

《特定全营养配方食品临床试验技术指导原则 肾病》国家标准 (征求意见稿) 编制说明

一. 工作简况

1. 任务来源

根据《国家标准化管理委员会关于下达 2024 年第九批推荐性国家标准计划及相关标准外文版计划的通知》(国标委发(2024)53号),《特定全营养配方食品临床试验技术指导原则 肾病》国家标准被列入制定计划项目,项目编号为 20243348-T-424。由全国特殊食品标准化技术委员会(SAC/TC466)归口,由河北医科大学第一医院牵头。

慢性肾病已成为全球公共健康的重大威胁,控制其进展不仅需要药物治疗,营养干预更是不可或缺的关键因素。由于慢性肾病患者普遍存在营养摄入不足及蛋白质等营养素流失的问题,营养不良发生率居高不下,而营养不良本身是加速肾功能恶化、增加心血管事件及死亡风险的独立危险因素,亟需通过肾病全营养配方食品针对性纠正营养失衡。我国自 2016 年起通过《特殊医学用途配方食品注册管理办法》及配套《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范(试行)》构建了特殊医学食品注册体系,明确要求特定全营养配方食品需经临床试验验证安全性与有效性,但现有规范缺乏针对肾病细分领域的技术标准,导致临床试验设计科学性不足、评价指标不统一、患者分层依据模糊,难以精准匹配慢性肾病复杂的营养代谢特征及病程差异。制定《特定全营养配方食品临床试验技术指导原则 肾病》国家标准,不仅是填补技术规范空白、统一研发与评价标尺的核心需求,更是融合临床医学、营养学与监管科学的系统性创新实践,通过明确肾病分期适配的试验设计、营养代谢核心指标、风险控制标准及多学科协作路径,可提升临床试验质量与数据可信度,从而完善慢性肾病全程营养管理体系,降低并发症导致的医疗负担,优化资源配置效率,为推进“健康中国”战略提供关键技术支撑,其科学价值与社会意义深远而紧迫。

2. 制定背景

目前发达国家的营养支持以肠内营养为主,肠外营养为辅。而我国在肠内营养应用方面尚显不足,其中一项重要原因则为特医食品产业链条受限,临床可应用的种类少。目前,国内外已开发出肾病全营养配方食品,但国内市面上流通的肾病肠内营养食品以固体饮料为主,目前尚无肾病特定全营养配方食品上市,使很多医院只能继续使用产品安全性和效果均无法保障的固体/液体饮料。2017年由原国家食品药品监督管理总局立项,河北医科大学第一医院李增宁教授团队牵头,邀请国内众多临床营养学专家、肾内学专家以及保健品、药品、特医注册专家参与,起草过程中仔细讨论了本次撰写工作的原则和任务,针对目前我国的实际使用情况、必要性、合理性等进行了参考,完成了《特殊医学用途配方食品肾病临床试验指导原则》的撰写工作,并于 2019 年 9 月正式发布。2024 年 4 月 25 日,国家市场监督管理总局发布《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范》。为进一步规范相关技术指标,2024 年国家市场监督管理总局将苯丙酮尿症、肾病和糖尿病等疾病的 4 款特殊医学用途配方食品被纳入优先审评审批程序,我国需加快肾病特定全营养配方

食品临床试验标准制定等工作。

3. 主要工作过程

标准任务下达后，河北医科大学第一医院和中国食品发酵工业研究院等单位，在 2019 年市场总局发布《特定全营养配方食品临床试验技术指导原则 肾病》公告和 2024 年承担《开展对部分特定全营养配方食品临床试验技术指导原则的研究论证》的标准化项目前期研究基础上，组织开展国家标准的研制工作。

(1) 起草阶段

2025 年 1 月底，发文征集起草单位、调研行业情况，组建了标准起草工作组。

2025 年 1 月至 2 月，标准起草工作组基于对我国特定全营养配方食品实际临床应用现状及现有临床试验的开展情况，结合慢性肾病患者营养干预需求，完成《特定全营养配方食品临床试验技术指导原则 肾病》国家标准初稿。

2025 年 3 月 21 日，秘书处承担单位中国食品发酵工业研究院组织召开国家标准起草工作启动会议。基于前期充分讨论，国家市场监督管理总局部门领导及专家、标准起草工作组、秘书处成员及企业代表等与会各方，围绕标准涉及的关键性问题达成共识，最终形成行业征求意见稿。

(2) 征求意见阶段

略。

(3) 审查阶段

略。

(4) 报批阶段

略。

4. 主要起草单位及起草人

本文件起草单位：略。

本文件主要起草人：略。

二. 国家标准编制原则、主要内容及其确定依据

1. 国家标准编制原则

(1) 以科学为依据

以科学技术和实验数据为依据，采用统计评估方法，结合科研院所、医疗机构、行业情况和企业生产检测数据，经过科学研究而制定。

(2) 以保证食品安全、保护人民健康为原则

标准的制定以保证食品安全、保护人民健康为基本原则。制定的导则标准可引导行业健康发展，对项目设置和指标进行认真研究，最大限度地保证食品的安全和质量水平。

(3) 与国际标准接轨

我国加入 WTO 后，与国际贸易接轨，向世界先进水平靠拢是国内生产企业发展的必经之路。起草工作组通过对相关的国内外标准、技术资料的分析，本着使标准趋向科学性、先进性及合理适用的原则进行标准制定工作。

2. 主要内容及其确定依据

本标准编写符合 GB/T 1.1-2020 《标准化工作导则 第 1 部分：标准化文件的结构和起草规则》的规定，在《特殊医学用途配方食品肾病临床试验指导原则》基础上进行制定。

(1) 标准名称、范围、术语和定义

主要根据 GB 29922 《食品安全国家标准 特殊医学用途配方食品通则》、《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范》，同时也参考市场监管总局关于发布《特定全营养配方食品临床试验技术指导原则 糖尿病》等文件的公告中“特定全营养配方食品临床试验技术指导原则 肾病”的内容制定本标准的标准名称、范围、术语和定义。

(2) 试验目的

包括安全性研究、营养充足性研究以及特殊医学用途临床效果研究三方面，旨在通过安全性研究识别试验样品使用过程中可能出现的不良事件和不良反应，确保样品的安全性；同时，进行营养充足性研究，验证样品是否能为肾病受试者提供合理、有效的营养素，以维持或改善其营养状况，重点观察与营养相关的血液学指标和体成分等的变化；此外，通过特殊医学用途临床效果研究，验证样品是否能够满足肾病受试者对营养素的特殊需求，进而维持其肾功能并减少疾病相关的并发症，全面评估试验样品在肾病患者中的应用价值。

(3) 受试者选择

受试者选择的纳入及排除标准主要依据《食品安全国家标准 特殊医学用途配方食品通则》、《营养筛查及评估工作规范（试行）》和《中国成人患者肠外肠内营养临床应用指南（2023 版）》以及医学研究中的伦理要求等制定。

(4) 退出和试验中止

在充分尊重受试者意愿的基础上，依据《药物临床试验质量管理规范》、《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范》制订退出和中止标准。

(5) 试验用样品要求

主要参考《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范》制定。

(6) 试验方案设计

主要参考《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范》进行制定，其中根据临床工作实践及专家讨论意见将试验周期规定为试验用样品作为单一营养来源的，试验周期原则上不少于 7 天；试验用样品作为部分营养补充的，试验周期原则上不少于 4 周。此外在脱失率方面，考虑临床实践，经专家讨论认为脱失率不高于 25%，如果高于 25%可根据研究设计和实际情况进行书面解释。

(7) 观察指标

参考《中国成人患者肠外肠内营养临床应用指南（2023版）》中营养监测指标及《特定全营养配方食品临床试验技术指导原则 肾病》制定。

（8）结果判定

主要基于科学的比较和评估原则，以确保试验样品在安全性、营养充足性和特殊医学用途临床效果方面达到或优于对照产品。

（9）试验管理

依据市场监管总局2024年4月发布《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范》中“第二十一条 试验管理包括标准操作规程、人员培训、监查、质量控制与质量保证的措施、风险管理、受试者权益与保障、数据管理和统计学分析。第二十二条 试验过程中需改变试验方案的，申请人需按上述要求完善试验方案，提供充分的变更理由，提交伦理委员会审查通过后实施。第二十三条 主要研究者应当完成临床试验注册平台备案如涉及，申请人应当提供人类遗传办公室批准或备案的证明材料。”的要求。

（10）数据管理与统计分析

依据《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范》制定。

三. 试验验证的分析、综述报告，技术经济论证，预期的经济效益、社会效益和生态效益

1、试验验证的分析、综述报告

标准牵头单位组织国内多家临床研究中心开展了标准适用性验证试验，试验采用统一的研究方案和评价指标体系，通过对试验数据的分析，明确了本标准的指导性与可行性，验证了标准中的适应证选择、研究终点指标设定、观察周期以及评价方法的科学性与合理性。标准的制定基于坚实的临床依据和实践基础。所提供的技术指导原则科学严谨、临床实用性强，可有效规范和指导我国特定全营养配方食品在肾病领域的临床研究工作，具有较好的应用前景和推广价值。

2、技术经济论证

通过统一的标准指导，可有效规范临床试验流程，降低重复研究、试验失误带来的经济成本。标准的实施能够促进相关产业的良性竞争与发展，推动企业加大技术创新投入，提高我国肾病特定全营养食品的行业整体竞争力。同时，通过规范和提高临床研究水平，也有助于推动我国肾病医学营养领域的整体学术进步。因此，本标准的制订与实施具有显著的技术先进性和经济合理性，符合我国健康领域及医疗卫生领域的发展需要。

3、预期的经济效益、社会效益和生态效益

制定《特定全营养配方食品临床试验技术指导原则 肾病》国家标准，预计将在经济效益和社会效益领域产生显著积极影响。从经济效益维度看，该标准通过统一临床试验技术要求与评价标准，将大幅降低企业的研发投入，推动肾病全营养配方食品产业规范化发展，注册效率提升显著加速产品上市进程，进而带动产业链上下游协同发展。在社会效益层面，标准通过规范临床试验

设计、强化受试者安全监测及建立营养干预效果评价体系，系统性提升产品的临床安全性与治疗精准性，切实保障慢性肾病患者健康权益。同时，标准深度融合临床医学、营养学及食品工程等多学科技术要求，不仅促进产学研协同创新与复合型人才培养，更通过科学营养管理降低患者并发症发生率。长远来看，标准实施将直接助力“健康中国 2030”战略落地，通过改善慢性肾病患者生存质量、优化医疗资源配置效率，为社会整体福祉提升注入持续动能。

四. 与国际、国外同类标准技术内容的对比情况，或者与测试的国外样品、样机的有关数据对比情况

国际、国内外无同类标准。

五. 以国际标准为基础的起草情况，以及是否合规引用或者采用国际国外标准，并说明未采用国际标准的原因

无

六. 与有关的现行法律、法规和强制性标准的关系

本标准与现行法律、法规、规章和政策以及有关基础和强制性标准不矛盾。

七. 重大分歧意见的处理经过和依据

本标准未产生重大分歧意见。

八. 涉及专利的有关说明

本标准不涉及专利问题。

九. 实施国家标准的要求，以及组织措施、技术措施、过渡期和实施日期的建议等措施建议

本标准可作为推荐性国家标准，建议自发布之日起实施。

十. 其他应当说明的事项

无