

《儿童临床试验药物警戒技术指导原则 (征求意见稿)》起草说明

一、起草目的

近年来，随着我国鼓励和促进儿童用药的研发创新，儿童药物临床试验逐渐增多。儿童的体格、生理及心理发育是一个动态发展的过程，药物进入体内后的吸收、分布、代谢和排泄，以及对药物的反应与成人之间可能存在显著差异，从而决定了儿童受试者在临床试验中可能面临不同于成人的其他安全风险，需要对儿童临床试验的药物警戒进行特殊考虑，以更好地保护儿童受试者。

据此，药品审评中心组织撰写了《儿童临床试验药物警戒技术指导原则》旨在阐明儿童临床试验药物警戒的总体原则和特殊考虑等，为儿童临床试验安全风险识别、评估与控制提供参考。

二、起草过程

(一) 起草前期调研论证情况

目前，部分国外严格监管机构已对儿童人群药物警戒给予政策指导。例如，EMA的《Good pharmacovigilance practice (GVP)》关于特定药品/人群的额外考虑中对儿童人群的药物警戒进行说明，包含上市前阶段与上市后阶段。FDA于2022年9月发布了《Guidance for Ethical Considerations for Clinical Investigations of Medical Products Involving Children

Draft》，对规范儿童临床试验的知情同意给予建议与指导。

前期工作中，工作组研究了 FDA 和 EMA 等国外严格监管机构关于儿童临床试验药物警戒的政策指导。与临床试验机构以及行业多方共同探讨儿童临床试验药物警戒在我国的实施情况，对其必要性与规范性进行论证。经充分研究，结合我国临床试验药物警戒实际工作要求，制定该指导原则。

（二）指导原则制定或修订情况

本指导原则由临床试验管理处牵头，于 2024 年 4 月形成大纲及初稿。2024 年 5 月经向药审中心内部相关审评部门征求意见，根据反馈意见进一步修订完善，形成征求意见稿。

2024 年 5 月 15 日召开部门会议讨论，审核形成对外征求意见稿。

三、主要内容

为规范开展儿童临床试验药物警戒工作，对儿童临床试验的安全信息报告与风险识别、评估与控制提供科学参考，指导原则参考借鉴美国和欧盟发布儿童临床试验药物警戒相关技术指南，对儿童临床试验药物警戒的总体原则和特殊考虑进行详细说明，并提出在临床试验期间安全信息管理过程中需关注事项。指导原则符合中国境内现行法律法规，强调遵循 GVP，与 ICH 指导原则无冲突。

指导原则分为五部分，主要内容包括：

（一）背景

阐述了本指导原则的起草背景、目的和适用范围。

（二） 总体考虑

介绍了儿童临床试验药物警戒工作应遵循的基本原则，知情同意要求，以及临床试验各参与方职责。

（三） 儿童临床试验药物警戒需特殊关注的安全风险

对重要的缺失信息涉及的安全风险，以及儿童特有的不良反应进行详细说明。申办者可结合具体品种、受试人群特征进行风险评估，制定相应的临床试验期间安全性数据收集策略和风险最小化措施。

（四） 儿童临床试验期间安全性评估与报告

对儿童临床试验相关的临床风险管理计划、个例安全性报告、研发期间安全性更新报告、上市后安全性研究、安全信息沟通、沟通交流的额外关注要点进行说明，确保儿童临床试验期间安全性信息评估与管理的质量。

四、 需要说明的问题

应用本指导原则设计和开展临床试验时，需同时参考《药物警戒质量管理规范》、人用药品技术要求国际协调理事会（International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ICH）和其他国内已发布的相关指导原则。

本指导原则仅代表药品监管部门当前的观点和认识，不具有强制性的法律约束力。随着科学研究的进展，本指导原

则中的相关内容将不断完善与更新。