

## 附件 1

# 推进新方法（NAMs）研究和应用试点计划 （“先锋计划”）介绍

“先锋计划”是为落实药品监管科学行动要求，服务“十五五”期间医药产业高质量发展，推进类器官/器官芯片等新方法（New Approach Methodologies, NAMs）的研究和在药物研发中的应用，而在非临床研究和评价领域开展的一项试点工作。“先锋计划”旨在建立“产、学、研、监”合作机制，合力推进 NAMs 的技术攻关、标准化和科学应用，从而促进业界快速健康发展。

### 一、背景

药物创新飞速发展，先进疗法不断涌现，传统的动物试验模式已难以适配创新药研发需求，存在诸多突出问题。一是种属差异，导致动物试验结果向人体外推的准确性有限；二是传统动物试验周期长、成本高、通量低，难以满足创新药快速研发的需求；三是动物保护日益受重视，全球监管机构均大力推进“3R”原则的实施。

新方法（New approaches methodologies, NAMs）是指以不依赖传统动物试验、以人类生物学相关性为导向的创新方法或策略，包括计算机模拟、化学、体外（类器官、器官芯片等）、离体、体内（低等发育生物）和其他创新方法，以

及这些方法的结构化组合，旨在减少/优化/替代（“3R”原则）传统动物试验，更快获得同样或更能预测人类反应的数据，为监管决策提供信息。NAMs 的提出，有望从科学层面规避传统实验动物与人的种属差异缺陷，补充现有评价手段的短板，提升非临床研究结果向临床外推的准确性。

尽管 NAMs 的应用是药物非临床评价的必然趋势，但目前其发展仍面临诸多挑战，如技术成熟度有限、行业标准与监管指南缺失、数据生态薄弱等。为破解上述瓶颈，推进 NAMs 的研究和应用，为未来构建更加科学、灵活、适配创新药发展的非临床评价体系积累经验，药审中心将启动“推进新方法(NAMs)研究和应用试点计划”，即“先锋计划”(Propel Innovation and Operation of NAMs to Enhance Efficiency in R&D, PIONEER)。该计划将搭建“产、学、研”与“监”沟通交流平台，推动技术创新与监管科学协同发展，为后续建立 NAMs 的验证和科学应用的监管体系奠定基础。

## 二、主要内容

“先锋计划”是一项旨在推进 NAMs 研究、验证和在药物非临床评价中应用的试点工作。药审中心起草了《推进新方法(NAMs)研究和应用试点计划(“先锋计划”)申报指南》(以下简称《申报指南》)、《推进新方法(NAMs)研究和应用试点计划(“先锋计划”)申请表》(以下简称《申请表》)、《推进新方法(NAMs)研究和应用试点计划(“先锋计划”)

实施框架》（以下简称《实施框架》），详细介绍了申请加入“先锋计划”试点工作的方法和具体要求，供有意向的申请人参考。

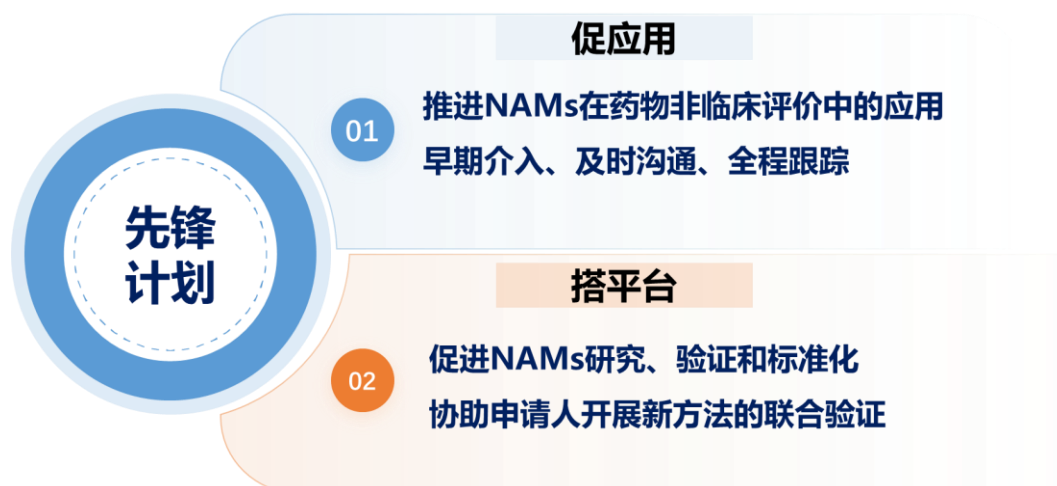
“先锋计划”项目的核心内容，是由申请人（药物研发企业和/或 NAMs 相关开发机构）通过沟通交流途径递交《申请表》、《实施框架》，与药审中心就非临床评价中所计划实施的 NAMs 和/或相关方法验证计划进行讨论。

符合以下任一情形时，可申请加入本试点计划：

情形 1：计划或者已将 NAMs 应用于药物的非临床评价，并将相关研究数据作为药物注册申请的支持性数据；

情形 2：NAMs 开发机构申请方法学联合验证。

有关申报资格的具体要求详见《申报指南》。对于以情形 1 申请加入本试点计划的项目，如果在研发推进过程中，形成对方法学联合验证的诉求，也可补充填写《实施框架》中的相应内容，增加相关研究和验证工作。



被纳入“先锋计划”的项目/品种，药审中心将采取“早期

介入、及时沟通、全程跟踪”的工作模式，与申请人保持密切沟通交流；必要时将召开专家咨询会，就实施计划的细节予以讨论。

涉及“方法学联合验证”情形的试点项目，药审中心将根据需求，与申请人共同确定验证方案，后续以申请人为主体，按计划完成相关验证工作，适时形成具体技术方法的验证标准。通过审查的技术方法，申请人即可在药物研发项目中用于特定应用场景，无需重复验证。

### **三、组织与实施**

药审中心将成立专项工作组，以确保“先锋计划”的顺利实施。

申请人基于自愿原则通过沟通交流途径，申请加入“先锋计划”试点工作。参考《国家药品监督管理局药品审评中心药物研发与技术审评沟通交流管理办法》，提出 I 类沟通交流会议申请。申请时，申请人需提交《申请表》及《实施框架》。药审中心专项工作组和药理毒理相应适应症团队将对是否同意其纳入“先锋计划”进行评价。

试点工作不设名额限制，招募期为 5 年。对于符合纳入标准的品种，经评价拟同意纳入“先锋计划”后，药审中心将予以公示，公示期为 5 个工作日，公示无异议的方法或品种将纳入“先锋计划”。