

**[幻灯片 1 – 欢迎与介绍]**

**主持人**

大家好，欢迎参加《**临床试验或标准治疗？——了解血癌治疗选项**》电话和网络教育课程。谨代表白血病与淋巴瘤协会 (LLS)，热烈欢迎大家的参与。特别感谢 John P. Leonard 博士今天抽出宝贵时间，与我们分享专业知识。

我们还要感谢基因泰克和生物基因公司、Onyx 制药公司（安进的一家子公司）和武田肿瘤公司对本课程的支持。

**[幻灯片 2 – John P. Leonard 医学博士]**

现在，我很高兴向大家介绍纽约维尔康奈尔医学院临床研究副院长 John P. Leonard 博士。我代表白血病与淋巴瘤协会，感谢您自愿抽出宝贵时间，与我们分享专业知识。Leonard 博士，现在我很荣幸将课程交给您。

**演示文稿**

**John P. Leonard 医学博士**

好，非常感谢。很高兴与大家会聚一堂，感谢所有听众。我很欣赏这种性质的课程，我们或许能够让每个人都从该课程中受益。白血病与淋巴瘤协会（即 LLS）对本课程提供了大力支持，并对患者，以及我们当中不少人正面对的这些难治疾病的治疗研究，做了大量工作。感谢白血病与淋巴瘤协会。感谢您们所做的一切。我强烈建议各位更多地了解 LLS，增加对 LLS 使命的认识，并尽力推动这种使命。

我们现在立即进入课程，在课程的第二个部分中，将回答听众的问题。首先，我们将做一场报告，讨论在决定采取临床试验还是标准疗法时，涉及到的一些方面；对许多患者来说，他们的治疗方案常常会涉及这两种方法。

**[幻灯片 3 – 披露]**

所以，我想重点披露一些信息。我就各种不同情境下的临床试验设计问题，向一些公司提过一些建议，以便让患者早日获得有关药物。

[幻灯片 4 – 血癌治疗药物是如何开发的]

**John P. Leonard 医学博士**

我们将讨论血癌药物开发的一些不同方面和血癌新疗法，以及将这些药物和疗法带给患者的不同类型的临床试验和临床研究。在开发药物和疗法时，会启动一个非常庞杂的过程。通常，实验室最先开始研究新药。研究者、研究人员（一般都来自学术中心）正在研究疾病，试图掌握发生癌症的原因、造成癌症难治的因素、我们可以用我们掌握的新途径捕捉肿瘤细胞的不同方法，并且在此过程中，能够开发似乎可以有效控制肿瘤细胞的药物或化合物。

认定这些化合物具有抗肿瘤细胞的潜力后，接着会启动一个非常全面的过程，将化学品转换为药物。这些工作包括：将其转换为合适的配方，以便将其加入静脉注射溶液或药丸中；制造的方方面面；了解剂量和给药的日程表。然后，一般会开展动物试验，我们将了解新药物的副作用，以及新药物在代表研究疾病的特定模型系统中的效力。

然后，药物一般会经历一系列不同的开发阶段，也就是不同的临床试验类型，从 I 期，到 II 期，到 III 期，通常还有 IV 期。我们将在数分钟后讨论这个问题。因此，这个过程需要非常长的时间。从某些角度看，这个过程非常令人沮丧，因为推出新药物确实需要很长的时间。但是当一种新药物被送到患者跟前，患者有机会参与临床试验时，我们已经在研究和确定药物特性中完成了很多的事情。因此，随着每个步骤的开展，我们就更加了解预期结果是什么，并且我认为，患者也会对治疗方案对预期效果越来越有信心。

[幻灯片 5 – 血癌药物开发：与众不同的挑战]

众所周知，血癌有许多种类型。有时候，开发新药物会面临很大的挑战，因为在惰性淋巴瘤和慢性淋巴细胞白血病（CLL）等情况下，如果患者感觉良好，治疗方法或许就是观察疾病，不采取任何疗法。对于特定白血病、淋巴瘤和骨髓瘤，我们或许可以采取干细胞或骨髓移植。因此，标准治疗方法涉及各种各样的治疗方法。由于需要与很多事物进行比较，许多方面需要改进，因此改善治疗方法相当困难。但是很显然，我们确实需要新的治疗方法来提高这些疾病的治愈率，延长人们的寿命，并在其他治疗方法的效果不太好的情况下，向他们提供更好的选择，我们也确实需要开发副作用更少的疗法。

在血癌领域，我们必须共同努力。临床试验通常需要很多患者的参与，虽然某些研究仅在一个或多个医疗中心开展，但是开展的不同研究很多，因为它们需要更多的患者参与，并且全国或全世界都有人有兴趣参与。

另一件让人感到棘手的事情是，许多疾病的治疗方法都具有合理的疗效。这些治疗方法或许不是十全十美。通常他们不能满足我们所有的期望，但是可以肯定地说，大多数血癌都至少有某种具有一定疗效的治疗方法，因此，我们不想放弃他们。我们想以某种方式对这些治疗方法加以改善，因此我们需要非常小心地设计研究。

重要的是要知道，很显然，这需要很长的时间，需要许多资源，并且这个过程需要耗费许多资金。因此，全国卫生研究所和全国癌症研究所为此提供了一些资金。有些资金来自 LLS 等基金，但是多数资金来自行业和致力于新疗法开发的制药和生物技术公司。因此，这个过程中真的有许多不同的参与者。

[幻灯片 6 – I 期试验]

2015 年 3 月 18 日

第 2 页，共 15 页

让我们来看看临床试验的各个阶段，首先是 I 期试验。这些研究涉及已开发的药物，已在动物试验中找出特点的药物，以及能够达到其目标的、以可管理和适当的方式配方的药物。

I 期试验通常是比较早期的试验，其患者是最先接受药物的人之一。我曾经接触过世界上第一个接受一种新药物的患者。另一方面，在某些 I 期试验中，可能有数百或数千名患者已经获得该药物。即便是 I 期试验，但是其施行方式是一种新方法或一种不同的方法或一种新的组合方法；因此，在这种具体情况下，将改变剂量。不言而喻，成为第一个和成为第一千个获得一种新药的人之间有很大的区别。因此，如果您在考虑参与一项临床试验，您必须获得所有信息，真正了解这对您有什么帮助，完全掌握研究的药物和试验或治疗方案的细节，因为这一切的范围很广。

I 期试验一般旨在确定合适的剂量。我们将主要考查副作用，确保我们使用的剂量是合适的，不会引起过度的副作用。通常，I 期试验在先前接受过多次治疗的患者中开展。这些试验的规模一般很小，但是非常重要，要知道可能存在组合试验。因此，也有规模更大的研究。这也可能是新药物与标准方案的组合，我们参与过新诊断的患者参与这种研究的 I 期试验。他们接收标准方案外加多种不同剂量之一的新药物，以便掌握新药联合标准治疗方法的情况。所以，还是那句话，可怕之处在于细节。

在一种药物被送到血癌患者跟前时，已经在许多人中研究过该药物了，因此我们获得的药物信息越来越多。

在 I 期试验中，有一件处于不断调整中的事情，这就是最大的剂量未必是最佳剂量。即便给药剂量比较低，药物也可以发挥很好的疗效。我们正在非常努力地制定新的 I 期试验设计，因此我们并不是只要不让患者生病，就给予尽量多的药物，相反，我们使用合适的剂量来产生抗肿瘤生物效应，而不是只是避免产生毒性。

[幻灯片 7 – II 期试验]

**John P. Leonard 医学博士**

现在我们来谈谈 II 期试验。顾名思义，II 期一般是下一个步骤。对于包括血癌在内的癌症，这些试验很常见。这些试验可能会考查一系列不同的剂量和时间表，但是我们通常已经有了一些剂量和时间表信息，我们现在一般想说，“那么，这种药物的效果如何呢？这种方案的效果如何呢？它对 30% 的人……50% 的人……90% 的人有效吗？”因此，我们一般在 I 期试验中找出了合适的剂量，我们现在想说的是，“好，我们可以做下一步的工作了。我们开始吧，我们已经知道这种新方案的剂量，让我们看看在这种情景下它对这种疾病是否有效。”

因此，这些试验规模往往要大一点。这些试验一般没有比较组。每个人接受同样的治疗。有时，这些试验是随机试验，涉及两种不同的剂量，因为看似安全的剂量有两种，但是我们不确定哪种更好。因此，我们会采取随机试验，患者会继续参与研究，接受一种或另一种剂量。这样，我们可以再次确定这种方案的疗效，并获得更多毒性数据。

这些研究中的患者一般参与的是所谓的关联研究，他们可能会采集血样或肿瘤样本，实际看到药物达到了目标，并看看这种药物是否对某些患者亚组特别有效。以上就是这类研究可能会涉及的部分内容。

[幻灯片 8 – III 期试验]

接下来的 III 期试验一般是随机试验，其真正目的是衡量药物的效力。这里的思路是我们有标准方案还是标准药物；我们有新方案还是新药物。我们需要确定哪个更好。新事物是否比旧的事物好，每个人都应该换用新的疗法，还是应该坚持使用原来的疗法？因此，这些试验的规模往往更大。这些试验往往是随机试验，患者一般会参与研究，他们会接受标准治疗或新的治疗方法，我们会做比较。

这些研究的首要目标同样是确定新的方案是否比旧方案好。现在，需要指出的是，在肿瘤试验中，很少使用安慰剂。这很重要。人们需要知道这种做法。对临床试验的最常见误解之一就是安慰剂。这非常与众不同。我参与过许多临床试验，唯有癌症试验不涉及安慰剂，而在大多数情况下，没有治疗或安慰剂治疗是不妥的。因此，有安慰剂的情况很少见，除非治疗即不治疗，而这很少见，这种情况下我们不对癌症进行治疗。因此，在随机试验或 III 期试验中，一般会将标准治疗与新治疗方法进行对比。同样，从医生那里了解，并进一步了解各个临床试验中要做什么，确保人们知道正在发生的一切，是非常重要的。

[幻灯片 9 – 从 III 期试验中得到的血癌教益]

**John P. Leonard 医学博士**

所以，我只想给出几个 III 期试验的例子，因为有人可能会说，“嗯，我不想继续接受随机试验。我不想进行 III 期试验。我想接受标准治疗或新的治疗方法。”例子非常多。您们当中有许多人正在应对非霍奇金淋巴瘤，熟悉环磷酰胺、阿霉素、长春新碱和强的松 (CHOP) 方案。现在，一个较新的版本是 R-CHOP (利妥昔单抗和 CHOP)。上世纪 70、80 年代，有许多不同的方案：CHOP、MACOP-B (氨甲喋呤，阿霉素，环磷酰胺，长春新碱，强的松，博来霉素，甲酰四氢叶酸)、M-BACOD (博来霉素，阿霉素，环磷酰胺，长春新碱，地塞米松，氨甲喋呤，甲酰四氢叶酸)、ProMACE-CytaBOM (环磷酰胺，阿霉素，阿糖胞苷长春新碱，博来霉素，长春新碱，甲氨蝶呤，泼尼松)——您可能没有听说过这些方案。上个世纪 70、80 年代的每个人或许多人都认为，这些方案更好。但是在做完 III 期试验后，CHOP 仍然是标准，其他方案的毒性更大。因此，没有随机试验，人们就不知道接下来做什么。

ABVD (阿霉素，博来霉素，长春碱和达卡巴嗪) 是霍奇金淋巴瘤的标准疗法，已在随机试验中对此进行过研究。

在治疗进展性淋巴瘤时，我们可以减少治疗，给予更少的化疗，有时可将辐射替代掉。这由随机试验决定。所以，治疗血癌的几乎每一种标准疗法都是通过随机试验而成为标准疗法的。所以，记住这点很重要。

[幻灯片 10 – 从 III 期试验中得到的肿瘤教益]

另一方面，有些人可能还记得，大概 15 到 20 年以前，对于高危乳腺癌或晚期乳腺癌患者，人们普遍认为，大剂量化疗和干细胞移植是必不可少的事情。人们认为，做随机试验是不道德的，因为不对患者采取干细胞移植这种乳腺癌治疗方法——记住我说的是乳腺癌。我知道，在特定情况下，在许多血癌病例中均采取干细胞移植。

但在上个世纪 80、90 年代乃至以后，很多人认为，这就是治疗乳腺癌的方式；事实上，有一项随机试验终于得以完成 (实际开展了多项随机试验)，表明这是行不通的。所以，有时你认为你会知道答案，有时你是对的，新的治疗方法更好；有时你错了，旧的治疗方法更好或同样好。所以，这就是在某些情况下我们需要开展随机试验的原因，参与这些试验很重要。如果要您参与一项随机试验，那是因为我们真的不知道答案。如果我知道答案，我就不应该鼓励您参与随机试验。我会以我知道答案的方式来治疗您的疾病。如果我们并非真的知道答案，但我们相信，有一种新的方法可能更好，这时我们就想开展随机研究。

## [幻灯片 11 – 用于 DLBCL 的 R-CHOP]

**John P. Leonard 医学博士**

这是你们当中应对大细胞淋巴瘤的一些人可能熟悉的另外一个例子——已经开展过 R-CHOP 与 CHOP 对照（R 指 Rituxan<sup>®</sup> 和利妥昔单抗）的随机试验，这些随机试验表明，添加利妥昔单抗，改善了患者的结果。

另一方面，经过对进展性淋巴瘤采取利妥昔单抗维持治疗的研究，认识到有时可在其他情况下进行维持。对于进展性淋巴瘤，维持似乎没有作用，随机试验也是如此。所以，同样，这些都是非常、非常重要的研究。在医生告诉您，我们认为，为了治疗您的疾病，您应该这么做时，这主要是因为他们已从随机试验中掌握了这些信息。另一方面，一些最先受益于新的治疗进展的患者是通过参加随机试验而实现的，在某些情况下，在他们接受这些新的治疗方法时，这些新方法还没有普及。所以，在某些情况下，这真的可以让患者受益匪浅。

## [幻灯片 12 – 美国最近的淋巴瘤 III 期试验]

这是美国最近的一些不同淋巴瘤 III 期试验。我不逐一介绍，只是指出，对于霍奇金淋巴瘤、大细胞淋巴瘤等进展性淋巴瘤和滤泡性淋巴瘤等，都已开展过研究——同样，通过随机试验，这个领域取得了发展。有时这些研究优势显示出积极的结果，意味着新方案可带来益处，有时结果是消极的。在某些情况下，我们的直觉被证明是错误的——新的疗法不一定更好。

## [幻灯片 13 – IV 期试验]

现在我们来谈谈 IV 期试验。这些一般都是后期试验，尤其是在药物被批准后。FDA（美国食品药品监督管理局）往往期望从这些研究中获得新药物的更多数据，或许是从不同的方面和以不同的方式，看待一种新的药物或新的治疗方案。这些试验都可以在一定程度上取得成果，在某些情况下，IV 期试验可能对患者非常有帮助，并可推动本领域的进步。

## [幻灯片 14–相关实验室项目]

现在，还有其他各种类型的临床研究，已不算是临床试验。可能曾有医生要您或您有机会参加过所谓的临床数据库项目，有人对您说：“您是否愿意让我们收集您的资料，以便我们可以了解您，以一种保密的方式将您的信息与其他患者的信息汇集在一起，让我们进一步了解疾病？或者，例如，我们是否可以取一些您的血液或您血液中的淋巴结中的肿瘤组织，或您的骨髓，在实验室中用来研究疾病，最终找到新的治疗方法？”所以，这些都是可以提供给患者的非常重要的项目，患者应认真考虑参与，因为这是推动该领域发展，更好地了解这些疾病的另一个重要途径。

## [幻灯片 15–谁执行临床试验？]

那么，临床试验由谁执行？如果您在全国各地，世界各地，许多研究都是由美国国家癌症研究所牵头的。有各种各样的合作组。我碰巧深度参与了 CALGB（癌症和白血病 B 组）/联盟组。我担任淋巴瘤组的主席。我们与名叫 SWOG（美国西南肿瘤组）和 ECOG（东部肿瘤协作组）的其他两个小组协作。这些都是协同开发新疗法的国家临床试验小组的缩写。制药公司也经常开展临床试验，这些公司将组织研究人员、医生小组，然后是各个学术中心、医学院、医院，有时社区执业机构也经常参与临床试验。所以，有很多不同的机会。您不必去大城市。您不必去大型学术型医院。但我要说的是，在这个领域，如果我将某人视为血癌专家，那么这些人一般都在做试验。所以，如果一位血癌专家正在为您诊治，您应该在需要治疗的任何时候，询问临床试验的情况。如果您的医生没有做任何临床试验，您可能需要考虑

让一位正在做临床试验的人参与您的治疗，因为这些人往往在本领域很活跃，并围绕新的治疗方法，进行思考和与各种群体互动。

### [幻灯片 16–研究的优势]

那么，参与研究有什么优势呢？如果您是患者，为什么您会参与？嗯，这样或许能够获得新的治疗方法。也许您对旧的治疗方法不满意。我们有很多很好的治疗方法，但我们想改进这些方法，所以这样有可能获得新的、不同的、有可能是更好治疗方法。通常，您会获得最前沿的治疗方法，因为与您打交道的是这种疾病领域的专家。这些人在做临床试验，往往具有临床试验的丰富知识。我们一般会在治疗分期和患者随访中采取规范的做法，所以我们总是井井有条。将有一个团队照顾您。有很多不同的参与者，有很多人照顾您，他们是研究和临床试验背后的专家。有许许多多的医生和其他专业人员评估研究，所以他们参与了您的治疗方案，至少间接地参与。所以，您可以放心，您得到的是被很多人审查过的东西，这个过程受到的监督可能比标准治疗中的监督更多，因为在很大程度上，是您当地的小组，您当地的医生、护士等在为您治疗。

这对社会也是有益的。但是，很明显，您和大多数患者也想帮助自己，因此重要的是，要认识到，您有机会通过临床研究和临床试验，帮助自己，但重要的是您要明白其中的道理和目标。您应认识到，如果您想改变主意，您随时都可以这么做。您也应该知道，您有权利知道结果。所以，当研究完成后，您可以发现实际效果怎么样。随着研究的继续和新信息的获得，您肯定会得知最新情况。

### [幻灯片 17–对临床试验的误解]

关于临床研究，存在一些误解。我想我们已经接触到了一些这类误解。您可以在全国各地参加。您不必去大型学术中心。通常不涉及安慰剂，我已经说过。临床研究并不一定会增加医疗费用。大多数时候不会。有时，费用更便宜，因为您是在试验中使用药物，但有时并非如此。所以，您真的需要了解费用将是多少，是更贵，还是更便宜，这对您将有多大的影响。

同样重要的是，要认识到，所有治疗方法都不是免费的，因为在治疗中，对于在常规疾病治疗中您必须付费的东西，您需要为其付费。所以，同样，费用问题通常不是一个大问题，但您应该明白这个问题，并确保您的疑问都能得到解答。

### [幻灯片 18–癌症临床试验]

所以，人们考虑参与临床试验是非常重要的。全国只有一小部分患者参加临床试验，在我看来，这真的很可悲。我觉得参与的患者太少。我认为，您参加此次电话会议，进一步了解临床试验，真是太棒了。我希望您更加了解临床试验，如果您需要治疗，您可以跟医生谈谈临床试验，索取相关信息。您可能在接受该领域的教育后，仍然决定不参与临床试验，这没问题。但至少您应该了解。

所以，我们需要更多的患者参与。患者错过了受益的机会。参与节奏慢，会导致进展缓慢，延迟新的、更好的治疗方法的开发，对老年患者而言，尤其如此。您即便是年长患者，仍然可以参与。我治疗过一些 80 多或 90 多岁了还在参与临床试验的患者。所以，即便您年老了，也没有将您排除在外，不过同样要假设您对试验感兴趣，并且试验适合你。

### [幻灯片 19–为什么患者不登记参加临床试验？]

为什么患者不登记参加？嗯，这常常是因为他们不了解临床试验。他们害怕治疗的性质。也许他们觉得，噢，那是让处于疾病的晚期的人参与的，但是事实上，我们的许多试验适合处在早期病程的患者参与。也许患者害怕。他们有其他医疗问题。好像很复杂。物流，即距离，可能是一个难题，或者会占用医生的时间。向患者解释，运行临床试验，获得支持，需要一些时间。所以原因有很多。我认为，我们需要继续努力，克服这些障碍。

#### [幻灯片 20—癌症临床试验患者增加缓慢，导致患者不必要的死亡]

我给大家举个例子，这是几年前做的一项全国性试验，试验中将 CHOP 与 R-CHOP 进行了比较。同样，我刚提到过这一点。这项试验有 600 人参与。完成这项研究用了三年时间。如果我们早一年完成研究，这基本上意味着全国每年的参与者多 100 人，也就是每个医疗中心的参与患者只多大约 1、2 名，就不会有大约 4000 名患者因为这多用的一年死亡，只要每年多一些患者参与，就不会多用一年，我们多花了一年的时间来得出研究结论，多用一年的时间来开发新的治疗方法，在这个例子中，约 4000 名患者错过了治愈机会，因为我们多用了一年的时间来完成研究。所以，这是一个大问题。这是一个大问题，我们需要共同努力来解决问题。

#### [幻灯片 21—临床试验适合您吗？]

那么，临床试验适合您吗？您需要向医生询问临床试验。也许他们自己也参与。如果没有，他们可以让您去找某个人，或将您推荐给推荐人、其他医疗中心和其他地方，您可以从中获得信息。大多数血癌专家级的医疗中心或医生都在做临床试验，或非常熟悉临床试验。您可以去找 LLS 或其他组织。互联网上也有信息。有时候，一些有一种您听说过的令人兴奋的新药的公司可以告诉您上哪里去查找信息。我建议，您在每种情况下，都至少考虑一项临床试验，不论您是不是刚确诊，无论您是否已经患病一段时间了，也无论您是否已经接受过很多治疗，选择越来越少了。在所有这些情况下，都有您应该知道的临床试验，或者至少考虑这些试验是否可能适合您。

那么，我就讲到这里，谢谢大家，我期待着进入我们课程的后半部分，我们将稍微详细地再讨论一下一些问题。谢谢大家。



## [幻灯片 22-问答环节]

### 主持人

谢谢 Leonard 医生清楚、详实的讲解。现在，我们进入我们课程的问答部分。

我们将从网络受众那里听取第一个问题。医生，Jacqueline 问道，“试验完成后多久才会向公众提供新的治疗方法？参加试验的患者是否可以在向公众提供药物以前，继续接受试验中的治疗方法？”

### John P. Leonard 医学博士

问得好。我先回答第二个问题。那么，您的问题是，您参与一项临床试验，接受新的药物，于是试验结束，您能继续接受这种治疗吗？这很难一概而论。我想说的是，在大多数情况下，如果您正在接受一种药物，只要您能从中受益，就有办法继续接受这种药物。这不能保证，但在绝大多数情况下，如果治疗方法的效果很好，对每个人都有利。每个参与者都希望您继续接受新药，因为这对您有好处，也对了解药物的作用和时效的每个人有益。

临床试验后多久才能全面获得新的治疗方法实际上取决于药物的性质。如果药物已经上市，比如说用于治疗一种白血病、淋巴瘤或骨髓瘤，现在有一项试验表明，这种药物现在对其他的或较新的或不同的疾病类型也有效，那么这种药物可能已经获得批准，且已上市，人们通常可以比较快地开始使用这种新药。另一方面，如果有一种全新的药物，FDA 尚未批准，但有一项试验表明，该药能够带来有好处，那通常需要多一点时间，因为新的药物必须获得批准后才能上市。必须对该药物进行审查，确保它符合批准的药物的所有要求。

现在，一旦我们知道试验取得了积极成果，起作用，药物有效，那么这个过程通常会很快，因为大家都同样很兴奋，认识到药物的益处。但如果它是一种新的药物，以前尚未被批准，则在试验完成数月后，才能使用新的治疗方法。

### 主持人

请从电话受众那里接听下一个问题。Paul 问道，“无论选择标准治疗还是临床试验，会有一份知情同意书列出将要使用的具体药物，还是使用一个化疗这样的通用术语就够了？”

### John P. Leonard 医学博士

同意书是非常复杂的临床试验文件，事实上，有很多的研究都在试图让同意书变得更清楚、更透明。在临床试验启动前，有许许多多不同的群体会审查试验——往往是 FDA，往往是不同的科学审查组——然后每个机构或集体机构将有一个所谓的机构审查委员会，考查临床试验的伦理问题，确保正在发生的一切都是妥当和合理的，并确保能够保护人类，应该说患者，防范任何差错的所有道德要求，所有的安全措施均已到位。这么做很重要。

其中就包含同意书或同意过程。如果你要参加一项临床试验，那么了解将要发生的事情是非常重要的。通常，完成这些步骤比标准治疗要复杂得多。在标准治疗中，医生可能与您简短交谈几句，然后可能将您交给护士或医生助理，您这样就开始接受治疗了。一些机构或医疗中心有书面的癌症治疗同意书。但在临床试验中，文件更详细，讨论也详细得多，会给说，“您的情况是这样；标准治疗方案是这样；这是我们的建议；这是为什么我们要这么做的原因；涉及的程序、技术、监测手段如下；这些是副作用，我们知道会发生；参加研究的预期结果是这样；如果您不想参与研究，替代方法有这些。”

因此，这取决于，在描述这些替代方法和其他的选择中，有关试验中治疗方法的同意书通常非常、非常具体。所以如果是一项随机试验，你可能接受 A 疗法或 B 疗法，则将对治疗方法 A 和治疗方法 B 中具体药物进行非常详细的解释。同意书经过了审查，以便您能理解，对您做到诚实，让您觉得很清楚，以便您全面了解研究中涉及到的一切。

所以，这是应该让人们感到心里非常有底的地方。同样非常重要的一点是，您不能一时兴起决定参加一项临床试验。您应该确保让您的所有疑问都得到解答，您有时间看同意书，您会见参与研究的人员，他们将向您介绍各个步骤，回答您的问题，将事情交待得一清二楚。

### 主持人

下一个问题来自网络。Elizabeth 问道，“有没有一个方便的地方，可以了解到我所在的地区有哪些临床试验可以参加？”

### John P. Leonard 医学博士

你可以去许多不同的地方。一个全国性的大地方是 [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)，我最后的幻灯片之一中有一个链接。那里有网址。这并非总是探索起来很简单的系统，因为您必须输入您的诊断结论，也许还有一些您的疾病的细节。您可能会发现，有许多不同的网站，有点难以查看，但在这种地方，只要稍加坚持，您是可以获得一些信息的。这是一个非常、非常全面的临床试验清单。

同样，您可以联系 LLS 和其他组织，获得更多信息，通过引导步入正确的轨道。国家癌症研究所还有其他网站，您可以从中获得一些信息。不同的制药公司也有一些信息，另一个地方将是一些较大的医院和学术医疗中心。在康奈尔，我们有一个网站，列出了我们的临床试验。在许多中心，最容易做到的事情是只发送一封电子邮件，或给一名医生或研究小组打电话（您通常可以从网站找到联系信息），和某人交谈一下。我们一直都在这么做，我们拿起电话就问：“您有什么疾病需要治疗？您对什么感兴趣？好的，这是我们这个医疗中心的一些研究，还有其他地方提供的东西。”我想说，大多数医疗中心都有这类资料，但要与他们交谈。同样，LLS 也有让您找对方向的资源，试图引导您获得最佳信息和资源。

### 主持人

是的，Leonard 博士，我们信息资源中心的信息专员可以专门针对您的特定血癌类型，为您搜索各项临床试验。您可以通过拨打电话：1-800-955-4572，或发电子邮件至 [infocenter@lls.org](mailto:infocenter@lls.org)，与他们联系。从东部时间的上午 9 点到晚上 9 点，他们都可以为您服务。

请从电话受众那里接听下一个问题。Deb 问道，“我接受过 Revlimid®，已经改用沙利度胺，我现在使用地塞米松。剂量已经降低一半，我一个星期服药一天。您的理论是什么？我看到过文章，有时沙利度胺是在整个 28 天的周期内给药。同时，其副作用与 Revlimid 的不同。然而，这些药也很难使用。您有什么意见？”

**John P. Leonard 医学博士**

嗯，不知道所有的细节，我不能对您的个人情况或其他人的具体情况提供具体的意见。对于许多血癌，有许许多多不同的治疗方法。使用的不同给药方案也很多。我们做过一些重要的临床试验，确定了最好的剂量，或者强一点的给药方案，这些可能更有效，且实现了平衡，但相关的副作用更多，与其他方案比较，是这样。所以，这是临床试验的一个重要方面，要真正让我们知道，可否调整剂量，调整剂量和组合不同药物的最佳方法是什么？

所以，就您的具体情况而言，我会和医生谈谈，看看有什么选择。我猜测，您的医生会将您推荐到许多临床试验，这些试验正在进行中，已经发布了一些结果，有了一些与您的情况相关的信息，以及如何看待不同做法的利弊的有关信息。

**主持人**

我们从网络受众那里接听下一个问题。Dee 问道，“如果医生们看到试验是成功的，有需要的患者可以参与已经开始了的试验吗？”

**John P. Leonard 医学博士**

试验通常仅在预定的一段时间内，对预定数量的患者开放，这意味着在设计试验时，可以估计需要 20、200 或任意人数的患者。正如我在讨论快结束时所说，我们最大的问题是，由于许多患者不参加，通常我们进度缓慢，落后于时间表。所以，我们的机会往往差强人意，事情的发展速度比我们的预期要慢一些，因为有不同的障碍和挑战，公众缺乏意识，等等。

大多数临床试验都是在一段时间内开放的。在一些研究中，一种药物非常令人兴奋，前景很好，许多人都想参加，因为早期发布的药物消息令人鼓舞。因此，这些研究可能不会开放很长一段时间，但在这种情况下，原因通常在于药物的效果很好，人们都对此感到很兴奋。通常情况下，不久后就其他机会获得药物，包括通过公司，各种扩展药物获得计划，以及可以提供药物的其他的东西，而我们还等着看试验的结果如何。

**主持人**

谢谢您，下一个问题将来自电话听众。William 问，“有许多研究涉及 MDS 吗？”

**John P. Leonard 医学博士**

MDS 是骨髓增生异常综合症的缩写。骨髓增生异常综合征是一种骨髓疾病，属于一些类型的白血病系列。这不一定是白血病，但它往往由治疗白血病的医生和使用一些相同的药物治疗，虽然它完全是另外一回事。

是的，有许多不同的临床试验。已有一些药物获准用于 MDS 或骨髓增生异常综合征。有些药物已经获得批准。有些药物可使这个患者群体受益；是的，这个领域有许多不同的临床试验，如果您有兴趣，并且处于这种情况，我积极建议您对这些试验多加了解。

**主持人**

谢谢您。下一个问题，我们将从网络听取。Kathryn 问，“参与临床试验会不会让您失去参加随后的试验的资格？”

**John P. Leonard 医学博士**

临床试验有资格标准，因此，很明显，只有患有正在研究的疾病或医疗症状的患者才能参与。一些临床试验因为种种原因，仅针对某些群体的病人。这些临床试验可能仅限之前从来没有接受过任何治疗的新诊断患者参加。也可能仅限以前接受过一次或数次治疗的患者参加。还可能仅限以前接受过或从未接受过某种治疗的患者参加。如果试验的目的是说，“这种药物对接受过治疗方法 A 而未获成功的人是否起作用，现在我们想知道，治疗方法 B 是否对这组患者有效？”那么，您必须接受过治疗方法 A 才能参与该试验。

反之，如果目标是比较治疗方法 A 和治疗方法 B，且是一项随机试验，您可能不能或不想参加试验，因为参与该试验，就会再次接受您已经接受过的某种东西。那么，在这种情况下，如果您已经接受过治疗方法 A，您可能会被排除在外。

因此，这取决于试验的目标，有时试验受限于年龄（虽然通常不这样），有时受限于某些其他医疗状况。例如，如果药物会对心脏产生副作用，则有心脏问题或肾脏问题的人，可能会被排除在外，或者可能对血球计数或肾功能等有限制，因为药物的作用性质和预期的副作用，所以它可能不适合某些患者参与。

一般情况下，会有一些资格条件，可能对谁可以参加有点限制或有最起码的限制。因为以前接受过治疗而被排除在试验之外非常罕见。但一些临床试验可能专注于新诊断的病人，所以如果您已经接受过治疗，则您不是新诊断的患者，因此，您不能参与研究。另一方面，有些人可能会受到限制。

因此，在一般情况下，接受过治疗并不会将您排除在临床试验参与之外，但在偶然的情况下，这可能会有一点影响。但是，一般而言，如果需要的话，我不会回避某种治疗，而且希望在未来的临床试验中不影响接受该治疗。

**主持人**

谢谢您。我们的下一个问题来自 Ruth。她问道，“是的，我对我接受的 CLL 新药物很满意，这种药物是 Imbruvica®，但我有一些身体问题，问题不多。我想知道，原因在于药物或还是其他原因。这些身体问题包括恶心、腹泻和烧心。这些症状中哪些是由药物引起的，我可能还会遇到其他什么问题？”

**John P. Leonard 医学博士**

所以，您提到了一种具体的药物，依鲁替尼，该药最近已经获准用于 CLL。CLL 指慢性淋巴细胞白血病。在该药物的临床试验过程中，与任何药物一样，将收集患者出现的副作用的数据。这些数据会见诸报告，并被总结，其中一部分会被加入药品包装内的说明书中，告诉您多大比例的患者有这种副作用或那种副作用，什么副作用是最常见的。

所以，我们对药物副作用的全部或多数了解都是从临床试验中学到的，因为这是患者接受药物的一种系统的方式。获准受到非常仔细的监测，以便发现他们出现了什么副作用；这些副作用将被归因，这意味

着有关人员会说，“哦，是的，我们认为这是由药物引起的，或者也许原因在于别的东西，或我们不确定。”因此信息将被整理，这样您和医生就会得到信息说，“瞧，如果您接受这种药物，在临床试验中观察到的典型副作用包括 A、B、C、D；因此，如果您接受我们需要留意的药物或东西，您也可能会出现这些副作用。”

您提到了许多不同的副作用。我不可能告诉您，哪些副作用是由您正接受的药物引起的，哪些副作用可能是由别的因素引起的。但我认为，重要的是要记住，您的医生是您最好的信息来源，您的医生将查看已发布和从这些临床试验中收集的信息，并说，“是的，您出现的现象在接受这种药物的人中是预料之中的，或常见的，或偶尔看到的，或不是，让我们去寻找别的原因，因为在临床研究中没有观察到这些现象。”

所以，我们就是这样利用从临床试验中收集到的信息，回答这些问题的。当我们使用药物或接受新的药物时，我们都会有这样的疑问。因此，很显然，这些问题非常重要。

### 主持人

Sam 在网上提了一个问题。Sam 问道，“处于 CLL 等待观察状态的患者可以参加或有被推荐参加的临床试验吗？”

### John P. Leonard 医学博士

血癌有多种，包括 CLL，还有滤泡和其他淋巴瘤，在某些时候，在不治疗的情况下观察可能是合适的做法。所以，问题是，您会考虑临床试验吗？一些特定的临床试验可能适合处于等待观察状态的人。人们正在接受观察和等待，这意味着不需要任何治疗，因此人们可能会问自己：“哦，为什么我要参加临床试验？我不需要任何治疗，如果我不必接受任何东西，我为什么要接受？”另一方面，也有一些临床试验专注于处于疾病过程早期的患者，也许会尝试一些柔和或较新或新型方法，看看我们是否可以通过提早尝试，改变疾病过程。

所以，这不是典型的事情，但在某些情况下，这是一件很合理的事情。在一些研究中，人们可以提供血样，或参与数据分析，而不接受任何治疗，这也可能特别适合处于观察和等待状态的人。

### 主持人

谢谢您。我们的下一个问题是由 Mike 提出的。他问道，“就在 2 个星期前，有新闻报道说，患癌症的人们不再需要长时间等待美国食品药品监督管理局批准药物了。”

### John P. Leonard 医学博士

嗯，目前有许多不同的举措，旨在让药物更快地获得批准，通过研究，获得美国食品药品监督管理局批准，提供给患者。显然，在了解药物及其价值、副作用和适当的使用方式所用的时间，与当然想要更快地帮助患者，获得能够更快地给患者带来益处的新药物之间，我们需要取得平衡。

所以，这是一个重要的平衡。我们想用足够长的时间，真正地做好工作，了解药物，配置好药物，但这个时间又不能太长，以至于需要药物的人都在不耐烦地等待获得药物。因此，有许多不同的举措正在实施中。有些在联邦政府层面，有些在某些州内实施。这是一个很复杂的方面，我没有时间多讲。不过，这当然是非常重要的工作，我知道，我们之前听到关于 LLS 和其他组织的宣传。我觉得有很多工作正

在进行，以确保这个过程顺利进行，并尽可能迅速地进行，以便尽快地将新药物带给患者。我想劝告大家，在让患者尽快获得新药的过程中，最大的延误是参加临床试验的人不够多，这就是障碍之所在——即在临床试验中获得信息。我们从参与试验的人们那里获得这些信息越快、越早，我们就能够更快地评估这些新药，并将其带给需要这些新药的患者。

## 总结发言

### 主持人

谢谢您。白血病与淋巴瘤协会正与我们的宣传团队一道努力，确保病人能够尽快得到这些新的治疗方法。

谢谢大家的提问，请与我一道，感谢 Leonard 博士在今天抽出宝贵时间，为我们讲解。我们希望这些信息能够帮助您和您的家人做好以后的安排。

### [幻灯片 23 -白血病与淋巴瘤协会提供的服务]

白血病与淋巴瘤协会为患者、以及年轻的成年人和护理者提供在线聊天。这些聊天室由肿瘤社会工作者主持，为患者和护理人提供

论坛，以便他们分享经验，互相支持。有关如何参与的详细信息，请访问 [www.lls.org/chat](http://www.lls.org/chat)。

如果我们今天未能解答您的问题，请致电白血病与淋巴瘤协会的信息资源中心：1-800-955-4572。从美国东部时间上午 9 点到晚上 9 点，信息专员可以与您交谈，您也可以给我们发送电子邮件：[infocenter@lls.org](mailto:infocenter@lls.org)。我们可以提供治疗信息，包括临床试验，或者回答您可能会有支持方面的问题，包括关于治疗的经济援助问题。

再次感谢 Leonard 博士今天和我们分享知识。对于今天通过电话、网络参与的所有患者、护理人和专业人员，我代表白血病与淋巴瘤协会，感谢您们今天与我们共度这段时间。再见，我们祝您万事如意。