



DOI: 10.3969/j.issn.2095-1264.2024.06.01

文章编号: 2095-1264(2024)06-0653-09

肿瘤受试者对以患者为中心的药物治疗临床试验的参与意愿及其影响因素调查*

吴清^{1,2}, 孙超¹, 吴大维¹, 汤骐羽¹, 贾硕鹏¹, 唐玉¹, 黄慧瑶¹, 房虹¹, 于锋², 李宁^{1*}
(¹国家癌症中心/国家肿瘤临床医学研究中心/中国医学科学院北京协和医学院肿瘤医院药物临床试验研究中心, 北京, 100021; ²中国药科大学基础医学与临床药学院, 江苏南京, 210009)

摘要: 目的 调研肿瘤受试者对以患者为中心的药物治疗临床试验的认知度、参与意愿及其影响因素, 探讨如何促进以患者为中心的药物治疗临床试验的落地。**方法** 采用便利抽样法, 对 2023 年 3 月至 8 月在中国医学科学院肿瘤医院参与抗肿瘤药物临床试验的肿瘤患者进行问卷调查。**结果** 有效问卷 403 份(95.7%), 肿瘤受试者对以患者为中心的药物治疗临床试验的认知度为 24.3%, 但整体参与意愿较高(70.0%), 尤其是远程寄送药(88.6%)和远程访视(86.6%)。单因素分析结果显示, 患者所在地区、有无宗教信仰、肿瘤确诊时长和因参与临床试验来往机构次数与参与意愿有关($P < 0.05$)。多元 logistic 回归分析结果表明, 肿瘤确诊时长 > 5 年、因参与临床试验来往机构次数 ≥ 4 次的患者参与意愿较高。**结论** 肿瘤受试者对以患者为中心的药物治疗临床试验参与意愿高, 利用远程技术可减轻患者负担, 充分考虑患者所关心的安全性、隐私性及充分知情权等对其成功实施有积极意义。

关键词: 肿瘤受试者; 以患者为中心的药物治疗临床试验; 参与意愿; 影响因素; 调研问卷

中图分类号: R979.1; R-052 **文献标识码:** A

A survey of cancer subjects' willingness to participate in patient-centric clinical trials and their influencing factors*

WU Qing^{1,2}, SUN Chao¹, WU Dawei¹, TANG Qiyu¹, JIA Shuopeng¹, TANG Yu¹, HUANG Huiyao¹, FANG Hong¹,
YU Feng², LI Ning^{1*}

(¹Department of Clinical Trial Center, National Cancer Center/National Clinical Research Center for Cancer/Cancer Hospital, Chinese Academy of Medical Sciences and Peking Union Medical College, Beijing, 100021, China; ²School of Basic Medicine and Clinical Pharmacy, China Pharmaceutical University, Nanjing, 210009, Jiangsu, China)

Abstract: Objective To investigate the cancer subjects' awareness of patient-centric clinical trials, their willingness to participate and their influencing factors, in order to explore how to promote patient-centric clinical trials come to fruition from the patients' perspective. **Methods** Convenience sampling method was used to conduct a questionnaire survey on cancer subjects who participated in clinical trials between March and August 2023 at the Cancer Hospital of the Chinese Academy of Medical Sciences. **Results** There were 403 (95.7%) valid questionnaires. Only 24.3% cancer subjects had some awareness of patient-centric clinical trials. But there was a high overall willingness (70.0%) to participate in patient-centric clinical trials, especially in the sessions of remote delivery of medication (88.6%) and remote visits (86.6%). The results of univariate analysis showed that the location of patients, presence of religion, length of tumor diagnosis, and number of vis-

*基金项目: 首都卫生发展科研专项项目(首发 2022-2Z-40211); Pfizer Independent Medical Education(ID#76431397)。

作者简介: 吴清, 女, 硕士研究生, 研究方向为药物临床试验。

*并列第一作者: 孙超, 女, 硕士, 主管药师, 研究方向为临床研究管理。

*通信作者: 李宁, 男, 博士, 主任医师, 博士生导师, 研究方向为临床研究。

its to the institution for clinical trial participation were significantly associated with their willingness to participate in patient-centered clinical trials ($P < 0.05$). The results of multivariate logistic regression analysis showed a high willingness to participate among patients with a tumor diagnosis > 5 years and ≥ 4 visits to the institution for clinical trial participation.

Conclusion Cancer patients have a high willingness to participate in patient-centric clinical trials. Using remote technology to reduce the burden on patients, and fully considering the concerns of patients about safety, privacy and full right to know, have a positive significance for the implementation of patient-centric clinical trials.

Keywords: Oncology subjects; Patient-centric clinical trials; Willingness to participate; Influencing factors; Research questionnaire

0 前言

随着我国医药创新战略的不断推进,创新医药产业呈现高速发展态势,我国药物临床试验的数量和经济成本大幅攀升。传统的药物临床试验由申办者和研究者主导,患者仅作为数据的提供者^[1],在研究设计和结果分析阶段缺席。患者的需求、意见和体验往往难以顾及,导致入组难、患者参与意愿低等问题^[2]。由于疾病的严重性、患者诊疗负担、治疗的多样性和监管的复杂性等因素,抗肿瘤药物临床试验面临的挑战尤为突出^[3]。新药研发的根本价值是满足临床需求,实现患者获益最大化^[4]。患者的意见和参与贯穿于药物临床试验的全过程,成为项目成功的必要条件。医药产业和监管部门逐渐认识到患者深度参与药物研发的巨大潜在价值,同时,技术进步也为此提供了现实可行性^[5],因此,“以患者为中心的药物治疗”理念应运而生。

2023年7月,我国监管部门发布了《以患者为中心的药物治疗临床试验设计技术指导原则(试行)》《以患者为中心的药物治疗临床试验实施技术指导原则(试行)》和《以患者为中心的药物治疗获益-风险评估技术指导原则(试行)》(以下简称“指导原则”),首次在政策层面上确立了以患者为中心的概念^[6]。“以患者为中心的药物治疗”是指基于患者角度开展的药物开发、设计、实施和决策过程,旨在高效研发更符合患者需求且具有临床价值的药物^[6]。在试验实施阶段,利用新技术和新模式改善受试者参与临床试验的体验。目前的实践探索包括互联网招募、远程知情同意、远程寄送药物、远程访视和远程数据报告等。国内外学者从企业、机构等利益相关者角度对参与以患者为中心的药物治疗临床试验的考虑因素进行了定性研究^[7-8]。然而,目前仍缺乏基于患者视角的以患者为中心的药物治疗临床试验相关研究。

本研究立足于药物治疗临床试验机构,调研肿瘤受试者参与当前药物治疗临床试验的体验,并基于我国监

管机构提出的以患者为中心的药物治疗临床试验具体环节,调研患者的认知度、参与意愿及其影响因素和具体原因。研究旨在探讨如何促进以患者为中心的药物治疗临床试验的落地,以期为行业发展提供参考和依据。

1 对象与方法

1.1 研究对象

2023年3月至8月,针对正在或既往在中国医学科学院肿瘤医院参与抗肿瘤药物临床试验的恶性肿瘤患者开展问卷调查。采用便利抽样法,控制门诊患者和住院患者的比例为1:1。纳入标准包括:(1)有明确诊断的恶性肿瘤患者;(2)正在或既往参加过中国医学科学院肿瘤医院的抗肿瘤药物临床试验;(3)年龄 ≥ 18 岁;(4)意识清楚,听力正常,无精神心理疾病。排除诊断不明确或患有良性肿瘤的患者。所有研究对象均经过知情同意程序。本研究通过了中国医学科学院肿瘤医院伦理委员会的审查(批准批号:22/133-3334)。

1.2 调研方法

本研究发放的问卷均已经过专家咨询和预调查,调查人员均为经过统一培训的临床研究协调员(clinical research coordinator, CRC),以问卷星发放电子问卷为主。对于无阅读能力或行动受限的肿瘤受试者,获得受试者及其家属口头同意后可由陪同家属向其说明题目并代为填写。

1.3 调研内容

调查问卷主要分为以下3个部分。

1.3.1 一般资料 (1)患者人口学信息:性别、年龄、所在地区、学历、宗教信仰、关注医学信息情况;(2)临床信息:肿瘤确诊时长、医保情况、经济压力类型;(3)所参与药物治疗临床试验项目的情况:参与临床试验期别、试验药物类型、参与时长、因临床试验来往机构次数、参加药物治疗临床试验治疗效果。

1.3.2 抗肿瘤药物治疗临床试验的参与体验 (1)对临

床试验研究人员的满意度情况:研究医生、CRC、研究护士、研究药师;(2)对临床试验各环节的满意度情况:知情同意、访视安排、副作用处理、财务报销;(3)参与临床试验未被满足的需求。满意度情况采用李克特五级量表评分,从非常满意到非常不满意评分为 5 分到 1 分,参与临床试验未被满足的需求由患者主观填写。

1.3.3 对以患者为中心的药物治疗的看法

(1)认知情况:是否听说过以患者为中心的药物治疗的概念、对以患者为中心的药物治疗的理解;(2)参与意愿:整体参与意愿、对具体试验环节(互联网招募、远程知情同意、远程寄送药、远程访视、远程数据报告)的参与意愿,选项分别为“愿意”“中立”“不愿意”。

本次调研的互联网招募是指基于患者信息大数据的智能化招募方式;远程知情同意是指采用图片、视频等多媒体方式在远程条件下传达知情同意书内容并通过电子方式记录;远程寄送药是指通过第三方物流公司从研究中心预约试验药物和回收试验药物;远程访视是指研究人员通过电话、视频等方式对患者进行访视;远程数据报告是指患者通过智

能设备在线填写日志卡、生活质量评价表、不适症状等。

1.4 统计学分析

采用 SPSS 26.0 软件对回收问卷进行数据录入、数据库建立及统计分析。肿瘤受试者一般资料和满意度情况采用描述性分析,用频数和百分比表示;受试者未被满足的需求用频数和百分比表示。使用卡方检验分析患者的一般资料、参与临床试验的满意度情况、认知度对参与意愿的影响。通过多元 logistic 回归分析进一步进行多因素分析,根据 P 值和 95% 置信区间(confidence interval, CI),解释各因素对参与意愿的影响,并识别出具有显著影响的因素。 $P < 0.05$ 为差异有统计学意义。

2 结果

2.1 肿瘤受试者一般资料

本研究共收集有效问卷 403 份(95.7%)。其中男性 172 例,占 42.7%;年龄段在 45~60 岁 258 例,占 64.0%;华东/华北/中南地区 343 例,占 85.1%;学历为高中/中专/大专 174 例,占 43.2%(表 1)。

表 1 影响肿瘤受试者参与意愿的单因素分析[例(%)]

Tab. 1 Univariate analysis of variables associated with participation intention of cancer subjects [n (%)]

变量	总计	愿意	中立	不愿意	χ^2	P
性别					4.275	0.120
女性	231(57.3)	151(65.4)	61(26.4)	19(8.2)		
男性	172(42.7)	128(74.4)	36(20.9)	8(4.7)		
年龄/岁					3.947	0.410
<44	37(9.2)	26(70.3)	10(27.0)	1(2.7)		
45~60	258(64.0)	178(69.0)	58(22.5)	22(8.5)		
>61	108(26.8)	75(69.4)	29(26.9)	4(3.7)		
地区					6.103	0.049
华东/华北/中南	343(85.1)	234(68.2)	82(23.9)	27(7.9)		
西南/西北/东北	60(14.9)	45(75.0)	15(25.0)	0(0)		
学历					2.224	0.698
本科及以上	162(40.0)	115(71.0)	38(23.5)	9(5.6)		
高中/中专/大专	174(43.2)	121(69.5)	42(24.1)	11(6.3)		
初中及以下	67(16.6)	43(64.2)	17(25.4)	7(10.4)		
宗教信仰					7.649	0.014
无	381(94.5)	268(70.3)	86(22.6)	27(7.1)		
有	22(5.5)	11(50.0)	11(50.0)	0(0)		

续表 1

变量	总计	愿意	中立	不愿意	χ^2	<i>P</i>
关注医学信息情况					9.514	0.129
从不	144(35.7)	106(73.6)	32(22.2)	6(4.2)		
偶尔	2(0.5)	0(0)	1(50.0)	1(50.0)		
一般	155(38.5)	102(65.8)	41(26.5)	12(7.7)		
经常	102(25.3)	71(69.6)	23(22.5)	8(7.8)		
肿瘤确诊时长					10.489	0.030
<1 年	83(20.6)	54(65.1)	21(25.3)	8(9.6)		
1-5 年	259(64.3)	186(71.8)	63(24.3)	10(3.9)		
>5 年	61(15.1)	39(63.9)	13(21.3)	9(14.8)		
医保					2.357	0.267
有	382(94.8)	261(68.3)	94(24.6)	27(7.1)		
无	21(5.2)	18(85.7)	3(14.3)	0(0.0)		
经济压力类型					3.304	0.770
基本没有影响	22(5.5)	17(77.3)	4(18.2)	1(4.5)		
勉强可以承受	86(21.3)	53(61.6)	26(30.2)	7(8.1)		
有一定压力	131(32.5)	92(70.2)	30(22.9)	9(6.9)		
压力很大	164(40.7)	117(71.3)	37(22.6)	10(6.1)		
临床试验期别					9.217	0.150
I 期(含 I/II 期)	114(28.3)	71(62.3)	30(26.3)	13(11.4)		
II 期(含 II/III 期)	99(24.6)	72(72.7)	25(25.3)	2(2.0)		
III 期	157(39.0)	112(71.3)	34(21.7)	11(7.0)		
其他	33(8.2)	24(72.7)	8(24.2)	1(3.0)		
试验药物类型					8.213	0.187
口服	173(42.9)	116(67.1)	44(25.4)	13(7.5)		
静脉	190(47.1)	141(74.2)	39(20.5)	10(5.3)		
肌注	11(2.7)	5(45.5)	5(45.5)	1(9.1)		
其他	29(7.2)	17(58.6)	9(31.0)	3(10.3)		
参加临床试验时长					7.47	0.107
<1 年	49(12.2)	31(63.3)	13(26.5)	5(10.2)		
1-3 年	111(27.5)	82(73.9)	27(24.3)	2(1.8)		
>3 年	243(60.3)	166(68.3)	57(23.5)	20(8.2)		
来往机构次数					7.744	0.018
<4 次	49(12.2)	33(67.3)	8(16.3)	8(16.3)		
≥4 次	354(87.8)	246(69.5)	89(25.1)	19(5.4)		
参加临床试验治疗效果					5.606	0.668
很好	182(45.2)	131(72.0)	38(20.9)	13(7.1)		
尚可	140(34.7)	96(68.6)	37(26.4)	7(5.0)		
一般	26(6.5)	15(57.7)	9(34.6)	2(7.7)		
无效	13(3.2)	10(76.9)	2(15.4)	1(7.7)		
不清楚	42(10.4)	27(64.3)	11(26.2)	4(9.5)		

续表 1

变量	总计	愿意	中立	不愿意	χ^2	<i>P</i>
研究医生满意度					1.418	0.479
5分	291(72.2)	198(68.0)	71(24.4)	22(7.6)		
<5分	112(27.8)	81(72.3)	26(23.2)	5(4.5)		
4分	109(27.0)	78(71.6)	26(23.9)	5(4.6)		
3分	3(0.8)	3(100)	0(0.0)	0(0.0)		
2分	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)		
1分	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)		
CRC 满意度					1.903	0.396
5分	281(69.7)	189(67.3)	71(25.3)	21(7.5)		
<5分	122(30.3)	90(73.8)	26(21.3)	6(4.9)		
4分	113(28.0)	83(73.5)	24(21.2)	6(5.3)		
3分	8(2.0)	6(75.0)	2(25.0)	0(0.0)		
2分	1(0.3)	1(100.0)	0(0.0)	0(0.0)		
1分	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)		
研究护士满意度					1.708	0.447
5分	285(70.7)	194(68.1)	69(24.2)	22(7.7)		
<5分	118(29.3)	85(72.0)	28(23.7)	5(4.2)		
4分	114(28.3)	82(71.9)	27(23.7)	5(4.4)		
3分	4(1.0)	3(75.0)	1(25.0)	0(0.0)		
2分	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)		
1分	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)		
研究药师满意度					2.346	0.326
5分	273(7.7)	183(67.0)	69(25.3)	21(7.7)		
<5分	130(32.3)	96(73.8)	28(21.5)	6(4.6)		
4分	124(30.8)	91(73.4)	27(21.8)	6(4.8)		
3分	6(1.5)	5(83.3)	1(16.7)	0(0.0)		
2分	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)		
1分	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)		
知情同意过程满意度					0.567	0.781
5分	266(66.0)	181(68.0)	66(24.8)	19(7.1)		
<5分	137(34.0)	98(71.5)	31(22.6)	8(5.8)		
4分	129(32.0)	92(71.3)	29(22.5)	8(6.2)		
3分	6(1.5)	5(83.3)	1(16.7)	0(0.0)		
2分	2(0.5)	1(50.0)	1(50.0)	0(0.0)		
1分	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)		
访视安排满意度					0.473	0.806
5分	267(66.3)	182(68.2)	66(24.7)	19(7.1)		
<5分	136(33.7)	97(71.3)	31(22.8)	8(5.9)		
4分	124(30.8)	90(72.6)	26(21.0)	8(6.4)		
3分	9(2.2)	5(55.6)	4(44.4)	0(0.0)		

续表 1

变量	总计	愿意	中立	不愿意	χ^2	<i>P</i>
2分	3(0.7)	2(66.7)	1(33.3)	0(0.0)		
1分	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)		
副作用处理满意度					0.413	0.809
5分	264(65.5)	180(68.2)	66(25.0)	18(6.8)		
<5分	139(34.5)	99(71.2)	31(22.3)	9(6.5)		
4分	130(32.3)	92(70.8)	29(22.3)	9(6.9)		
3分	9(2.2)	7(77.8)	2(22.2)	0(0.0)		
2分	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)		
1分	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)	0(0.0)		
财务报销满意度					4.018	0.136
5分	205(50.9)	139(67.8)	56(27.3)	10(4.9)		
<5分	198(49.1)	140(70.7)	41(20.7)	17(8.6)		
4分	131(32.5)	90(68.7)	32(24.4)	9(6.9)		
3分	45(11.2)	30(66.7)	8(17.8)	7(15.6)		
2分	17(4.2)	15(88.2)	1(5.9)	1(5.9)		
1分	5(1.2)	5(100.0)	0(0.0)	0(0.0)		
认知度					3.336	0.494
知道	32(7.9)	24(75.0)	5(15.6)	3(9.4)		
听过,但不了解	66(16.4)	50(75.8)	13(19.7)	3(4.5)		
不知道	305(75.7)	205(67.2)	79(25.9)	21(6.9)		

2.2 肿瘤受试者参与药物临床试验的体验情况

2.2.1 参与药物临床试验的满意度情况 肿瘤受试者对研究医生表示非常满意的比例最高(291例, 72.2%),其次是研究护士(285例, 70.7%),对财务报销表示非常满意的比例最低(205例, 50.9%)(图1,表1)。

2.2.2 参与药物临床试验中未被满足的需求 对 81 个开放性问题的回答进行主题归纳,肿瘤受试者

对于当前所参与药物临床试验未被满足的需求是报销周期长、费用不够(43.2%)、往返机构压力大(24.7%)、医患沟通欠缺(23.5%)、其他(8.6%)。

2.3 肿瘤受试者对以患者为中心的药物治疗的参与意愿情况

2.3.1 认知情况 听说过以患者为中心的药物治疗的肿瘤受试者仅占 24.3%,并且其认知大部分集中于远程临床试验的部分环节,如居家访视或可穿戴设备监测健康数据。

2.3.2 参与意愿情况 肿瘤受试者的整体参与意愿较高(70.0%),尤其是远程寄送药(88.6%),其次是远程访视(86.6%);对互联网招募参与意愿最低(69.5%),其次是远程知情同意(70.5%)(图2)。

2.3.3 影响肿瘤受试者参与意愿的单因素分析 单因素分析结果显示,患者所在地区、有无宗教信仰、肿瘤确诊时长、因参加临床试验来往机构次数与以患者为中心的药物治疗的参与意愿有关($P<0.05$)(表1)。

2.3.4 影响肿瘤受试者参与意愿的多元 Logistic 回归分析 在单因素分析的基础上,以肿瘤受试者参与意愿作为因变量,将患者所在地区、有无宗教信

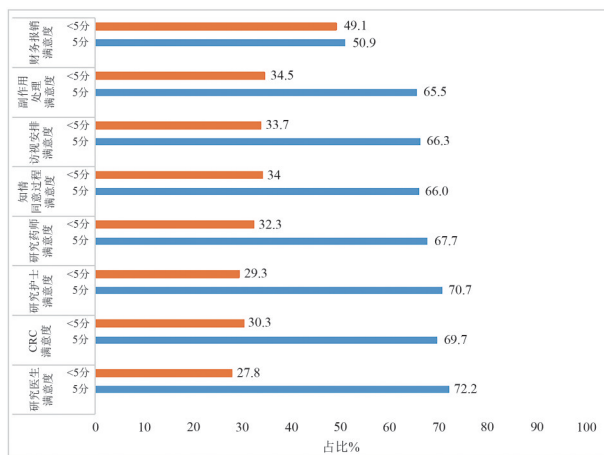


图 1 肿瘤受试者参与药物临床试验的满意度情况

Fig. 1 Satisfaction of cancer subjects participating in drug clinical trials

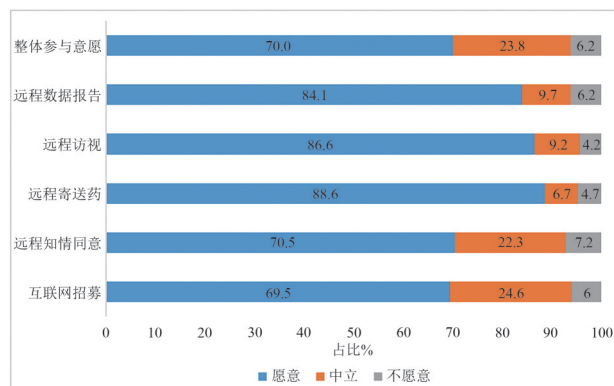


图 2 肿瘤受试者对以患者为中心的临床试验的参与意愿情况
 Fig. 2 Cancer subjects' willingness to participate in patient-centric clinical trial

仰、肿瘤确诊时长、因参加临床试验来往机构次数作为自变量,采用多元 logistic 回归进行分析,结果表明肿瘤确诊时长>5 年、因参与临床试验来往机构次数≥4 次的肿瘤受试者更倾向于参与以患者为中心的药物治疗(表 2)。

2.3.5 肿瘤受试者参与意愿原因分析 肿瘤受试者愿意参与以患者为中心的药物治疗的主要原因有节省来往机构的时间(26.2%)、居住地距离机构远(24.8%)、节省来往机构的费用(22.2%),不愿意/中立的主要原因是担心来往机构次数少不能与研究人员充分交流(28.4%)、担心个人健康得不到保障(22.8%)(表 3)。

表 2 影响肿瘤受试者参与意愿的多元 Logistic 回归分析

Tab. 2 Multivariate Logistic regression analysis of variables associated with the participation willingness of cancer subjects

变量	愿意				中立			
	<i>B</i>	<i>Wald</i>	<i>P</i>	<i>OR</i> (95% <i>CI</i>)	<i>B</i>	<i>Wald</i>	<i>P</i>	<i>OR</i> (95% <i>CI</i>)
肿瘤确诊时长								
<1 年	0.872	2.366	0.124	2.391(0.787,7.261)	1.269	3.810	0.051	3.558(0.995,12.726)
1~5 年	1.572	9.626	0.002	4.814(1.784,12.992)	1.73	8.976	0.003	5.639(1.819,17.484)
来往机构次数								
<4 次	1.118	5.068	0.024	3.059(1.156,8.095)	1.669	7.648	0.006	5.308(1.626,17.328)

注:*B*为回归系数;*Wald*为*B*除以*SE*的平方值;*OR*为比值比。以肿瘤确诊时长>5 年、来往机构次数≥4 次作为参照。

Note: *B* was regression coefficient; *Wald* was divided by *SE* squared; *OR* was odds ratio. Taking the patients diagnosed with cancer for more than five years and those with 4 or more visits to institution as reference.

表 3 肿瘤受试者参与意愿的具体原因统计

Tab. 3 Statistics on specific reasons for participation intension of cancer subjects in patient-centric clinical trials

愿意原因	选择次数	选择率/%	不愿意/中立原因	选择次数	选择率/%
节省来往机构的时间	210	26.2	担心来往机构次数少,不能与研究人员充分交流	66	28.4
居住地距离机构远	199	24.8	担心个人健康得不到保障	53	22.8
节省来往机构的费用	178	22.2	不熟悉智能设备使用	46	19.8
希望为医学研究尽己之力	121	15.1	担心个人隐私泄露	27	11.6
行动受限	55	6.8	国内远程临床试验经验不足	20	8.6
远程方式很新颖	38	4.7	没有网络和设备支持	12	5.2
其他	2	0.2	其他	8	3.4

3 讨论

本研究发现,肿瘤受试者对当前所参与的药物治疗临床试验总体满意,但过程中仍存在一些困难,主要包括报销周期长、往返机构压力大、医患沟通欠缺等。这些问题与既往调研结果基本一致,如 Kessel 等^[9]在 2018 年对肿瘤患者参与临床试验的意愿原因调研结果表明,肿瘤患者不愿意参与临床试验

的主要原因是往返机构耗时、耗力、耗钱。最新发布的指导原则针对这些痛点,提出了受试者补偿可结合电子支付方式实现“及时兑付”,以及远程知情同意、远程访视、远程数据报告等方式^[6]。针对指导原则提出的以患者为中心的药物治疗概念及具体实施环节,本研究发现,肿瘤受试者对该理念的认知度较低,可能是因为“以患者为中心的药物治疗”是一个新兴理念,尚未在公众中得到广

泛普及。然而,本研究也显示,24.3%的肿瘤受试者听说过以患者为中心的药物治疗临床试验部分措施,如远程访视或可穿戴设备监测健康数据。本研究发现,70.0%的受试者愿意参与以患者为中心的药物治疗临床试验,与左泽锦等^[10]调研情况一致,尤其是远程寄送药和远程访视参与意愿最高。在药物治疗临床试验实施过程中,适当减少受试者来往机构的频率,合理增加远程访视,如当试验药物为口服药、使用较为简便时,可以使用寄送方式,随访期状态稳定时可去附近医院做相应检查,从而有效解决受试者多次往返机构的时间和经济压力。但是,本研究也显示,肿瘤受试者不愿意参与以患者为中心的药物治疗临床试验的主要担忧为不能与医护人员进行充分交流。因此,在临床试验中,尤其是在使用一些远程方式时,需要注意加强医患沟通,设计合理的访视频率和方式,研究团队及时关注患者病情变化、指导疾病的日常护理、跟进临床试验进展情况^[11],从而更好地保障受试者权益和安全,提高受试者的依从性。

本研究发现,肿瘤受试者对互联网招募和远程知情同意环节的参与意愿较低。肿瘤受试者对互联网招募最大的担忧是临床试验项目的可靠性和个人信息泄露风险。为解决这些问题,在建设受试者招募平台时,可以依托权威医疗或互联网机构进行建设和管理,这有助于增强平台的安全性和可信度。同时,对未能成功入组的患者需要充分告知其筛选失败原因及其他治疗建议,做好后续处理工作^[12]。肿瘤受试者对远程知情同意环节的最大担忧是远程方式不能充分知情。因此,应当选用恰当的远程知情方式保证患者和医生的沟通畅通,或使用生动的视频形式帮助患者更直观地了解试验项目^[13]。Polhemus等^[14]研究显示,监管机构对远程临床试验接受度较低的原因是远程技术的应用会给数据质量和受试者权益带来更大的风险。有关机构需要制定相应的操作规范或指导原则来确保远程临床试验的安全性和数据的可靠性^[15],并与其他试验相关方合作,共同推动临床试验中远程方式的发展,促进以患者为中心的药物治疗临床试验的落地^[8]。

本研究发现,所在地区、有无宗教信仰、肿瘤确诊时长、因参与临床试验来往机构次数等因素会影响肿瘤受试者参与以患者为中心的药物治疗临床试验的意愿。既往调查发现,华北、华东、中南地区医疗卫生机构的综合技术水平较西南、西北和东北地区

高,患者对医院信任度更高^[16],对临床试验的认知度也更高^[17],这可能进一步影响他们参与以患者为中心的药物治疗临床试验的意愿。宗教信仰作为一种心理“止痛剂”,已在肿瘤患者群体中得到认可,且有不断增长的趋势^[18],可鼓励患者在面临严重疾病时积极寻求治疗。因此,有宗教信仰的肿瘤受试者可能更愿意在临床试验中尝试新技术、新方法。本研究表明,肿瘤确诊时长>5年的受试者可能更倾向于参与以患者为中心的药物治疗临床试验。患病时长越久的患者可能会越焦虑,更渴望找到更为有效的治疗方式^[19]。既往研究发现,受试者参与临床试验耗费的时间越长,参与临床试验的满意度越低^[20]。本研究结果表明,参与临床试验来往机构次数≥4次的受试者对以患者为中心的药物治疗临床试验参与意愿更高。肿瘤受试者可能因长期往返机构产生的经济、时间压力而对更便捷的治疗方式更感兴趣,远程方式可以避免长途奔波和频繁就诊,因而参与意愿更高。面对调研中不熟悉智能设备使用、不愿意接受临床试验中远程方式的肿瘤受试者,可以定制个性化参与方式,而不应强制要求其使用远程方式。

本研究探究了当前临床试验受试者未被满足的需求,并首次从患者角度探索了受试者对以患者为中心的药物治疗临床试验的看法,为改善受试者参与临床试验的体验、促进以患者为中心的药物治疗临床试验的落地提供科学依据。此外,本次调查采用了经国家癌症中心专家认证过的问卷,并且经过多级质控,问卷回收质量高,可信度强。然而,本研究存在一定的局限性。首先,本研究为单中心研究,研究对象仅限于参与抗肿瘤新药临床试验的肿瘤患者,且样本的地区分布不均匀,可能导致研究结果存在抽样偏倚。因此,建议未来开展多中心研究,以进一步拓宽研究的外推性和普适性。

综上所述,肿瘤受试者对于临床试验的需求主要是合理减少访视次数,以减轻来往机构的经济和时间负担等,说明利用远程方式发展以患者为中心的药物治疗临床试验十分必要,可通过进一步积极宣传推广,提高患者的认知度。肿瘤确诊时间长、需要频繁来往机构的受试者对以患者为中心的药物治疗临床试验参与意愿更高,尤其是对远程寄送药和远程访视等措施的接受度更高。在设计和开展以患者为中心的药物治疗临床试验的过程中,需要处理好患者所关心的安全性、隐私性及充分知情权等问题。通

过确保医患之间的有效沟通,充分履行知情同意程序,可以有效消除患者的顾虑,这对于推动该理念的成功实施具有重要意义。

参考文献

- [1] SHARMA N S. Patient centric approach for clinical trials: current trend and new opportunities [J]. *Perspect Clin Res*, 2015, 6(3): 134–138. DOI: 10.4103/2229–3485.159936.
- [2] 陈诚,鲁晓雨,盛丽婷,等. 药物临床试验受试者入组速度的影响因素分析[J]. *中国临床药理学杂志*, 2023, 39(17): 2544–2547. DOI: 10.13699/j.cnki.1001–6821.2023.17.024.
- [3] KADAKIA K T, ASAAD M, ADLAKHA E, et al. Virtual clinical trials in oncology—overview, challenges, policy considerations, and future directions [J]. *JCO Clin Cancer Inform*, 2021, 5: 421–425. DOI: 10.1200/CCI.20.00169.
- [4] 谢静,王焕玲. 以患者为中心的临床试验: 医药研发新模式[J]. *协和医学杂志*, 2021, 12(6): 849–853. DOI: 10.12290/xhyxzz.2021–0056.
- [5] DOCKENDORF M F, HANSEN B J, BATEMAN K P, et al. Digitally enabled, patient-centric clinical trials: shifting the drug development paradigm [J]. *Clin Transl Sci*, 2021, 14(2): 445–459. DOI: 10.1111/cts.12910.
- [6] 国家药监局药审中心关于发布《以患者为中心的药物临床试验设计技术指导原则(试行)》《以患者为中心的临床试验实施技术指导原则(试行)》《以患者为中心的药物治疗获益-风险评估技术指导原则(试行)》的通告(2023年第44号)[EB/OL]. [2023–08–18]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/42c008e28f7004cd19b73949142380bd>.
- [7] LI B T, DALY B, GOSPODAROWICZ M, et al. Reimagining patient-centric cancer clinical trials: a multi-stakeholder international coalition [J]. *Nat Med*, 2022, 28(4): 620–626. DOI: 10.1038/s41591–022–01775–6.
- [8] COERT R M H, TIMMIS J K, BOORSMA A, et al. Stakeholder perspectives on barriers and facilitators for the adoption of virtual clinical trials: qualitative study [J]. *J Med Internet Res*, 2021, 23(7): e26813. DOI: 10.2196/26813.
- [9] KESSEL K A, VOGEL M M E, KESSEL C, et al. Cancer clinical trials—Survey evaluating patient participation and acceptance in a university-based Comprehensive Cancer Center (CCC) [J]. *Clin Transl Radiat Oncol*, 2018, 13: 44–49. DOI: 10.1016/j.ctro.2018.10.001.
- [10] 左泽锦,胡敏,陈蕾,等. 公众对远程临床试验的接受度及其影响因素的调查分析[J]. *中国新药与临床杂志*, 2021, 40(10): 698–703. DOI: 10.14109/j.cnki.xyylc.2021.10.06.
- [11] 祁佳燕,吕宏英. 卵巢癌晚期患者参与药物临床试验期心理体验质性研究[J]. *护理与康复*, 2021, 20(2): 96–99. DOI: 10.3969/j.issn.1671–9875.2021.02.032.
- [12] PULLEN M F, PASTICK K A, WILLIAMS D A, et al. Lessons learned from conducting internet-based randomized clinical trials during a global pandemic [J]. *Open Forum Infect Dis*, 2020, 8(2): ofaa602. DOI: 10.1093/ofid/ofaa602.
- [13] COHEN E, BYROM B, BECHER A, et al. Comparative effectiveness of eConsent: systematic review [J]. *J Med Internet Res*, 2023, 25: e43883. DOI: 10.2196/43883.
- [14] POLHEMUS A M, KADHIM H, BARNES S, et al. Accelerating adoption of patient-facing technologies in clinical trials: a pharmaceutical industry perspective on opportunities and challenges [J]. *Ther Innov Regul Sci*, 2019, 53(1): 8–24. DOI: 10.1177/2168479018801566.
- [15] VAYENA E, BLASIMME A, SUGARMAN J. Decentralised clinical trials: ethical opportunities and challenges [J]. *Lancet Digit Health*, 2023, 5(6): e390–e394. DOI: 10.1016/S2589–7500(23)00052–3.
- [16] 李志广,孔爱杰,张婉莹. 基于三阶段DEA的我国医疗卫生机构运行效率的测度与评价[J]. *中国卫生统计*, 2021, 38(2): 257–261. DOI: 10.3969/j.issn.1002–3674.2021.02.025.
- [17] 邢淑君,陈鹤方,胡梦蝶,等. 肿瘤患者参与药物临床试验现状及影响因素研究[J]. *中国新药杂志*, 2022, 31(12): 1201–1208. DOI: 10.3969/j.issn.1003–3734.2022.12.011.
- [18] 魏琳,刘燕飞,李旬. 照护质量靶心模式对宗教信仰肿瘤患者生活质量的影响[J]. *现代临床护理*, 2014, 13(12): 15–18. DOI: 10.3969/j.issn.1671–8283.2014.12.06.
- [19] 叶炜芃,邓子豪,黄群锋,等. 肿瘤患者抑郁和焦虑影响因素相关性研究[J]. *中华生物医学工程杂志*, 2022, 28(6): 662–667. DOI: 10.3760/cma.j.cn115668–20220419–00088.
- [20] 唐乐,姜时雨,秦燕,等. 抗肿瘤新药 I 期临床试验受试者对临床试验的认知和满意度调查[J]. *中国肿瘤临床*, 2022, 49(7): 345–351. DOI: 10.12354/j.issn.1000–8179.2022.20211907.

校稿: 刘颖 李征

本文引用格式: 吴清,孙超,吴大维,等. 肿瘤受试者对以患者为中心的
药物临床试验的参与意愿及其影响因素调查[J]. *肿瘤药学*, 2024,
14(6): 653–661. DOI: 10.3969/j.issn.2095–1264.2024.06.01.

Cite this article as: WU Qing, SUN Chao, WU Dawei, et al. A survey of
cancer subjects' willingness to participate in patient-centric clinical tri-
als and their influencing factors [J]. *Anti-tumor Pharmacy*, 2024, 14(6):
653–661. DOI: 10.3969/j.issn.2095–1264.2024.06.01.