

附件 4

推进新方法（NAMs）研究和应用试点计划 （“先锋计划”）实施框架（征求意见稿）

填写说明

1. 本实施框架旨在为申请加入“先锋计划”的企业提供申请资料的填写模板。
2. 实施框架中，除加粗标题（即目录中所列举的标题条目）以外，其余内容均为对相应条目下填写内容的说明，在填写时，请将这些说明性文字删除。
3. 本实施框架中，各部分内容如涉及重叠，此时可采用前后文相互引用的方式，减少相同内容的重复填写。
4. 当品种被纳入试点项目后，随着研究推进，研究计划可以按照实际情况修订；并根据获得的研究结果完善本框架中相应内容。
5. 申请人应根据研发进展情况更新本实施框架，并在重要节点（申请人自行评估的重要研发节点，或与药审中心协商的沟通交流计划）通过沟通交流途径递交药审中心，汇报进展情况。

目录

一、品种概述	1
二、NAMs 概述	1
(一) NAMs 的必要性/预期价值	1
(二) NAMs 的适用性评估	2
(三) NAMs 的具体内容/方法	2
(四) NAMs 的实施和/或实施计划	3
三、NAMs 的验证	3
四、NAMs 研究/验证结果	3
五、与药审中心沟通交流计划	4

1 **一、品种概述**

2 “先锋计划”的核心目的在于推进新方法（NAMs）在药物
3 非临床研究和评价中的应用。如申报的内容属于应用 NAMs
4 对相关品种（试验药物）进行非临床评价，应在本节对品种
5 信息进行概述，包括但不限于：

6 1、基本信息（名称、结构、类别、作用机制、拟开发的
7 临床适应症等）；

8 2、既往注册申报情况、最新研究进展。

9 如所申报的项目仅涉及对已有 NAMs 的验证工作，此章
10 节可注明“不适用”。

11 **二、NAMs 概述**

12 **（一）NAMs 的必要性/预期价值**

13 本节应结合应用场景阐述 NAMs 在药物研发中的必要
14 性或预期价值。根据药物研发需求及方法成熟度等，目前
15 NAMs 的应用场景包括但不限于：

16 1. 作为传统非临床评价方法的补充，如作用/毒性机制研
17 究、毒性/靶器官预测、概念验证、尚无法获得动物模型的有效
18 性评价；

19 2. 作为豁免抗体类药物等更长周期重复给药毒性试验
20 的支持性依据，如靶点特异性和脱靶反应评价；

21 3. 用于特定毒性终点的评价，如局部耐受性（眼、皮肤
22 等）、致心律失常评价等；

- 23 4. 用于特定药代终点的评价；
- 24 5. 用于传统动物模型评价存在局限性的药物非临床评
25 价，尤其是用于先进治疗产品、罕见病治疗药物；
- 26 6. 替代部分常规动物有效性评价模型；
- 27 7. 作为证据权重法（Weight of Evidence, WoE）评估支持
28 性数据的一部分，如生殖毒性、致癌性、幼龄动物毒性评估
29 等；
- 30 8. 其他。

31 申请人应阐述本次申报所涉及的 NAMs 应用场景和/或
32 在药物非临床评价中解决的问题，并说明与当前在相似应用
33 场景中使用的评估方法相比，该 NAMs 带来的潜在获益
34 （proposed benefit），包括但不限于解决当前传统非临床评价
35 方法存在的不足；证实和/或补充传统方法的研究结果；替代
36 传统方法或提供传统方法的替代方案。

37 **（二）NAMs 的适用性评估**

38 应完整且清晰地描述该 NAMs 的使用方式及其在药物
39 开发中的应用场景，包括但不限于适用的药物类别/适应症/
40 开发阶段、具体功能（预期用途和监管目的等）等。描述当
41 前在相同应用场景中的既定范式，该 NAMs 如何被触发、改
42 变当前范式。

43 **（三）NAMs 的具体内容/方法**

44 概述该 NAMs 的方法、技术特点、人类生物学相关性以

45 及目前已有的方法学验证结果和应用经验。

46 **(四) NAMs 的实施和/或实施计划**

47 本节应依据前文“3、申报涉及 NAMs 的具体内容/方法”
48 中所涉及的内容，概述实施情况（针对已开展相关 NAMs 工
49 作的情形）和/或实施计划（针对尚未开展具体工作的情形，
50 需阐述实施计划）。

51 **三、NAMs 的验证**

52 本节应阐述所涉及的 NAMs 针对拟申报应用场景已开
53 展的验证工作或拟开展的验证工作计划。申请人需提供验证
54 数据包，包含所有方法学信息、验证方案、已有验证数据及
55 其他计划的验证试验。

56 对于申请方法学联合验证的项目，在纳入试点计划后，
57 药审中心将促进申请人与多方的密切合作，设计旨在确定该
58 NAMs 在拟定应用场景下可靠性和准确性的验证方案，必要
59 时启动专家委员会，确定该 NAMs 对拟申报的特定应用场景
60 的适用性。申请人作为主要责任人，基于形成的验证方案开
61 展验证工作。

62 申请人需根据上述工作推进情况不断完善本章节内
63 容。

64 **四、NAMs 研究/验证结果**

65 本节应阐述所涉及的 NAMs 的研究/验证结果。对于情
66 形 1，若为整体证据权重评估，本节还应阐述相关研究结果。

67 在首次申请参加“先锋计划”时如尚未获得结果，可暂不
68 予填写。后续随着研究/验证工作的实施与完成，不断完善该
69 节内容。

70 **五、与药审中心沟通交流计划**

71 本章节在申报加入“先锋计划”项目时无需填写。

72 当项目被纳入试点工作后，将由药审中心与申请人共同
73 商定一份初步的、里程碑式的沟通交流计划，包括沟通目标
74 和大致时间预期等，再由申请人补充填写。

75 同时，在与药审中心完成沟通交流后，应在此章节概述
76 该次沟通交流所获得的回复/达成的共识。