《非劣效设计临床试验指导原则（征求意见稿）》

起草说明

**一、背景和目的**

非劣效设计的实际应用较多，面临的技术问题也相对复杂，我国于2016年发布的《药物临床试验的生物统计学指导原则》虽然对非劣效设计进行了描述，但限于篇幅不够全面和系统。为了让临床试验各相关方正确地认识、实施和评价非劣效试验，有必要针对该设计专门制定指导原则。

《非劣效设计临床试验指导原则》没有赘述其它指导原则（如ICH发布的相关指导原则和我国发布的《药物临床试验的生物统计学指导原则》）涉及到的临床试验设计通用内容，而是着重阐述非劣效设计的应用条件、特有的设计要点以及其它相关考虑。

**二、指导原则架构**

本指导原则分为六个部分，内容如下：

第一部分为“概述”，阐述了制定该指标原则的目的及其适用范围。

第二部分为“应用条件”，指出非劣效试验应确保具有足够的检定敏感性。要确保具有检定敏感性，必须保证可获得充分的阳性对照药疗效的既往证据，能够满足恒定假设，以及具有良好的试验质量。

第三部分为“设计要点”，阐述了非劣效设计的统计假设，阳性对照药的选择要求，以及分析人群对统计结论的影响。

第四部分为“非劣效界值的确定方法与统计推断”，阐述了固定界值法和综合法，详细介绍了两种方法的计算过程和统计推断条件。

第五部分为“其它考虑”，讨论了试验药相对于疗效损失所能提供的其它方面潜在获益，非劣效和优效检验相互转换的注意事项，三臂非劣效设计的应用条件，以及与监管机构沟通的问题及前期准备等。

第六部分为“附录”，提供了中英文词汇对照，固定界值法和综合法的计算公式，以及两种方法的应用示例。

**三、参与制定指导原则的专家名单**

**主要执笔人**：李新旭、衡明莉、周军

**三方学术协调委员会**：陈平雁、王骏、狄佳宁

（其余按姓氏笔划顺序）：

王秋珍、王勇、尹平、田正隆、闫波、李康、李新旭、何崑、陈刚、周军、陈杰、陈峰、欧春泉、赵耐青、贺佳、郭翔、谭铭、衡明莉

**秘书**：吴莹