

《模型引导的罕见病药物研发技术指导原则 (征求意见稿)》起草说明

一、起草目的

模型引导的药物研发(MIDD)可整合并使用所有可用数据,在非常有限的探索疾病和药物作用的内在规律,减少罕见病药物研发的不确定性,加大研发成功率。为指导在罕见病药物研发过程中科学合理设计定量药理学研究以及有效应用定量药理学方法,药品审评中心组织起草了《模型引导的罕见病药物研发技术指导原则》,形成征求意见稿。

二、起草过程

本指导原则由统计与临床药理学部牵头,核心工作组经全面调研和讨论后,于2024年6月形成初稿,并于7月召开了专家研讨会征求部分业内专家意见。经中心内部各相关专业征求意见和技术委员会审核后,现对外征求意见。

三、主要内容与说明

本指导原则旨在阐述定量药理学研究在罕见病药物研发中的价值、应用场景和一般考虑等问题,指导在罕见病药物研发过程中科学合理设计定量药理学研究以及有效应用定量药理学方法,为整体研发策略和新药评价提供科学依据。

本指导原则在前期调研的基础上,结合国内外相关技术

指导原则和技术要求，明确了模型引导罕见病药物研发的总体考虑、阐述定量药理学在罕见病药物研发的应用场景、建模与模拟方法、不同分子类型治疗药物的研究考虑、以及与监管机构的沟通交流等。

本指导原则仅代表药品监管部门当前的观点和认识，不具有强制性的法律约束力。随着科学研究的进展，本指导原则中的相关内容将不断完善与更新。