《骨关节炎新药临床研发技术指导原则

（征求意见稿）》起草说明

骨关节炎是一种常见于老年人的关节退行性疾病，随着人口老龄化的发展。骨关节炎新药研发的关注度也越来越高。为阐明当前对于骨关节炎药物临床研发的科学认识，药审中心组织撰写了《骨关节炎新药临床研发技术指导原则》，形成征求意见稿。现将有关情况说明如下：

**一、起草目的**

随着我国人口老龄化程度的不断加剧，骨关节炎的患病率有逐渐上升的趋势。骨关节炎的治疗目的和原则为减轻疼痛、改善或恢复关节功能、提高患者生活质量、延缓疾病进展和矫正畸形。受制于关节解剖部位的特殊性和评价指标的主观性，目前临床治疗以对症为主。为践行 “以患者为中心” ，加强创新工具的研究和应用以应对关节特殊解剖结构等的挑战，鼓励针对骨关节炎疾病潜在病理生理和结构进展的创新药物开发，药审中心组织撰写了《骨关节炎新药临床研发技术指导原则》。

**二、起草过程**

本指导原则由化药临床一部牵头，自2023年1月启动，前期进行了广泛文献调研，在大纲讨论阶段征求部分临床专家意见。2024年6月形成初稿，定向征求部分工业界意见。

**三、主要内容与说明**

本指导原则强调加强对骨关节炎临床研发挑战的科学认识。坚持“以患者为中心”，围绕新技术和新方法去解决问题，鼓励针对骨关节炎疾病潜在病理生理和结构进展的创新药物研发主要包括以下部分：

在“背景”部分，介绍了骨关节炎疾病严重性，药物研发存在的挑战，以及本指导原则撰写目的。

在“探索性研究需关注的问题”部分，介绍了目前骨关节炎临床研发中存在的共性问题，包括：骨关节炎的疾病定义和分类、治疗目的、剂量探索、疗效评估体系和评价工具以及关注特定不良事件的监测和长期安全性等。

在“确证性”部分，坚持以患者为中心，聚焦未被满足的临床需求进行骨关节炎药物的研发，关注目标关节的选择和临床治疗预期，强调主观评价指标的质量要求和客观指标的重要性。对于全新作用机制的治疗药原则上建议开展两项独立的随机对照研究。

在“展望”部分，主要建议加强与药审中心沟通交流，共同研究解决骨关节炎新药临床研发的挑战，比如目标人群的精准识别，暴露效应关系的准确描述，疗效的客观评估以及获益风险的综合评价等。