《模型引导的创新药物剂量探索和优化技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

1. **起草目的**

创新药物临床研究阶段剂量探索和优化至关重要。模型引导的药物研发（MIDD）采用建模模拟形成补充证据，可有效支持剂量探索和优化，减少临床研究过程中的不确定性。为指导进行科学合理的剂量探索和优化，药品审评中心组织起草了《模型引导的创新药物剂量探索和优化技术指导原则》，形成征求意见稿。

1. **起草过程**

本指导原则的起草工作由统计与临床药理学部牵头，自2023年12月底启动，核心工作组经过前期调研准备，于2024年3月召开第一次专家研讨会对关键技术问题达成共识，并在此基础上形成指导原则初稿，2024年6月召开第二次专家会，对指导原则初稿进行了修订完善。经中心内部各相关专业征求意见和技术委员会审核后，现对外征求意见。

**三、主要内容与说明**

本指导原则旨在为化学药品和生物制品在确证性临床试验之前、探索性临床试验阶段进行的剂量探索与优化提供指导和建议，主要对剂量探索和优化的基本原则、模型引导的研究设计、建模与模拟、剂量合理性评估等予以具体阐述。

指导原则旨在规范和指导创新药剂量探索相关研究，在前期调研的基础上，结合国内外相关技术指导原则和技术要求，明确了模型引导的研究设计类型、剂量设置、数据需求与收集，以及基于已有研究数据选择适宜模型的考量。建议从具有临床意义的有效性安全性证据、充分的剂量-暴露-效应关系分析等多个方面综合评估整体证据链，以支持拟选择剂量的合理性。