

《预防用猴痘病毒疫苗临床试验技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

一、起草目的

猴痘是由猴痘病毒感染所致的人兽共患传染病。目前猴痘疫情在全球流行较为广泛，非洲多国的猴痘疫情不断升级，2024年8月14日WHO再次宣布猴痘疫情成为国际关注的公共卫生事件（PHEIC）。

目前，尚无特异性抗猴痘病毒药物，猴痘疫苗可有效预防疾病的发生。境外有四款疫苗用于预防猴痘的疫苗获批上市，境内尚无猴痘疫苗上市。针对猴痘疫苗的特点建立科学的评价体系，对于提高企业研发和申报的规范性，加快安全有效疫苗的上市有重要意义。药审中心起草了《预防用猴痘病毒疫苗临床试验技术指导原则（征求意见稿）》。

二、起草过程

本指导原则由生物制品临床部负责撰写，并纳入《药审中心2024年指导原则制修订计划》。本项工作自2024年2月启动，起草小组梳理并总结世界卫生组织相关技术指南和境外上市疫苗和境内在研疫苗产品信息，对境内外相关指导原则和技术文献进行了调研。在前期工作基础上，于2024年6月形成初稿，并经药审中心内部征求意见、部门专业会和技术委员会审核讨论，现修订后形成公开征求意见稿。

三、起草思路

本指导原则的起草中，首先，基于当前猴痘疫苗的临床需求，重点关注猴痘疫苗的预期目标人群，同时为确保受试人群的安全性，确定在早期临床试验阶段采取循序渐进的方式入组不同生活方式或健康状态的受试人群，进而在确证性临床试验中证明疫苗在目标人群的安全有效性。其次，关于确证性临床试验设计，鉴于目前境内猴痘疫情的流行情况以及阳性对照疫苗的不可及性，暂确定通过能获得直接证据的保护效力试验证明候选疫苗的有效性。

随着猴痘疫情的流行情况，研究的不断深入，对于疾病和病原体的认知不断增加和完善，本指导原则也将持续进行完善和适时更新。

四、主要内容

本指导原则分为四个章节和参考文献。主要内容包括：

（一）前言：主要阐述了本指导原则起草背景和起草目的，并强调了指导原则尚需不断完善和更新。

（二）总体研究思路：阐述了猴痘疫苗临床开发的总体考虑，包括疫苗毒株的选择、非临床研究的作用、临床试验的目标人群以及天花疫苗接种史的影响。

（三）临床试验设计与评价：主要包括三大部分，分别是 I/II 期临床试验、III 期临床试验和上市后研究。首先，对早期临床试验中受试人群，免疫剂量、程序和途径，对照疫

苗的选择，安全性评价的特殊考虑，以及免疫原性评价等临床相关内容的关注要点和特殊考虑进行了说明。其次，明确了III期临床试验的基本设计、有效性评价及标准、安全性的特殊考虑。最后，强调了猴痘疫苗上市后研究的重要性。

（四）与监管机构的沟通：鼓励申请人与监管机构及时沟通。