



国家食品药品监督管理总局
China Food and Drug Administration

CFDA

《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范（试行）》解读

2016年11月01日 发布

为规范特殊医学用途配方食品临床试验研究过程，保证临床研究结果的科学性、可靠性，保护受试者的权益并保障其安全，根据《中华人民共和国食品安全法》及其实施条例、《特殊医学用途配方食品注册管理办法》，食品药品监管总局制定颁布了《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范（试行）》（以下简称《规范》）。现就有关问题解读如下：

一、《规范》制定背景？

2015年4月24日，第十二届全国人大常委会第十四次会议修订通过的《中华人民共和国食品安全法》第八十条规定“特殊医学用途配方食品应当经国务院食品药品监督管理部门注册。注册时，应当提交产品配方、生产工艺、标签、说明书以及表明产品安全性、营养充足性和特殊医学用途临床效果的材料”。

2016年3月7日颁布的《特殊医学用途配方食品注册管理办法》（国家食品药品监督管理总局令第24号）规定：申请特定全营养配方食品注册，需要进行临床试验，提交临床试验报告；临床试验应当按照特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范开展。

为此，总局组织起草了《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范（征求意见稿）》，于2016年4月15日至5月15日公开征求社会意见，并征求国家卫生计生委等部门意见后，制定发布了本《规范》。

二、《规范》包括哪些主要内容？

《规范》包括总则、临床试验实施条件、职责要求、受试者权益保障、临床试验方案内容、试样用产品管理、质量保障和风险管理、数据管理与统计分析、临床试验总结报告内容、其他、附则共十一章五十二条内容。

三、哪些机构可以开展特殊医学用途配方食品临床试验？

满足下列要求的机构可以开展特殊医学用途配方食品临床试验：（1）应当为药物临床试验机构；（2）具有营养科室和经过认定的与所研究的特殊医学用途配方食品相关的专业科室；（3）具备开展特殊医学用途配方食品临床试验研究的条件。

四、是否需要食品药品监管部门批准后方可开展特殊医学用途配方食品临床试验？

开展特殊医学用途配方食品的临床试验无须食品药品监管部门批准，申请人、临床试验单位、研究者等相关主体按照本《规范》要求即可开展临床试验。食品药品监管总局相关核查机构可对临床试验的真实性、完整性、准确性等情况进行现场核查。

五、临床试验用特殊医学用途配方食品（试验样品）需要符合哪些要求？

试验样品由申请人提供，并符合以下要求：（1）产品质量要求应当符合相应食品安全国家标准和（或）相关规定；（2）按照与申请注册产品相同配方、相同生产工艺生产，生产条件应当满足《特殊医学用途配方食品良好生产规范》相关要求；（3）应当经具有法定资质的食品检验机构检验合格。

六、如何选择临床试验用对照样品？

临床试验用对照样品应当是已获批准的相同类别的特定全营养配方食品。如无该类产品，可选择已获批准的全营养配方食品或相应类别的肠内营养制剂。

七、哪些主体与临床试验相关？其主要职责包括哪些？

与临床试验相关的主要主体包括申请人、临床试验机构、伦理委员会、监查员等。

申请人负责发起临床试验，并对试验的启动、管理、财务和监查负责。申请人同时对临床试验用产品的质量及临床试验安全负责。

临床试验机构应当具备相应的资质及条件，负责临床试验的实施，并在临床试验完成后形成临床试验总结报告。

伦理委员会负责对临床试验项目的科学性、伦理合理性进行审查，批准后方可进行临床试验；并负责在临床试验进行过程中对批准的临床试验进行跟踪审查。

监查员负责在临床试验期间，定期到试验单位监查并向申请人报告试验进行情况；保证受试者选择、试验用产品使用和保存、数据记录和管理、不良事件记录等按照临床试验方案和标准操作规程进行。

八、如何选择临床试验设计方法？

特殊医学用途配方食品临床试验应当遵循随机、对照和重复的原则。《规范》规定特殊医学用途配方食品临床试验原则上应采用随机对照试验，如采用其他试验设计的，需提供无法实施随机对照试验的原因、该试验设计的科学程度和研究控制条件等依据。

九、《规范》对保障受试者权益作了哪些规定？

《规范》对保障受试者权益的主要规定有：申请人应当制定临床试验质量控制和质量保证措施并有效执行；临床试验方案的科学性、伦理性必须经伦理委员会审查批准后方可进行临床试验；所有参与试验人员必须具备相应资质并经过培训合格；受试者对临床试验知情同意；试验期间出现的所有不良事件均能得到及时适当的治疗和处置；受试者自愿参加试验，无需任何理由有权在试验的任何阶段退出试验，且其医疗待遇与权益不受影响；发生与试验相关的损害时将获得治疗和（或）相应的补偿；受试者参加试验及在试验中的个人资料均应保密等。

十、特殊医学用途配方食品临床试验的观察例数、观察时间？

为保证有足够的研究例数对试验用产品进行安全性评估，试验组不少于100例。同时，受试者入选时，应充分考虑试验组和对照组受试期间临床治疗用药在品种、用法和用量等方面应具有可比性。

依据研究目的和拟考察的主要实验室检测指标的生物学特性合理设置观察时间，原则上不少于7天，且营养充足性和特殊医学用途临床效果观察指标应有临床意义并能满足统计学要求。

十一、临床试验的观察指标有哪些？

《规范》规定特殊医学用途配方食品临床试验观察指标包括安全性（耐受性）指标及营养充足性和特殊医学用途临床效果观察指标。

安全性（耐受性）指标：如胃肠道反应等指标、生命体征指标、血常规、尿常规、血生化指标等。

营养充足性和特殊医学用途临床效果观察指标：保证适用人群维持基本生理功能的营养需求、维持或改善适用人群营养状况，控制或缓解适用人群特殊疾病状态的指标。

十二、是否可以开展多中心临床试验，如可以，有哪些要求？

《规范》规定特殊医学用途配方食品可进行多中心临床试验。进行多中心临床试验的，统一培训内容，临床试验开始之前对所有参与临床试验研究人员进行培训。统一临床试验方案、资料收集和评价方法，集中管理与分析数据资料。主要观察指标由中心实验室统一检测或各个实验室检测前进行校正。临床试验病例分布应科学合理，防止偏倚。

十三、《规范》对临床试验期间的不良事件有何规定？

《规范》规定参与临床试验的研究者及试验单位保证受试者在试验期间出现不良事件时得到及时适当的治疗和处置；发生严重不良事件采取必要的紧急措施，以确保受试者安全，并在确认后24小时内由研究者向负责及参加临床试验单位的伦理委员会、申请人报告，同时向涉及同一临床试验的其他研究者通报。

所有不良事件的名称、例次、严重程度、治疗措施、受试者转归及不良事件与试验用产品的关联性等应详细记录并分析。严重不良事件应单独进行总结和分析并撰写病例报告。

十四、申请人在产品注册申请阶段需要提交哪些临床试验相关资料？

申请人在产品注册申请时应当提交以下临床试验相关资料包括：国内/外临床试验资料综述、合格的试验用产品检验报告、临床试验方案、研究者手册、伦理委员会批准文件、知情同意书模板、数据管理计划及报告、统计分析计划及报告、锁定数据库光盘（一式两份）、临床试验总结报告。