



認識「臨床試驗」

臺大醫院吳瑞美醫師、陳孟伶、楊季蓉

由於台灣具有相當高的醫療水準，加上全民健保的普及，愈來愈多的藥廠選擇在台灣進行抗巴金森病之新藥試驗，譬如長效型的多巴胺促效劑與貼片、NMDA 抑制劑、MAO-B 抑制劑等等。因此我們特別選譯有關臨床試驗的文章，希望增進大家的了解，同時也鼓勵病友多參與臨床試驗之研究。如此一來，我





巴金森氏病探索

認識臨床試驗

們才能明白國人對藥物的反應是否有別於西方人，同時藉此讓我們的醫療國際化，成為世界巴金森症家族的一員。

什麼是臨床試驗？

當科學家及醫學專家為了更清楚了解人類的疾病及新療法的效能，「以人為試驗對象」的研究，顯得更為重要；而這「以人為試驗對象的研究」，稱之為「臨床試驗」。

為什麼臨床試驗對研究巴金森氏病如此重要？

過去十年來，世界衛生組織投入大量金錢與人力致力於神經科學的發現與發展。這些金錢與人力的投入使得近年來巴金森氏病與腦部其他疾病有許多新的研究發現，而這些發現需要在「臨床試驗」上得到證實。

臨床試驗可分為**介入性試驗**(Interventional trial)與**觀察性試驗**(Observational trial)二種。

介入性試驗的目的是確定實驗性療法或改變舊有療法之使用是否具有安全性及有效性。因此，這種試驗會要求受試者服用實驗性新藥或進行手術。



巴金森氏病探索

認識臨床試驗

觀察性試驗的目的是要了解大多數人相當關切的健康議題。於是，受試者需提供家族史及血液樣本；相對地，受試者不能接受自身疾病相關治療。甚至有些試驗開放給健康志願者參與。

哪些單位參與進行巴金森氏病臨床試驗？

巴金森氏病臨床試驗由不同機構提出贊助，包括政府衛生部門、藥廠及醫療研究單位。其中藥廠致力於藥物開發及上市；政府衛生部門及醫療研究除了贊助臨床試驗外，還重視基因及環境等相關研究。而這些研究可幫助我們預防或減緩巴金森氏病之發病。

臨床試驗如何進行？

臨床試驗團隊包括了醫師、護理人員及其他醫療專業人員。在試驗開始前，他們會評估受試者之健康狀況及適合度；在試驗階段時，則會與給受試者特別講習及詳細地監測試驗狀況。

藥物臨床試驗會依一定的順序分階段來進行，稱之為「期」(Phase)。分期的目的，主要來解答新藥發展中不同階段的問題。

臨床測試第一期(Phase I): 主要試驗對象是健康志願者，通常少於 100 位，測試此藥物應用於人體之安





巴金森氏病探索

認識臨床試驗

全性、藥劑量，及可能的副作用。

臨床測試第二期 (Phase II)：選擇少數病患 (約 100 名)，試驗目的主要是初步觀察該藥物可能之療效。



臨床測試第三期 (Phase III)：大規模的收納病患 (數百人或數千人)，目的為客觀的確認藥物之療效及副作用。

臨床測試第四期 (Phase IV)：則經由藥物上市後的監視，對藥物產生之不良反應事件，進行長期的追蹤。

參與臨床試驗有哪些好處與風險？

參與臨床試驗的好處包括：

- 參與的受試者受到醫療專業人員細心與專業的醫療照顧及有機會較早從新的療法中獲益。
- 參與的受試者可充分了解自身疾病及獲得疾病相關資訊。
- 研究結果可能在未來幫助其他人。



巴金森氏病探索

認識臨床試驗

因為臨床試驗涉及某些“新”的領域，研究人員雖然已盡力去找出可能的風險，但仍可能帶有一些不可知的風險。所以事先必須知道，參與臨床試驗可能的風險包括：

- 新療法可能引發未預期的副作用。
- 研究中的新藥或步驟，未必優於對照之標準療法。

在試驗進行時，為了避免病友或醫師受到預期心理的影響，一般都採取「隨機性」、「雙盲式」的試驗方法。也就是將受試者分為試驗組與對照組，因此受試者不知道服用的是新藥或是安慰劑，醫事人員(醫師、藥師、研究護士)也不知道受試者進入哪一組及接受何種治療？這樣的設計才能確保新藥之療效與人為主觀之預期無關。因此，主持試驗之醫事人員必須於試驗前，向受試者做詳實、充分的試驗說明。

受試者的權益

每個臨床試驗都是由試驗主持人在其所屬的教學醫院，向該院「人體試驗倫理委員會」(Institutional Review Board, 簡稱 IRB)提出臨床試驗，經 IRB 書面審查或會議討論通過，再報請衛生署「藥事審議委員





巴金森氏病探索

認識臨床試驗

會」或「臨床試驗與研究推動小組」審查核准後，才得以施行人體試驗。因此，受試者身分在相關法律及

什麼是「受試者同意書」？

法規要求下是受到保密的。

受試者同意書稱為Informed consent，其中包括受試者於受告知並了解將參與之臨床試驗的相關訊息，自願簽署願意參加試驗、不同意參與試驗或隨時退出試驗，而不受到處罰或損及其應得的利益文件。文件內容包括臨床試驗的研究目的、臨床試驗的方法、臨床試驗進行持續時間及追蹤時間、臨床試驗的好處及風險、受試者的隱私保護...等。

參與臨床試驗前，可向主治醫師、家屬及好友尋問下列問題：

參加臨床試驗前，應注意那些重點？

- 臨床試驗的研究目的是什麼？
- 關於這次臨床試驗是否提供足夠且詳細的資訊？
- 參加臨床試驗的副作用有哪些？
- 臨床試驗涉及的治療與檢驗項目有哪些？



巴金森氏病探索

認識臨床試驗

- 參加這個試驗，必須停止服用現在所使用的藥品嗎？
- 參加試驗是否會影響到原有的醫療照護？
- 參加此項臨床試驗，是否可以中途退出？
- 當試驗結束後，對於試驗檢查的結果及醫師的診斷，是否會發表或告知自己？
- 是否有機會選擇參與控制組或測試組？
- 如果對臨床試驗有良好反應，是否在試驗結束後可繼續療程？
- 臨床試驗進行持續時間及追蹤時間有多久？
- 臨床試驗進行時，是否可以旅遊？
- 試驗主持單位是否會給付費用？
- 參加試驗若不幸發生傷害，是否能獲得保險給付？
- 參加試驗時，是否會負擔一些消費性支出，例如停車費等。
- 臨床試驗是否包括後續醫療照護？





巴金森氏病探索

認識臨床試驗

- 與臨床試驗的醫事人員會談時，親朋好友是否可以一起加入？
- 是否可以將會談內容錄音記錄？ 🗣️

本篇譯自：

http://www.pdtrials.org/front/about_clinical_trials.php

參考文獻：

國家衛生研究院「臨床試驗病患教育手冊」

