

化学药品申报资料撰写格式与内容
技术指导原则

——对主要研究结果的总结及评价撰写格式和内容
(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) 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) 临床主要研究结果及评价.....	5
(五) 综合分析及评价.....	5
三、起草说明.....	6
四、著者.....	8

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4项申报资料为“对主要研究结果的总结及评价”，要求药品注册申请人对申报品种的主要研究结果进行总结，并对研究结果进行综合分析评价。该项资料是全面反映注册申请人进行的研究工作、支持药品注册申请的重要技术资料，也是药品技术审评中对申报药品进行安全性、有效性、质量可控性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，目的是指导、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、质量可控性进行全面和综合的评价。

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，临床主要研究结果及评价，综合分析及评价。

（一）品种基本情况

简述申报品种的基本情况，一般应包括：药品名称，制剂的剂型、规

格，复方制剂的组成，申报的拟临床应用适应症及用法用量，药理作用类型及作用机制；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，还应述明临床研究的批件号及批准时间。

对于申请免临床研究直接申报生产的品种，应说明免临床研究的依据。

（二）药学主要研究结果及评价

此部分总结申报品种药学方面的研究结果，并对结果进行分析评价。

原料药：应简述制备工艺、结构确证、质量研究及质量标准制定、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：应简述处方及制备工艺、质量研究及质量标准制定、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，除述明上述内容外，还应说明临床研究批件中药学方面的遗留问题及注册申请人对遗留问题的补充研究情况，除临床研究批件中遗留问题外，注册申请人在药学方面的其他补充研究情况，以及临床研究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。

在对申报品种药学方面各项研究结果总结的基础上，对整个药学研究和结果进行全面的分析和评价。应对采用的试验方法的科学性、试验过程的规范性进行分析，对试验结果与相关文献进行比较，并应关注各项研究内容、研究结果之间的相互关联性。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、残留溶剂检查的相关性；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相关性；药品质量标准建立与工艺、质量研究、稳定性研究的相关性等。在综合分析各

项研究结果的基础上，获得对申报品种药学研究工作的整体评价，并对药理学研究结果是否可支持临床研究样品的质量控制，是否可支持生产上市产品的质量控制在分析评价。

（三）药理毒理主要研究结果及评价

在此部分总结申报品种药理毒理方面的研究结果，并对结果进行分析评价。

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，除说明上述内容外，还应说明临床研究批件中药理毒理方面的遗留问题及注册申请人对遗留问题的补充研究情况，以及注册申请人在临床研究期间进行的其他药理毒理补充研究的情况。

在总结研究结果的基础上，应对其进行全面的分析和评价。内容涉及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，以获得对所申报品种药理毒理研究的整体评价。

在有效性方面，注册申请人应分析药物可能的作用机制，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、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潜在的优势。

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、程度和可逆性，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、程度和可逆性，以及安全范围等，并预测其与现有药物相比的潜在优势。

申报临床研究的品种，应对药理毒理研究所得药品安全性、有效性方面的试验结果是否可支持进行临床研究、临床研究中需注意的安全性问题等做出分析。

申报生产的品种，应对药理毒理研究结果对临床应用的提示、临床应用需注意的问题等做出分析，并提供说明书中药理毒理项的内容的依据。

（四）临床主要研究结果及评价

此部分总结申报品种的临床研究结果，并对结果进行分析评价。

申报临床研究的品种应简述国内外同品种的临床研究情况，根据国内外同品种的研究情况对申报品种的有效性和安全性特点进行总结，并说明临床研究方案的制定依据。

申报生产时主要总结该申报品种的临床研究结果，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。若未进行某项研究，应说明原因。

应综合分析临床研究结果，重点关注研究设计、入选和排除标准、对照药选择、疗效评价指标、安全性指标、统计分析等是否符合 GCP 要求。同时，还应结合国内外已有同品种的资料，对申报品种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研究相关内容的依据。

（五）综合分析及评价

此部分应对药学、药理毒理、临床研究结果进行综合分析，并在总结分析各方面研究结果及文献资料的基础上，结合立题目的与依据，对申报品种的安全性、有效性、质量可控性进行全面和综合的评价，包括对研究工作本身科学性、规范性和完整性的自我评价。应分析评价研究结果是否可支持立题目的与依据，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；临床研究样品与药理毒理研究用样品的质量一致性；质量标准限度的设定与安全性研究及临床研究结果的关系等。

申报临床研究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，对该品种进行临床研究的可行性、临床研究的安全性及有效性等进行综合分析，并提出在临床研究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、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4项申报资料为“对主要研究结果的总结及评价”。该项资料是全面反映注册申请人进行的研究工作，支持药品注册申请的重要技术资料。

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“对主要研究结果的总结及评价”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该项申报资料的撰写，提高药品注册工作效率。

（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4“对主要研究结果的总结及评价”的撰写。

（三）本指导原则结构与内容的设置

考虑到申报资料是按照药学部分、药理毒理部分、临床部分来分别整理，药物研发工作本身一般亦可区分为此三大部分工作，所以，在本指导原则中要求首先按照药学、药理毒理、临床三个方面分别对各项研究结果进行简述和评价，然后综合各部分研究结果，对品种的安全有效性、质量可控性等进行全面的综合分析，得出相应的结论。如研究结果是否支持题目的与依据，是否支持品种进行临床研究，是否支持生产上市，效益/风险评估等。另外，为方便审评工作，在资料的第一部分要求对品种的基本情况做简要介绍。

（四）需要说明的有关问题

“对主要研究结果的总结及评价”申报资料重点是在对药学、药理毒理、临床方面研究内容分别总结（形成申报资料7、16、28）的基础上，对

申报品种的主要研究结果进行综合分析与评价。在本指导原则第一稿中曾要求在“对主要研究结果的总结及评价”申报资料中先简述各项研究工作的内容及结果，然后进行分析与评价。在课题调研组讨论会（杭州会议）上，专家建议在该项资料中不必要求简述研究内容，以免与上述三项专业研究综述资料过多重复。根据讨论意见，第二稿中删除了对研究内容的要求，仅要求简述研究结果，重点放在对结果的分析评价上。

从审评工作实际来看，对药理学、药理毒理及临床方面研究工作的科学性、规范性、全面性的分析，对各部分研究结果相互关联性的分析，对研究结果整体的综合分析与评价等，是审评工作关注的重点，也是目前申报资料中的主要不足之处。所以，在本指导原则中对上述内容给予了重点强调。

四、著者

化学药物主要研究结果的总结及评价撰写格式和要求指导原则课题调研组