

《患者报告结局指标用于风湿免疫性疾病 临床试验的技术指导原则（征求意见稿）》 起草说明

结合风湿免疫性疾病特点、当前临床实践变化以及药物临床研究进展，为进一步规范患者报告结局在风湿免疫性疾病临床试验的应用和开发相关测量工具提供建议和参考，药审中心组织撰写了《患者报告结局指标用于风湿免疫性疾病临床试验的技术指导原则》，形成征求意见稿。现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

患者报告结局（Patient Report Outcomes, PROs）即任何来自患者直接报告且不被他人修改或解读的对自身疾病和相应治疗感受的评估结局，在药物研发中的使用越来越受到重视。但是在风湿免疫性疾病治疗领域中，PROs 相关量表以翻译外文版本为主，部分量表工具未在我国患者中进行必要的信度和效度检验，一定程度上影响了测量结果的综合运用。

因此，为规范风湿免疫性疾病药物临床试验中 PROs 的应用和开发，以患者为中心，倾听患者声音，药审中心组织撰写了《患者报告结局指标用于风湿免疫性疾病临床试验的技术指导原则》，形成征求意见稿。

二、起草过程

本指导原则由化药临床一部牵头，自2022年1月启动，2023年3月完成初稿撰写，5月经药审中心内部讨论以及定向征求工业界意见，根据反馈意见进行了修订并形成征求意见稿。

三、主要内容与说明

本指导原则强调在药物研发过程中倾听患者声音和关注患者视角。主要结合患者报告结局的临床价值、风湿免疫性疾病临床试验的特点，对 PROs 在风湿免疫性疾病临床试验中的应用和开发进行阐述，主要包括以下部分：

在“背景”部分，介绍了患者报告结局的在风湿免疫性疾病中的临床价值、应用现状和本指导原则的撰写目的。

在“风湿免疫性疾病中的应用”部分，介绍了目前目前 PROs 在风湿免疫性疾病临床研究的应用，以及存在的不足之处。

在“临床研究中的一般考虑”部分，强调在新药临床研究中要关注患者报告结局方面的获益，预先开展患者报告结局指标的适用性评估。在考虑以患者报告结局指标作为临床研究的主要终点时应进行多维度综合评估，加强与监管部门的沟通。同时，还应关注测量方法的影响。

在“展望”部分，主要介绍了随着科学技术的发展和进步，数字化、远程化和实时化特点将进一步拓展患者报告结局的

应用场景。建议根据疾病特征和治疗目的在早期探索性研究阶段考虑同步开发 PROs 相关测量工具。

2021 年以来我国先后发布了《患者报告结局在药物临床研发中应用的指导原则（试行）》和《组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则（试行）》，本指导原则在上述指导原则基础上，结合风湿免疫性疾病具有的症状复杂、反复发作并严重影响患者生活质量的特点，针对 PROs 在风湿免疫性疾病临床试验中的应用和开发提供建议和参考。