《儿童抗肿瘤药物临床研发技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

与成人抗肿瘤药物的研发热度相比，儿童抗肿瘤药的研发明显不足。儿童肿瘤治疗领域存在更为迫切的临床需求；同时，相较于成人，儿童抗肿瘤药物研发的难度也更大。为了对儿童抗肿瘤新药的临床研发提供思路和技术建议，药品审评中心组织撰写了《儿童抗肿瘤药物临床研发技术指导原则》，形成征求意见稿，供药物研发的申请人和研究者参考。现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

儿童肿瘤与成人肿瘤在发病机制、组织来源、驱动基因改变等方面存在较大差异，并最终导致儿童肿瘤的疾病类型、症状、治疗方案等与成人不同。由于这些差异的存在，使得我们更有必要开发适用于儿童肿瘤患者的抗肿瘤药物。

与成人抗肿瘤药物的研发热度相比，儿童抗肿瘤药的研发明显不足。儿童肿瘤治疗领域存在更为迫切的临床需求; 同时，相较于成人，儿童抗肿瘤药物研发的难度也更大。

本指导原则即旨在为儿童抗肿瘤新药的临床研发提供思路和技术建议。

二、起草过程

本指导原则由化药临床一部牵头，起草工作自2022年8月启动，2022年9月形成大纲及初稿。

2022年10月经向药审中心内部（化药临床一部、生物制品临床部、统计及临床药理学部）征求意见，以及征求部分临床专家意见，根据反馈意见进一步修订完善,形成征求意见稿。

2022年10月24日召开部门技术委员会讨论，审核形成对外公开征求意见稿。

**三、主要内容与说明**

儿童抗肿瘤药物研发首先应遵循儿童药物研发的一般原则。同时儿童肿瘤药物相较于其他儿童疾病治疗药物有其特殊性：一方面，肿瘤作为一种危及生命的严重疾病，对于肿瘤患者，特别是对于当前缺乏有效治疗手段的儿童恶性肿瘤患者，急需有效治疗。另一方面，参与临床试验，是一种获得潜在治疗的重要方式，儿童抗肿瘤药物临床试验的开展时机，可能需要比其他儿童用药更为积极。

在“背景”部分，介绍了儿童抗肿瘤药物研发现状与难点，以及本指导原则的适用范围及撰写目的。在“儿童抗肿瘤药物临床研发的总体考虑”部分，介绍了儿童抗肿瘤药物研发的整体考量。根据当前对疾病发病特点的认知，儿童抗肿瘤药研发可以基于是否为成人儿童共患肿瘤，分为“成人儿童共患肿瘤”和“儿童特有肿瘤”等两种情形，在“儿童抗肿瘤药物临床研发路径”部分，根据上述两种情形，分别对儿童抗肿瘤药物的研发策略进行了阐述。最后在“需特殊关注的问题”部分，重点阐述了在儿童抗肿瘤药物研发过程中，需额外关注的重要问题。