

化学药品申报资料撰写格式与内容  
技术指导原则

——立题目的与依据撰写格式和内容  
(第二稿草稿)

二〇〇五年三月

# 目 录

一、概述.....	2
二、资料格式和内容.....	2
(一) 品种基本情况.....	2
(二) 立题背景.....	3
(三) 品种的特点.....	4
(四) 国内外有关该品种的知识产权等情况.....	6
(五) 综合分析.....	6
(六) 参考文献.....	6
三、起草说明.....	6
四、著者.....	9

## 一、概述

按照《药品注册管理办法》（试行）附件2的要求，化学药品申请注册时应提供的第3项申报资料为“立题目的与依据”。该项资料系由药品注册申请人撰写，阐明申报注册药品的研发背景、目的及依据等的技术资料。

本指导原则系根据《药品注册管理办法》（试行）的有关要求，按照药品研发的自身规律，结合目前国内化学药品研发的实际制订的。其目的是从药品技术评价的需要出发，对申报资料“立题目的与依据”的撰写格式和内容提出一般性的原则，指导、规范该项申报资料的撰写。

药品研发的目的是满足临床治疗的需要。因此，立题目的应着重阐述研发品种的临床需求、科学合理、经济实用和现有药物治疗的局限性等。立题依据的阐述应基于对申报品种自身特点，临床应用的效益/风险，国内外有关该品研发、上市销售、生产使用情况，以及知识产权情况等综合分析。

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，“立题目的与依据”申报资料的撰写可参照指导原则的一般要求，并结合品种的特点，在具体内容上有所侧重或取舍。

## 二、资料格式和内容

申报资料一般可从下述六部分来撰写：品种基本情况，立题背景，品种的特点，国内外有关该品种的知识产权等情况，综合分析，参考文献。

### （一）品种基本情况

#### 1、品种的基本情况一般应包括以下内容：

（1）药品名称，包括通用名、英文名、化学名、汉语拼音、拟用商品

名；

(2) 药物的化学结构式、分子式、分子量；

(3) 申报药品的药理类型及作用机制；

(4) 制剂的剂型、规格；

(5) 复方制剂的组成，各组分药理作用、适应症、用法用量、主要不良反应等的概述；

(6) 申报的拟用于临床的适应症及用法用量，表述应明确、规范；申请增加适应症的药品，还应说明原批准的适应症及用法用量；

(7) 申报品种的注册分类及其依据，并明确是否为原研发品种。非原研发药物应说明原研发药物的基本情况，包括原研发单位名称、国别；尚在进行临床研究药物的临床研究情况；已上市药品的上市时间、上市国家或地区、上市剂型、规格、商品名、临床适应症、用法用量等；

(8) 申报生产时，应说明临床研究的批件号及批准时间、临床研究批件中遗留问题等。

## 2、其他：

申报原料药，应说明与原料药同时申报的制剂的基本情况。对于目前在研拟随后申报的制剂品种的情况亦可简要介绍。

申报制剂，应说明原料药的来源及执行的质量标准，以及本注册申请人有无同一原料药的其他制剂品种申报。

## (二) 立题背景

此部分资料一般应包括以下内容：

1、简述拟定适应症的临床特点，包括适应症可能的病因、发病机理、

流行病学（发病率、地域、年龄等）、危害性、临床表现和预后。

2、简述拟定适应症的治疗现状及常用治疗药物，包括该适应症目前常用的治疗方法（药物和非药物）及对药物治疗的需求。

简述目前常用治疗药物的情况。按药理作用类型及化学结构类型分别对不同类型治疗药物的主要特点进行阐述，说明各类药物的作用机制、临床作用特点、存在的主要不良反应以及临床应用的局限性。

简述与申报品种相同（或类似）作用机制及相同（或类似）化学结构类型的药物中，不同品种的各自特点，包括化学结构、药代动力学、临床应用、疗效和安全性等方面的特点。

3、简述申报品种的科学依据、临床意义和定位，如有效性、安全性、耐受性、依从性等方面的特点。

4、简述其他与立题有关的背景资料。如为改变剂型品种，应说明现有剂型的临床应用情况及局限；如为复方制剂，应说明各组分的临床应用及联合用药情况等。

5、说明该品种国内外是否有研究报道，目前研究开发阶段，是否已批准上市，上市后的临床使用情况等。

6、对上述资料进行综合分析，进一步阐明开发该品种的立题背景、科学依据和目的。

### **（三）品种的特点**

在第二部分阐述申报品种立题背景的基础上，根据品种的具体情况，结合所进行的试验研究结果及文献资料，阐述其相关特点，以说明立题依据。相关特点一般可从以下方面考虑：

- 1、化学结构、理化性质、质量控制方面的特点。
- 2、药理作用及作用机制方面的特点，包括非临床及临床药理研究结果。
- 3、药代动力学方面的特点，包括动物和/或人体药代动力学参数、血浆蛋白结合率、药物分布、代谢方式及途径、生物利用度，以及药物是否可通过血脑屏障、胎盘屏障及进入乳汁等情况。
- 4、毒性及不良反应特点。从动物的急性毒性、慢性毒性、生殖毒性、局部安全性、依赖性、特殊毒性、致癌性等试验结果，临床常见的不良反应的类型及发生率等方面进行阐述。
- 5、制剂的剂型特点。可从药物本身的理化性质和生物学特性、临床用药的依从性和临床治疗的需要等方面阐述剂型的特点。

若申报的制剂品种为该药物国内外尚未上市的新剂型，应与现有剂型进行安全性、有效性、质量可控性方面的分析比较，明确所申报剂型的特点及优势。若剂型及给药途径均有改变，则还应说明改变给药途径的依据，并与原给药途径进行比较。
- 6、复方制剂的组方特点。申报复方制剂，应详细说明复方制剂的组方依据。对于国外已上市的复方制剂，应说明国外研究与应用的情况。对于自行组方的复方制剂（原研发的复方制剂），应结合拆方试验结果，阐述各组分的比例选择依据，以及各组分药效、毒性、药代动力学相互影响的情况。
- 7、申报增加适应症的品种，应阐述增加适应症的依据，如动物的药理学研究结果，临床研究中的新发现及其进一步的研究结果等。
- 8、除上述资料外，其他涉及说明本品特点及立题依据的资料。

#### **（四）国内外有关该品种的知识产权等情况**

简述国内外与申报品种有关的专利情况，包括专利申请、专利授权、专利期限、专利法律状态等。

简述与申报品种有关的行政保护情况，如目前有无国外同品种在我国申请行政保护，行政保护受理、授权情况，保护期限等。

申请已有国家标准药品注册，应述明已上市同品种的新药保护期、过渡期、监测期等情况。

明确申报品种是否涉及侵权问题，是否存在知识产权障碍。

#### **（五）综合分析**

在上述对申报品种立项背景、品种特点、知识产权情况分别阐述的基础上，从安全性、有效性、质量可控性，临床应用的效益/风险比，临床定位、药物经济学等方面对申报的药品进行综合分析与评价，进一步阐明申报品种的立题目的与依据。

#### **（六）参考文献**

按文中首次引用的顺序列出有关的参考文献，并附原文。

### **三、起草说明**

#### **（一）起草背景及指导思想**

按照《药品注册管理办法》（试行）附件2的要求，化学药品申请注册时应提供的第3项申报资料为“立题的目的与依据”。该项资料是由药品注册申请人撰写，阐明申报药品的研发背景、研发目的、研发依据等的技术资料。

本指导原则系根据《药品注册管理办法》（试行）的有关要求，按照药

品研发的自身规律，结合目前国内化学药品研发的实际，以及注册申报资料中存在的问题制订的。其目的是从药品技术评价工作需要出发，对申报资料“立题目的与依据”的撰写格式和内容提出一般性的原则，以帮助药品注册申请人规范申报资料的撰写，同时也便于药品技术审评过程中对品种立题目的与依据的充分认识，便于对品种安全性、有效性、质量可控性做出评价，进而提高药品注册效率，减少注册周期。

## （二）与其他指导原则的关联性及适用范围

本指导原则是“化学药品申报资料的撰写格式和内容”系列技术指导原则的组成部分，适用于化学药品（包括原研发药品及仿制药品）注册申报中申报资料3“立题目的与依据”的撰写。

## （三）本指导原则结构与内容的设置

从药物研发工作实际来看，立题目的与依据一般应包括临床需求、申报品种自身特点、临床应用的效益/风险、国内外有关该品研发和/或上市使用情况、知识产权情况等，以及对上述内容的综合分析。本指导原则的结构与内容设置主要是根据药物研发工作的实际以及审评工作的需求，也就是从如何简明、清晰、准确地反映药品立题目的与依据的角度来确定的。

申报资料的第一部分要求首先对品种做简要介绍，以便审评人员对申报品种在理化性质、药理作用、适应症、用法用量、注册分类等方面的情況有基本的了解。

第二部分是立题背景。要求对申报品种的开发背景，如拟用适应症的临床发病及治疗情况、同类药品的情况、国内外研究及上市情况等进行阐



述，在分析立题背景的基础上明确申报品种的立题目的。

第三部分是品种的特点。在第二部分阐述立题背景的基础上，本部分要求着重对申报品种在理化性质、药理作用、药代动力学、毒性及不良反应等方面的特点进行阐述，并与同类品种进行比较，以阐明品种在安全性、有效性、质量可控性方面的特点或优势。对于制剂品种，还要求阐明剂型、复方制剂组方等的依据。鉴于修订后的药品注册管理办法拟将增加适应症的应用归入新药申请管理，因此对增加适应症品种单列了增加适应症依据的要求。

第四部分是相关知识产权等情况。因为申报品种的相关知识产权等情况是支持品种立题合理性及可行性的重要依据之一，所以指导原则中将相关知识产权等情况单独列项，要求述明。

第五部分是综合分析。在该部分要求对品种的立题背景、品种自身的特点、相关知识产权情况等进行分析，在综合分析的基础上，进一步阐明品种的立题目的与依据。

第六部分是参考文献。要求提供正文中引用的相关文献。

#### **（四）需要说明的有关问题**

1、本指导原则中某些内容与其他申报资料中内容有重复的情况，如品种的基本情况项下涉及的内容与申报资料 1：“药品名称”中内容有部分重复，相关知识产权等情况项下涉及的内容与申报资料 2：“证明性文件”中对他人不侵权保证中有关内容有重复。保留有关重复内容主要是基于申报资料“立题目的与依据”有其自身的整体性及完整性需求，另外，也便于审评人员直接了解与品种立题目的及依据有关的各方面情况。

2、本指导原则是以适用于化学药品的注册申报来撰写的。在讨论过程中，亦有按不同注册分类的药品分别撰写的建议。考虑到不同注册分类的药品在立题目的与依据方面有较多共同之处，为避免指导原则过于繁杂，故未按注册分类撰写指导原则。但考虑到不同注册分类的药品亦有各自的特点，故在指导原则的概述部分强调了本指导原则仅是一般性要求，不同注册分类的药品，应根据品种各自的特点，在具体内容上有所侧重或取舍。

#### **四、著者**

化学药物立题目的与依据撰写格式和要求指导原则课题研究组