

化学药物综述资料撰写的格式和内容的
技术指导原则
——立题目的与依据

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.....	5
(五) 综合分析	6
(六) 参考文献	6
三、著者.....	6

一、概述

按照《药品注册管理办法》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”。该项资料用以阐明注册申请药物的研发背景、目的及依据。

本指导原则系根据《药品注册管理办法》的有关要求制订。其目的是从药品注册的需要出发，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，以指导、规范该项申报资料的撰写。

药品研发的目的是满足临床的需要。因此，立题目的应着重阐述所研发药物的临床需求和现有药物应用的局限性等。立题依据的阐述应基于对所申报药物的自身特点，临床应用的效益/风险，国内外有关该类药物研发、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

本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、基本理化性质；
- （3）所申报药物的药理作用及作用机制；

(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) 拟用于临床的适应症及用法用量；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) 所申报药品的注册分类及其依据，并明确是否为原研发品种。非原研发品种应说明原研发药物的基本情况，包括原研发单位、国别或地区；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) 申报上市时，应注明临床试验的批件号及批准时间等。

2、其他：

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

申报制剂时，应说明原料药的来源及执行的质量标准，以及本申报单位有无同一原料药的其他制剂品种的申报。

(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。

简述作用机制相同或类似药物及化学结构类型相同或类似药物中，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、简述所申报药品研发的科学依据、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、简述其他与立项有关的背景资料。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项背景、科学依据和目的。

（三）品种的特点

在第二部分阐述所申报药品立项背景的基础上，结合品种的具体情况，阐述其相关特点，以说明立项依据。相关特点一般可从以下方面考虑：

1、化学结构、理化性质方面的特点。

2、药理作用、作用靶点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/或人体主要药代动力学参数、血浆蛋白结合率、药物分布、代谢方式、排泄途径、生物利用度等。

4、毒性及不良反应特点，从动物的急性毒性、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、依赖性、致癌性等主要试验结果，临床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。从药物的理化性质和生物学性质、临床用药的依从性和临床治疗的需要等方面进行阐述。

若申报的制剂为该药物国内外尚未上市的新剂型或改变给药途径，应与现有剂型或给药途径进行安全性、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、优势或改变给药途径的依据。

6、复方制剂的组方特点。申报复方制剂时，应详细说明复方制剂的组方依据。如为国外已上市的复方制剂，应说明国外研究与应用的情况。如为原研发的复方制剂，应结合拆方试验结果，阐述各组分的剂量和比例选择依据，以及各组分药效、毒性相互作用等情况。

7、申报增加适应症的品种，应阐述增加适应症的依据，如临床前药效学研究结果，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，如药物经济学方面的考虑等。

（四）国内外有关该品种的知识产权等情况

简述国内外与所申报药品有关的专利情况(包括申请、授权、期限、法律状态等)。

简述与所申报药品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，应说明已上市同品种的新药保护期、过渡期、

监测期等情况。

明确所申报药品是否涉及侵权等问题。

（五）综合分析

在上述对所申报药品的立题背景、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，临床定位、临床应用的效益/风险比，药物经济学等方面对申报的药品进行综合分析与评价，进一步阐明其立题目的与依据。

（六）参考文献

按文中引用的顺序列出有关的参考文献目录，并附主要文献的原文及中文摘要（不包括其它申报资料中引用的文献）。

三、著者

《化学药物综述资料撰写的格式和内容的技术指导原则》课题研究组