

# 《新药获益-风险评估技术指导原则（公开征求意见稿）》起草说明

## 一、起草目的

获益-风险评估是根据药物显示的获益与风险，针对拟定适应症判定其预期获益是否大于潜在风险，并做出决策。药物获益与风险的评估，由于是不同维度、不同指标间结果的比较，常常难以通过直接对比得出结论。为提高审评决策的可预测性、一致性、透明度和清晰度，有必要制定定性、结构化的“获益-风险评估框架”。

本指导原则阐明了如何在上市申请中呈现药物的获益和风险信息，上市申请中获益-风险评估的框架、重要考虑要素，以及临床研发中的获益-风险评估计划等。本指导原则适用于化学药物和治疗用生物制品临床研发和上市申请的获益-风险评估，上市后获益-风险评估具体请参考相关指导原则。

## 二、起草过程

### （一）起草前期调研论证情况

美国 FDA 2021 年发布的行业指导原则《Benefit-Risk Assessment for New Drug and Biological Products》。

本指导原则起草前还调研了 ICH《M4E 指南修订版：优化 ICH 获益风险信息文件格式和结构》，《E2C(R2)：定期

利益-风险评估报告》，以及其他相关文献。

## （二）指导原则制定、修订情况

本项工作自 2022 年 2 月启动，2022 年 7 月形成初稿，2022 年 9 月 22 日召开专家初稿会讨论修订，2022 年 9 月 19 日-9 月 25 日征求药审中心内部相关专业意见。2022 年 10 月 17 日部门技术委员会审议通过，形成征求意见稿。

## （三）征求意见采纳情况

药审中心内部征求意见收到 5 条意见。

## 三、起草思路

结合以下资料起草本指导原则：美国 FDA 2021 年发布的行业指导原则《Benefit-Risk Assessment for New Drug and Biological Products》，ICH《M4E 指南修订版：优化 ICH 获益风险信息文件格式和结构》，《E2C(R2)：定期利益-风险评估报告》以及其他相关文献。

## 四、主要内容

本指导原则阐明了获益-风险评估监管背景和总体考虑，如何在上市申请中呈现药物的获益和风险信息，上市申请中获益-风险评估的框架、重要考虑要素，以及申请人如何通过药物研发的设计和实施，为获益-风险评估提供信息等。

本指导原则适用于化学药品和治疗用生物制品临床研发和上市申请的获益-风险评估。

## 五、需要说明的问题

本指导原则在美国 FDA 2021 年发布的行业指导原则《Benefit-Risk Assessment for New Drug and Biological Products》的基础上，参考 ICH《M4E 指南修订版：优化 ICH 获益风险信息文件格式和结构》，以及目前申报资料提交要求，并经过专家研讨会的深入讨论后，制定了获益-风险评估框架：主要包括治疗背景、获益、风险和风险管理以及获益-风险结论。