

110 年度藥品臨床試驗教育訓練及受試者權益計畫  
創新生醫臨床試驗進階研習班-課程考評

一、 選擇題(每題 3 分)

- (A) 1. First in Human study 通常人數在多少以內？  
(A) 30  
(B) 100  
(C) 300  
(D) 1000
- (D) 2. 下列何者因素會影響藥品於小兒族群的吸收程度？  
(A) 胃酸 pH 值  
(B) 胃腸道中可吸收之表面積  
(C) 腸道菌叢  
(D) 以上皆是
- (D) 3. 小兒族群於哪個年齡段落的身體組成中，水份比例含量最高？  
(A) 18 歲  
(B) 15 歲  
(C) 1 歲  
(D) 剛出生
- (C) 4. 小兒族群於哪個年齡段落 GFR 值最高？  
(A) 剛出生  
(B) 出生後 2-3 天  
(C) 出生後 3-5 個月  
(D) 不論何時都一樣
- (D) 5. 小兒族群執行臨床試驗時，下列採血量何者敘述為真？  
(A) 新生兒單點採血量最多 3 mL  
(B) 新生兒在整個臨床試驗中總採血量為 9 mL  
(C) 此為 EMA 規範  
(D) 以上皆是

**110 年度藥品臨床試驗教育訓練及受試者權益計畫**  
**創新生醫臨床試驗進階研習班-課程考評**

- (C) 6. 下列何者為美國針對小兒藥品發展所立的法？
- (A) PREA
  - (B) BPCA
  - (C) 以上皆是
- (C) 7. 小兒藥品發展需注意那些事項？
- (A) Defining of the first dose in children
  - (B) Determining of the right dose and dosing regimen
  - (C) 以上皆是。
- (C) 8. 小兒藥品發展有那些倫理考量？
- (A) Children can be more vulnerable to the effects of a drug than people in older age groups
  - (B) Children are also not able to consent for themselves, while many parents are reluctant to risk having their children randomized to treatment assignment
  - (C) 以上皆是
- (C) 9. 下列何者可能是外插(Extrapolation)的資料來源？
- (A) Adult indication for (similar) pediatric indication
  - (B) Real World Evidence or historical controls (external data)
  - (C) 以上皆是
- (D) 10. 小兒藥品發展，可能會有那些外插(Extrapolation)？
- (A) Full Extrapolation
  - (B) Partial Extrapolation
  - (C) No Extrapolation
  - (D) 以上皆可能
- (B) 11. 在基因治療產品臨床試驗中，無論基因治療產品之特性為何，藥物動力學部分只需要執行脫落試驗(Shedding study)與生物分布試驗(Biodistribution study)，而無須執行傳統藥物動力學試驗。
- (A) 正確
  - (B) 錯誤

## 110 年度藥品臨床試驗教育訓練及受試者權益計畫

### 創新生醫臨床試驗進階研習班-課程考評

- (B) 12. 基因治療產品製作及研發成本高昂，且多用於治療罕見疾病，受試者收納人數預期較少，因此無須評估劑量效應作用(dose-response effect)。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (A) 13. 基因治療產品臨床試驗中的免疫原性(immunogenicity)評估，對載體(vector)以及對轉殖基因產物的免疫反應都需要考慮。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (A) 14. 基因治療產品雖然可能因產品特性有不同的考量，原則上療效試驗的設計(如指標的選擇、對照組的選取、納入/排除條件等)仍應遵循現有針對特定治療領域的指引。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (A) 15. 針對基因治療產品的延遲性不良反應風險，應依據是否使用基因編輯技術(gene editing technology)、是否僅用於離體外(ex vivo)修飾細胞、在非臨床試驗是否會持續表現、是否為嵌入式(integrated)基因序列，以及是否可能是潛伏性(latency)或再活化(reactivation)等評估結果，規劃合理的長期追蹤觀察時間。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (B) 16. 使用真實世界數據為資料來源，不須額外分析，即可成為良好的真實世界證據。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (A) 17. 真實世界數據係指常規性蒐集與病人健康狀態相關或來自於健康照顧過程所得到之多種數據。數據來源可為電子健康紀錄、健康保險給付資料庫、疾病登記資料庫、穿戴式裝置產生之數據等。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (B) 18. Electronic healthcare record (EHR)提供的資料均為結構性資料。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (B) 19. 只要是罕見疾病的治療藥物，都可以僅憑真實世界證據來獲得核准。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (B) 20. 取得真實世界數據後，再來決定研究假說、研究目標、研究方法、以及數據分析方法，是有效率且可產生良好真實世界證據的方式。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (B) 21. 如果研究的目標為判斷新藥治療與療效間的因果關係，則務實性臨床試驗是最佳的選擇。
- (A) 正確 (B) 錯誤

110 年度藥品臨床試驗教育訓練及受試者權益計畫  
創新生醫臨床試驗進階研習班-課程考評

- (B) 22. 外部對照組數據只要經過 matching 後，就可視同於隨機分配臨床試驗的內部對照組。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (A) 23. 蒐集真實世界數據之研究設計的原則與傳統臨床試驗相同，須清楚訂定研究目標，並事先擬定研究計畫書(protocol)與統計分析計畫(statistical analysis plan)。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (B) 24. 所有的真實世界數據都能產生有效的證據。
- (A) 正確 (B) 錯誤
- (B) 25. 下列對於真實世界數據之研究的敘述何者為誤？
- (A) 可以是前瞻性(prospective)或回溯性(retrospective)研究
- (B) 真實世界研究目的是蒐集巨量的醫療相關數據
- (C) 真實世界研究可以採用隨機化設計
- (D) 數據可由既有的數據庫中取得
- (D) 26. 真實世界證據是否可以作為法規決策依據應考量：
- (A) 真實世界數據的適用性(fit for use)
- (B) 研究設計的適切性
- (C) 研究執行的合規性
- (D) 以上皆是
- (B) 27. 下列哪個敘述非真實世界數據的來源：
- (A) 全民健康保險資料庫
- (B) 傳統隨機、對照臨床試驗
- (C) 穿戴裝置產生的數據
- (D) 病人登記(patient registry)資料庫
- (B) 28. 傾向分數(propensity score)大部分是由哪種統計方法算出來的？
- (A) 複迴歸 (multiple regression)
- (B) 邏輯斯迴歸 (logistic regression)
- (C) 多項式迴歸 (polynomial regression)
- (D) Cox regression

110 年度藥品臨床試驗教育訓練及受試者權益計畫  
創新生醫臨床試驗進階研習班-課程考評

- (B) 29. 傾向分數(propensity score)只能用來做配對(matched)研究設計?  
(A) 正確 (B) 錯誤
- (A) 30. 傾向分數(propensity score)只能用來平衡試驗組別間之可測量干擾因素(measurable confoundings)?  
(A) 正確 (B) 錯誤
- (A) 31. 在一個實驗對照的研究設計, 哪一種傾向分數的使用方法可以做到 the population average treatment effect (ATE)?  
(A) 加權 (weighting)  
(B) 配對 (matching)  
(C) 分層 (stratification)
- (C) 32. 哪一種加權方法可以做到實驗對照的完全平衡?  
(A) IPTW  
(B) Matching weights  
(C) Overlap weights