

# 《治疗绝经后骨质疏松症创新药临床试验技术指导原则（征求意见稿）》

## 起草说明

为了进一步规范和指导治疗绝经后骨质疏松症创新药的临床研究，提供可参考的技术要求，药品审评中心组织起草了治疗绝经后骨质疏松症创新药临床试验技术指导原则（征求意见稿）。现将有关情况说明如下：

### 一、背景和目的

骨质疏松症是一种常见的慢性骨骼退行性疾病，骨质疏松性骨折（又称脆性骨折）严重影响患者的生活质量，是老年患者致残和致死的主要原因之一。骨质疏松症及骨质疏松性骨折最常见于绝经后女性，因此，在开发抗骨质疏松症药物的过程中通常将绝经后骨质疏松症作为首选适应症。虽然目前全球已批准多种作用机制的药物用于治疗绝经后骨质疏松症，但骨质疏松症的治疗仍然存在未被满足的临床需求。为了更好地推动治疗绝经后骨质疏松症创新药临床研究，药品审评中心组织撰写了《治疗绝经后骨质疏松症创新药临床试验技术指导原则（征求意见稿）》。

### 二、起草过程

本指导原则成立了核心工作小组，由化药临床一部牵头，统计与临床药理学部参与撰写。在药品审评中心已发布的

《治疗绝经后妇女骨质疏松症药物临床试验的考虑要点》基础上，结合临床试验进展和国内外相关指南，经工作小组讨论启动撰写本指导原则。

本项工作自2020年4月正式启动，2020年6月完成初稿，经进一步征求统计与临床药理学部意见，并经技术委员会审核，形成本次征求意见稿。

### 三、主要内容与说明

本指导原则对治疗绝经后骨质疏松症创新药临床试验设计、终点选择和研究人群提出建议。主要包括以下部分：

“概述”部分介绍了绝经后骨质疏松症的疾病背景及本指导原则的撰写目的及适用范围。

“临床试验设计的一般要求”部分，介绍了目前对于此类品种临床研发的终点指标、探索性临床试验设计及确证性临床试验设计需要关注的问题。

“安全性评价”部分，介绍了此类品种临床研发中安全性评价的一般要求以及基于目标人群和品种特点的特殊安全性考虑等。