

《中药药效学研究技术指导原则（征求意见稿）》 起草说明

为促进中医药传承创新发展，遵循中医药研究规律，提高中药药效学试验的水平和质量，推动中药新药的研究与发展，国家药监局药品审评中心（以下简称“药审中心”）组织起草了《中药药效学研究技术指导原则（征求意见稿）》。现将有关情况说明如下：

一、起草目的

药效学研究是中药新药研发中的重要内容，通过非临床试验来进行有效性研究和评价，可在合适的非临床实验模型研究中考察药理学作用，包括：确定受试物有无药效，阐明作用特点，揭示可能的作用机制。中药药效学研究对于将中药疗效“说清楚、讲明白”、推进中药现代化、促进中药高质量发展具有重要意义。

由于中药的复杂性，如何建立符合中医药特点的中药药效学评价方法，具有较大的挑战。近年来，新技术、新方法不断出现，为中药药效学研究提供了新的思路和手段。在可行的情况下，鼓励符合中药特点的新技术、新方法应用于中药药效学研究、阐释中药的作用机制。

基于上述背景，药审中心启动了中药药效学研究技术指导原则的起草工作。

二、起草过程

本指导原则于 2023 年立项，列入 2024 年中心指导原则制修订计划。根据中心指导原则制定工作程序以及本指导原则起草计划，在前期收集资料基础上，于 2024 年 4 月撰写形成指导原则初稿，经指导原则课题组讨论，于 2024 年 6 月 2 日召开了指导原则初稿专家讨论会。专家会后，经药理毒理学部部门技术委员会会议讨论审核，根据专家讨论会意见和部门技术委员会意见进行修订，形成了征求意见稿。

三、起草思路

本指导原则为在前期广泛调研的基础上，研究和探索具有中医药特点的中药药效学评价方法和策略，起草符合中医药特点的中药药效学研究技术指导原则，提出中药药效学研究的一般原则，提出各类试验的基本要求、结果分析与评价思路，以及不同开发路径下中药药效学研究的阶段性，同时引入符合中药特点的新技术新方法以用于中药药效学研究。

四、主要内容

本指导原则的主要内容包括概述、中药药效学研究一般原则、中药新药药效学研究的阶段性、基本内容、结果分析与评价五个部分。第一部分“概述”介绍了指导原则的起草背景，明确了指导原则的适用范围。第二部分“中药药效学研究一般原则”阐述了中药药效学研究的研究目的和一般原则。第三部分“中药新药药效学研究的阶段性”阐述了中药研发过程

中的中药药效学研究的分阶段要求。第四部分“基本内容”阐述了受试物、主要药效学研究、次要药效学研究的关注点和相关要求。第五部分“结果分析与评价”阐述了对药效学研究结果进行科学分析和全面评价必要性和重要性。

五、需要说明的问题

中药新药研究具有特殊性和复杂性，本指导原则旨在起草符合中医药特点的中药药效研究技术指导原则，提出中药药效学研究的总体要求，不涉及具体试验的要求，也不针对具体适应症。对于每一具体品种的研究，中药药效学试验应当结合中医药临床治疗特点，选择与中药临床定位相适应、体现其作用特点和优势的试验项目和模型，遵循“具体问题具体分析”的原则，进行合理的试验设计，并规范地进行试验，获得客观的试验结果，用于阐述所申请品种的药效学特点。

本征求意见稿中所形成的几个方面要求为课题组经过全面调研和讨论，并经初稿专家讨论会确定，现征求更广泛的意见，以形成符合中药特点的药效学研究技术要求。