SCN2A
ASIA-PACIFIC

临床试验

信息手册

什么是临床试验？哪些人可以参加？[1、2]

是否考虑过参加临床试验？

参加临床试验之前，需要了解什么是临床试验，为什么需要进行临床试验，临床试验是如何运作的，以及哪些人可以参加。

本手册旨在提供上述方面的信息。需要认真考虑是否要参加临床试验，并在咨询医生后再做决定。

什么是临床试验？

临床试验是针对人体进行的研究，用于测试新的疗法是否能够改善人们的健康，以及这类治疗方法的安全性。新疗法可包括疫苗、药物、起搏器等医疗设备和手术治疗。目前使用的大多数治疗方法（包括治疗心脏病、糖尿病和癌症的方法）都已经过临床试验。

为什么需要做临床试验？

所有的新疗法都需要通过临床试验进行测试。这有助于研究人员了解新疗法如何对人体发挥作用，其安全性如何，以及应该使用的剂量。临床试验还可帮助研究人员将新疗法与现有疗法进行比较，了解其工作原理和安全性。

为什么有人想要参加临床试验？

参加临床试验的原因有很多；请参阅以下示例。

- 患者可能想要接受最新的治疗方法，希望新疗法比当前的疗法效果好或副作用少。
- 患者可能希望在临床试验期间获得额外的医疗护理。
- 有些人患有目前尚无治疗方法的疾病。参加临床试验可能是这类患者获得治疗的唯一途径。

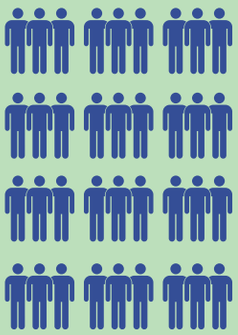
临床试验是如何运作的？[1、2、3]

临床试验阶段

研究人员需要在实验室里研究新疗法的作用机理，然后才能在临床试验期间研究该疗法对人体的作用方式。只有在实验室中效果良好的治疗方法才能开展人体试验。

临床试验有四种主要类型，也称试验阶段。每个阶段都是药物开发过程中的不同步骤，并会以不同的方式测试新药。

下图显示了四个临床试验阶段之间的主要差异。

第 1 阶段	第 2 阶段	第 3 阶段	第 4 阶段
试验期 数月 少数健康参与者	**试验期** 数月至数年 少数患有该疾病的参与者	**试验期** 数年 多于第 2 阶段中患有该疾病的参与者	**试验期** 数年至数十年 多于第 3 阶段中患有该疾病的参与者
			
新疗法的首次人体试验 测试新疗法的安全性和应该使用的剂量	测试新疗法的效果和安全性	测试新疗法的效果和安全性 新疗法与现有疗法进行比较	新疗法获批后进行此类临床试验 测试新疗法的安全性

在 SCN2A 等罕见疾病中，临床试验阶段可以合并进行，也可重叠进行。

如果您正在考虑参加临床试验，那么考虑试验的阶段则非常重要。这是因为每个临床试验阶段都有不同的益处和风险。例如，在 I 期试验中，研究人员尚不知道新药可能有哪些副作用，以及何种剂量最有效。请参阅本手册后面章节，了解更多关于参加临床试验潜在益处和风险的信息。

临床试验是如何运作的?[1、2、3]

所有试验参与者都会服用新药吗?

为了解是否能改善参与者的健康状况，研究人员通常会给一些参与者服用新药，而给另一些参与者服用安慰剂。安慰剂看起来像新药，但里面没有药物成分。研究人员使用安慰剂来确保在接受新药治疗的参与者身上看到的任何影响确实是由新药引起的。

在一些临床试验中，研究人员给一些参与者提供了某种针对他们疾病的治疗药物，而不是安慰剂。这种治疗药物通常用于治疗患者的疾病，这被称为标准疗法。通过给一些参与者服用新治疗药物，同时给另一些参与者服用标准治疗药物。研究人员可将新药与标准治疗药物相比，研究其效果如何。

在许多临床试验中，计算机可用来随机决定哪些参与者服用新药，哪些参与者服用安慰剂或标准治疗药物。这样做是为了公平地选择治疗药物，并尽可能准确地比较每种治疗方法的结果。

在一些临床试验中，直到研究结束，参与者和研究人员都不知道哪些参与者接受的是新药治疗，哪些参与者服用的是安慰剂或标准治疗药物。这类试验被称为双盲试验。研究人员之所以使用双盲试验是因为一旦知道参与者正在服用哪种药物，就会影响试验的结果。

通过给一些参与者服用新治疗药物，同时给另一些参与者服用标准治疗药物，研究人员可将新药与标准治疗药物相比，研究其效果如何。

参加临床试验[1、2]

潜在的益处和风险

在参加临床试验之前，需要了解试验的所有可能的益处、风险和替代方案。为了确保参与者理解这一点，试验研究人员将解释试验过程，并会提供参与者需要阅读的信息，还可能让参与者填写问卷。

如果对临床试验有任何疑问，请询问试验人员。

下表显示了参加临床试验的一些潜在益处和风险。

潜在益处	潜在风险
可免费获得以前无法获得的新疗法	新疗法可能会导致不适或产生副作用
可获得试验期间提供的额外医疗护理	新疗法可能不起作用，或者可能不比目前接受的疗法更好
可能获得信息、支持小组的帮助和资源	可能没有被分配到接受新疗法的群组，而可能被分配到接受安慰剂或标准治疗药物的群组。
帮助人们更多的了解某种疾病	由于需要额外进行预约，临床试验可能会很耗时，可能还需要前往试验场所
帮助他人在未来获得更好的治疗	

临床试验由研究人员和包括医生、护士、药剂师和其他医疗专业人员在内的医疗团队进行。临床试验医疗团队负责在试验期间和试验后一段时间内检查试验参与者的健康状况。如果参与者在试验治疗中出现严重或意外的副作用，试验医生将决定是否需要改变治疗剂量或参与者是否需要停止接受治疗。

资格条件

每个临床试验的目的都是要解答某个研究课题。研究人员仔细选择临床试验参与者，以便能够最好地解答研究课题。

对于每个临床试验，研究人员决定参与者需要具备或不具备哪些特征才能参加临床试验。参与者需要具备的特质被称为入选标准。参与者不具备的特征被称为排除标准。

这些特征可以包括某个年龄或患有特定类型或阶段的疾病。

如果某人符合临床试验的所有入选标准，且不符合任何排除标准，则被视为有资格参与该试验。

知情同意

在参加临床试验之前，我们会要求参与者签署《知情同意书》。知情同意书包含有关试验的信息，如试验的目的、持续时间，以及参与试验的潜在益处和风险。

一定要仔细阅读《知情同意书》，并确保自己理解试验是如何运作的，以及相关要求是什么。可把《知情同意书》带回家，与医生、家人和朋友讨论。签署本表格，即表示确认您已理解表格中的所有信息。如有任何问题，请询问试验研究人员。

即使已经签署了知情同意书并加入了临床试验，也可随时以任何理由退出试验！如果试验研究人员认为参与者的健康状况恶化，则可能会让其退出试验。

即使已经签署了知情同意书并加入了临床试验，也可随时以任何理由退出试验！

主要考虑事项[1、2]

了解所希望参加的临床试验是很重要的。

研究人员在实验室里对新疗法做了许多测试，然后才会在临床试验中测试该类疗法的作用方式，以及对人体的安全性。在临床试验中，研究人员可了解到新疗法对一些人可能产生的副作用。重要的是，要明白新疗法可能对病情有所帮助，也可能不会有副作用。

临床试验都是自愿参加的。绝不应该有任何参与压力。参与者可随时以任何理由退出试验。

绝不应为接受试验疗法支付任何费用。

考虑参加的任何临床试验都应由医疗专业人员在临床现场亲自负责，并受机构审查委员会监督。

可以询问临床试验人员的资质和经验。

临床试验结果可能会公开发表，但参与者的身份将始终受到保护。

本手册旨在提供有关临床试验的信息，不可用于提供医疗建议，也不会鼓励读者参与临床试验。如有任何疑问，一定要咨询医生。

哪里可以获得更多信息和支持

请参阅以下实用信息。

The Center for Information and Study on Clinical Research Participation: 关于临床试验的信息和临床试验的搜索表格

https://www.ciscrp.org

National Institutes of Health Clinical Research Trials and You: 关于临床试验的信息以及如何找到合适的试验

https://www.nih.gov/health-information/nih-clinical-research-trials-you

SCN2A ASIA-PACIFIC

@SCN2AAsiaPacific

@scn2aaustralia

@scn2aaustralia

SCN2A Asia-Pacific

扫描二维码进入 SCN2A Australia 登陆页面

参考文献

1. Australian Government. Australian Clinical Trials. Available from: https://www.australianclinicaltrials.gov.au/ (Accessed 15 September 2022).
2. Medicines Australia. Clinical Trials. Available from: https://www.medicinesaustralia.com.au/policy/clinical-trials/ (Accessed 15 September 2022).
3. Akobeng AK. Understanding randomised controlled trials. *Arch Dis Child* 2005;90:840–4.