

## 研究者教育培训材料(二)

### (一) 临床试验基本知识

#### 1. 什么是临床试验?

答：临床试验是指任何在人体（病人或健康志愿者）进行的系统性研究，以证实或揭示试验药物、医疗器械、医疗新技术的作用、不良反应及/或试验药物的吸收、分布、代谢和排泄的过程。

临床试验的目的是确定试验药物、医疗器械、医疗新技术的疗效与安全性，避免应用于临床后大范围的安全问题的发生。

#### 2. 临床试验包括哪些类型?

答：临床试验包括药物临床试验、医疗器械临床试验、临床科研、医疗新技术临床试验。

#### 3. 药物临床试验分期&试验重点是什么?

答：药物临床试验分临床前试验、I-IV 期临床试验、生物等效性试验。

临床前试验是在动物中进行的试验，研究药效学与急性毒性试验结果，以及长期毒性试验结果，为进行人体临床试验提供依据，如人体初试剂量、可能的不良反应等。

I 期临床试验：在健康志愿者（通常 8-20 名）身上进行，观察人体对于新药的耐受程度和药物代谢过程，目的是确定可用于临床的安全有效剂量与合理给药方案。

II 期临床试验：在小范围患者（100-200 例）体内进行，是治疗作用的初步评价阶段。对疗效、适应症、不良反应进行详细考察，初步评价试验药物对目标适应症患者的治疗作用和安全性；为 III 期临床试验研究设计和给药剂量方案的确定提供依据。

III 期临床试验：大范围患者（>300 例），在全国或国际范围内进行，为治疗作用确证阶段，进一步验证药物对目标适应症患者的治疗作用和安全性，评价利益与风险关系，最终为药物注册申请的审查提供充分的依据。

IV 期临床试验：受试者>2000 例，为新药上市后应用研究阶段。考察在广泛使用条件下的药物的疗效和不良反应，着重于新药的不良反应监察与扩大药物治疗的适应症范围。

生物等效性试验：用生物利用度研究的方法，以药代动力学参数为指标，比较同一种药物的相同或者不同剂型的制剂，在相同的试验条件下，其活性成份吸收程度和速度有无统计学差异的人体试验。

#### 4. 什么是医疗器械临床试验及其目的?

答：获得医疗器械临床试验资格的医疗机构（以下称医疗机构）对申请注册的医疗器械在正常使用条件下的安全性和有效性按照规定进行试用或验证的过程。

目的：评价受试产品是否具有预期的安全性和有效性。

#### 5. 医疗器械临床试验分类?

答：医疗器械临床试验分医疗器械临床试用与医疗器械临床验证。

医疗器械临床试用：通过临床使用来验证该医疗器械理论原理、基本结构、性能等要素能否保证安全性有效性。

试用范围：市场上尚未出现过，安全性、有效性有待确认的医疗器械。

**医疗器械临床验证：**通过临床使用来验证该医疗器械与已上市产品的主要结构、性能等要素是否实质性等同，是否具有同样的安全性、有效性。

**临床验证范围：**同类产品已上市，其安全性、有效性需要进一步确认的医疗器械。

## 6. 医疗器械分类简介。

答：第一类：常规管理足以保证其安全性有效性的医疗器械。如：绷带，备皮刀，听诊器等；

第二类：对其安全性有效性应当加以控制的医疗器械，如：血压计，体温计，无创医用传感器等；

第三类：植入人体的，用于支持/维持生命；对人体具有潜在危险，对其安全性有效性必须严格控制的医疗器械。如：静脉留置针，一次性静脉输液针，心脏起搏器等。

## 7. 什么是医疗技术？

答：医疗技术是指医疗机构及其医务人员以诊断和治疗疾病为目的，对疾病作出判断和消除疾病、缓解病情、减轻痛苦、改善功能、延长生命、帮助患者恢复健康而采取的诊断、治疗措施。

医疗机构开展新的医疗技术前，符合条件的，应当向相应的技术审核机构申请医疗技术临床应用能力技术审核：

- 该项医疗技术通过本机构医学伦理审查；
- 完成相应的临床试验研究，有安全、有效的结果；
- 其余条件见《医疗技术临床应用管理办法》第三章。

## 8. 医疗技术分类管理：

答：第一类：安全性、有效性确切；由医疗机构常规管理；如听诊器，棉签等。

第二类：安全性、有效性确切；涉及伦理问题/风险较高；由省级卫生行政部门管理；北京市第二类医疗技术目录举例：颅底肿瘤（颅内外沟通肿瘤）切除术、颅内脑血管畸形（功能区、脑底深部及大型）切除术、大气道肿瘤切除术、人工关节置换技术等。

第三类：涉及重大伦理问题：高风险；安全性、有效性尚需临床试验研究验证；需要使用稀缺资源；由卫生部规定的其他需要特殊管理的医疗技术。如：同种器官移植技术、心室辅助装置应用技术、自体免疫细胞治疗技术、肿瘤消融治疗技术等。

## (二) 临床试验相关术语介绍

**1. 知情同意书：**是每位受试者表示自愿参加某一试验的文件证明。研究者需向受试者说明试验性质、试验目的、可能的受益和风险、可供选用的其他治疗方法以及符合《赫尔辛基宣言》规定的受试者的权利和义务等，使受试者充分了解后表达其同意。

**2. 知情同意：**指向受试者告知一项试验的各方面情况后，受试者自愿确认其同意参加该项临床试验的过程，须以签名和注明日期的知情同意书作为文件证明。

**3. 试验方案 (Protocol)：**叙述试验的背景、理论基础和目的，试验设计、方法和组织，包括统计学考虑、试验执行和完成的条件。方案必须由参加试验的主要研究者、研究机构和申办者签章并注明日期。

4. **研究者手册 (Investigator's Brochure)**：有关试验药物在进行人体研究时已有的临床与非临床研究资料。

5. **研究者 (Investigator)**：实施临床试验并对临床试验的质量及受试者安全和权益的负责人。研究者必须经过资格审查，具有临床试验的专业特长、资格和能力。

6. **监查员 (Monitor)**：由申办者任命并对申办者负责的具备相关知识的人员，其任务是监查和报告试验的进展情况和核实数据。

7. **病例报告表 (Case Report Form, CRF)**：指按试验方案所规定设计的一种文件，用以记录每一名受试者在试验过程中的数据。

8. **试验用药品**：用于临床试验中的试验药物、对照药品或安慰剂。

9. **不良事件**：病人或临床试验受试者接受一种药品后出现的不良医学事件，但并不一定与治疗有因果关系。

10. **严重不良事件**：临床试验过程中发生需住院治疗、延长住院时间、伤残、影响工作能力、危及生命或死亡、导致先天畸形等事件。

11. **标准操作规程**：为有效地实施和完成某一临床试验中每项工作所拟定的标准和详细的书面规程。

12. **设盲**：临床试验中使一方或多方不知道受试者治疗分配的程序。单盲指受试者不知，双盲指受试者、研究者、监查员或数据分析者均不知治疗分配。

13. **合同研究组织 (CRO)**：一种学术性或商业性的科学机构。申办者可委托其执行临床试验中某些工作和任务，此种委托必须作出书面规定。

14. **临床试验**：指任何在人体（病人或健康志愿者）进行药物的系统性研究，以证实或揭示试验药物的作用、不良反应及/或试验药物的吸收、分布、代谢和排泄，目的是确定试验药物的疗效与安全性。

**【I期临床研究】**：首次在人体进行研究药物的周密试验计划，受试对象是少量（开放 20~30 例）正常成年健康自愿者。目的是观察药物在人体内的作用机制。

**【II期临床研究】**：在只患有确立的适应症的病患者（盲法不小于 100 对）身上进行的研究，目的是找出最佳的剂量范围和考虑治疗可行性。

**【III期临床研究】**：确定研究药物的有效性和安全性、受益和危害比率。（试验组不小于 300 例。）

**【IV期临床研究】**：新药获准注册上市后的大型研究，检查普遍临床使用时的不良反应和毒性。

15. **药品临床试验管理规范 (GCP)**：对临床试验的设计、实施和执行，监查、稽查、记录、分析和报告的标准。该标准是数据和报告结果的可信和精确的保证；也是受试者权益、公正和隐私受保护的保证。

**16. 伦理委员会：**是指一个由医学，科学专业人员及非医学，非科学人员共同组成的独立体，其职责是通过对试验方案、研究者资格、设备、以及获得并签署受试者知情同意书的方法和资料进行审阅、批准或提出建议来确认临床试验所涉及的人类受试者的权益、安全性和健康受到保护，并对此保护提供公众保证。

**17. 申办者：**发起一项临床试验，并对该试验的启动、管理、财务和监查负责的公司、机构或组织。

**18. 研究者：**实施临床试验并对临床试验的质量及受试者安全和权益的负责人。研究者必须经过资格审查，具有临床试验的专业特长、资格和能力。