

重大疾病負擔之一：非傳染性疾病

11月3日和4日香港大學臨床試驗中心（Clinical Trials Centre）舉辦了「第三屆一期和早期臨床試驗國際會議」（3rd International Conference on Phase 1 and Early Phase Clinical Trials, ICPOEP 2016）。

高風險、高投資

臨床研究分四期，而第一期最困難，因為一般要通過健康志願者的參與，證明新藥安全而有效。香港政府在創新科技支援中也投入不少於新藥研發，並在2013年撥款給兩所醫學院及其教學醫院以建立兩所一期臨床試驗中心。

新藥研發投資風險巨大。十年前行內笑談「三個『十』」的挑戰：大約每十項新藥研發中，只有一項能成功；每個獲批准上市的新藥其總投資平均為10億美元；新藥研發時間約需10年。

港大的經驗與挑戰

香港大學臨床試驗中心於1998年成立，在過往的18年中，致力於成為區內「臨床研究管理機構」（Site Management Organisation, SMO）的楷模。中心的使命是通過吸引和促進臨床研究，並以保障研究參與者的安全及確保科學有效性和數據完整性的核心原則，以推進醫療發展。這所創新與獨特的「學術研究機構」（Academic Research Organisation, ARO），走在臨床科研進步的前端，可以為研究者、醫葯研發企業、臨床試驗合同研究機構（Contract Research Organization, CRO）及其他科研組織提供一站式研究方案。其高效及高質素的專才於籌劃及進行臨床試驗期間會作全方位的道德考慮、應用相關的科學專業知識、及執行有效的質量管理措施。

在ICPOEP 2016關於「亞洲區內的早期臨床試驗發展」的環節中，香港大學一期臨床試驗中心的副醫學總監趙欣醫生進行了題為「香港的早期臨床試驗——挑戰和機會」的演講，介紹港大的臨床試驗中心已經推動了許多早期臨床試驗，並隨著需求的增加而擴大研究團隊。另一好消息是，在今年7月，瑪麗醫院的一期臨床試驗中心通過了國家食品藥品監督管理總局（CFDA）的認證，可接受藥品註冊申請人的委託，開展CFDA所批准的藥物臨床試驗。但是在香港，對一個研究項目審批，大約需要24週的時間，而新加坡及韓國的批文手續只需約18週。這6週時間的差距可能影響藥廠於香港進行試驗的決定。從這方面來看，香港還應繼續努力，才能充分利用自身優勢，走在創新研發的前沿。

國內、外的新猶

北京 MicroConstants China 公司的首席執行官（CEO）兼首席科學家楊啟成博士 2007 年從美國及新加坡帶 GLP/GCP（Good Laboratory Practice/ Good Clinical Practice）（良好實驗室研究規範/良好臨床試驗規範）質控系統回北京，並協助解放軍第 307 醫院營運一期臨床研究基地。近期 CFDA 提高了對臨床試驗質量管理的要求，推出了多項關於臨床試驗數據自查和審計的政策，並頒布了新的 GCP 規範草案。CFDA 參考了美國 FDA，歐洲藥品管理局（EMA）和人用藥品技術要求國際協調委員會（International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ICH）的一些指引，促進中國進行全球性藥物研發。

在「鄭裕彤藥物開發獎講座」中，來自加拿大多倫多大學的 Lillian Siu 教授在題為「一期和早期臨床試驗中改變的景象」的演講中，介紹了一期臨床試驗在腫瘤學中推動了新抗癌藥的耐受性和不良事件監察方面的發展，有利於在後期評估階段建議藥物用量和服用時間表。在過去十年，一期試驗的性質已發生了極大的變化：1. 樣本數量擴大。2. 積極應用新的增加劑量方法。3. 經常使用「擴展隊列」（Expansion Cohorts）。4. 加進「組織學和基因學」。5. 繼續討論「腫瘤活檢」研究相關的正負論點。6. 「概念驗證」（Proof of Concept）有賴分子目標與免疫腫瘤學提供證據，支持繼續研發。

由於病人和基礎設備資源有限，上述的改進可加快藥物開發過程以促使有療效的藥物可盡快進入臨床應用。雖然一期臨床試驗在不斷的發展，但是確保病人安全仍是首要的指導原則。

高回報的投資？

這次的會議主要內容包括：生物利用度或等效性（Bioavailability/ Bioequivalence）試驗，心血管及代謝性疾病、免疫腫瘤學、肝病、神經和免疫學等的研究，總結的議題是「創新的腫瘤治療」。而在兩天會議內也分別討論不同系統，如肝、胃腸、胰臟等腫瘤治療研究的最新發展，反映了腫瘤藥物的實際需求。從會議內容洞悉研發的項目是針對現今不能根治的疾病，而投資者評估風險與回報時，多會選擇病人群體較大或治療負擔較高的疾病為研發對象，以確保新藥研發的投資能獲得合理的回報。

黃譚智媛 醫生
香港大學醫學院榮譽教授