

《特殊医学用途配方食品真实世界研究指南》

（征求意见稿）团体标准编制说明

一、标准起草基本情况

本标准任务来源于中国营养保健食品协会 2025 年度团体标准立项计划，于 2025 年 3 月立项，牵头单位为中国营养保健食品协会特殊医学用途配方食品分会。本标准规定了特殊医学用途配方食品（以下简称“特医食品”）真实世界研究的总则、特医食品的特殊考量、研究设计与实施、伦理、合规与数据安全、数据处理与分析、研究报告与证据提交等内容。本文件适用于特医食品上市前、上市后的安全性研究、营养充足性研究以及特殊医学用途临床效果再评价研究。

标准起草工作由北京大学、雀巢健康科学（中国）有限公司、上海乐奔拓科技有限公司、赫力昂（中国）有限公司、费森尤斯卡比华瑞制药有限公司等单位共同组成，主笔单位为北京大学。期间参与标准起草工作的指导单位还包括国家市场监督管理总局食品审评中心、海南省食品审评中心、江南大学、上海交通大学附属新华医院、南京医科大学附属淮安第一医院等。

标准制定过程中，项目组系统调研了国内外特医食品真实世界研究相关法规、标准、指南与文献等，于 2025 年 6 月在北京召开第一次工作会，形成标准基本框架。2025 年 8 月至 11 月，通过多次在线会议讨论确定指南提纲，逐步完善核心技术内容，于 11 月下旬完成标准草案。2025 年 12 月，召开项目中期验收会，根据专家意见进一步论证与修改。并于 2026 年 6 月召开营养相关专家会，对营养相关内容再次进行论证与讨论，在进一步修改后形成标准征求意见稿及本编制说明。

二、标准的主要技术内容

本标准基于特医食品真实世界研究的现状与需求，围绕研究设计、实施、数据分析及研究报告产出等关键环节，构建科学、透明、可操作的研究与分析框架。主要技术内容包括：

1. 范围、目标与基本原则：阐明本标准的适用范围、目标与基本原则，明确特医食品真实世界研究应以评估产品在真实临床实践中的安全性、营养充足性及特殊医学用途临床效果为核心目标。
2. 特医食品的特殊考量：针对特医食品研究人群多为脆弱人群、不同对照组选择、研究结局需多维定义等特点，提出区别于药物、器械的真实世界研究的特殊考量要点。
3. 研究设计与实施：提供适用于特医食品的不同真实世界研究设计（如实效性随机对

照试验、前瞻性队列研究、回顾性队列研究等）在特医食品上市前后的应用，以及暴露/干预定义、结局指标选择、混杂偏倚识别与控制、伦理合规等关键要素提出规范化要求。

4. 统计分析：推荐适用于特医食品真实世界研究的统计分析方法，重点指导混杂偏倚的处理（如倾向性评分、工具变量、边际结构模型等）及敏感性分析的实施。

6. 研究报告与证据提交：规定不同类型研究的研究报告格式要求，以及按照监管机构标准规范进行证据组织与提交的要点。

三、国内外相关法规标准情况

目前，国际食品法典委员会（CAC）、欧盟、美国等国家和地区均制定了特殊医学用途配方食品的相关标准或法规，但尚未发布针对特医食品真实世界研究的专门指南。虽然真实世界研究（RWR）在国际临床医学领域已成为评价干预措施有效性与安全性的重要手段，但在特医食品行业的转化应用仍缺乏针对性指导。

国内方面，《特殊医学用途配方食品注册管理办法》及 2024 年修订实施的《特殊医学用途配方食品临床试验质量管理规范》对特医食品的注册临床试验提出了明确要求，但在真实世界研究的方案设计、数据治理、偏倚控制（如永恒时间偏倚的处理）及统计分析等方法学层面尚缺乏系统性的技术指导。

本标准制定过程中深度参考了以上法规和指南以及国家药品监督管理局发布的《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则（试行）》《真实世界数据用于医疗器械临床评价技术指导原则（试行）》等文件，并针对特医食品临床应用的特点进行了科学适配。

四、其他需要说明的事项

无。