

外资制药公司资助的 IIT，共识与建议

使用说明：

本文件由 RDPAC 医学事务工作组（Medical Affairs Sub-Working Group）整理及撰写，仅供行业交流和参考，不当之处欢迎批评指正。

如需转发，请提前与 RDPAC 医学事务工作组取得联系。

外资制药公司资助的 IIT，共识与建议

2023 年 3 月，第一版

一、定义

- 外资制药公司资助的 IIT（Investigator Initiated Trial）是指，针对研究者/研究机构自发开展临床研究而提出的资助申请*，因其研究方向符合外资制药公司在产品或治疗领域证据生成的策略关注方向，经外资制药公司批准后由其按需提供支持（资金/药物/资金和药物）并获得研究结果（研究报告和/或文章发表）。
- 外资制药公司资助的 IIT，通常不包括如下情形：
 - 1) 单纯以推动学术进步为目的的科研基金项目
 - 2) 化合物纯粉的申请
 - 3) 以新药或新适应症注册为目的的研究

* 注释：IIT 的研究类型，严格意义上是临床研究；但在实践中的某些场合，IIT 的研究类型指代可能更加广泛，还包含临床前研究、流行病学研究等。

二、价值定位

- IIT 在制药企业发起的研究（IST，Industry Sponsored Trial）之外，探索公司相关药品和/或治疗领域的策略性医学问题，从而推动医学进步、提升医疗水平、造福患者，包括但不限于：探索已上市药品的新适应症、优化用法用量、特殊人群的疗效安全性，治疗领域的疾病预防、诊断、治疗策略及预后等。
- IIT 研究结果的具体价值定位，具有较高的异质性，主要取决于其创新性和研究质量。
- 国内 IIT 的发展目标：在数据质量达到指南更新，甚至监管机构研究核查的相关要求。为达到此目标，需统一各方对于 IIT 的认识，建立系统、规范化的培训和管理体系。

三、主要痛点及建议

IIT 在我国的认知度和研究质量在持续提升，但目前仍存在定义/边界模糊、目标多样、多方参与但理解不尽一致的情况，影响 IIT 的研究进度和研究质量，导致 IIT 研究延期甚至被迫中止。

- 1) 定义/边界模糊：IIT 是基于发起方定义的研究类型；而非以研究目的、或研究设计类型、或药品生命周期的阶段进行定义和划分。应避免混淆（如，将 IIT 完全限定于药品上市后研究，将 IIT 完全等同于真实世界研究）。
- 2) 目标多样：IIT 适合于疾病和/或治疗的科学探索（通常为探索性，而非验证性），应避免过度期待（如，通常情况下，IIT 无法替代验证性的新药/新适应症注册研究的地位；但是，IIT 研究探索的成果，可以作为开展进一步以注册为目的研究的重要参考，或作为注册申报资料的参考文献）。
- 3) 权责理解不尽一致：存在研究者/研究机构依赖制药公司开展 IIT 研究的设计、实施和管理的需

求，但此需求不符合外资制药公司的合规原则。各方在 IIT 研究申请阶段，应尽早就权责达成一致，并充分预见 IIT 研究中研究者需要完成的各项任务和潜在挑战（可参考附件《IIT 介绍及准备要点清单》）。

其他建议：

- 1) 考虑到药品在中国的生命周期有缩短趋势，整体上应避免长期 IIT 研究，但具体领域/产品需具体分析。
- 2) 考虑到 IIT 从审批到启动的时长（1-2 年），IIT 的设计应更具有超前性。

四、研究者的职责

研究者及研究机构/中心承担临床试验规范（GCP）中规定的申办者和研究者的责任，包括但不限于：

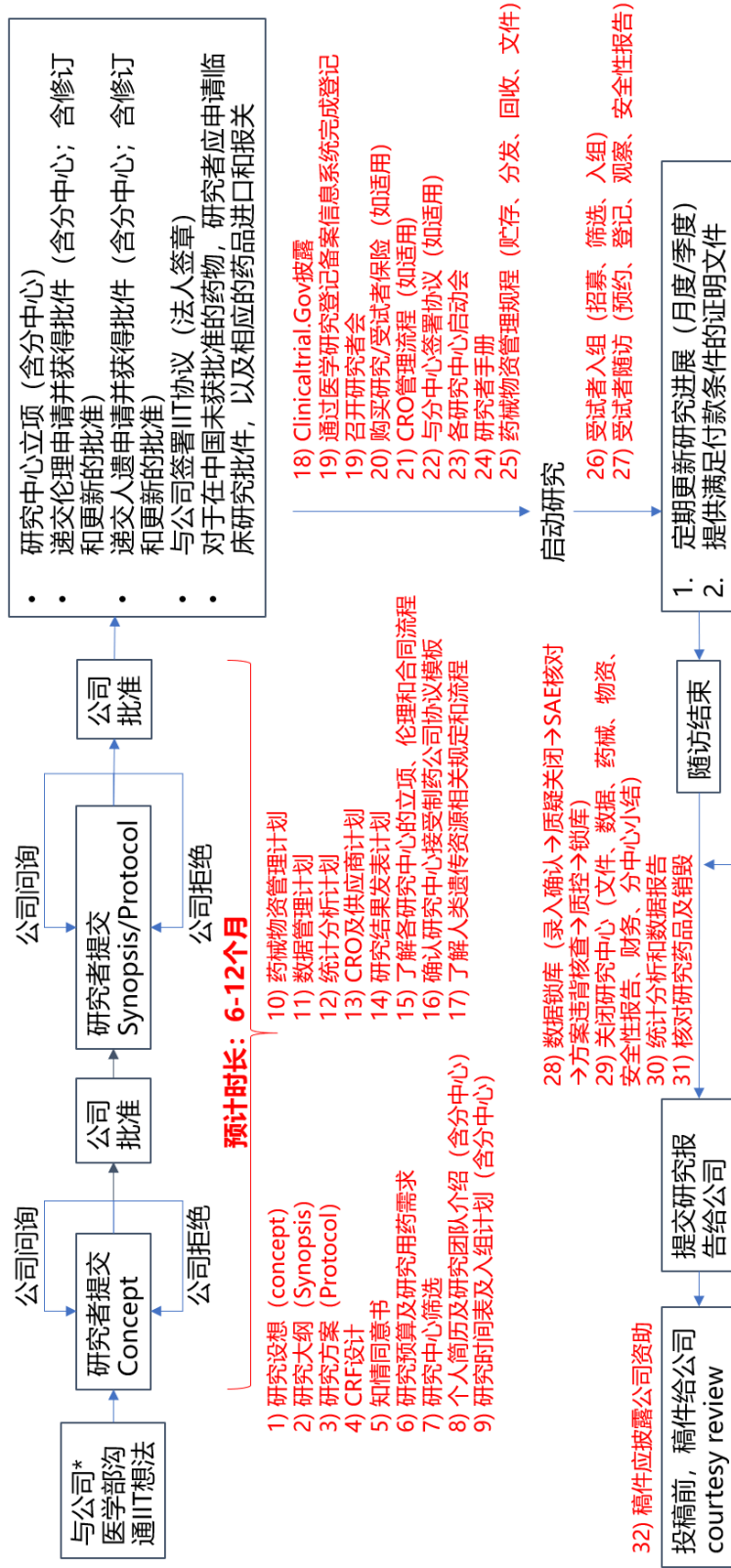
1. 同时作为研究者和申办者，设计和发起研究，负责完成撰写研究设想(Concept)、研究大纲(Synopsis)和研究方案(Protocol)，并根据 GCP 和国家的法律法规管理和实施研究，并确保研究成员接受相应培训和具备相应资格
2. 递交申请并获得伦理委员会的批准，并在其监督下进行试验（含分中心；含修订和更新的批准）
3. 递交申请并获得人类遗传资源的批准，并在其监督下进行试验（含分中心；含修订和更新的批准）
4. 根据《医疗卫生机构开展研究者发起的临床研究管理办法（试行）》，及相关法律法规、规范性文件和国际惯例等要求，完成临床研究涉及的行政审批、备案、登记、注册等事项
5. 必要时获得药政管理部门的批准；对于在中国未获批准的药物，研究者应申请临床研究批件，以及相应的药品进口和报关
6. 依据药政管理法规及公司 SOP，履行相关义务，例如：不良事件报告等
7. 获得患者签署的知情同意书；负责研究过程中不良事件及健康损害的处理和赔偿
8. 确保研究按照协议中的时间表进行
9. 依据研究方案中的研究目的和终点，提供研究报告和/或文章稿件
10. 资金的使用目的仅限于与研究相关的内容，并在出版物中注明公司为研究提供了资助

五、外资制药公司及其员工被禁止：

1. 作为申办者
2. 在合同签署之前提供任何 IIT 支持
3. 以任何技术或科学的形式参与研究的设计、实施和管理
4. 接受受试者的任何研究数据
5. 提供任何形式的赔偿
6. 与研究机构之外的其他法律实体签署协议

六、IIT 流程及研究者任务一览

外资制药公司IIT流程及研究者任务一览



* 外资制药公司均简称为“公司”

七、现状概述（基于 7 家研发型外资制药公司的反馈）

A IIT 的定位（Position）

1. IIT 目前被作为策略性证据生成的重要补充形式之一存在（在公司发起研究的基础上），具有不可或缺性。
2. IIT 研究数据的所有人为研究者/研究机构，但制药公司可获得使用权。

B 公司层面的管理（Governance）

1. IIT 普遍有 SOP 可供遵循，但均为全球性 SOP，仅有一家公司正在考虑起草中国本地 SOP。
2. IIT 的决策权和预算审批设置普遍在公司总部，仅少数公司的 IIT 决策权和/或预算审批在中国本地。IIT 的资助力度取决于研究预算的公平市价和公司的预算能力。
3. IIT 方案的公司审核方以医学事务和医学统计为基础（关注于科学性和策略价值）。针对不同的研究设计类型，各家公司有其他相关职能参与审核（如药物安全、HEOR、临床运营、研发）。外展可涉及法务（专利）、财务、合规、注册。
4. IIT 资助必须在合同签署之后发生，且必须使用制药公司的合同模板。
5. IIT 的内部管理为过程管理，没有针对员工的 KPI，但有内部审计；IIT 在公司内部，通常由医学顾问职能主导，临床运营职能协助项目管理，但具体分工各司各异。
6. 原则上，干预性研究 IIT 中与公司相关的研究药物，公司应免费提供给研究者/研究机构。
7. IIT 的结束通常以提交研究报告和/或研究结果提交发表/完成发表为标志。

C 执行（Execution）

1. IIT 的申请通常由研究者/研究机构在各制药公司专门搭建的 IIT 外部网站上提交。
2. IIT 的公司审批流程包含 2-3 轮，完整审批流程实际耗时 6-12 个月，审核频度为月度至年度；IIT 从获得公司批准至研究启动（FPFV）的实际耗时 6-12 个月。
3. IIT 延期（定义为 IIT 合同签署之后，不能按照计划的时间表完成进度）是普遍情况，高达 50-90% 的 IIT 存在不同程度的延迟（数月至数年），甚至被迫终止。IIT 中约 30-70% 为多中心研究，研究中心数量与 IIT 的进度延期程度之间呈正相关性。

D 外部监管（Regulatory）

1. 2021 年《国家医疗卫生机构开展研究者发起的临床研究管理办法（试行）》的发布，对 IIT 的规范性，发挥了重要作用。
2. IIT 涉及 HGR 的要求和公司职责有待进一步明确，基于《国家医疗卫生机构开展研究者发起的临床研究管理办法（试行）》，原则上是属于研究者/研究机构的职责。

八、部分 IIT 相关法律法规及条例

法律法规及条例	发布者	发布日期	生效日期	链接地址
《医疗卫生机构开展研究者发起的临床研究管理办法（试行）》	国家卫健委	2021年9月9日	2021年10月1日起	http://www.nhc.gov.cn/qjjys/s7945/202012/630fa2bf316d48a4856f8727450c429b.shtml
《中国人类遗传资源管理条例》	国务院	2019年6月10日	2019年7月1日起	http://www.gov.cn/zhengce/content/2019-06/10/content_5398829.htm#:~:text=
《人类遗传资源管理条例实施细则（征求意见稿）》	科技部	2022年3月22日	征求意见稿 无生效日期	https://www.most.gov.cn/tztg/202203/t20220322_179904.html
《涉及人的生物医学研究伦理审查办法》	国家卫计委	2016年10月21日	2016年12月1日起	http://www.nhc.gov.cn/fzs/s3576/201610/84b33b81d8e747eaf048f68b174f829.shtml
《涉及人的生命科学和医学研究伦理审查办法》	国家卫健委	2023年2月27日	2023年2月27日起	http://www.nhc.gov.cn/qjjys/s7946/202302/c3374c180dc5489d85f95df5b46afaf5.shtml
《医疗卫生机构开展临床研究项目管理办法》	国家卫计委	2014年10月18日	2014年10月18日起	http://www.nhc.gov.cn/yzygj/s3593g/201410/9bd03858c3aa41ed8aed17467645fb68.shtml
《医疗技术临床应用管理办法》	国家卫健委	2018年8月13日	2018年11月1日起	http://www.gov.cn/gongbao/content/2018/content_5346680.htm