

《晚期非小细胞肺癌临床试验终点技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

为进一步规范和指导我国治疗晚期非小细胞肺癌药物的临床试验设计和终点选择，提供可参考的技术规范，药品审评中心组织起草了《晚期非小细胞肺癌临床试验终点技术指导原则》。现将有关情况说明如下：

一、背景和目的

肺癌是我国发病率和死亡率最高的恶性肿瘤，非小细胞肺癌占全部肺癌的85%。该领域新药研发集中、临床证据链复杂，为了给抗肿瘤药品研发从业人员临床试验设计和终点选择上提供参考，科学、高效地确定药物疗效，提高临床研发效率，经广泛调研和专家讨论，药品审评中心组织起草了《晚期非小细胞肺癌临床试验终点技术指导原则（征求意见稿）》。

二、起草过程

本指导原则由审评中心牵头，由学术界临床专家和监管机构代表组成，保障其高质量完成。

本项工作自2017年正式启动，分别于2017年2月17日、8月18日和12月8日召开研讨会，最终形成征求意见稿。后附参与制订本指导原则的专家名单，在此一并致谢。

三、主要内容与说明

本指导原则对治疗晚期非小细胞肺癌药物的临床试验设计和终点选择提出建议。结合我国非小细胞肺癌人群驱动基

因突变率较高的特点，依据是否基于肿瘤生物标志物富集人群对试验设计和终点考虑展开讨论，主要有以下部分。

在“前言”与“背景”部分，介绍了本指导原则的适用范围及撰写目的。

在“抗肿瘤药物临床试验的常用终点”部分，基于死亡事件、肿瘤测量和症状评估依次介绍了抗肿瘤药物临床试验终点的分类及共性考虑。

在“晚期非小细胞肺癌新药注册临床试验的设计及终点考虑”部分，结合我国肺癌人群驱动基因突变高发的流行病学特点，以研究人群是否以肿瘤疗效预测生物标志物富集为考虑，对富集人群和非富集人群的研究设计及终点选择予以建议。对适用于单臂加速有条件批准的研究终点及适用条件予以明确。

在“晚期非小细胞肺癌新药注册临床试验主要终点获益考虑”部分，对当前不同设计的有效性终点的获益考虑予以明确。

参与制订《晚期非小细胞肺癌临床试验终点技术指导原则（征求意见稿）》的专家

主要执笔人：周明（国家药品监督管理局药品审评中心）、杨志敏（国家药品监督管理局药品审评中心）

专家组成员（按姓氏笔划顺序）：

王洁（中国医学科学院肿瘤医院）、王骏（国家药品监督管理局药品审评中心）、石远凯（中国医学科学院肿瘤医院）、冯继锋（江苏省肿瘤医院）、卢铀（四川大学华西医院）、仝昕（国家药品监督管理局药品审评中心）、刘晓晴（解放军总医院第五医学中心）、朱波（陆军军医大学新桥医院）、朱正飞（复旦大学附属肿瘤医院）、齐玥丽（国家药品监督管理局药品审评中心）、吴一龙（广东省人民医院）、陆舜（上海交通大学附属胸科医院）、陈晓媛（清华大学医学院）、陈东梅（国家药品监督管理局药品审评中心）、张力（中山大学肿瘤防治中心）、张虹（国家药品监督管理局药品审评中心）、张慧（国家药品监督管理局药品审评中心）、宋勇（东部战区总医院）、杨农（湖南省肿瘤医院）、杨志敏（国家药品监督管理局药品审评中心）、邹丽敏（国家药品监督管理局药品审评中心）、宋媛媛（国家药品监督管理局药品审评中心）、李若冰（国家药品监督管理局药品审评中心）、范云（浙江省肿瘤医院）、周建英（浙江大学附属第一医院）、周建娅（浙江大学附属第一医院）、周彩存（上海市肺科医院）、周明（国家药品监督管理局药品审评中心）、胡毅（中国人民解放军总医院）、赵肖（国家药品监督管理局药品审评中心）、赵骏（国家药品监督管理局药品审评中心）、郝瑞敏（国家药品监督管理局药品审评中心）、夏琳（国家药品监督管理局药品审评中心）、唐凌（国家药品监督管理局药品审评中心）、常建华（复旦大学附属肿瘤医院）、程颖（吉林省肿瘤医院）、董晓荣（华中科技大学附属协和医院）、潘建红（国家药品监督管理局药品审评中心）