《单臂试验支持注册的抗肿瘤创新药进入关键试验前临床方面沟通交流技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

为鼓励创新，帮助申请人更好地准备沟通交流，保障抗肿瘤创新药以充分科学依据开展关键单臂试验，药品审评中心组织撰写了《单臂试验支持注册的抗肿瘤创新药进入关键试验前临床方面沟通交流技术指导原则》，形成征求意见稿。现将有关情况说明如下：

**一、背景和目的**

随着肿瘤诊疗领域中精准医学的不断进展，越来越多的新药是根据疾病的分子病理学机制，针对特定的靶点而设计，有效性显著高于传统的标准化疗。单臂试验设计相比随机对照试验不仅可以减少样本量，也可缩短疗效评价时间，显著缩短临床研发时间。因此，许多的企业希望以单臂试验支持具有突破性疗效药物的新药注册申请（new drug application, NDA）。

为鼓励创新，帮助申请人更好地准备沟通交流，并与中心更高效地沟通，制定了本指导原则，以期为计划以单臂试验支持注册的抗肿瘤创新药进入关键试验前临床方面沟通交流提供资料准备建议和技术指导。

1. **起草过程**

本指导原则由化药临床一部牵头，自2020年4月启动，2020年5月形成初稿，经药审中心内部讨论，技术委员会审核，征求部分业内专家意见，形成征求意见稿。

**三、主要内容与说明**

本指导原则从资料准备，沟通交流会议讨论的核心问题，以及会后要求三个方面，针对单臂试验支持注册的抗肿瘤创新药，与中心进行关键试验前临床方面沟通交流的准备，阐述当前技术审评部门的建议。本指导原则适用于创新抗肿瘤治疗性药物，不涵盖细胞治疗和基因治疗产品。未来，我们也会根据审评实际和研发的发展，不断丰富和完善本指导原则。