

生物科技研習營

臨床試驗面面觀-

我不是藥神，你也不是白老鼠

主辦：臺灣醫學會、財團法人張昭鼎紀念基金會
合辦：台大醫學院
贊助：奧斯卡建設股份有限公司
時間：民國 108 年 11 月 10 日（星期日）上午
地點：台北國際會議中心三樓大會堂

節目表

主 題：臨床試驗面面觀-我不是藥神，你也不是白老鼠

主持人：吳明賢教授（臺大醫學院內科）

- | | |
|-------------|--|
| 09:00~09:05 | 開幕致詞
何弘能 教授
臺灣醫學會 理事長 |
| 09:05~09:10 | 引 言
吳明賢 教授
臺大醫學院內科 |
| 09:10~09:40 | 1. 為何需要做臨床試驗
陳介章 醫師
臺大醫院內科部 |
| 09:40~10:10 | 2. 臨床試驗的倫理法律觀點
蔡甫昌 教授
臺大醫學院醫學教育暨生醫倫理學科所
臺大醫院醫學研究部 |
| 10:10~10:30 | 休 息 |
| 10:30~11:00 | 3. 癌症的臨床試驗
郭頌鑫 教授
臺大醫學院腫瘤醫學研究所
臺大醫院腫瘤醫學部 |
| 11:00~11:30 | 4. 細胞治療的臨床試驗
姚明 講師
臺大醫學院內科 |
| 11:30~12:00 | 問題與回答
全體演講人 |

引言

臨床試驗面面觀--引言

吳明賢 教授

台大醫學院內科

人類疾病之診斷、治療、及預防，隨著生物科技的進展，不斷有新藥、新試劑、新治療策略和新醫材的研發，這些最終都必須透過人體臨床試驗，才能證明新的方式比舊的方式有效且安全，故臨床試驗是新藥等研發的最後一哩路。而參與臨床試驗的受試者，可能有機會嘗試最新的治療方式，對於醫藥研發與人類福祉將帶來貢獻，但是也可能會承受試驗過程所帶來的風險與傷害，因此必須建立一套對於受試者完善的保護措施，特別是目前熱門的癌症及細胞治療，更須要有嚴謹的規範，在尊重並保護受試者自主、隱私與權益的前提下，才能達成醫學進步及促進人類健康的雙贏。由於臨床隨機對照試驗(RCT)作為最高證據等級的臨床證據標準，需要嚴格控制試驗條件，在可能有效的目標人群中進行標準化治療，樣本量小且隨訪時間短，因此可能有別於臨床實踐，故目前在藥品上市後，也愈來愈重視所謂的真實世界研究(real world study)及資料(real world data)是否與 RCT 有異。

1.

為何需要做臨床試驗

陳介章 醫師

臺大醫院內科部

廣義而言，凡是與病人有關，需要病人參與的研究計畫，都可以稱為人體試驗（或稱臨床試驗、人體研究）。臨床試驗是對藥物或其他醫學治療及處置，在受試者身上進行比較測試的過程，而法律上（醫療法）所稱的人體試驗則是評估新藥品、新醫療器材、新醫療技術或學名藥對人體效果的方法。人體試驗是醫學進步不可缺少的一環，歷史上，巨大的醫學進步都與臨床試驗密不可分。舉例來說，1747年，在科學家成功發現和分離維生素C後，也是透過臨床試驗證明維生素C可以有效地預防壞血病，使得流行了幾百年的壞血病患者免於痛苦。2005年諾貝爾生理醫學獎得主馬歇爾(Barry Marshall)與瓦倫(Robin Warren)醫師於1982年發現胃幽門螺旋桿菌後，醫學界也是透過嚴謹的臨床試驗，逐步證實胃幽門螺旋桿菌是消化性潰瘍及胃癌的重要致病原因，也才將幽門螺旋桿菌的根除治療列為消化性潰瘍患者的標準治療，之後全球消化性潰瘍的發生率也由於幽門桿菌的除菌治療大幅減少。

許多新醫療，雖然用於動物身上獲得良好效果，但用在人身上的效果，並不一定與動物試驗的結果相同。因此在醫師們接受它成為常規醫療之前，必須先進行人體試驗，收集相關資訊，了解是否在人體也具有療效，以及可能產生的副作用等，且須透過人體試驗的嘗試，找尋最恰當的治療方式。藥物臨床試驗包括任何在人體（病人或健康志願者）進行的藥物的系統性研究，以證實或發現試驗藥物的臨床、藥理和/或其他藥效學方面的作用、不良反應和/或吸收、分布、代謝及排泄，目的是確定試驗藥物的安全性和有效性。

總結來說，一項新醫療的形成，需要經過安全性與療效的評估，嚴謹的臨床試驗，是新藥、醫療器材、或醫療儀器可以進入到臨床應用的必經歷程，也是確保病人安全的最佳方法。

2.

臨床試驗的倫理法律觀點

蔡甫昌 教授

臺大醫學院醫學教育暨生醫倫理學科所

臺大醫院醫學研究部

醫療的目的是促進人類健康，而新藥、新器材與新技術的研發，最終都必須經過人體臨床試驗，才能證明其有效性與安全性。但是以「人」作為試驗對象，難免會對受試者造成傷害，這是臨床試驗必然存在的風險。歷史上也發生過多起藉醫學進步為名所進行的恐怖人體試驗，例如二次大戰期間納粹德國與日本利用戰俘所進行的各種非人道的人體試驗，以及戰後美國的「塔斯吉吉梅毒研究」。醫學組織與各國政府於是必須制訂倫理規範與法律來保護參與醫學研究之受試者，包括「紐倫堡守則」、「赫爾辛基宣言」、「貝爾蒙報告書 (the Belmont Report)」等，貝爾蒙報告書揭示了人體試驗倫理原則，包括：1. 尊重人格 (respect for persons) 2. 行善 (beneficence) 3. 正義 (justice)。此外各國也以法律來規範進行人體試驗或人類研究必須遵循之申請與審查程序，研究機構必須設置「研究倫理委員會」或「人體試驗委員會」，聘請科學及非科學背景人士擔任委員，為研究倫理與受試者保護把關。

在我國有關臨床試驗的相關法律與指引 (guideline) 包括醫療法、人體研究法、生物資料庫管理條例、藥品優良臨床試驗規範等。本演講將針對上述發展歷史與倫理法律規範作一簡介，學員有興趣可進一步參閱〔我應該參加臨床試驗嗎？蔡甫昌主編 健康世界出版 2017〕。

3.

癌症的臨床試驗

郭頌鑫 教授

臺大醫學院腫瘤醫學研究所

臺大醫院腫瘤醫學部

近年來癌症的臨床治療，包括手術治療，藥物治療和放射線治療等、已經進步甚多、而這些癌症治療的進步大多來自癌症臨床試驗的推動和貢獻。癌症臨床試驗其主要目的是為了替病人找到最佳治療方式和療效，以及最新的藥物或治療方式。為了達成此目的，新的藥物或治療方式，均在前臨床試驗中或實驗室中去證實此新的藥物或治療方式之有效性，並由下一步的癌症臨床試驗去證實臨床有效性。癌症的臨床試驗大多是新藥臨床試驗，另外新治療方法和替代治療方法也是常見癌症的臨床試驗。就癌症新藥臨床試驗，大致可分為：(1) 第一期臨床試驗 (Phase I)：主要目的是測試新藥的安全性/毒性，並找出人體能接受該試驗藥物的最大可能劑量/安全劑量，藉此決定進行二期臨床試驗時所應採用藥物的劑量。(2) 第二期臨床試驗 (Phase II)：主要目的是決定一種癌症新藥或新治療方法對特定疾病是否具有療效，並同時監測其可能引發之不良反應。舉例：第一線服用兩週抗生素治療，可以治療部分早期幽門螺旋桿菌陽性胃淋巴瘤病人，免除病人接受化學治療藥物的副作用(3) 第三期臨床試驗 (Phase III)：主要目的是比較是否新的治療方式或藥物是否比傳統的標準治療更佳(又稱優越性試驗)。舉例：第三期臨床試驗證實 afatinib (Giotrif, 妥復克：是不可逆的表皮生長因子受體家族阻斷劑)，在疾病未惡化存活期與腫瘤反應率皆比標準化學治療組顯著較佳，因此台灣衛生福利部食品藥物管理署，特別在 2013 年 5 月率先核准 afatinib 用於具有表皮生長因子受體突變之局部晚期或已轉移之非小細胞肺癌病人作為第一線治療。另外不劣性之第三期臨床試驗則是希望證實該實驗性療法(例如新藥或替代療法)不比標準治療差，讓癌症臨床治療多一種選擇。(4) 第四期臨床試驗 (Phase IV)：主要目的是針對已上市的藥物，去評估長期使用該藥物是否會產生慢性副作用等資訊，即「藥物風險效益評估」。

癌症的臨床試驗，是藉由受試者與臨床試驗團隊(包括試驗主持人[醫師]，臨床研究護士，醫院醫護人員等)之間的互信合作，和臨床試驗團隊對受試者的

細心醫療照顧，所帶來的癌症治療醫學進展。考慮到癌症新治療方法和藥物，仍可能出現一些已知或未知的風險，癌症的臨床試驗均經（人體試驗審查委員會）之嚴謹審查制度通過，才能開始執行治療病人，並且在執行臨床試驗期間，受試者均能獲得臨床試驗團隊密切的醫護照顧，聯繫與監測。對受試者本身而言，在一般常規治療已無法改善病情狀況下，參與癌症臨床試驗可以獲得另一個機會接受新治療方式、新藥物治療、新醫療器材或新醫療技術。考慮到癌症治療的用藥（例如化學藥物、標靶治療、免疫治療）和醫療技術日新月異，且這些新的試驗藥物或新醫療器材，通常健保是不給付且非常昂貴，因此受試者在參加癌症臨床試驗時不僅多些治療癌症機會，而且可以省下一些新藥物和技術費用。總之，癌症的臨床試驗，不僅提供受試者接受新治療方式和藥物機會，來改善受試者病情或增加無病率及整體存活率，亦可提高癌症整體醫療品質。

4.

細胞治療的臨床試驗

姚明 醫師

臺大醫院內科部血液科

細胞治療臨床試驗，是指運用活體細胞治療疾病的人體臨床試驗。由於細胞的製備過程有別於藥品，其管控需要通過細胞的製程必須通過優良人體細胞操作規範（good tissue practice, GTP）的審核。舉凡細胞的採取來源方法，運送到細胞製程的場所，特定細胞製程的培養方式，細胞的保存/冰凍/解凍，製備好特定細胞的植入方式以及細胞製程的場所（實驗室/細胞工廠）的環境監控和維護，都要有標準作業流程（standard operation procedure, SOP），才能使細胞治療臨床試驗得以順利進行。

細胞治療臨床試驗大多應用在治療目前醫學上難以治療的疾病。目前涵蓋的範圍可以是對抗癌症，細胞治療和抗癌藥物對抗癌症具有不一樣的作用機轉，是利用病人自己的免疫細胞，經過適當的處理得以增加數量甚或經過基因改造，讓特定免疫細胞對癌細胞具有更有效的毒殺作用，使難治的癌症可以得到控制。另一方面是再生醫學相關的臨床試驗，是利用病人自己具有再生能力的細胞，經過適當的處理，誘導分化至特定細胞，之後再經設計好的植入方式，使需要修復的組織可以再生。

細胞治療臨床試驗的設計和藥品的臨床實驗設計基本架構是相同的。唯在特定細胞製造過程流程的每一個步驟上，都要謹慎的控管。在進入人體試驗前的臨床前測試需要投入龐大的人力，物力和費用。在進入人體試驗後，因為每一種特定細胞製成的時間，少則數天，多則數週，無法很快地進行，所以目前大部分的細胞治療相關的人體試驗都還在第一期或第二期的臨床試驗階段。目前已有少數細胞治療產品已經過第三期臨床試驗，並經美國食物藥物（Food and Drug Administration, FDA）核准上市。

由於細胞治療有別於藥物治療的作用機轉，細胞治療相關的臨床試驗正方興未艾，在未來的治病角色上有其一定的地位。

記事欄



記事欄



2019 生物科技研習營活動問卷調查表

一、您從哪裡知道本次研習活動？

- 學校及老師宣導 張昭鼎紀念基金會網站 台灣醫學會網站 家長報名
 其他研習活動_____ 其他_____

二、參加本次研習前，是否對主題有初步了解？

- 非常瞭解 瞭解 尚可 不瞭解 非常不瞭解

三、參加本次研習後，對於各位講員教授的授課內容，何者讓您獲益良多？（可複選）

- 陳介章 醫師 - 為何需要做臨床試驗
 蔡甫昌 教授 - 臨床試驗的倫理法律觀點
 郭訟鑫 教授 - 癌症的臨床試驗
 姚 明 醫師 - 細胞治療的臨床試驗

承題三，讓您對授課內容獲益良多之原因？（可複選）

- 授課內容淺顯易懂 提升對此專科之興趣 欣賞的講員教授 其他

四、參加本次研習後，對於各位講員教授的授課內容，何者讓您覺得不易瞭解？

承題四，讓您對授課不易瞭解之原因？（可複選）

- 授課內容艱深難懂 無法提升對此專科之興趣 不欣賞的講員教授 其他

五、對本次或往後研習活動有何需要加強改善之意見？（可複選）

- 講習內容_____ 講習時間_____ 其他_____

六、填表人基本資料：

(1) 性別：男 女 年齡：_____

(2) 學生，就讀學校_____；年級_____ 老師，任教學校_____
其他

七、您希望日後以 e-mail 方式收到有關於『台灣醫學會』活動訊息？

(1) 願意。e-mail: _____ (2) 不願意。

八、生物研習營成立粉絲專頁了，請上 www.facebook.com/cctmf/ 按讚！

或掃描 QR Code



2019 生物科技研習營提問表



	
	
	
	
	
	
	
	
	
	