突破性治疗药物工作程序（征求意见稿）

起草说明

为配合新修订《药品注册管理办法》（以下简称《办法》）的贯彻实施，药审中心起草了《突破性治疗药物工作程序》（以下简称《工作程序》）征求意见稿。现将有关情况说明如下：

一、起草背景

为鼓励创新和满足临床急需，新修订《办法》增设药品加快上市注册章节，设立突破性治疗药物程序、附条件批准程序、优先审评审批程序、特别审批程序四个加快通道，其中突破性治疗药物程序定位于药品临床试验研制阶段，并明确该通道的纳入范围、程序、支持政策、终止程序等要求，根据新修订《办法》，起草本《工作程序》。

二、起草过程

2019年9月30日，新修订《办法》在国家药品监督管理局网站向社会公开征求意见，药审中心同步启动《工作程序》的修订工作。10月15日，新修订《办法》再次通过中国政府法制信息网向社会公开征求意见。10月底，药审中心根据最新《办法》征求意见稿，完成《工作程序》初稿起草工作并在内部广泛征求意见，对初稿做了全面修订，形成《工作程序》（征求意见稿）。

三、总体思路和主要内容

本《工作程序》总体思路与国际接轨，对应国外快速通道Fast Track和突破性疗法Breakthrough Therapy，对具有明显临床优势的药物，在药物临床试验的研制过程中，给予技术指导、全过程沟通等支持政策，以加快药物研制和上市进程。《工作程序》按照突破性治疗药物程序的适用范围、申请、审核认定、公示纳入、终止程序等关键内容分别明确了程序和要求，在起草过程中借鉴了国外相关先进经验，明确了突破性治疗药物的纳入标准和终止程序要求。

本《工作程序》包括适用范围和认定条件、工作程序和工作要求三部分内容：

（一）适用范围和认定条件。适用范围明确了纳入突破性治疗药物程序需满足两个条件：一是用于防治严重危及生命的或者严重影响生存质量的疾病，二是对于尚无有效防治手段的，该药物可以提供有效防治手段；或，与现有治疗手段相比，该药物具有明显临床优势。认定条件明确了在适用范围内的品种具体应满足的条件，既是突破性治疗药物评定的基本依据，也是申请人自行评估判断的标准。

（二）工作程序。明确了提出申请、审核认定、公示纳入、临床试验研制指导等环节的具体工作要求和时限。

（三）工作要求。明确了沟通交流的相关要求，以及终止程序的相关要求。

四、需要说明的问题

（一）关于适用范围和认定条件。突破性治疗药物程序适用于药物临床试验阶段，用于防治严重危及生命的或者严重影响生存质量的疾病，对于尚无有效防治手段的，该药物可以提供有效防治手段；或，与现有治疗手段相比，该药物具有明显临床优势。具有明显临床优势主要体现在与现有治疗手段相关，该药物具有更显著的临床疗效、可治疗病因且具有显著临床意义、有与严重不良反应相关的安全性优势等。

（二）关于临床试验期间的支持政策。药审中心对纳入突破性治疗药物程序的品种，加强指导并促进药物研发进程，优先处理相关沟通交流。申请人可以在纳入程序的6个月按Ⅰ类会议申请首次沟通交流，全面讨论药物临床、药学及药理毒理等方面的研发进展、计划以及遇到的相关问题。申请人可以提交阶段性研究资料，药审中心及时提出意见或者建议，促进研发、加快上市进度。

（三）关于终止程序。对纳入突破性治疗药物程序的药物临床试验，申请人和药审中心发现不再符合纳入条件时，都应及时提出终止程序，以实现突破性治疗药物品种目录的动态调整。