儿童用药沟通交流Ⅰ类会议资料准备的一般考虑

General Considerations for Preparation of Materials for Type Ⅰ Communication Meetings on Pediatric Drugs

綦钰莹，刘　涓，唐　凌，衡明莉，潘鹏玉，黄芳华，耿　莹*

（国家药品监督管理局药品审评中心，北京 100076）

QI Yuying, LIU Juan, TANG Ling, HENG Mingli, PAN Pengyu, HUANG Fanghua, GENG Ying*

(*Center for Drug Evaluation, National Medical Products Administration, Beijing 100076*)

摘要：儿童用药研发是各国药品监管机构重点支持的领域。文章基于我国儿童用药的审评实践，系统梳理了儿童用药沟通交流Ⅰ类会议资料准备的关键考量。重点围绕立题合理性、临床研究策略、临床试验方案设计要点、药学开发考量、支持批准条件等维度，就如何完善不同研发情况、研发阶段的儿童用药沟通交流Ⅰ类会议资料提出思考和建议。该文旨在帮助企业聚焦沟通交流中的审评关注点，提升儿童用药沟通交流的质量与效率，更好地满足儿童临床用药需求。

关键字：儿童用药；沟通交流；Ⅰ类会议；资料；社会管理与药学

中图分类号：R95　　**文献标志码**：A　　**文章编号**：1001-8255(2026)07-0872-05

引用：綦钰莹, 刘涓, 唐凌, 等. 儿童用药沟通交流Ⅰ类会议资料准备的一般考虑[J]. 中国医药工业杂志, 2026, **57**(7): 872-876. DOI：10.16522/j.cnki.cjph.2026.07.019

儿童用药是药物研发的重要方向，也是各国药品监管机构重点关注的领域。儿童人群的生理特点、药代动力学和药效学特性与成人存在显著差异，而且儿童临床试验涉及伦理特殊性，因此企业在儿童用药研发过程中与药品监管机构保持充分沟通尤为重要。

近年来，NMPA 药品审评中心（以下简称“药审中心”）发布了一系列沟通交流制度的配套文件，包括《国家药品监督管理局药品审评中心药物研发与技术审评沟通交流管理办法》[1]《药物研发与技术审评沟通交流会议申请资料参考》[2] 和《儿童用药沟通交流中Ⅰ类会议申请及管理工作细则（试行）》（以下简称“工作细则”）[3]，为全面贯彻落实国务院办公厅《关于全面深化药品医疗器械监管改革促进医药产业高质量发展的意见》[4]，按照“提前介入、一企一策、全程指导、研审联动”要求，审评审批资源更多向临床急需的重点创新药和医疗器械倾斜，在临床试验、注册申报、核查检验、审评审批等全过程加强沟通交流，提供个性化指导，为持续提升我国儿童用药沟通交流服务质量、促进成果转化奠定了坚实的基础。

本文结合当前我国儿童用药审评实践，根据儿童用药沟通交流Ⅰ类会议资料准备的要点，为不同研发情况、研发阶段的决策提供参考性建议。

1　儿童用药沟通交流的法规框架与会议类型

《国家药品监督管理局药品审评中心药物研发与技术审评沟通交流管理办法》将沟通交流会议分为 3 种。其中，Ⅰ类会议主要针对药物研发过程中遇到的重大安全性问题、突破性治疗药物研发过程中的重大技术问题以及其他规定情形[1]；药审中心受理相关申请后，将在 30 日内召开会议或给予书面回复。

儿童用药研发是国家重点支持方向，2023 年 4 月药审中心发布的工作细则，从审评沟通层面激励儿童用药开发。该工作细则针对儿童临床试验计划或儿童临床试验结果的沟通交流，明确提出 4 种可按Ⅰ类会议申请沟通交流的情形。①已列入《鼓励研发申报儿童药品清单》[5] 的品种；②针对儿童患病率高且已列入罕见病目录的疾病或重大传染病而研发的品种，以及用于防治严重危及儿童生命或严

收稿日期：2026-02-24

作者简介：綦钰莹，硕士，从事药品临床审评工作。

通信作者：耿　莹，主任药师，硕士，从事药品临床审评工作。

重影响儿童生存质量的疾病，且具有明显临床优势的品种；③专为儿童使用而开发或使用人群包含儿童的创新型或改良型新药；④已在境外上市并获得儿童应用许可，且对我国儿童患者的临床治疗需求有重要价值的原研药品[3]。

2 基于沟通交流问题的资料准备建议

根据工作细则，儿童用药Ⅰ类沟通交流会议的申请，旨在围绕儿童临床试验计划或儿童临床试验结果进行讨论。因此，会议资料建议针对拟开发药物，围绕临床研究规划、临床试验相关数据等沟通议题整理。在此基础上，可同时包括其他相关的沟通问题，如儿童适宜剂型或规格的设计思路、考虑额外开展的药学研究计划、支持儿童用药开发的非临床研究资料等。

儿童相关的临床研究具有特殊性，其推进并不遵循常规的Ⅰ期、Ⅱ期、Ⅲ期临床试验顺序，其间可能采取多种灵活的策略。因此，沟通交流往往围绕具体问题展开，相关会议资料筹备要点的建议如下。

2.1 立题合理性

立题合理性是儿童用药沟通交流的首要讨论点。一般应从疾病特征、药物作用机制、同类药物研发情况及剂型和规格的适用性等维度论证立题依据。

在疾病特征方面，通常需要全面阐述目标适应证的致病机制、流行病学特征、发病年龄范围、临床表现、诊断方法、治疗策略、预后情况及未满足的临床需求。对于成人和儿童共患疾病，建议系统比对这2类人群在病理、生理、临床表现和预后等方面的异同，并结合不同年龄发育阶段，重点分析器官功能、受体表达等发育相关差异。上述分析将为儿童用药开发的必要性提供科学依据。

药物作用机制方面，通常需要阐述机制与疾病病理之间的相关性、已有的非临床研究对作用机制的支持信息，以及拟开发药物与现有或在研同机制/靶点药物的差异化特征。建议重点分析拟开发药物的作用机制/靶点是否有临床优势，明确其临床应用价值与差异化竞争潜力。

针对同类型或同机制药物研发情况的全面阐述也至关重要，包括同类药物在儿童人群中的上市应用情况、研发进展，以及已开展儿童临床试验的结果和评价。

剂型和规格的适用性也是立题合理性的重要组成部分。《儿童用药（化学药品）药学开发指导原则（试行）》指出，儿童人群的生理和心理特点与成人存在一定差异，成人剂型不一定适用于儿童人群。如果只是将成人制剂简单处理（掰片、磨粉、稀释等）后给儿童使用，可能会导致剂量不准确、药物稳定性和生物利用度改变、患者可接受性差等问题出现的风险升高[6]。因此，通常需要分析拟开发剂型和规格是否满足相应年龄段儿童用药的剂量准确性和便利性。

2.2 临床研究策略

临床研究策略与临床试验方案的资料需要呈现完整的证据体系和科学逻辑。建议提交该药品的整体研发进展，包括已完成试验、未来研发计划及与监管机构的既往沟通情况（不限于儿童、不限于境内）。

儿童临床研究计划可从多维度提供证据。①非临床研究部分应论证现有数据是否足以支持开展儿童临床试验。例如，若计划开展幼龄动物研究（juvenile animal study，JAS），应注意试验设计通常需要遵循ICH发布的S11指南《支持儿科药物开发的非临床安全性评价指导原则》（ICH S11）[7]；若不开展JAS，需阐明豁免理由，如依据ICH S11开展证据权重（weight of evidence，WoE）分析，证明现有数据已足够支持开展儿童临床试验。②临床药理学部分，一般包括儿童的药代动力学（pharmacokinetics，PK）和药效学（pharmacodynamics，PD）特性数据（如有）。同时，建议阐述在成人和儿童/儿童不同年龄亚群中预期的暴露-效应关系是否相同，分析可能影响PK和PD的内在和外在因素。③临床试验部分，一般包括成人临床试验情况、其他适应证或其他年龄段儿童临床试验情况、同类型或同机制药物研发中儿童参与的临床试验与成人临床试验的衔接策略（包括将儿童纳入成人临床试验的理由及依据，以成人临床试验进展情况为驱动的儿童临床试验的启动策略等）[6-12]。

采用模型模拟等方法进行剂量探索或数据外推，可有效提高儿童用药研发效率，为临床试验决策及临床合理用药提供量化科学依据。通常，已验证的成人模型需优先在青少年中优化并验证，再逐步在较大年龄段儿童和低年龄段儿童中进行优化、验证和外推。建议尽可能提供各阶段模型的分析计划，明确模型分析拟解决的核心技术问题，同步拟定配套的临床研究设计等。若已获得儿童 PK 数据，建议同时提供已获得的成人和儿童临床药理学研究列表、主要研究结果及儿童外推计划；若尚未获得，则建议说明后续临床试验方案及剂量选择依据[12-13]。

推荐制定并提供专门针对儿童的风险控制计划，涵盖知情同意、入选标准和随访评估等环节的特殊考量，以确保试验全过程符合伦理与科学规范[14]。

2.3 临床试验方案的设计要点

儿童人群参与的临床试验方案需要满足试验设计要素的完整性、科学性与合理性，包括但不限于研究目的、研究人群及其依据（含关键入选 / 排除标准）、设计类型、对照组选择（如适用）、给药方案及其科学依据、有效性终点选择、安全性评估计划等。对于关键临床试验（用于支持儿童适应证批准、提供主要有效性及安全性证据的临床试验），建议阐述终点选择的科学性和合理性，尤其在采用替代终点为主要终点或采取特定评估的情况下，需要重点阐述。安全性评估一般需要明确关键评估要素的时间节点和随访时长，若研究期间无法充分评估某些安全性特征，建议说明上市后长期随访研究的必要性及具体计划[9-10]。

为确保统计分析方法的科学性和严谨性，提交的资料包括但不限于统计学假设（若有界值，建议说明其合理性）、多重性控制策略、估计目标、样本量估计及其相关参数依据、主要终点指标的衍生（若有）、随机化方法、盲法实施、数据集、主要统计分析方法、敏感性分析、亚组分析、补充分析等。若临床试验设置期中分析，通常需要说明目的，并根据需要成立数据监查委员会（data monitoring committee，DMC），尽早撰写相应章程。若采用复杂、创新的设计，建议提供相关参考文献，说明模拟分析采用的软件及版本，并递交相应程序及结果。若采用真实世界研究方式，可参考相关指导原则的建议进行设计[15-16]。

2.4 儿童用药的药学开发考量

儿童用药的药学开发通常需要在遵循常规药物开发方法的基础上，参考《儿童用药（化学药品）药学开发指导原则（试行）》总体原则开展相关的药学研究工作。对于沟通会议的资料准备，建议重点关注给药途径和剂型合理性、辅料安全性以及给药剂量准确性等问题。

给药途径和剂型合理性的分析，一般需要评估目标年龄人群对制剂的特殊需求，以及现有药物是否满足需求。不同年龄段儿童在吞咽能力、胃肠道功能、代谢特点等方面存在差异，药学开发时建议重点评估制剂对目标年龄人群的适宜性，即给药途径、剂型、规格和给药方式与目标年龄段儿童是否相匹配。同时，建议关注包装 / 给药装置 / 量取装置的适宜性评估，确保给药剂量的准确性和使用便捷性。

辅料种类和用量的安全性，一般需要参照相关指导原则进行系统评估，并提供充分的评估依据。若支持辅料用于目标年龄儿童人群的资料不充足，则考虑展开进一步的安全性试验。

患者可接受性也是儿童用药开发的重要因素，资料中需要提供可接受性（包括适口性等）的研究计划或结果[6,17-18]。

2.5 支持儿童适应证批准的条件

在儿童适应证申报前的沟通交流中，建议全面阐述支持儿童适应证批准的条件，包括关键临床试验的设计和结果、支持性研究证据、外推策略和结果等。在儿童用药研发的外推设计中，建议对外推合理性开展系统性论证，明确外推实施的前置条件，重点佐证参照人群与目标儿童人群的疾病病理特征、临床治疗反应的可类比性。此外，外推结果需要呈现完整的证据链，包括基于模型模拟的分析等。

药物的整体安全性概况是支持儿童适应证批准的重要依据。在上市前沟通交流中，通常需要提供已获得的整体安全性数据。儿童人群的临床药理学研究部分，应包括已完成的研究列表、主要结果及

暴露 - 效应关系分析。若采用模型模拟结果作为药品注册上市的关键证据，则须提供完整的模型分析报告。建议说明现有数据是否支持药品上市，以及研发期间的变更（可能影响安全性 / 有效性）情况。

2.6 豁免儿童临床试验策略的科学依据

如计划采用豁免儿童临床试验的策略支持儿童适应证的注册，通常须提供充分的科学依据和风险控制措施，包括新药临床试验申请前的临床背景资料，以及采用豁免方式支持注册的详细理由和依据。资料中应尽可能深入分析药物作用靶点 / 机制与儿童应用中疗效和安全性的关系，提供同类型 / 同机制药物研发注册策略的参考信息，说明拟开发药物在其他儿童相关适应证上的临床应用 / 研究情况，以及在境外已获批相同儿童适应证的临床应用 / 研究情况。若采用模型模拟或真实世界研究数据等方法支持豁免，建议提供来源可靠的数据或文献报告[15-16]，并完整呈现数据分析结果。此外，建议制定并提供上市后风险控制措施或临床研究计划[14]。

3 总结与展望

儿童用药沟通交流Ⅰ类会议是解决儿童用药研发过程中重大技术问题的重要机制，会议资料的质量直接影响沟通的成效和研发进度。文章系统阐述了儿童用药沟通交流Ⅰ类会议资料准备的核心要素与规范要求，从立题合理性、临床研究策略、临床试验方案设计要点、药学开发考量、支持批准条件，以及豁免儿童临床试验策略的科学依据这 6 个维度，对沟通资料准备内容提出建议。

基于现行法规和笔者的审评实践，本文归纳出儿童用药沟通交流的 3 项发展趋势：①监管要求趋于精细化和专业化；②沟通问题将更多涉及创新技术方法和策略；③沟通交流质量和效率将持续提升。

儿童用药研发是药品监管科学领域的重点与难点，高质量的沟通交流是加快儿童用药上市进程的重要保障。在深入理解法规要求、充分把握儿童用药研发规律的基础上，规范筹备沟通交流会议资料，能助力多方开展高效、高质量的沟通，从而更快地推动儿童用药的研发与上市，切实满足我国儿童患者的临床用药需求。

参考文献：

[1] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于修订发布《国家药品监督管理局药品审评中心药物研发与技术审评沟通交流管理办法》的通告（2026 年 第 28 号）[EB/OL]. (2026-04-03) [2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/a1ef860edff5535daba48f9e537a7a17.

[2] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《药物研发与技术审评沟通交流会议申请资料参考》的通知 [EB/OL]. (2024-02-07) [2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/7756dd43ef961ae205f9ba96de480e15.

[3] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药品监督管理局药审中心关于发布《儿童用药沟通交流中Ⅰ类会议申请及管理工作细则（试行）》的通告 [EB/OL]. (2023-04-18) [2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/050ba299a85fcc3dd69a6e5bd150e6d8.

[4] 国务院办公厅. 国务院办公厅关于全面深化药品医疗器械监管改革促进医药产业高质量发展的意见 [EB/OL]. (2024-12-30) [2026-02-04]. https://www.gov.cn/zhengce/content/202501/content_6996115.htm.

[5] 中华人民共和国国家卫生健康委员会药物政策与基本药物制度司. 关于印发第五批鼓励研发申报儿童药品清单的通知 [EB/OL]. (2024-08-30) [2026-02-24]. https://www.nhc.gov.cn/yaozs/c100098/202409/db9536599489440ea8892b1ff981de88.shtml.

[6] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《儿童用药（化学药品）药学开发指导原则（试行）》的通告 [EB/OL]. (2020-12-31) [2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/95102a5facaf8fd4430d0916a24eab53.

[7] ICH. ICH S11: nonclinical safety testing in support of development of pediatric pharmaceuticals [EB/OL]. (2020-04-14) [2026-02-24]. https://database.ich.org/sites/default/files/S11_Step4_FinalGuideline_2020_0310.pdf.

[8] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《生理药代动力学模型在儿科人群药物研发中应用的技术指导原则》的通告 [EB/OL]. (2023-03-27) [2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/c1ccd4f7d92531ead702938347b75874.

[9] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《儿童抗肿瘤药物临床研发技术指导原则》的通告 [EB/OL]. (2023-03-22) [2026-02-24]. https://www.cde.

org.cn/main/news/viewInfoCommon/ee059ce189bfd770522ebbb8b5b78023.

[10] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《儿童用药研发常见/共性问题及一般性答复》的通告[EB/OL]. (2025-10-11)[2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/bccd09f6a6a311ffb5827be1e0389df0.

[11] ICH. ICH E11(R1): Addendum to ICH E11: clinical investigation of medicinal products in the pediatric population E11(R1)[EB/OL]. (2017-08-18)[2026-02-24]. https://database.ich.org/sites/default/files/E11_R1_Addendum.pdf.

[12] ICH. ICH E11A: pediatric extrapolation[EB/OL]. (2024-08-21)[2026-02-24]. https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_E11A_Guideline_Step4_2024_0821.pdf.

[13] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《成人用药数据外推至儿科人群的定量方法学指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2023-04-12)[2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/ce89e86db19fa67465b35e5c9c5fbf6a.

[14] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《儿童药物临床试验安全信息评估与报告技术指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2025-05-23)[2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/d3762909c55ef21c7fc533d8ba826d40.

[15] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《真实世界证据支持药物注册申请的沟通交流指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2023-02-06)[2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/8b59a85b13019b5084675edc912004f1.

[16] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《真实世界研究支持儿童药物研发与审评的技术指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2020-08-27)[2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/6906389100848948deb49a484197902b.

[17] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《儿童用化学药品改良型新药临床试验技术指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2021-09-03)[2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/924cbea7b9ce702f48196eb8f80d5479.

[18] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《儿童用药口感设计与评价的技术指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2024-10-28)[2026-02-24]. https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/35fa15bba5721b0c653262d14792f3b6.