

《真实世界数据支持药品安全性主动监测的一般原则（征求意见稿）》起草说明

一、起草背景

药品安全性主动监测（以下简称“主动监测”）通常可获得与已上市药品有关的，更为全面、详尽的不良事件数据，与自发报告互为补充。真实世界数据是主动监测的主要数据来源，主动监测是获取临床用药真实世界数据用于上市药品安全性评价的重要途径。

如何利用真实世界数据开展药品安全性主动监测还存在诸多技术问题需要予以明确。为此，国家药品监督管理局药品评价中心（以下简称“药品评价中心”）起草本指导原则，旨在为药品上市许可持有人、药品监管机构人员、科研工作者等开展主动监测提供参考，规范和促进主动监测及真实世界证据在药品安全性评价中的应用。

二、起草过程

（一）前期研究基础

2017年起，药品评价中心组织国内多家医疗机构、医学类高校，开展基于电子诊疗数据的主动监测试点研究，汇集医疗大数据建设药物性肝损伤、药物性肾损伤主动监测评价平台。2020年，药品评价中心发布《药品安全性主动监测工作要点（试行）》，作为监测机构开展相关工作的参考。2019年起，由国家药监局药品监管司牵头，药品评价中心组织实施的中国药品监管科学行动计划首批重点项目、第二批重点

项目，围绕真实世界数据及主动监测开展了一系列研究，包括真实世界数据在上市后药品安全性监测和评价中的适用范围、应用价值、伦理风险、基本原则，基于真实世界数据的主动监测评价方法及实证研究等。

（二）起草论证情况

药品评价中心与四川大学华西医院中国循证医学中心组织起草小组，邀请临床、科研、监测、监管等机构专家参与起草。在系统梳理前期研究成果、实践案例及国内外相关监管政策文件的基础上，形成指导原则初稿。

2024年1月、4月两次组织专家会对指导原则初稿进行充分讨论论证。经进一步修改完善并征求药品评价中心相关部门意见，形成征求意见稿。

三、起草思路

本指导原则的起草突出问题导向，围绕上市药品安全性评价及安全监管要求，目的是进一步规范和促进主动监测及真实世界证据在药品安全性评价中的应用。

本指导原则主要针对四个关键问题，一是主动监测可获取利用的真实世界数据的来源及类型，二是真实世界数据支持主动监测的具体适用范围，三是基于主动监测数据产出真实世界证据的方法体系，四是主动监测如何科学规范的实施。

作为真实世界数据支持药品安全性主动监测的一般原则，本指导原则的内容及要求相对概括，相关研究设计及统计分析方法、数据及研究质量管理、评价标准及报告规范等具体要求将通过后续发布配套技术文件解决。

四、主要内容

本指导原则共分为六章。

第一章 概述，主要介绍技术指导原则的产生背景。

第二章 主动监测目的，说明主动监测研究维度及实施目的。

第三章 主动监测获取真实世界数据的来源、类型，根据数据形成的原因，将其分为研究特定安全性问题形成的数据、常规诊疗过程形成的数据、其他研究/管理目的形成的数据。

第四章 真实世界数据支持药品安全性主动监测的适用范围，列举了主要适用场景。

第五章 主动监测实施的一般流程，主要包括：明确研究目的；制定研究方案；确定适宜的真实世界数据来源、类型；获取主动监测数据；开展数据治理/数据管理，构建研究数据集；基于研究方案进行统计分析，开展信号检测、信号评价、风险评估，制订风险管理措施等。

第六章 主动监测的一般考虑，包括对数据的一般要求、用于信号检测的考虑、用于信号评价/风险评估的考虑。

附件

《真实世界数据支持药品安全性监测评价的一般原则（征求意见稿）》起草论证专家名单

一、起草小组

药品评价中心：宋海波、刘硕、漆燕

四川大学华西医院中国循证医学中心：王雯、徐嘉悦、姚明宏

二、参与起草专家

沈传勇、田春华、何俏、孙鑫、黎国威、黄丽红、温泽淮

三、参与论证专家

高培、管晓东、黄凌、刘恩梅、刘茂柏、刘晓清、商洪才、沈爱宗、吴嘉瑞、谢雁鸣、熊慧瑜、袁洪、詹思延、肖小河、张冰、张相林、谭婧、孙凤、王连心、王丹、王涛