

# 《基于疾病登记的真实世界数据应用指导原则(征求意见稿)》起草说明

## 一、背景和目的

高质量适用的真实世界数据是产生真实世界证据的前提条件，疾病登记通常根据登记目的进行前瞻性设计，针对性地、系统地、适时地、较长期地收集特定人群的疾病及其临床特征数据，实施中注重质量控制，其数据质量相对较好，是真实世界数据的重要来源。

针对如何建立疾病登记，以及如何评估和使用已有的疾病登记数据以便产生充分的真实世界证据并用于支持监管决策，药品审评中心组织起草了《基于疾病登记的真实世界数据应用指导原则（征求意见稿）》，旨在为申办者开展基于疾病登记的真实世界数据应用提供指导。

## 二、起草过程

本指导原则的起草小组由学术界、制药工业界和监管机构代表共同组成，保证了本指导原则高效、高质量完成。

本指导原则自 2023 年 3 月正式启动，于 2023 年 7 月完成初稿，2023 年 8 月 2 日召开专家研讨会，对指导原则初稿进行了充分的讨论和交流，并经药审中心内部征求意见与审核，形成征求意见稿。

参与制订本指导原则的专家名单见附录，在此一并致谢。

### 三、主要内容与说明

本指导原则分为六个部分，内容如下：

#### （一）引言

阐述了本指导原则的起草背景、目的和适用范围。

#### （二）疾病登记的定义

介绍了登记的概念和类型，简要说明了疾病登记的优势和局限。

#### （三）疾病登记数据的应用场景

疾病登记数据可用于产生补充或关键临床证据，本章节列举了疾病登记常用的五个场景：产生补充或关键临床证据、为临床试验设计提供依据、作为单臂试验的外部对照产生临床证据、用于上市后安全性监测和/或有效性评价、丰富临床试验的实施方式。此外，也说明了登记数据有时会涉及到以上多个应用场景，如基于疾病自然史的登记系统。

#### （四）数据库的建立

详细阐述了疾病登记的建立过程，包括疾病登记计划与设计；数据库构建；疾病登记数据的获取、录入与质量控制；数据库成熟；数据库融合与扩展；数据安全与伦理等方面的考虑。特别提到，在登记研究的早期阶段融入 PFDD 的理念，具有积极意义，有助于改善临床实践，提升研发的质量和效率。

### （五）从临床研究角度对疾病登记数据的评估

阐明疾病登记用于临床研究需要满足的条件和评估的要点。包括疾病登记研究目的的实现、系统建设的规范性、研究人群代表性、随访期、数据质量和数据使用的合规性等方面的评估。

### （六）疾病登记数据的递交及与审评机构的沟通交流

明确登记数据递交的数据标准要求，强调了和监管机构进行沟通交流的重要性和沟通的重点内容。

### 附录

提供了参考文献、中英文对照表、名词解释。