

癌症临床研究 指南



本指南适用于希望进一步了解临床研究的患者
和护理人员

本指南能为我提供哪些帮助？

本指南阐述了癌症临床研究（也称为“临床试验”）的关键概念，可以帮助您与医生进行有意义的对话。

希望您通过阅读本指南能轻松完成以下事情：

- 在医疗中发挥积极作用，其中可能包括参加临床研究
- 与医生坦诚对话
- 就自己对临床研究的任何疑问向医生进行咨询

第 1 章

开启与临床研究有关的对话

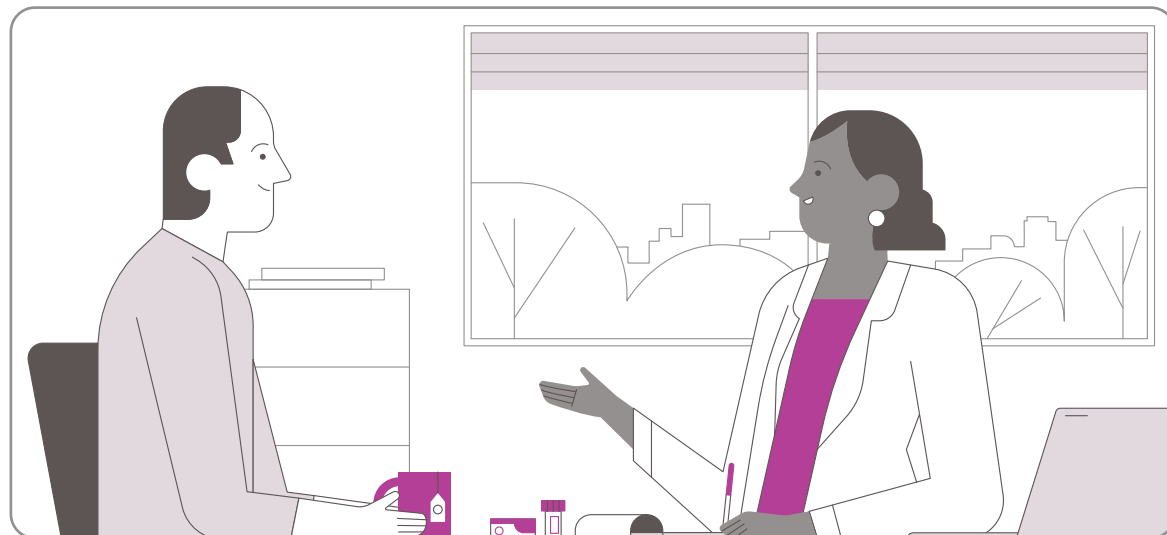
第 2 章

了解临床研究：进一步了解临床研究的测量指标

第 3 章

评价临床研究结果

开启与临床研究有关的对话



什么是临床研究？

临床研究是以人类志愿者为受试者的一种研究，旨在分析药物、疫苗或医疗器械等**研究性治疗**的益处和风险。临床研究有时也被称为“**临床试验**”。医生可能对研究性治疗的益处和风险存有疑问，而借助临床研究可以找到答案，从而更好地预防、筛查（或检查）、诊断或治疗疾病。临床研究团队会对研究性治疗进行仔细研究，待美国食品药品监督管理局（FDA）审批通过，方可用于患者。



务请知悉：研究性治疗是指处于研究阶段、尚未通过美国食品药品监督管理局审批的治疗。

为什么临床研究很重要？

临床研究可以让医生对疾病有更多的了解，并据以改进医疗手段。志愿者参加临床研究可以为医生提供重要信息，如某项研究性治疗对某种疾病是否有效，或者可以探索改善患者舒适度和生活质量的方法，从而让未来的医疗服务有所改观。

临床研究能揭示以下一些主要问题的答案：

1. 研究性治疗有哪些潜在风险？
2. 研究性治疗有效吗？效果如何？

在了解一项临床研究时，您可能听过“**益处和风险**”这一说法。医生会和您详细讨论研究性治疗的潜在利弊，然后再判断该治疗手段是否适合您。



“**益处**”可以看作是有助于改善康复效果或让您感觉好些的方面。

“**风险**”则是您可能会面临的潜在副作用风险。

如何判断自己是否适合参加临床研究？

为了判断某项临床研究是否适合您，医生将和您一起分析。医生将提供各种研究性治疗的信息供您参考，以便您判断何种治疗手段可能适合自己。在作出判断时，可能需要考虑研究性治疗对日常活动的影响和可能产生的副作用。

有时，您可能需要与医生进行对话，询问是否有适合自己的临床研究。



务请知悉：为判断某项临床研究是否适合自己，您随时可以向其他医生征求**第二意见**。下决心参加临床研究可能并不是一件容易的事。征求第二意见能让您对自己的判断更安心、更有信心。

如您想了解有关临床研究的更多信息，可随时咨询您的主治医生或医疗团队。他们可以为您提供更多信息，解决您的任何问题或疑虑。



了解临床研究： 进一步了解临床研究的测量指标

有哪几种测量指标？

对于癌症临床研究的每名受试者，临床研究团队都会通过两种常见的测量指标来查看研究性治疗的潜在益处。第一种指标是肿瘤大小变化，第二种指标是变化所花时间。



除了测量益处，临床研究团队也测量风险，并且会将益处和风险测量评估情况作为临床研究结果进行上报。

临床研究团队如何查明肿瘤大小的变化？

临床研究团队会观察肿瘤初始大小或基线大小与后期预定检查期间大小的不同，从而测量其变化。

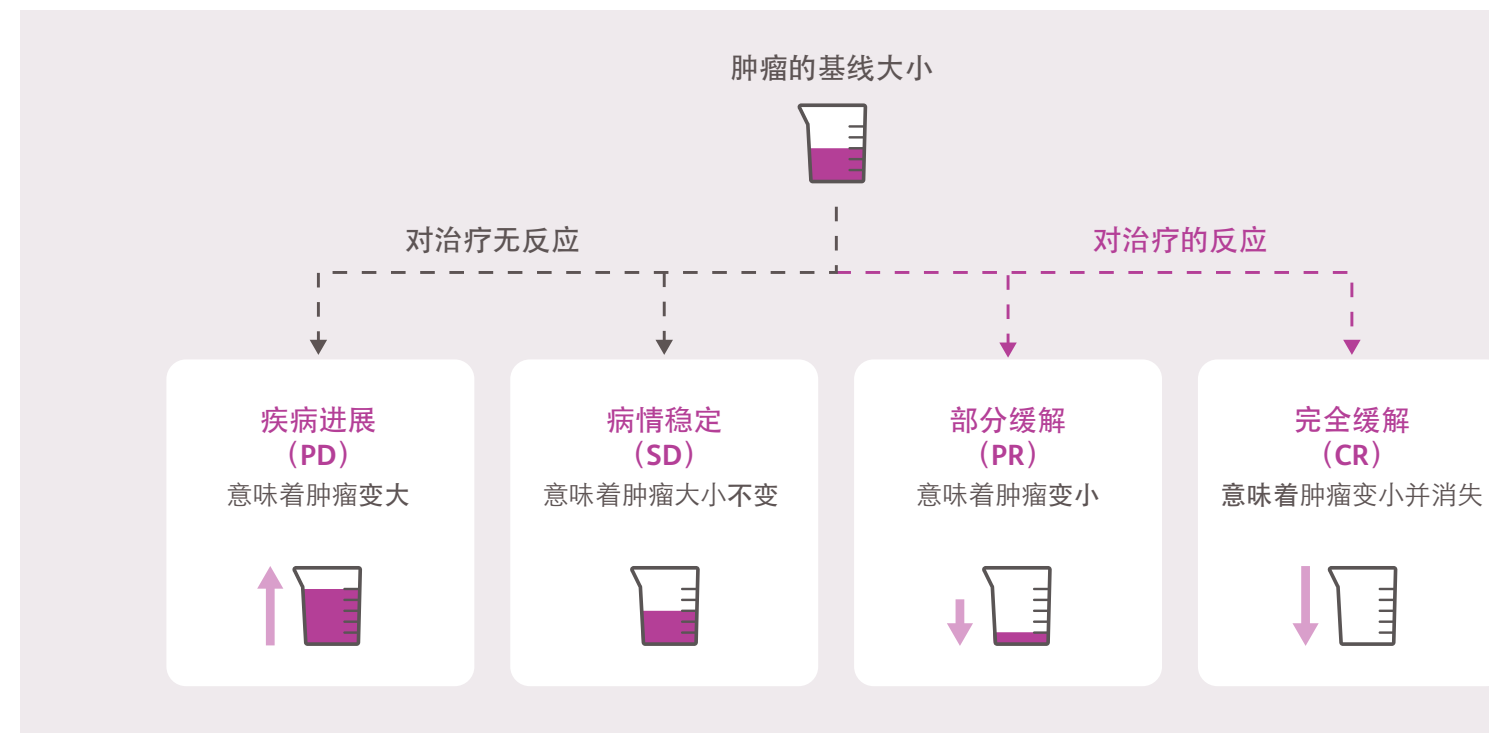
在预定检查期间，临床研究团队将测量肿瘤是变大、变小还是不变。从该测量结果可获知受试者对临床研究阶段的癌症治疗手段有无反应。

临床研究时间表



“治疗反应”指什么？

临床研究团队通过标准的测量方法来测量受试者对研究性治疗的反应程度。受试者的反应有 4 种。临床研究团队按肿瘤变大、不变或变小来确定受试者的反应类型。



如果与基线大小相比，受试者的肿瘤变小，意味着 **对治疗产生了反应**。务请知悉：每名受试者的肿瘤基线大小均不相同。临床研究团队将根据每个受试者初始的肿瘤大小，记录下他们的各种反应。



务请知悉： 治疗产生完全反应并不一定意味着癌症已被治愈。受试者将继续接受监测，以便观察有无癌症复发迹象，同时确定是否需要另外治疗。

这些测量结果是如何报告的？

首先，临床研究团队会计算对研究性治疗有反应的受试者总数；然后，再用该总数除以所有受试者的人数。得出的百分比为 **总缓解率 (ORR)** ——即经过研究性治疗后肿瘤缩小或消失的患者比例。

$$\frac{\text{有反应者人数}}{\text{受试者总人数}} = \text{总缓解率 (\%)}$$

临床研究团队如何计算变化花费的时间？

除了测量肿瘤大小变化，临床研究团队还测量变化花费的时间。他们将测量受试者从开始参加研究到肿瘤出现变化之间的时间。

出现以下情况即表示肿瘤发生变化：

- 受试者肿瘤有变大或扩散迹象
- 受试者去世



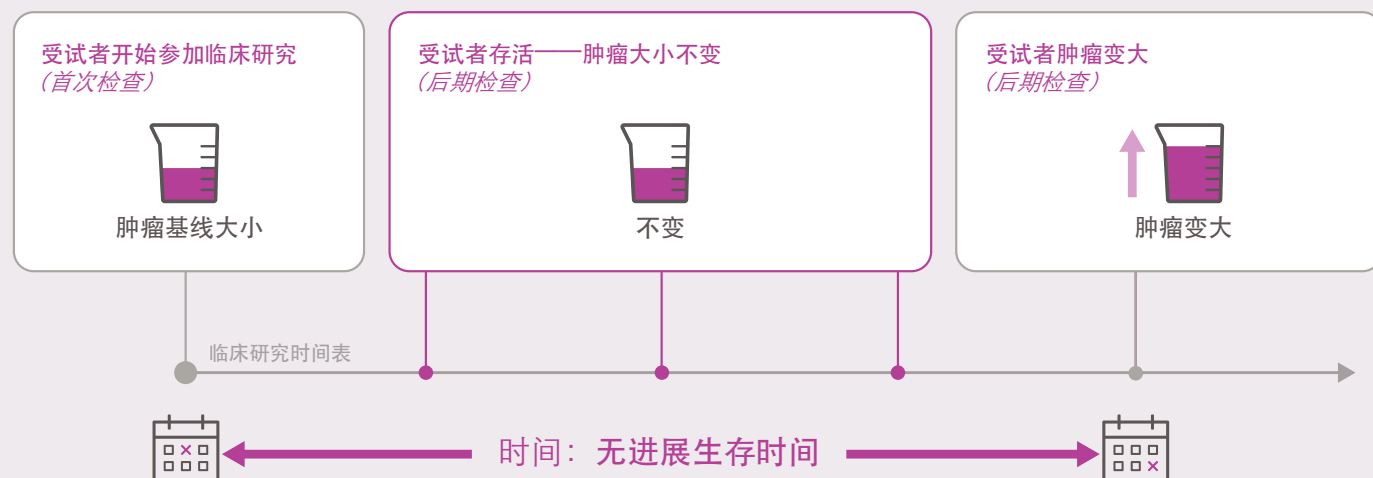
临床研究团队会进行哪些与时间相关的测量？(续)

临床研究团队进行的另一项测量是受试者在研究性治疗开始后的平均存活时间。这段时间被称为“总生存期”(OS)。进行这项测量时，不需要观察肿瘤大小。



临床研究团队会进行哪些与时间相关的测量？

其中一项测量内容是，研究性治疗开始后，受试者在肿瘤未变大或未扩散情况下的平均存活时间。这段时间被称为“无进展生存时间”(PFS)。进行这项测量时，临床研究小组需要考虑肿瘤大小。



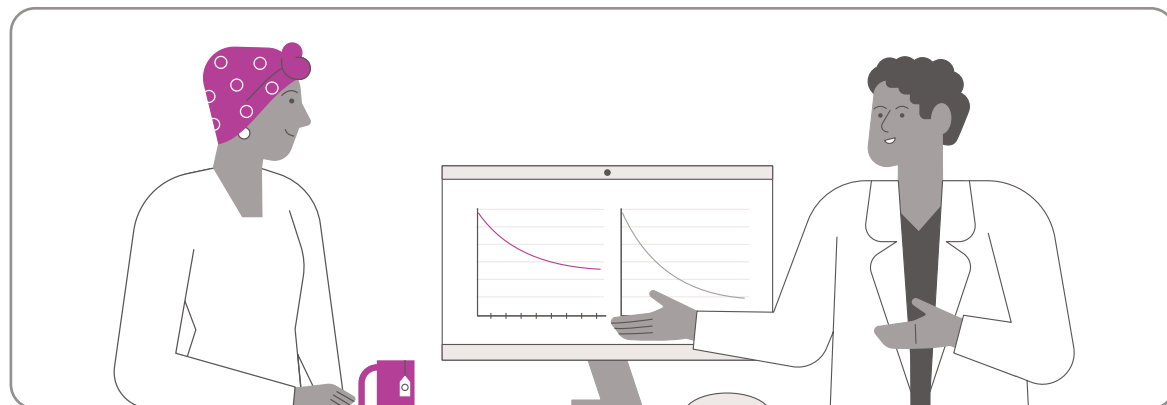
这些测量结果是如何报告的？

临床研究团队收集每名受试者的测量结果，并将其绘制成图表。这些信息以无进展生存期和总生存期结果的形式报告，通常以月或年为单位。

在下一章中，我们将查看这些图表可能会有哪些内容，以及您和医生要如何解读这些图表。

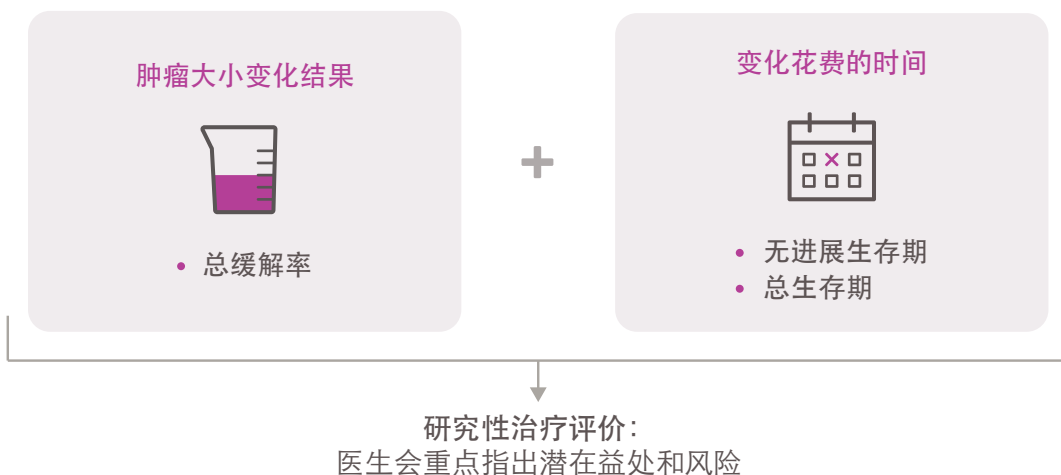


评价临床研究结果



医生如何运用临床研究结果来评价研究性治疗的益处和风险？

您的主治医生将检查肿瘤大小的变化结果及变化所花的时间。他们将解读这些信息，并侧重于研究性治疗的潜在益处和风险。根据这些详细情况，您也可以得知自己是否符合参加临床研究的条件。



务请知悉： 在评估研究性治疗是否适合您时，医生会考虑您个人参加研究的潜在益处和风险，如年龄和其他健康状况。

在评价研究性治疗时，医疗团队会如何解读总缓解率？

医生会统计对研究性治疗有反应的受试者人数，并计算总缓解率。总缓解率是指接受研究治疗后肿瘤变小或消失的患者比例。

我们来看一个临床研究示例。

想象一下，有 10 名受试者接受了研究性治疗



研究结束时，临床研究团队测量结果如下：

对研究性治疗无反应



对研究性治疗有反应



在这项试验中，10 名受试者中有 6 名对研究性治疗有反应。所以，公布的总缓解率结果为：

“总缓解率为 60%”



务请知悉： 每名受试者对治疗的反应可能不尽相同。在临床研究期间，医生可能会观察肿瘤初始大小、反应持续时间以及受试者的感受等所有方面的情况。

医生还会观察哪些与反应相关的情况？

除了观察总缓解率结果外，医生可能还会考虑以下问题：

- 如果受试者对研究性治疗有反应，该反应持续了多久？
- 他们在这段时间的生活质量如何？
- 他们的日常活动有无变化？

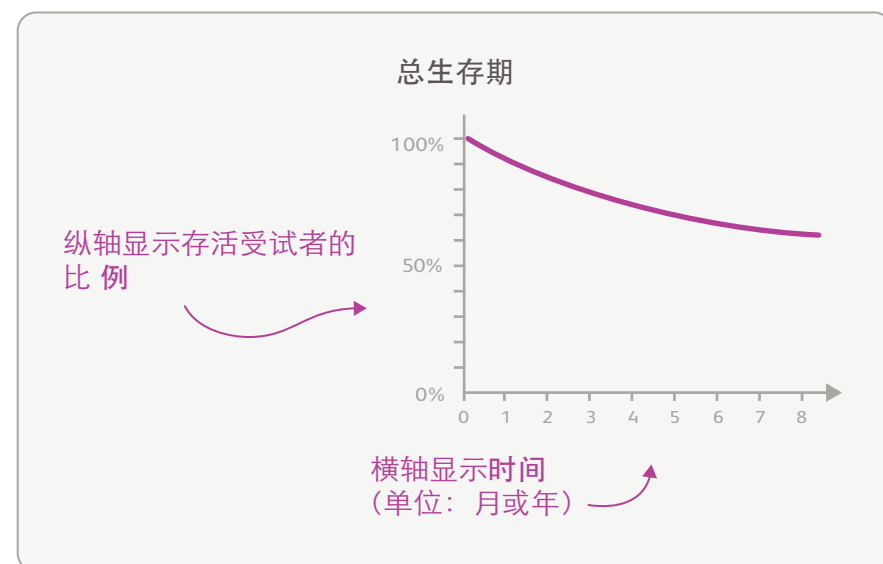
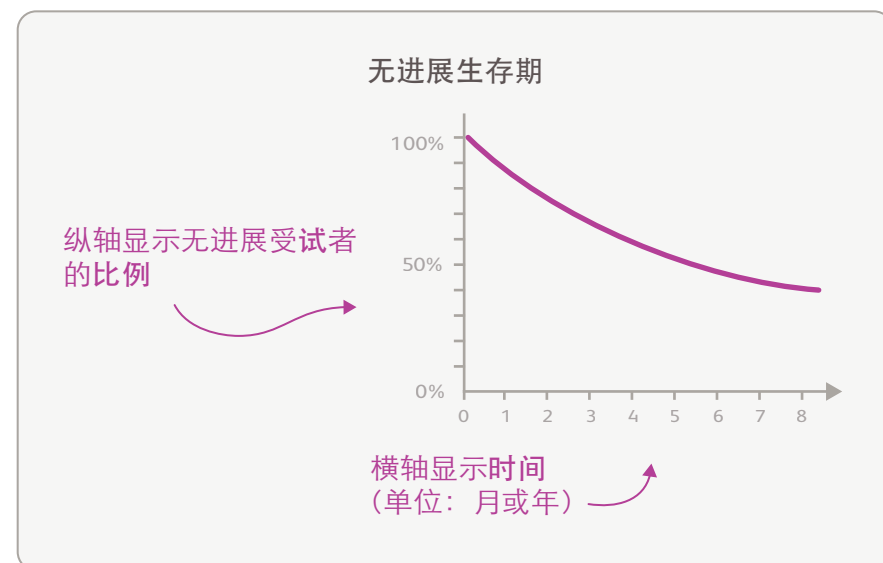


在评价研究性治疗时，医生是如何解读总生存期 (OS) 和无进展生存期 (PFS) 的？

回顾“无进展生存期”的概念——指在研究性治疗开始后，受试者在肿瘤未变大或未扩散情况下的平均存活时间。另一项测量内容——总生存期，指受试者在研究性治疗开始后的平均存活时间。

临床研究团队会将受试者的无进展生存期测量结果绘制成曲线图进行分析，并会为总生存期测量结果绘制另一个曲线图。从这些图表可以获知一组患者在某段时间内病情出现变化的比率。医生会分析这些图表，并会着眼整体以及研究过程中的某些时间节点进行评价。

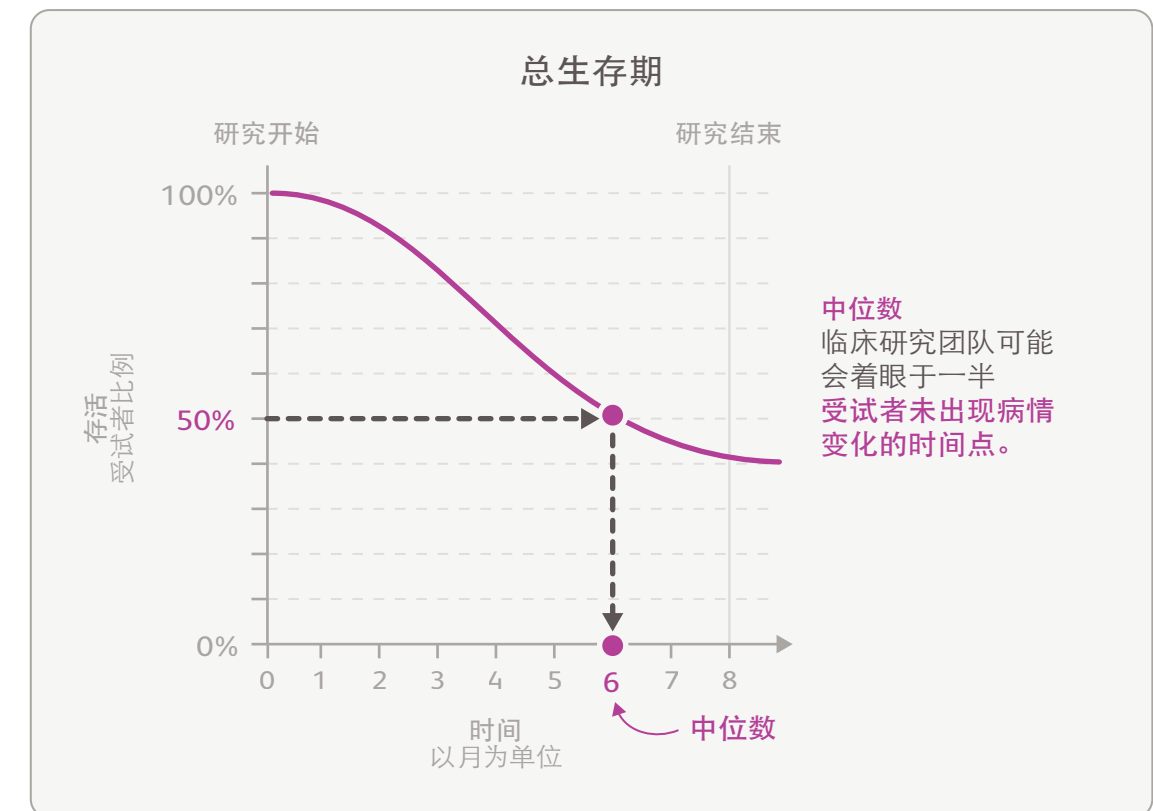
下面是临床研究团队在一项研究中绘制的图表，我们来看一下。临床研究团队分别绘制了一份无进展生存期曲线图和总生存期曲线图。



临床试验生存曲线图的常用分析方法是什么？

临床试验生存曲线表的常用分析方法是：着眼于一半（50%）受试者病情未出现变化的时间点——即中位数。

以下是一份总生存期曲线图示例，我们来看一下。

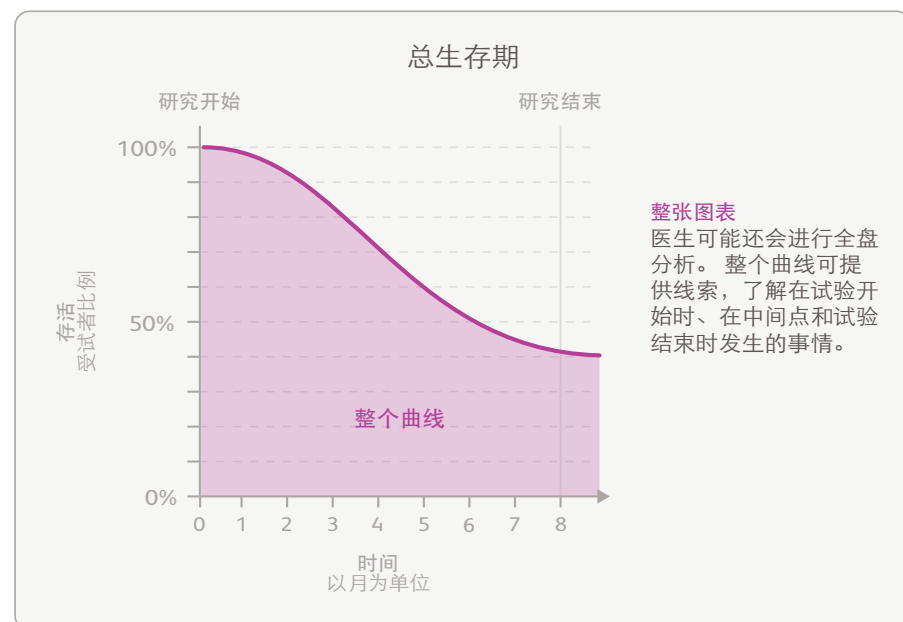
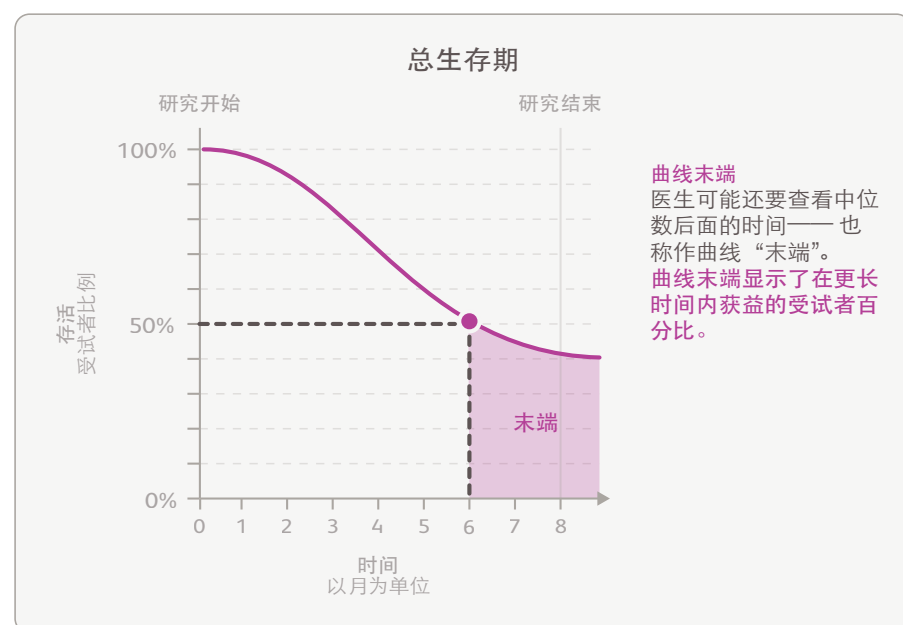


在这项研究中，50% 的受试者病情未出现变化的时间点是 6 个月。因此，公布的总生存期中位数为：

“总生存期中位数为 6 个月”

医生还会查看和分析图表上的哪些信息？

研究性治疗方案的益处可能需要更长一段时间才会看出来。因此，医生务必要查看生存曲线图的其他部分，如**末端**和**整体曲线**。医生会分析所有临床研究结果，以及收集到的安全性信息，如副作用以及受试者是否因副作用而停止研究性治疗等，这样才能做出更明智的决定。



为了进一步了解临床研究和研究性治疗，可以问医生哪些问题？

以下是可以问医生的问题示例：

研究

1. 这项临床研究的目的是什么？
2. 这项研究会持续多久？需要参加多长时间的研究？
3. 需要多久去一次研究地点？如果不得不错过某次研究或需要重新安排时间，会怎样？
4. 去参加这次临床研究的路程有多远？如果从很远的地方过来，是否有地方可以住宿？如果在本地，有哪些往返研究地点的交通方式？
5. 研究期间要接受哪类测试、评估、体检或程序？
6. 如何知道研究性治疗是否有效？
7. 这种研究性治疗有哪些潜在风险和益处，如果受到伤害会怎样？
8. 与标准治疗相比，这项研究性治疗的风险和益处是什么？
9. 随访是当面进行还是通过电话或线上进行？
10. 临床研究结束后，我将接受什么治疗？如果研究性治疗对我有效，但未通过美国食品药品监督管理局（FDA）审批，我是否还能继续接受这一治疗？
11. 是否有人进行过类似研究，结果如何？
12. 我的疾病/病症有哪些不同的治疗方法？

参与治疗

1. 你们如何保护我的医疗信息和隐私？
2. 我有多少时间来决定是否参加研究？
3. 如果临床研究停止，或者我需要提前停止研究性治疗，会怎样？
4. 参加这项研究会对我的日常生活（包括上班和照顾他人）产生什么影响？
5. 在参加研究期间，我还能服用常规药物吗？
6. 如果我有其他健康问题，如心脏病、肾病、自身免疫性疾病等，该怎么办？
7. 我的癌症医疗团队中会有哪些人？临床研究团队是否会有原癌症医疗团队以外的人？
8. 研究是否会提供口译服务或文件笔译服务？
9. 如果我有任何问题或疑虑，是否有专人可以随时联系？

费用

1. 我需要支付哪些费用，哪些费用可以用医疗保险支付？
2. 交通费、停车费、住宿费、伙食费等费用是否可以报销？
3. 如果需要额外帮助，有哪些资源可以利用？
4. 我参加研究期间的托儿费用是否可以报销？

谢谢您考虑参加临床研究

想要进一步了解临床研究？

考虑参加临床研究的患者可以从 **Study Connect** 入手来了解临床研究。该网站上有大量临床研究资料可供您本人、您的亲人和医生参考。如欲了解更多信息，敬请访问：www.bmsstudyconnect.com

