为规范和指导 CHB 肝纤维化治疗药物临床试验，制定本指导原则。

二、起草过程

（一）起草前期调研论证情况

国内外均无技术标准。本指导原则起草前调研了国内 CHB 和肝纤维化临床诊疗规范、专家共识，相关治疗领域在研药物的临床研发情况。

（二）指导原则制定、修订情况

本指导原则由药品审评中心化药临床二部负责组织起草。本项工作自 2026 年 1 月启动，经多次研讨于 2026 年 4

月形成初稿。2026 年 4 月 16 日召开专家研讨会，邀请外部临床、临床药理、统计专家，就指导原则的重点关注问题和整体文稿进行了讨论，并根据专家意见进行修改。2026 年 9 月 7 日部门技术委员会审议通过，形成公开征求意见稿。

三、起草思路

结合以下资料起草本指导原则：1、药审中心牵头组织国内临床研究机构开展一项替代终点研究；2、国内 CHB 和肝纤维化临床诊疗规范、专家共识；3、相关文献资料；4、在研药物的临床进展。

四、主要内容

指导原则主要讨论了 CHB 肝纤维化治疗药物临床试验设计的总体考虑和不同研发阶段的重点关注内容，仅作为推荐性建议。本指导原则适用于抗纤维化药物的临床研究，包括化学药品和治疗用生物制品。