

美國 FDA 於 2026 年 5 月發表《用於慢性疼痛非鴉片類止痛藥品之研發》指引草案

發表單位：美國 FDA

摘要整理：陳妍青

發表時間：2026/05/13

內容歸類：臨床研究

類別：指引草案

關鍵字：Chronic Pain

資料來源：[Development of Non-Opioid Analgesics for Chronic Pain](#)

重點內容：1. 美國 FDA 為因應鴉片類藥品濫用之危機，積極推動非鴉片類鎮痛藥品的研發，以提供慢性疼痛治療的新選擇，並降低對鴉片類藥品的依賴及成癮風險。本指引旨在闡明美國 FDA 對非鴉片類藥品用於治療慢性疼痛第三期試驗的建議。本指引不涵蓋早期試驗和兒童族群藥品開發相關內容。

2. 疾病介紹

- (1) 慢性疼痛的定義為持續超過三個月的疼痛，造成慢性疼痛的原因有很多，例如特定組織傷害(如神經損傷)、疾病主要表現(如纖維肌痛症)、疾病症狀之一(如癌症相關疼痛)、或可能是不明原因。
- (2) 已核准用來治療慢性疼痛的非鴉片類藥品包括血清素、正腎上腺素再回收抑制劑、gabapentinoids、局部麻醉藥，非類固醇類抗發炎藥。儘管有這些治療，但部分病人仍需鴉片類藥品緩解疼痛。

3. 非鴉片類藥品用於治療慢性疼痛的開發計畫

(1) 確立非鴉片類藥品用於治療慢性疼痛的適應症

- A. 一般考量：慢性疼痛適應症分為針對特定慢性疼痛病症(即特定病症類)(targeting specific chronic pain conditions)、針對一群慢性疼痛病症(即類別疾病型)(a group of chronic pain conditions)、或針對所有慢性疼痛(即廣義慢性疼痛類)(all chronic pain)。通常至少需要兩個適當且控制良好的試驗來提供療效證據。在特定情形下，也可以減少所需試驗數目(如增加開發計畫鎮痛藥品的療效)。除了療效外，臨床開發計畫還須建立藥品安全性，包括全面評估濫用和誤用。
- B. 特定病症類適應症：傳統上，非鴉片類藥品會在一或多種特定病症類情形下使用，例如治療糖尿病周邊神經病變(pDPN)。此時，至少須要兩個針對特定病症類適應症、適當且控制良好的試驗來提供療效證據。在特定情形下，也可以基於一個針對特定病症類適應症、適當且控制良好的試驗，加上相關疼痛適應症的確認性試驗來提供療效證據，但特定病症類適應症和相關疼痛適應症須有共同的病理生理機制。
- C. 類別疾病型適應症：類別疾病型係指藥品之藥理機轉可對類別疾病型中的不同慢性疼痛疾病發揮療效，申請此類適應症時，應提供足夠證據支持由類別疾病型中數種不同慢性疼痛可外推至類別疾病型中所有慢性疼痛。目前並無明確規範須納入多少項臨床試驗或涵蓋多少種慢性疼痛方可進行外推；是否足以支持適應症，仍應綜合考量藥品的作用機轉，以及各臨床試驗療效結果的穩健性。
- D. 廣義慢性疼痛類適應症：係指藥品對各類型慢性疼痛皆具有療效。因此，申請此類適應症時，應有充分證據支持藥品之

作用機轉可涵蓋各類慢性疼痛的病理生理機制，且能對不同病因所導致的慢性疼痛發揮療效。與「類別疾病型」適應症相同，目前並無明確規範須完成多少項臨床試驗方可支持此適應症；是否足以支持，仍應綜合考量藥品作用機轉的合理性，以及各臨床試驗療效結果的穩健性。

(2) 試驗設計考量

- A. 一般試驗設計：試驗委託者開發慢性疼痛適應症藥品應包括至少一個隨機、對照、雙盲、平行、較優性試驗和至少一個額外的隨機研究。適當的對照藥品包括安慰劑、預期療效較低的低劑量研究藥品或活性藥品。雙盲試驗的建議治療期間為 12 週。
- B. 試驗族群：試驗委託者應審慎考量試驗之納入與排除條件，以確保所收納之受試者群體符合目標病人族群。
- C. 背景治療和救援藥品(Rescue Medication)：有接受背景治療的病人，其持續疼痛強度符合計畫書要求，可具有進入試驗資格。如果須使用救援藥品，在使用前進行評估和紀錄疼痛分數是重要的。
- D. 試驗中止：適當評估療效和安全性須要減少缺失資料的發生和正確完整紀錄受試者中止的原因。

- (3) 療效考量：在慢性疼痛試驗中，主要療效指標一般應基於明確定義和可靠的病人自評結果疼痛強度指標。美國 FDA 認為因疼痛和個人功能狀態的關係，所以評估功能結果指標的改善有利於提供風險利益資訊。次要療效指標根據適應症可包括治療結束疼痛減少大於 30% 的受試者比例、治療結束疼痛減少大於 50% 的受試者比例、使用救援藥品的數量、病人對疼痛改變的整體印象、符合試驗目的和疾病特定性評估分數的改變。

- (4) 評估避免、消除或減少鴉片類藥品使用：如果臨床試驗結果可以支持避免、消除或減少鴉片類藥品使用，可將此刊載於仿單臨床試驗段落，但對於對鴉片類藥品無反應或不須鴉片類藥品治療的疼痛，則不適用此情境。
- (5) 安全考量：預期安全性資料庫之規模、安全性資料收集之時程，以及所需安全性資料之具體類型，將取決於該藥品是否為新成分、其作用機制、同類藥品之特別考量，以及其預期使用時間長短。藥品若會影響中樞神經系統，只要在化學結構或藥理機制上類似於已知有濫用風險的藥品，或會產生如情緒或認知改變(例如：欣快感、幻覺)等精神作用效果者，就必須評估其濫用風險。