

临床试验 ≠ 小白鼠，一文详细解答您的疑惑

复旦大学附属妇产科医院 程晓博 康 玉

说起临床试验，你第一个映入脑海的是不是“小白鼠”呢？其实不然，我们平时用的药物、疫苗等新的治疗方案也都要经过临床试验，确认安全有效后再进一步临床推广使用。肿瘤患者抗肿瘤治疗的方案中，临床试验的地位也日益重要起来。在世界一流的癌症中心：美国 MD Anderson 癌症中心，在那里超过 90% 的肿瘤患者都在参加各种临床试验，每天有数百项临床试验在同时进行。不仅如此，每天都有很多患者在向医生打听有没有什么适合他们参加的临床试验。

临床试验，是评价创新药物有效性和安全性的主要方式，是推动恶性肿瘤治疗进步关键步骤。因抗肿瘤药物的临床试验，是对现今最新的治疗方式或者治疗靶点疗效及安全性的探索，所以各个肿瘤诊疗指南均鼓励患者能积极参加临床试验，为肿瘤患者提供更多的治疗机会。

为了让大家更全面的了解临床试验，今天就受试者最常遇到的疑惑进行详细的解答。

一、什么是临床试验？

国家食品药品监督管理局颁布的《药物临

床试验质量管理规范》中，将临床试验的定义为：新药临床试验是指任何在人体（包括患者或健康志愿者）上进行的药物系统性研究，以证实或者探索试验药物的作用，不良反应，特性（如在人体的吸收、分布、代谢和排泄规律）等，目的是确定试验药物的疗效和安全性。简单理解，药物临床试验是寻找新药物、新治疗方法最安全的一条路径。

二、参加临床试验有哪些获益？

药物相关的临床试验，顾名思义，是药物上市前的安全性及疗效性的试验验证。此类药物的一大特点，就是“新”。可能是聚焦在新的治疗靶点上，也有可能是新的用药方式上，新的适应证上等等。所以，参加临床试验，就意味着会用到新的药。对于肿瘤患者，新的药，就意味着新的机会。

药物临床试验，可以分为 I、II、III、IV 期 4 个阶段。I 期和 II 期临床试验的目的是探索药物的安全及有效剂量，II、III 期是探索药物的有效性。IV 期是对药物的安全性的补充。对于肿瘤患者，大多数是因为标准的治疗方案无效或无法耐受药物副作用，抱着想要尝试新

药的目的来参加临床试验的。那么参加肿瘤药物的 I 期和 II 期临床试验，是不是就不会有获益呢？其实答案并不绝对。I 期临床试验的启动，是基于前期细胞实验以及动物实验的抗肿瘤效果，也就是说，临床试验药物在前期基础实验中发现是具有较好的抑瘤作用的，才会开始启动应用到人体上的。所以，I、II 期临床试验药物并非完全没有作用的。

除此之外，开展临床试验的医院和团队大多是大型三甲医院资深知名专家或学科带头人，并会全程参与指导。并且，多数情况下，临床试验会免费提供试验药物、相关的医疗检查和必要的医疗护理。对于经济负担较重的患者而言，可以减轻其经济压力。

三、参加临床试验有哪些风险？

参加抗肿瘤方面的临床试验，主要是存在两方面的风险。第一，药物的安全性。对于抗肿瘤药物，在考虑药物疗效前，首先需要明确的是它的副作用有哪些，严重程度是哪个级别。第二是药物的有效性。虽然临床试验药物在应用于人体前，已经在动物实验中验证过抗肿瘤效果，以及安全性检测。但人体及人体肿瘤组织对药物的反应，与实验动物的试验数据并不是完全一致的。所以参加临床试验可能会出现不同级别的副作用，以及抗肿瘤效果不明显的风险。

四、参加临床试验被分到安慰剂或者对照组怎么办？

II、III 期肿瘤相关临床试验，会涉及安慰

剂组或者对照组。一般按 1 : 1 的比例，随机分配的原则，进行分配。通常是否分配至对照组，是不公开的，也就是患者和研究医生都不知道哪个患者是试验组，哪个患者是对照组。听到安慰剂组，不要怕，因为对于抗肿瘤药物的临床试验的安慰剂组或者对照组，并非任何抗肿瘤药物都不用的，通常是应用二线抗肿瘤药物的基础上，加用试验药物或安慰剂。所以，抗肿瘤药物的临床试验，也是提供抗肿瘤药物治疗的。

五、如何参加临床试验？

首先，需要咨询正规的医疗机构，开展临床试验的机构一般都是具有国家认证等级的大型三甲医院或者研究机构。你可以通过咨询自己的主治医生得到临床试验的信息。或者在网络上关注正规医疗研究机构发布的患者招募信息。

六、参加临床试验有什么要求吗？

为了最大程度保护受试者的安全，临床试验具有严格的纳入和排除标准。需要符合标准才能参加。一般临床试验都有以下方面的入组标准，例如年龄、性别、疾病种类、病史、是否同时罹患其他疾病、实验室相关指标等。这些标准是为了确定受试者是不是适合参加该项临床试验，以确保受试者的安全。

七、参加临床试验后，中途可以退出吗？

根据伦理委员会的规定，无论试验进行到哪一步，受试者都有权选择退出。



八、肿瘤患者为什么推荐参加临床试验？

对于常见肿瘤的规范诊疗，是根据国内外的专家指南来指导治疗。在抗肿瘤的过程中，会遇到化疗药物的耐药、肿瘤的复发，在后续治疗的方案上，通常会选用二线或三线药物，但其疗效也是差强人意。但肿瘤患者一旦复发，就是在和时间赛跑，有效的抗肿瘤药物的研发，迫在眉睫。

随着近 30 年的分子靶向药物的研发，在多种肿瘤中取得了喜人的疗效，如内皮生长因子抑制剂，PARP 抑制剂等。在最初，也是通过临床试验才得以验证。反过来看，参加过上述药物的临床试验的患者，比其他人更早用到了药物，生存期明显延长。所以对于多次复发耐药的肿瘤患者，以及罕见疾病，缺少有效治疗方案的肿瘤患者，是推荐参加临床试验的。