

《成人 2 型糖尿病药物临床研发技术指导原则 (征求意见稿)》起草说明

结合 2 型糖尿病疾病特征、当前临床实践变化以及药物临床研发进展，为进一步对 2 型糖尿病降糖药物临床试验设计提供建议和参考，药审中心组织撰写了《成人 2 型糖尿病药物临床研发技术指导原则》，形成征求意见稿。现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

随着经济快速发展和生活方式的改变，我国 2 型糖尿病的患病率具有逐年升高趋势。2 型糖尿病的并发症是影响患者生活质量甚至生存的最重要因素，给患者及和社会带来了沉重负担。虽然当前可选的降糖药物种类较多，但不同药物存在已知或潜在的重要安全性风险，对于需要长期用药的 2 型糖尿病患者而言仍然存在未被满足的临床需求。此外，随着降糖药物临床研发进展，一些药物通过临床研究证实其长期用药的安全性，且在降低血糖的同时还发现其它临床获益，为 2 型糖尿病患者获得更加安全、有效和精准治疗提供了更优的选择。

因此，结合 2 型糖尿病疾病特征、临床实践变化以及药物临床研发进展，药审中心在 2012 年发布的《治疗糖尿病药

物及生物制品临床试验指导原则》基础上，针对当前 2 型糖尿病降糖药物临床试验设计提供建议和参考，组织撰写了《成人 2 型糖尿病药物临床研发技术指导原则》，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 3 月启动，2022 年 5 月完成初稿撰写，6 月经药审中心内部讨论以及向部分临床专家征求意见，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

本指导原则结合 2 型糖尿病疾病特征、临床实践变化以及药物临床研发进展，对 2 型糖尿病临床研发策略及科学的临床研究设计进行了阐述，主要有以下部分：

在“背景”部分，介绍了 2 型糖尿病特点、临床治疗需求、临床研发现状以及本指导原则的适用范围及撰写目的。

在“总体考虑”部分，介绍了在 2 型糖尿病药物研发之初以及整个研发过程中，需要特别关注的问题。

在“临床试验设计要点”部分，通过探索性研究及关键研究两个阶段，对临床研发中重点关注的临床试验设计要点进行阐述。

在“安全性评估要求”部分，对于 2 型糖尿病药物临床研发安全性暴露及重点关注的的风险等内容进行介绍。

本指导原则是在药审中心于 2012 年发布的《治疗糖尿病药物及生物制品临床试验指导原则》基础上，针对 2 型糖尿病非胰岛素类降糖药物临床试验设计提供建议和参考。本指导原则较已发布的指导原则相比，在关键临床试验设计方面无重大变更，而是以 2 型糖尿病患者临床需求为核心，结合降糖药物临床研究的进展，针对当前 2 型糖尿病药物临床研究思路及策略提供建议。