

# 《晚期胃癌临床试验设计指导原则（征求意见稿）》 起草说明

晚期胃癌是抗肿瘤新药研发的热点领域，伴随新药研发进展，免疫检查点抑制剂、抗体偶联药物等新药的使用，对临床试验设计和终点选择带来了挑战，现有指导原则尚不能涵盖。为给业界人员在临床研发路径和临床研究设计方面提供参考，提高临床研发效率，化药临床一部牵头组织撰写了《晚期胃癌新药临床试验设计指导原则》，形成征求意见稿。现将有关情况说明如下：

## 一、背景和目的

由于胃癌具有高度的异质性，因此随着生物分子检测等技术的革新，胃癌的分子分型也成为胃癌诊断的重要内容，根据其不同的基因特征，胃癌的治疗呈现了多样化的特点。因此对临床试验设计和终点选择带来了挑战。研究者和申办方都希望通过合理的替代指标和创新的试验设计来支持新药注册，包括替代终点、中间临床终点和其他创新终点的试验设计。

现有的指导原则内容尚不能涵盖和专门针对晚期胃癌的临床试验设计和研究终点的选择与考虑，本文旨在阐述当前晚期胃癌临床试验的一般性设计与审评考虑，期望为抗肿瘤药物研发人员在晚期胃癌临床试验设计和终点选择方面

提供参考，提高研发效率，使患者早日获益。

## 二、起草过程

本指导原则由化药临床一部牵头，自 2023 年 11 月启动。在部门指导原则小组内部进行了多次讨论，于 2024 年 2 月形成大纲及初稿。

2024 年 4 月，进一步完善初稿内容，经药审中心内部讨论，根据反馈意见进行修订。

2024 年 5 月 27 日召开部门技术委员会讨论，形成对外公开征求意见稿并报中心同意。

## 三、起草思路

近年来，晚期胃癌成为新药研发较为集中的适应症之一，由于胃癌具有高度的异质性，因此随着生物分子检测等技术的革新，胃癌的分子分型也成为胃癌诊断的重要内容，根据其不同的基因特征，胃癌的治疗呈现了多样化的特点。因此对临床试验设计和终点选择带来了挑战，因此无论是从技术审评自身的需求，还是从为工业界提供参考依据的角度，都对撰写晚期胃癌临床试验设计技术指导原则提出了要求。本项技术指导原则遵循新药研发规律，立足于晚期胃癌的疾病特征和中国的临床实践，同时对近年来该领域内新药研发的经验和审评考虑进行了梳理，与 ICH 指导原则 E 系列的通行原则高度一致。本项技术指导原则在科学技术层面紧扣中国临床实践现状与中国晚期胃癌药物相关审评中突显的具体问

题，对学术界的观点和诊疗标准进行了汇总更新，在科学性、可操作性和指导价值上更符合中国的实际情况。

本技术指导原则在撰写过程中充分参考了国内现已执行和正在征求意见的相关指导原则，如《抗肿瘤药物临床试验终点技术指导原则》、《抗肿瘤药物临床试验技术指导原则》、《抗肿瘤药物临床试验统计设计指导原则》、《抗肿瘤药联合治疗临床试验技术指导原则》和《生物标志物在抗肿瘤药物临床研发中应用的技术指导原则》等相关内容等。

#### **四、主要内容**

本指导原则适用于支持晚期胃癌适应症注册的临床试验设计及其终点选择。

在“背景”部分，介绍了晚期胃癌的流行病学特征，研发现状，以及本指导原则的适用范围及撰写目的。

在“胃癌的生物标志物”部分，介绍了目前在胃癌中常用的生物标志物和其他生物标志物情况。

在“探索性临床试验设计”部分，阐述了在早期探索临床试验阶段对于研究人群选择、研究设计、联合用药和研究终点的技术要求。

在“关键注册试验设计”部分，阐述了在关键临床试验阶段对于研究人群选择、研究设计和研究终点的技术要求。