
新药临床试验的分期

作者：曾琳，赵一鸣 来源：临床流行病学和循证医学

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/statistics/2052.html>

本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

上周有读者在微信公众平台上问了药物临床试验分期的问题。小编发现咱们公众号还没有药物上市/注册临床试验分期的相关内容。那么我们今天就来唠唠。

一个化合物从开发到真正应用到临床需要走很长的路。在这条路上。大量的化合物面临着被牺牲和淘汰，只有那万里挑一的才俊才有机会进入临床试验阶段。在进入临床试验阶段，一般化合物至少要经历从1期到3期的临床试验才能在相应的药监部门注册上市，在上市后某些药物可能会做4期临床试验。1-4期的临床试验一般会按顺序开展，完成一个才能进行下一期的试验，一般不允许同时开展两个不同期的临床试验。

I期临床试验是化合物第一次人体应用，试验过程会非常仔细的观察和记录试验过程中出现的各种现象和反应(有益的及不良的)。I期试验的目标是要探索药物在人体使用的安全性问题，因此，除了肿瘤药物以外，通常会在健康志愿者中开展，并从最小剂量开始，摸索着增量来探索药物的最大耐受量，通过密切监测血药浓度来了解和认识药物在人体中的代谢情况(药代动力学)，同时观察用药后的反应来确定药物可能的毒性靶器官等安全性问题。虽然药物进行I期试验前已经完成了大量实验，研究者对其已经有一定的认识，但I期试验毕竟是头一次人体应用，所以整个过程会非常审慎，需要进行密切的观测和监护，所以通常I期试验样本量都较小，且均在专门的I期病房中开展，以便应付各种可能的突发情况。

II期临床试验，通常会纳入几百名受试者，这些受试者应该是这个药物治疗目标疾病的患者。一般会采用随机盲法对照设计来初步探索新药的有效性，通过建立剂量-效应或剂量-反应关系模型来探索临床推荐给药剂量。II期临床试验也可分为 a和 b试验。其中 a也称为Proof-of-Concept，其实就是药物第一次用于目标患病人群，通过这个人数稍多(通常100-300人)、治疗期限稍长的RCT来获知新药的疗效及探索临床推荐剂量。在完成 a试验后，可以获知一个较优的剂量，b试验则会采用这个剂量来进行一个RCT进一步了解这个剂量的疗效和安全性。

III期临床试验最主要的目标是药物的效力研究以及收集药物的安全性数据。一般 III期试验规模会较大(300-3000人)，为了提高研究对象的代表性，会采用多中心研究的形式，在多个医疗机构，甚至是多个国家不同医疗结构中开展 III期试验。一般来说，III期试验是随机-对照双盲设计，观察期会更长，endpoint的尽量选择临床终点而不是替代终点。由于样本量较大、观察期较长，药物上市前的大多数安全性数据均由 III期临床试验提供。

经历了以上 I到 III期临床试验后，如果结果良好就会进入向药监部门申请药物上市注册的流程。如果能通过药监部门的审核，则药物就可以上市开始临床的正式应用了。而 III期临床试验又叫上市后临床试验，如果大家感兴趣，就且听下回分解。

更多 统计方法 请访问 <https://www.iikx.com/news/statistics/>

本文版权归原作者所有，请勿用于商业用途，[爱科学iikx.com](http://www.iikx.com)转发