



# 試驗安全與成效

## 煉藥物研發漫長路

生病吃藥，彷彿是家常便飯。然而，你是否知道，一顆小小的藥丸在進入我們身體發揮其作用之前，已經走了一段很漫長的路？一般而言，藥物從開發，到臨床前試驗，並通過人體臨床試驗，繼而進入臨床應用，往往花上十數年時間。因此，藥物能成功從實驗室走到藥房、診所或醫院，確實有賴科研團隊、醫療專業人員及參與臨床試驗之志願者的支持與付出。

## 眾裡尋「它」千百度

驀然回首，新藥還未問出處。如前文所述，新藥研發十分耗時。臨床前階段包括藥物探索 (drug discovery) 及臨床前試驗 (pre-clinical tests)。

## 藥物探索 Drug Discovery

此階段主要包括新藥開拓及評估其潛在治療價值。現代藥物發展主要包括小分子化合物 (small molecules)、蛋白質類藥物 (peptide / protein drugs)、生物製劑 (biological drugs) 及植物藥 (包括中草藥及中成藥)。研究人員會根據文獻記載、資料搜集及分析，篩選或合成有藥效的成份，並作為藥物主料 (active pharmaceutical ingredient)，以作進一步的研究。

## 臨床前試驗 Pre-clinical Tests

此階段主要為藥物主料開發、藥效測試、藥物毒性測試以及劑型決定等。因為藥物最終目的是治療人體病患，所以在用於人體前，其藥效及安全性的初步數據是十分重要的。為此，在進行人體臨床試驗之前，研究員會先在細胞(包括人類細胞或動物細胞)和動物體內進行測試，以初步了解藥物在生物體內的作用。若測試結果理想，研究團隊或藥廠可向監管機構(如香港衛生署)提交申請，通過審核後便可以進行人體臨床試驗。

# 驗証福澤百千年

## 臨床試驗齊參與

香港大學醫學院致力推動醫學與科研發展，並在中西醫學以實證為本的穩固基礎上力求進步，使香港成為國際醫學之都。

我們能否成功開發新藥，擊退各種仍未有理想治療方法的疾病，以保障社會大眾、你的家人以致你自己的健康，實有賴你的支持與參與。

有興趣為醫藥科研出力的你，可於港大臨床試驗中心網站 ([www.hkuctc.com](http://www.hkuctc.com)) 作進一步瞭解及登記成為志願者。

今天的醫學科研，明天的人類健康。  
臨床試驗，你我齊參與。



## 臨床試驗小百科



Clinical Trials Centre  
The University of Hong Kong

香港大學臨床試驗中心



## 四期臨床試驗 Phase 4 Trials

又名上市後監視研究 (post-marketing surveillance studies)。四期臨床試驗主要目標是在藥物上市後，在大規模應用下(一般為數千至數萬人)，監測有否在前階段臨床試驗沒有被發現之嚴重不良反應或副作用。除了新藥安全性追蹤，此階段臨床試驗也或會評估新藥對健康經濟學 (health economics) 的影響。

## 生物利用度與生物等效性試驗

### Bioavailability & Bioequivalence Trials

研發新藥的藥廠會擁有新藥的專利權(稱為「專利藥」)。當專利期屆滿後(大約20年)，其他藥物生產商便可銷售與專利藥主料成份相約的藥品(稱為「仿製藥」)。在申請仿製藥註冊之前，所屬藥物生產商需招募約數十位志願者，進行生物利用度與生物等效性試驗，即仿製藥和專利藥作對照試驗，比較仿製藥和專利藥在人體的吸收和代謝，以提供藥物動力學數據證明仿製藥和專利藥兩者主料成份及藥效相約。

## 三期臨床試驗 Phase 3 Trials

擴大二期臨床試驗規模，招募數百至數千病人為對象，依隨機分配對照組設計 (randomized-controlled)，將病人分配到試驗組或對照組，並依從雙盲 (double-blind) 試驗準則進行試驗(即醫生與病人均不知道誰被分配到試驗組或對照組)。三期臨床試驗數據會經嚴格的統計分析來判斷藥效與安全性，以確認試驗新藥是否優於或不差於現有藥物。除此之外，有部份三期臨床試驗也會收集試驗新藥對病人生活品質 (quality of life) 影響的資料。倘若監管機構接納試驗新藥的臨床試驗數據，新藥即可正式註冊並於臨床應用。

## 床前診療賴科研

## 一期臨床試驗 Phase 1 Trials

一般招募健康志願者為對象，所需人數約為數十人，主要目標是評估新藥的安全性、藥理及在人體的耐受性。通過觀察志願者的狀況及檢測其血液/尿液樣本，追蹤新藥於人體之吸收、分佈、代謝與排泄過程(藥物動力學，pharmacokinetics)，以評估新藥的安全性以及為隨後臨床試驗的劑量建立基礎。

## 二期臨床試驗 Phase 2 Trials

以小規模之病人志願者為對象，所需人數約數十至數百人，目標是評估不同劑量對病人的藥效與安全性，作為第三期臨床試驗劑量之依據。二期臨床試驗的基礎是概念驗證 (proof-of-concept)，一般以對照組設計，比較已有藥物或安慰劑 (placebo)，以探索試驗藥物與對照組之藥效與安全性差異。

## 藥物臨床試驗解說

藥物臨床試驗是一種嚴格依從試驗方案，對新藥或現有藥物在人體進行測試或比較的過程，目的在於了解藥物的藥效、安全與藥理。藥物臨床試驗一般分為四期，而每期皆有其獨特的研究目標及對象：

