

簡介癌症新藥臨床試驗

46 歲的林小姐兩年前被診斷為非小細胞肺癌第四期，有多處轉移。腫瘤的表皮生長因子受體有基因突變。她接受表皮生長因子受體抑制劑的標靶治療，獲得良好的控制。大約 1 年之後腫瘤惡化，她接受第二線的標靶治療。大約半年後，腫瘤再度惡化，於是她的主治醫師介紹她到臺大醫院肺癌門診治療。她的主治醫師告訴她臺大醫院有很多的臨床試驗，或許她有機會能參加，獲得新藥的治療。

在臺大醫院的肺癌門診中，主治醫師在詳細閱讀了她的轉診資料，詢問了她的病情之後，推薦她參加一個針對產生表皮生長因子受體抑制劑抗藥性的腫瘤標靶治療新藥的第一期臨床試驗，請了一位臨床試驗研究護理師來比對是否符合臨床試驗的收案條件，向她詳細的解說參加這個臨床試驗未來可能接受的種種治療過程、檢查以及追蹤過程。

林小姐以及她的家人很高興她有機會能夠接受新的標靶藥物治療。然而，她擔心自己會不會變成一個實驗的白老鼠。尤其在她了解到參加這個臨床試驗會有一半的機會抽到實驗組，心中不免忐忑不安，擔心自己會不會抽到對照組，那麼不就白白參加了一個這麼好的臨床試驗。這時候旁邊有一位熱心的病友告訴她：「其實你可以放心。不管你抽到哪一組，都會有一位很好很負責的研究護理師追蹤你的病情，告訴你什麼時候該接受治療，什麼時候該做檢查，就像一個很好的醫療秘書。而且即使是對照組，也是標準治療，你會接受到二代健保能給付的範圍以外臨床試驗能額外支援的醫療檢查照顧。」於是林小姐決定參加這一個臨床試驗。果然，在這個臨床試驗治療結束後，林小姐非常高興她當時做了正確的決定。

一個新藥的研發需經過非常漫長艱辛的歷程，藥品自化學成分開發，到動物實驗甚至發展至人體臨床試驗，所投入的時間、金錢及人力不可言喻。在研發的最後一個階段，以「人」為試驗對象的研究即稱為「臨床試驗」。新藥在廣泛運用於人體前，都必須事先經過嚴格的審核，並在嚴謹的監督下方可執行臨床試驗。審核的機關包括藥廠所屬國家的食品藥物管理局（例如美國或歐盟的食品藥物管理局）、臺灣的衛生福利部、以及醫院的研究倫理委員會。臨床試驗的執行完成後，當研究團隊收集足夠的資訊，了解其可能產生的副作用與併發症，並評估其醫療效果後，該藥物才有機會獲得主管機關核准及上市。醫學研究的進步有一大部分歸功於參加臨床試驗受試者的貢獻，而對受試者本身而言，在一般常規治療已無法改善病情的狀況下，參與臨床試驗能有另一個機會接受到新的治療方式或尚未上市的新藥物、新醫療器材或新的醫療技術，並且在執行臨床試驗期間，能獲得醫護研究團隊密切的聯繫與監測。

傳統上，臨床試驗可以分為：（1）第一期臨床試驗（Phase I）又稱第一相試驗。這一階段試驗主要目的為測試新藥的安全性/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，藉此決定進行第二階段試驗時所應採用的藥物劑量。（2）第二期臨床試驗（Phase II）又叫第二相試驗。當確定可用劑量後，接下來就要去了解藥物的療效。這個階段的主要目的是決定一種藥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。（3）第三期臨床試驗（Phase III）又叫第三相試驗。這個階段主要是將新的治療方式或藥物與目前公認的標準治療作比較。經由此一階段的臨床試驗，了解一種新的治療方式或藥物是否比傳統的標準治療更佳。（4）第四期臨床試驗（Phase IV）又叫第四相試驗。此一階段試驗一般針對已上市的藥物，作為長期使用該藥物是否會產生慢性副作用之評估，以得到進一步資訊，即「藥物的風險效益評估」。然而，隨著醫學的進步，新藥已經是針對一個特定的治療標的開發，也就是針對某一類癌細胞的共同弱點的那一個標的去設計新藥。也因此常常被稱為標靶治療。即使是現在最紅的免疫治療，廣義來說每一個免疫治療也是有特定的治療標的。因此，現代的臨床試驗的設計即使在第一期臨床試驗，也會特別挑選對該新藥可能會有反應的特定癌症族群收案，以便順便觀察療效。也就是說，雖然第一期臨床試驗是新藥剛剛開始使用在人類，以了解藥物毒性及建議劑量為主要研究目的，但是幾乎都會將第二期臨床試驗「了解藥物的療效」的設計加入。

臺大醫院是癌症治療的國際性研發重鎮之一。癌症治療的進步日新月異，身為一個領先的癌症中心，除了醫療服務內容要隨時跟進世界最新的標準治療之外，也必須參加許多重要的新藥研發與臨床試驗。這些臨床試驗提供病人更多的機會來治療癌症。很久以前陳舊的觀念以為參加臨床試驗是把自己當作白老鼠。現在觀念已完全不同，很多人已經了解受試者是罹患不幸疾病的病人之中幸運的一群，還很擔心自己沒有符合收案資格。一家先進的醫學中心最好能提供許多的臨床試驗機會給病人，除可以增加病人的存活率外，亦可提高醫療品質。

腫瘤醫學部主治醫師 盧彥伸