《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范》解读

为落实食品安全“四个最严”要求，进一步完善特殊医学用途配方食品（以下简称特医食品）注册工作，规范特医食品临床试验过程，保证数据及结果的科学、真实、可靠，保护受试者、消费者的安全和权益，保证产品质量安全，市场监管总局修订发布了《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范》（以下简称《规范》）。现就相关内容解读如下：

一、《规范》的适用范围是什么？

本规范适用于为申请特医食品注册而开展的临床试验。《规范》涵盖特医食品临床试验全过程的质量管理，包括方案设计、组织实施、数据管理与统计分析、临床试验总结和报告。

二、《规范》整体框架做了哪些调整？

按照临床试验开展顺序调整章节设置，各章节以临床试验全过程质量管理为主线，将2016版《规范》中的临床试验实施条件、受试者权益保障、试验用产品管理等内容划归入职责要求及临床试验实施章节，便于操作执行，同时进一步细化明确各参与方的具体职责。

三、《规范》的主要内容包括哪些？

《规范》共8章、55条，包括总则、职责要求、临床试验方案、临床试验实施、数据管理与统计分析、临床试验报告、术语和定义、附则。

总则章节明确法律依据、适用范围、临床试验机构应具备的条件和试验样品应符合的要求等；职责要求章节规定申请人、伦理委员会、研究者和临床试验机构承担的主要职责；临床试验方案章节概述了方案基本信息、研究背景、试验目的、试验设计、试验管理等内容；临床试验实施章节规定了各参与方在临床试验实施全过程中的主要工作；数据管理与统计分析章节对数据管理和分析过程、计划和报告内容作出要求；临床试验报告章节概述了报告的一般要求、主要内容、签章要求等；术语和定义章节对相应名词进行解释；附则章节提出施行日期。

四、哪些临床机构可以开展特医食品临床试验？

承担特医食品临床试验的医疗机构应当具有临床营养科以及与所研究的特医食品相关的专业科室；具备开展特医食品临床试验相应的组织管理能力、专业技术能力、伦理审查能力等条件；有药品注册临床试验经验；并在国家市场监督管理总局特殊食品验证评价技术机构备案信息系统备案。

五、《规范》对临床试验方案设计要求有哪些调整？

《规范》结合临床试验开展实际和产业发展现状，对受试者人数和试验周期不再作具体数量要求，调整为根据不同疾病类型及试验设计，在满足统计学要求的基础上确定“样本量”及“试验周期”。同时删除了安全性等临床试验观察指标举例，相关内容可根据产品特点、适用人群等具体情况设置，也可参照相应类别产品的临床试验技术指导原则。

六、对临床试验方案和临床试验报告有哪些要求？

临床试验方案应详细描述本试验研究目的，方案设计应当依据产品配方特点和营养学特征、适用人群等，注重产品的实际临床应用效果，并说明试验设计的科学性、合理性依据。《规范》明确了特医食品临床试验方案和临床试验报告的主要内容、一般要求、体例格式等，确保临床试验方案可行性和临床试验报告质量。

七、《规范》对受试者权益保障主要体现在哪些方面？

借鉴国际通行的指导原则，《规范》进一步强调了申请人、伦理委员会、研究者、监查员和临床试验机构的主体职责，明确临床试验过程中各主体对受试者诉求、保护受试者权益、考虑受试者的治疗等质量管理要求，确保受试者的安全和权益，与人用药品技术要求国际协调理事会相关指导原则基本要求一致。

八、《规范》针对特医食品特点主要体现在哪些方面？

结合特医食品临床使用实际，《规范》在临床试验方案和临床试验报告等章节，增加了特医食品配方特点和营养学特征、适用人群特点相关内容，整体注重产品的实际临床应用情况，强调试验设计的科学性、合理性依据，为产品研发和临床试验质量控制提供有针对性的参考。

九、对特医食品临床试验样品有哪些要求？

试验样品由申请人免费提供，并对试验样品和对照样品的质量安全负责。试验样品应符合：1.质量要求应符合相应食品安全国家标准和（或）相关规定；2.应按照与申请注册产品相同配方、相同生产工艺、相同产品标准要求生产试验样品；3.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。

十、特医食品临床试验用样品管理包括哪些内容？

临床试验实施过程中各主体对试验用样品的职责包括：1. 伦理委员会应当审查具有法定资质的食品检验机构出具的试验样品检验报告。2.申请人应制定试验用样品的质量管理规程，保证其临床试验期间的稳定性，并对试验用样品质量及临床试验安全负责。试验用留样样品应至少保存至样品保质期结束。3.临床试验机构和研究者对申请人提供的试验用样品有管理责任。研究者应确保试验用样品按照临床试验方案使用，应当向受试者说明试验用样品的使用方法。临床试验用样品不得他用、销售或变相销售。

十一、临床试验报告包括哪些内容？

临床试验报告主要包括首页、摘要、引言、正文及附件。其中，附件应当包括：1.伦理委员会批准件、临床试验方案、知情同意书样本及病例报告表；2.研究者、研究人员、监查员、数据管理人员及统计分析人员的名单；3.临床试验机构及参与临床试验单位的信息、总随机表、试验用样品的检验报告及标签说明书样稿、严重不良事件及研究者认为需要报告的重要不良事件病例报告、统计分析报告、各分中心的临床试验小结和临床研究主要参考的文献等。