

带你了解药物临床试验

文 / 吉林省人民医院 吴超君 王雪野
吉林省大学生就业指导中心 郝亚光



关键词：药物临床试验；受试者保护；伦理审查；知情同意

提及“药物临床试验”，许多人往往会感到陌生、抗拒。实际上，在进入临床试验之前，药物通常已经历经多年的基础研究，包括各类细胞实验筛选、长期毒性研究、药物代谢途径研究等。只有在充分的科学证据表明其在动物体内具备安全性和有效性之后，药物才有资格进入临床试验阶段。临床试验的核心任务，是

在严格监控的条件下，系统性地评估药物。因此，现代药物临床试验的本质是在充分保护受试者权益的前提下，通过科学方法进行效益与风险的验证，而非盲目的冒险。

接下来，本文将介绍药物临床试验的发展历程与分期，并阐释以伦理审查、知情同意和数据监查为核心

的现代受试者保护体系是如何运作的。希望本文能够帮助大家消除常见误解，并传递药物临床试验背后蕴含的科学精神与人文内涵。

一、从“尝百草”走向科学

药物临床试验是人类在漫长的医疗史中，为降低治疗风险、保护生命而逐步建立的一套规范体系。早在古代，“神农尝百草”的传说就反映了那个时代朴素而残酷的现实：古人探索药物，往往以身相试。在缺乏科学方法的条件下，治疗基本依靠试错与经验观察，人类长期处于对药物作用“摸黑探索”的状态。

1747年5月20日，英国军医詹姆斯·林德在一艘军舰上开展了一项针对坏血病的分组比较研究。他将患病船员分为若干小组，分别给予不同的饮食或疗法干预，最终发现食用柑橘类水果的组别恢复效果最佳。这项研究因其系统性地采用了分组比较的方法来验证疗效，被视为现代临床试验的开端。为纪念这一标志医学研究走向科学化的重要里程碑，每年的5月20日被定为“国际临床试验日”。

进入20世纪后，人类经历过很多痛心的教训。在20世纪60年代的“反应停（沙利度胺）事件”中，只通过动物实验认证的药物导致大量婴儿畸形。这场灾难震惊世界，并直接促使各国深刻认识到，药物安全性绝不能仅依赖于实验室数据。此后，各国纷纷开始建立严格的药品监管制度，明确要求所有新药必须经过严格的临床试验。

发展至今，中国国家药品监督管理局（NMPA）、美国食品药品监督管理局（FDA）、欧洲药品管理局（EMA）等全球主要的药品监管机构，均已建立一套极其成熟的审评体系。一款新药从研发到获批上市，平均耗时长达10至15年，所需的研发投入巨大。唯有通过科学程序充分验证的药物，才具备广泛应用于临床患者的资格，从而真正守护未来千千万万的生命。

二、药物临床试验的分期

药物临床试验一般分为四期，目的是在药物上市前系统评估其安全性与有效性，并在上市后持续监测其在真实世界中的应用情况。

I期试验通常在少量健康受试者中进行，主要目

的是初步评估药物的安全性和耐受性。研究人员会参考前期试验数据设定起始剂量，再通过逐步调整用药剂量来观察人体对药物的反应，以确定后续试验的安全剂量范围。此阶段重点在于发现明显的安全性问题，若存在严重风险，药物将被淘汰。

II期试验旨在初步验证药物的有效性，并进一步评估其安全性。研究通常会纳入数百例目标适应证患者，采用随机、双盲、对照的设计。研究者和受试者均不清楚具体分组情况，以最大程度减少主观判断对结果的影响。

III期试验是大规模、多中心的随机对照研究，通常纳入数千至数万名患者，旨在确认药物的有效性与安全性。试验将药物与现有标准治疗或安慰剂进行长期比较，观察其在更广泛人群中的疗效以及长期用药风险。该阶段被视为药物能否获批上市的关键性证据阶段。

IV期试验在药物获批上市后进行，目的是在真实医疗环境中持续评估药物的长期安全性和有效性。由于上市前研究的样本量和观察时间有限，无法涵盖所有潜在使用人群及复杂临床情况，因此IV期试验旨在通过收集大规模、多样化的患者数据，进一步考察药物在特殊人群中的反应、与其他药物联用的相互作用、罕见或迟发性不良反应，以及长期疗效与风险。这一阶段为优化用药方案、更新药品信息提供重要依据，让治疗更安全、更精准。

三、药物临床试验的安全保障机制

对于新药临床试验，公众最大的担忧往往集中在安全性问题上。实际上，现代药物临床试验具有严格的安全保障机制，以确保受试者的权益与安全。

1. 伦理委员会审查与监督制度

伦理委员会由医学、药学、法律专家及社区代表等组成，负责对研究方案进行逐项审阅，包括试验设计的科学性、风险与获益的合理性、知情同意是否充分等。委员会在试验期间定期监督研究进展，若发现风险超出预期，有权要求暂停或终止试验，确保受试者始终处于受保护的地位。

2. 知情同意制度

知情同意并非简单签署知情同意书，而是研究者必须用受试者易于理解的语言，详细说明试验目的、流

程、可能的风险与获益、所需检查及受试者的权利。需要重点强调,受试者拥有绝对的自主决定权,可以随时拒绝参加或退出试验,且退出不会影响其后续治疗。这一步骤是对个人自主权根本的尊重,也是临床试验重要的伦理基础。

3. 设置独立的数据安全监查委员会 (DSMB)

DSMB由独立于研究团队的专家组成,专门负责审阅试验数据。若证据显示试验药物效果显著,DSMB可建议提前结束试验,让更多患者获益;若发现风险增加,则有权建议调整、暂停或终止试验。DSMB如同试验的“刹车系统”,确保受试者不会因为研究而处于危险之中。

四、参与药物临床试验的获益与潜在风险

1. 主要获益

(1) 获得接受前沿治疗的机会

部分创新药物(如新型抗肿瘤药物、罕见病药物)在临床试验阶段已展现出显著疗效。对于现有标准治疗无效的患者,参与试验可能是获得有效治疗的唯一途径。

(2) 减轻经济负担

试验通常免费提供研究药物及相关检查、化验,部分研究还会提供交通费等补助,能显著降低患者的经济压力。

(3) 获得更密切的医疗关注

试验要求对受试者进行定期、规范的随访与监测,因此健康状况变化可能被更早发现。

2. 潜在风险

(1) 药物安全性风险

即便经过临床前研究,药物进入人体后仍然可能出现预期外的不良反应。

(2) 疗效不确定性

药物可能达不到预期疗效,受试者可能无法从治疗中获益。

(3) 时间与精力投入

参与试验通常需要更频繁的检查,对受试者的时间、精力和依从性有较高要求。

五、结语

今天的药物临床试验已经从早期的“粗放探索”阶段,迈入“精准护航”的新时代。临床试验过程具备完善的伦理审查体系、透明的知情同意制度、严密的数据监查机制,并由专业医学团队全程保障。受试者并非“小白鼠”,更不是被动承受者,而是在充分知情的基础上主动参与的贡献者。如果将医学发展比作一部不断续写的长卷,那么每一位受试者都是执笔人。他们的参与既为自身带来了希望,也为人类医学开拓了更多可能。

本文编辑: 王佳昕

