《基因治疗产品长期随访临床研究技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

**一、背景和目的**

基因治疗是指通过修饰或操纵基因的表达或改变活细胞的生物学特性以达到治疗效果，这些变化在体内长期存在，可能增加不可预测的风险。为了评估和降低这类风险，并了解治疗效果随时间延长的变化，有必要对参加基因治疗临床试验的受试者开展长期随访。目前FDA和EMA均已发布相关技术指导原则。考虑到国内尚无相关指导原则对基因治疗产品长期随访临床试验设计进行规范指导，我中心在充分调研国内外同品种研发情况以及相关临床试验技术要求基础上，起草了《基因治疗产品长期随访临床研究技术指导原则（征求意见稿）》。

2019年4月，国家药监局启动了中国药品监管科学行动计划，药审中心负责实施的“细胞和基因治疗产品技术评价与监管体系研究”纳入首批研究项目，其中，《基因治疗产品长期随访临床研究技术指导原则》是基因治疗类药物技术评价体系的重要内容，有助于引导基因治疗类药物临床试验的规范开展。

1. **起草过程**

本指导原则由生物制品临床部牵头，自2021年1月启动，2021年5月形成初稿，经药审中心内部讨论，技术委员会审核,形成征求意见稿。

**三、主要内容与说明**

本指导原则针对基因治疗长期随访临床研究的观察方法和研究设计进行讨论，着重阐述了基因治疗长期随访临床研究的观察目的、考虑要素、设计实施以及不同基因治疗产品的特殊考虑等相关要求。

本指导原则适用于按照药品管理相关法规进行研发和注册申报、具备基因治疗特点的产品，旨在为该类产品开展长期随访临床研究提供技术指导，确保及时收集迟发性不良事件的信号，识别并降低这类风险，同时获取这类产品长期安全性和有效性的信息。随着基因治疗技术的发展、认知深入和经验积累，本指导原则中的相关内容将不断完善与更新。鼓励申办者与药审中心就长期随访研究方案的具体设计和细节进行沟通。