《慢性淋巴细胞白血病新药临床研发指导原则（征求意见稿）》起草说明

为鼓励抗肿瘤新药研发，进一步为慢性淋巴细胞白血病（Chronic lymphocytic leukemia，CLL）新药研发的临床研发计划和方案设计提供可参考的技术标准，药品审评中心组织起草了《慢性淋巴细胞白血病新药临床研发指导原则（征求意见稿）》，并征求部分专家意见后，形成初稿。现将有关情况说明如下：

**一、背景和目的**

慢性淋巴细胞白血病（CLL）是一种高发于中老年人群的血液系统克隆增殖性肿瘤，随着中国社会老龄化程度加深，在整体人群中的发病率成增高趋势。近年来，CLL适应症成为新药研发的热点，新的治疗手段不断涌现，治疗理念和临床实践快速变化，患者的生存时间和无进展生存时间不断得到延长。同时，CLL具有进展相对惰性和高发于老年人的特点，上述特征给新药临床试验的设计和执行带来不同于其他恶性肿瘤的挑战，CLL的治疗和管理需要更加关注如何在保持和改善患者生活质量与传统抗肿瘤治疗理念之间达到平衡。

本技术指导原则结合CLL的疾病特征，立足于当前的临床实践，结合近年来新药研发的经验和挑战，就CLL新药临床研究如何在设计和执行过程中充分考虑疾病特征和患者需求提出观点。该指导原则积极推动以患者为核心的新药研发理念，有助于CLL适应症的新药研发人员更准确地把握疾病特征，在临床试验设计和执行过程中更深入地关注和了解患者的需求。

1. **起草过程**

本技术指导原则由化药临床一部负责撰写。本项工作自2022年2月启动，2022年4月形成初稿，经药审中心内部各相关专业征求意见、技术委员会审核，并征求部分专家意见后，形成征求意见稿。

**三、主要内容与说明**

本技术指导原则将从CLL疾病特征出发，从人群定义、剂量探索、有效性终点、关键性注册研究设计、安全性评价和上市后要求等方面探讨CLL新药研发的关注点和技术要点，为致力于CLL新药研发的医药研发企业和研究者提供参考意见。