

化学药物综述资料撰写的格式和内容的
技术指导原则
——对主要研究结果的总结及评价

目 录

一、概述.....	2
二、资料格式和内容	2
(一) 品种基本情况.....	2
(二) 药学主要研究结果及评价	3
(三) 药理毒理主要研究结果及评价	4
(四) 临床试验主要结果及评价	5
(五) 综合分析及评价.....	5
三、著者.....	6

一、概述

按照《药品注册管理办法》附件 2 的要求，化学药品申请注册时应提供的第 4 项申报资料为“对主要研究结果的总结及评价”，要求对申报品种的主要研究结果进行总结，并进行综合分析与评价。该项资料是全面反映药品注册申请人进行的研究工作和支持其注册申请的重要技术资料，也是药品技术评价中对申报药物安全有效、质量可控进行综合评价的重要依据。

本指导原则对申报资料“对主要研究结果的总结及评价”的撰写格式和内容提出了一般性原则，用以指导、规范该项申报资料的撰写。

本指导原则适用于化学药品的注册申报。不同注册分类的药品，在不同的注册阶段，“对主要研究结果的总结及评价”申报资料的撰写可参照本指导原则的一般要求，在具体内容上有所侧重或取舍。

二、资料格式和内容

注册申请人在该项资料中应首先对申报品种在药学、药理毒理、临床方面的各项主要研究结果分别进行总结，并在总结各部分研究结果的基础上，结合立题目的与依据，对品种的安全性、有效性和质量可控性进行全面的综合评价。

申报资料一般可分下述五部分来撰写：品种基本情况，药学主要研究结果及评价，药理毒理主要研究结果及评价，临床试验主要结果及评价，综合分析及评价。

（一）品种基本情况

简述所申报药品的基本情况，包括药品名称，制剂的剂型、规格，复方制剂的组成，申报的临床拟用适应症及用法用量，药理作用及作用机制；

该品种在国内外上市的情况；药品注册分类等。

对于申报生产的品种，还应说明临床试验的批件号及批准时间。

对于申请免临床试验直接申报生产的品种，应说明申请免临床试验的依据。

（二）药学主要研究结果及评价

本部分内容应总结申报的药品在药学方面的研究结果，并对结果进行分析评价。

原料药：简述制备工艺、结构确证、质量研究及质量标准制订、稳定性考察等方面的研究结果，并对结果进行分析与评价。

制剂：简述剂型选择、处方及制备工艺、质量研究及质量标准制订、稳定性考察等方面的研究结果，并对结果进行分析与评价。

申报生产时，还应说明临床试验批件中药学方面的相关问题及补充研究情况；在药学方面的其他补充研究情况；以及临床试验期间原料药制备工艺、制剂处方工艺、原料药及制剂质量标准的修改完善情况和数据积累结果。

在上述总结的基础上，对药学研究结果进行全面的分析及评价。主要对试验方法的科学性、试验过程的规范性进行分析，将试验结果与相关文献进行比较，并应关注各项研究结果之间的相互关联。比如原料药制备工艺涉及的中间体、副产物、有机溶剂与质量研究中有关物质、残留溶剂检查的关系；制剂处方工艺筛选涉及的质量评价方法与质量研究中方法建立的关系；质量标准建立与工艺、质量研究、稳定性研究的关系等，并对药学研究结果是否可支持临床试验样品的质量控制，是否可支持生产上市产

品的质量控制进行分析评价。

（三）药理毒理主要研究结果及评价

在此部分应总结申报的药品在药理毒理方面的研究结果，并对结果进行综合分析评价。

注册申请人应根据品种的注册分类及特点，简述各项药理毒理研究的结果及文献报道，包括主要药效学、一般药理学、急性毒性、长期毒性、特殊安全性（如过敏性、溶血性、局部刺激性等）、遗传毒性、生殖毒性、致癌性、依赖性、非临床药代动力学等方面。若未进行某项研究，应说明原因。

申报生产时，除阐明上述内容外，还应说明临床试验批件中药理毒理方面的相关问题及补充研究情况，以及在临床试验期间进行的其他药理毒理补充研究情况。

在总结研究结果的基础上，应对其进行全面的分析和评价。包括试验结果与相关文献的比较以及各项药理毒理研究结果之间的相关性，以获得对所申报药品药理毒理研究的综合评价。

在有效性方面，注册申请人应分析药物可能的作用靶点和机制以及在动物模型中的治疗特点（起效和维持时间、活性强度、量效关系和有效剂量等），并根据动物试验结果预测药物在临床上的有效性特点以及与现有药物相比的潜在优势和不足。

在安全性方面，注册申请人应分析药物在试验动物中的毒性靶器官或靶组织，毒性反应的性质、程度和可恢复性，并确定无毒性反应剂量（NOAEL），同时根据动物试验结果预测药物在临床上的毒性靶器官或靶组

织，毒性反应的性质、程度和可恢复性，以及安全范围等，并预测其与现有药物相比潜在的优势和不足。

对于申请临床试验的药品，应对药理毒理研究结果是否支持临床试验以及临床试验中需注意的安全性问题等进行分析并提出建议。

对于申报生产的药品，应关注药理毒理研究和临床试验结果之间的相关性；按相关指导原则的要求，提供撰写说明书所需的非临床有效性和安全性信息。

（四）临床试验主要结果及评价

此部分应围绕立题，总结申报的药物的临床试验结果及文献结果，并对结果进行分析评价。

申报临床试验时，应简述国内外同品种的临床试验文献情况，并对申报品种的有效性和安全性特点进行总结及分析评价，说明临床研究方案的制定依据。

申报上市时，列表说明已完成的所有临床试验的种类、期别、项目内容，主要总结所申报药物的临床试验结果，并结合国内外同品种的研究情况对其安全有效性进行评价。

应综合分析临床试验方法及结果，重点关注试验设计、入选和排除标准、对照药选择、给药剂量和方法、疗效和安全性评价、统计分析等。同时，还应结合国内外已有同品种的资料，对所申报药物的有效性和安全性特点进行总体分析、比较和评价，并说明药品说明书中与临床试验相关内容的依据。

（五）综合分析及评价

此部分应对药学、药理毒理、临床试验结果进行综合分析，并在总结分析各方面研究结果及文献资料的基础上，对所申报药品的安全性、有效性、质量可控性进行全面和综合的评价，包括对研究工作的科学性、规范性和完整性的评价，说明研究结果是否可支持立题目的以及存在的问题。

对主要研究结果的综合评价还应关注药学、药理毒理、临床方面研究结果的相互关联和相互支持。比如应关注用于不同适应症时，对药物毒性的不同要求；药学研究方面杂质的限度与药理毒理研究结果的关系；临床试验样品与药理毒理研究用样品质量的一致性；质量标准限度的设定与安全性研究及临床试验结果的关系等。

申报临床试验时应结合品种的药学特点、药理毒理研究结果、临床适应症和用药人群及文献报道的临床研究信息，对所申报药品进行临床试验的可行性、安全性及有效性等进行综合分析及评价，并提出在临床试验中需注意的安全性问题和需重点监测的安全性指标。

申报生产时应全面总结分析申报品种在安全性、有效性及质量可控性方面的特点，并对药品上市后临床应用的效益/风险等进行综合评估。

三、著者

《化学药物综述资料撰写的格式和内容的技术指导原则》课题研究组