

DOI: 10. 13288/j. 11-2166/r. 2026. 05. 008

症状、证候量表在脾胃病新药研发中的应用价值

刘凤斌^{1△}, 姚思梦^{2,3△}, 王萍⁴, 卞立群⁴, 侯政昆¹, 唐旭东^{4✉}

1. 广州中医药大学第一附属医院, 广东省广州市白云区机场路 16 号, 510405; 2. 广州中医药大学第八临床医学院; 3. 佛山市中医院; 4. 中国中医科学院西苑医院脾胃病研究所

[摘要] 症状、证候量表是中医临床疗效评价不可或缺的测评工具, 在脾胃病新药研发各阶段中均具有重要价值, 可为药物的临床定位、疗效评估和适应证拓展提供科学依据。通过分析当前症状、证候量表研究的热点, 探讨症状、证候量表在脾胃病新药研发中的重要意义与应用难点, 总结国内研究现状, 并结合国际相关研究进行对比分析, 展望未来发展趋势, 以促进症状、证候量表在脾胃病新药研发中的应用, 推动中医药现代化发展进程。

[关键词] 脾胃病; 症状; 证候; 量表; 疗效评价; 新药研发

症状、证候与疾病评价是疗效评价的三大核心要素, 三者各有侧重、相辅相成, 共同构建了完整的中医临床疗效评价体系, 且在不同疾病疗效评价中的应用价值有所差异。症状评价是疗效评价的基础, 直接反映患者的主观感受和疾病临床表现, 但仅凭症状孤立判断难以全面揭示疾病本质和整体动态变化, 同一症状可能出现在多种疾病或证候中。证候评价是在症状评价的基础上, 进一步揭示疾病机理和病变实质, 能够体现中医辨证论治的思维特征。中医临床诊疗强调“以人为本”, 医师多凭经验对症状、证候作出主观判断, 如何将症状、证候客观化呈现, 是中医临床疗效评价的难点与研究重点。

量表是临床结局评估的重要工具^[1], 近年来患者报告结局 (PRO) 等基于患者自身评价的量表越来越多地被应用于临床研究中, 已成为疗效评价中不可或缺的重要组成部分^[2-3]。目前量表主要划分为评测量表类、证候及相关症状测量类和综合评测类^[4]。在脾胃病新药研发过程中, 症状、证候量表不仅是疗效评价的核心工具, 更直接关系到药物临床价值的确立, 可为疗效验证、适应证拓展及临床优势挖掘等环节提供循证依据。因此, 本文对症

状、证候量表在脾胃病新药研发中的应用价值进行探讨, 以促进中医药现代化发展进程。

1 症状、证候量表研究对脾胃病新药研发的意义

2023 年 2 月, 国家药品监督管理局颁布《中药注册管理专门规定》, 明确提出中药的疗效评价应当结合中医药临床诊疗特色, 建立能够体现其作用特点和优势的结局指标体系^[5]。中医临床诊疗过程以症状和证候为核心, 症状构成了功能性疾病的临床特点和亚型的主要特征, 是诊断和治疗的重要依据。在新药研发中, 以单一症状改善作为临床定位具有重要价值。证候本质上是一组典型症状的组合, 是中医传统的诊断与评价手段。在脾胃病新药研发中, 证候不仅是核心疗效评价指标, 更是精准治疗的关键, 其动态量化特性能够反映疾病在不同阶段的变化, 为药物疗效的评估提供多维度视角。

随着医疗卫生领域逐渐向“以患者为中心”的价值体系转变, 政府监管部门、医疗机构以及制药企业等利益相关方均日益关注患者的主观感受^[6]。脾胃病作为常见的中医内科疾病, 发病机制复杂、临床表现多样, 其治疗方案具有显著的个体化差异, 单一客观指标往往难以全面评价疗效。量表为症状和证候疗效评价提供了标准化和量化工具, 能够将患者主观感受与证候表现转化为可比较的数据指标。新药在不同阶段对症状和证候的干预效果能

基金项目: 中国科学技术协会 2024 年中医脾胃病学科发展研究 (2024XKFZYJ)

✉ 通讯作者: txdl@sina.com

△同等贡献

够通过量表得到客观化呈现,从而为新药研发提供可靠的数据支撑^[6]。

症状、证候量表在脾胃病新药研发各阶段中均有重要价值,可为药物的临床定位、疗效评估和适应证拓展提供科学依据。新药研发早期阶段,证候量表有助于界定目标人群并明确药物临床定位,如通过分析脾胃病患者的证候分布特征,确定药物主要针对的证候类型;在临床试验阶段,可用于评估药物在不同证型患者中的疗效差异,进一步明确药物的作用靶点和机制。例如,在一项脾胃病中药新药临床试验中,使用中医证候量表发现肠康方对脾虚湿盛证患者的疗效更为显著^[7]。新药上市后,量表可作为监测工具评估其长期疗效和安全性,通过随访积累真实世界证据,揭示不同人群、地域及季节下的疗效差异,为临床合理用药提供参考。

2 症状、证候量表研究的热点

2.1 计算机自适应测试 (CAT)

CAT能够在保证测评精度的前提下,将测试时间缩短 50%~90%,显著降低测试成本和受试者负担,同时具有个性化测量和高精确度等优势^[8-9]。目前,CAT已受到越来越多国家和研究者的关注,并成功应用于心理学、护理学、临床医学等多个领域量表的研制中^[10-11]。患者报告结局测量信息系统(PROMIS)即专门建立CAT量表模板,为相关领域的量表开发提供了范式。本团队亦尝试将CAT方法引入中医临床疗效评价研究中,如将其应用于胃痛^[12]、胃痛^[13]等相关量表的研制。

2.2 基于大数据和人工智能的量表优化

大数据与人工智能技术的发展推动了症状、证候量表优化进入新阶段。自然语言处理技术可个性化提取症状信息并构建知识图谱,以揭示症状与证候之间的关联性^[14]。大数据分析能挖掘临床数据,发现症状、证候与疾病预后、治疗效果的潜在联系,为量表修订提供思路。同时,人工智能技术也为量表的智能化应用提供了可能,如通过智能设备实时采集患者症状信息,并利用机器学习进行智能化分析,可敏锐反映病情变化,及时调整治疗方案。尤其对于脾胃病等慢性疾病,基于大数据和人工智能的量表应用可提高疗效评价的灵敏度和准确性,并优化治疗方案。

2.3 症状、证候量表的临床测量属性

目前,多数量表主要依据心理计量学标准进行设计与评价,该方法过分强调条目间的同质性,而

对量表的临床敏感性关注不足,难以充分应对复杂临床问题。若过度依赖心理计量学标准,可能会削弱量表的临床应用^[15]。相较于心理计量学,临床测量学可能更能为量表提供临床有效性评价标准和依据。2021年,基于临床测量学原理的患者报告结局测量的临床标准(CLIPROM)应运而生^[15]。该标准强调检验量表与临床相关的测量特性,如灵敏度、预测效度等,成为国际上评价量表可靠性与有效性的重要新方向,越来越多的量表在研制过程中对临床测量属性进行评估^[16-17]。然而,目前国内尚缺乏对中医症状、证候量表临床测量属性的系统性研究。

2.4 症状、证候量表的临床实施问题

目前我国症状、证候量表普遍存在“重研制、轻实施”的现象,导致量表临床转化利用率低,难以真正发挥其作用。2018年,国际生活质量研究学会召开以“new horizons in quality of life research (生活质量研究的新视野)”为主题的会议,提出将实施科学应用于量表研究的新思路。实施科学被认为是促进量表跨越“科研-临床”鸿沟的重要桥梁,已有多项国际研究证实其在推动量表临床应用方面的价值^[18-19]。一些国家已开展国家层面的量表实施战略,如澳大利亚制定了PRO实施策略^[20],丹麦国家医疗系统启动了“PRO-Psychiatry”倡议,以推动量表在精神疾病诊疗中的应用^[21]。然而,在症状、证候量表研究领域,关于临床实施的探索仍属空白,亟需加强相关研究与实践。

3 症状、证候量表在脾胃病新药研发中的应用难点

症状及证候诊断的标准化是科学、客观、系统开展中医疗效评价的前提,也是其在新药研发中推广应用的关键难题。目前中医证候疗效评价多参考《中药新药临床研究指导原则(试行)》^[22]和《中医内科病证诊断疗效标准》^[23],其他疗效评定标准及自拟标准亦有应用。然而,在实际应用过程中存在证候疗效评价标准不统一、内涵界定不明确、定量化研究尚缺乏、客观量化手段不足等诸多问题,制约了证候疗效评价的科学性,也成为中药证候类新药研发的重要瓶颈^[24]。

在脾胃病新药研发不同环节中,症状、证候量表的应用同样面临多重挑战。1) 新药研发早期阶段:量表有助于明确药物临床定位和目标人群,但评价标准不统一,常导致药物临床定位不精准,进而影响研发方向和策略。2) 临床试验阶段:证候

量表可用于评估药物在不同证型患者中的疗效差异,帮助揭示作用机制。然而,证候存在动态变化与个体差异问题,导致证候量表的疗效评价结果不一致,增加了临床试验的复杂性;治疗过程中患者可能出现证候转变或兼证,也加重了疗效评价的难度。3) 新药上市后阶段:量表可在真实环境中监测新药的长期疗效与安全性,并作为新药追踪工具,但量表的跨文化适应性问题限制其在国际市场上的应用,从而影响新药的推广应用。

4 脾胃病新药研发中症状、证候量表的研究现状

4.1 国内研究现状

脾胃病是中医诊疗优势病种,相对于其他疾病,症状、证候量表的发展较为成熟。国内研究者长期致力于脾胃病疗效评价研究,研制了一系列具有中医药特色的疗效评价工具。本团队自 1994 年开始对胃肠疾病患者生存质量进行探索研究^[25],先后研制了 10 余份中医诊疗相关量表。其中,中医脾胃系疾病 PRO 量表是我国首个面向脾胃病共性的 PRO 量表^[26]。该量表采用“共性模块+子模块”的结构研制针对慢性胃炎^[27]、肠易激综合征^[28]、胃食管反流病^[29]的专属模块,是目前最常用的中医脾胃病专科生存质量评价量表。同时,本团队提出功能性胃肠病(FGIDs)的胃肠症状重叠现象与中医主症、兼症理念类同,复方中药可据此发挥多靶点、多机制干预优势^[30]。基于 FGIDs 症状重叠特点和中医药整体调节特点,本团队研制了《基于慢性胃肠疾病患者报告的临床结局评价量表》^[31],其临床适用性和可行性获得 30 位中西医消化领域权威专家的一致认可^[32]。这些探索不仅可推动我国脾胃病疗效评价体系的逐步完善,也为中药新药研发中的疗效判定提供了可借鉴的工具和经验。

在症状、证候量表工具不断探索与实践积累的基础上,随着国家药品审评政策的逐步完善,我国脾胃病新药研发的疗效评价模式正逐渐向“病-证结合”的方向转变。如《中药新药用于胃食管反流病的临床疗效评价指导原则》指出,反流性食管炎症状复杂,无单一方法可评价症状的性质和程度,其临床试验应采用“病-证结合”研究模式,可选择 Likert 量表或症状积分作为疗效评价指标^[33]。2022 年,国家药品监督管理局药品审评中心发布《中药新药用于慢性胃炎的临床疗效评价技术指导原则(试行)》,明确要求采用“症状积分+内镜

改善”的双重终点设计^[34]。然而,尽管脾胃病领域已研制出多种信度、效度良好的测评工具,应用最广的仍是中医证候积分法^[35],以患者为中心的测评量表在脾胃病新药研发中的应用仍较少。

4.2 国内外研究比较

在国内,研究者尝试通过整合脾胃病的传统症状与证候,结合经典文献与临床经验,研制具有中医特色的量表。这些量表多涵盖脾胃病的常见症状,如胃脘痛、食欲不振等,并按不同证候类型进行分类,能够反映中医辨证论治的特点。在新药研发中,症状量表主要用于评估药物对核心症状的改善,而证候量表则用于考察药物对整体证候的调控作用。近年来,“脾胃病临床症状量表”及“脾胃证候量表”等工具在临床试验和新药研发中的应用呼声渐高。然而,国内研究仍存在量表标准化与推广力度不足、区域和医师间证候认知差异较大、跨学科合作与多中心验证欠缺、部分量表信度和效度评价不充分等问题。随着中医药国际化进程加快,如何提升量表的国际适应性和可比性,成为亟待解决的难题。

在国外,尽管缺乏中医理论基础,但症状量表在脾胃病新药研发中的应用已较为成熟,同时症状量表与客观指标相结合的评价模式越来越受到重视。在功能性消化不良、胃食管反流病的新药研发中,症状量表已成为衡量临床疗效的重要工具,如胃肠道症状评定量表通过对常见症状进行量化评分,帮助评估患者病情变化。这类量表不仅在临床疗效评价中被广泛应用,也为跨国、多中心药物研发和临床试验提供了统一的标准和数据支持。但其局限在于偏重西医诊断框架下的症状量化,未能有效融合中医辨证论治思想。

在政策与监管层面,2001 年国际上正式提出将 PRO 与健康相关的生存质量纳入医学临床结局体系。2009 年,美国食品药品监督管理局(FDA)发布《关于 PRO 应用于新药研发和疗效评价的指南草案》,明确规定在临床疗效评价与药物试验报告中纳入患者自我报告的健康结果指标^[36]。此举推动了“PRO 相关药品说明书”的产生,即药品说明书中直接列入与 PRO 相关的临床获益信息^[6]。2011—2015 年,FDA 批准的消化系统药物如利那洛肽等均在药物说明书相关声明中采用 PRO 评估工具作为支持性证据,如记录腹痛程度的 0~10 数字评分量表^[37]。2016—2020 年,约 26% 的 FDA 新药评审报告纳入 PRO 指标,其中消化系统药物占

比高达 62.5%^[38]。在消化系统药物临床研究中,常以内镜结果为主要结局指标,同时辅以全球胃肠道症状和影响量表(GGISIS)^[39]等量表作为次要结局指标。

相较于国外在药物研发中对症状、证候量表的广泛应用,我国在该领域仍处于探索与起步阶段。近年来,国家层面对症状、证候量表价值逐渐重视,并出台一系列政策文件以推动其应用。2020 年和 2021 年,国家药品监督管理局分别发布《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》^[40]和《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则(试行)》^[41],在提出的 10 类真实世界数据常见来源中纳入 PRO。2021 年,药品审评中心相继发布《以临床价值为导向的抗肿瘤药物临床研发指导原则》和《罕见疾病药物临床研发技术指导原则》,鼓励在罕见疾病药物、抗肿瘤药物等研发中应用 PRO,以反映药物对患者生活质量的改善,并将其作为支持性关键数据^[42]。2022 年,《患者报告结局在药物临床研发中应用的指导原则(试行)》^[43]正式发布,首次明确将 PRO 纳入药品审评审批的重要指标。2023 年,《中药注册管理专门规定》进一步指出,中药的疗效评价应当结合临床实际与中医药特点,选择能够体现其优势的结局指标,并明确提出将“症状改善”作为临床评价重要定位之一^[44]。

5 脾胃病新药研发中症状、证候量表的未来趋势与发展战略

随着中医药在全球范围的推广和认可度的提升,尤其是在脾胃病等慢性疾病防治中的应用,症状、证候量表的研究已进入新的发展阶段。未来研究的核心在于实现量表的标准化与科学化。由于不同地区、文化和人群存在差异,量表的适应性和普适性问题仍然突出,亟须通过大样本、多中心临床研究进一步验证现有量表的有效性和可靠性。针对脾胃病,应当探索更加精准和个性化的评价工具,推动量表从单一症状量化向多维度、综合性评价模式转型。同时,大数据、人工智能等技术的应用,为量表智能化开发和优化提供了新契机。如人工智能可以通过分析大量临床数据,帮助发现脾胃病患者的症状模式和证候演变规律,实现量表条目的智能筛选和优化,提升疗效评价的精准度与实时性。

然而,在脾胃病新药研发中,如何科学、系统地评价临床疗效仍是核心难题。传统疗效评价主要

依赖医师经验和患者主观感受,难以避免主观性强、客观性不足的局限。因此,症状、证候量表的应用在脾胃病新药研发中具有重要战略意义。未来发展应着重于以下方向:1) 构建以中医理论为基础、融合循证医学的“病-症-证”多维度框架,兼具辨证特色与可量化性;2) 推动量表研发的国际化与本土化协同,结合 PRO、生物标志物及人工智能等现代手段开发高信度、效度的脾胃病专科量表;3) 强化政策引导与产学研联动,通过制定行业指南、优化审评标准、搭建数据共享平台,推动评价工具的创新应用与成果转化。通过上述举措,有望逐步形成“以临床价值为导向、以科学证据为支撑”的脾胃病新药研发体系,在保持中医药特色的同时实现与国际标准的有效对接,促进中医药现代化与国际化发展。

参考文献

- [1] U. S. Department of Health and Human Services, Food and Drug Administration, Center for Drug Evaluation and Research (CDER), Center for Biologics Evaluation and Research (CBER), et al. Guidance for industry patient-reported outcome measures: use in medical product development to support labeling claims [EB/OL]. (2009-12-01) [2025-05-01]. <https://www.fda.gov/media/77832/download>.
- [2] 曾令烽,杨伟毅,梁桂洪,等. 基于整合思维探讨患者临床报告结局问卷引进与中医临床效应测评[J]. 中华中医药杂志, 2022, 37(2): 611-617.
- [3] LIU FB, HOU ZK, YANG YY, et al. Literature review and analysis of the development of health outcomes assessment instruments in Chinese medicine [J]. J Integr Med, 2013, 11(2): 80-89.
- [4] 程海波,张磊,付勇,等. 2023 年度中医药重大科学问题、工程技术难题和产业技术问题[J]. 中医杂志, 2023, 64(14): 1405-1421.
- [5] 国家药品监督管理局. 国家药监局关于发布《中药注册管理专门规定》的公告[EB/OL]. (2023-02-10) [2025-04-10]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/ggtg/ypggtg/ypqt-ggtg/20230210173401120.html>.
- [6] 孙昱,文海若,汪祺. 以患者为中心的药物治疗策略[J]. 药物评价研究, 2020, 43(9): 1719-1727.
- [7] 童伟. 基于中医证候积分联合 IBS-SSS 量表评价肠康方治疗腹泻型肠易激综合征的探讨[D]. 南京: 南京中医药大学, 2024.
- [8] MASON SF, DASGUPTA M, FLYNN KE, et al. Comparison of CAT and short forms for PROMIS pain and physi-

- cal health domains in children with sickle cell disease[J]. J Patient Rep Outcomes, 2023, 7(1): 12.
- [9] KRASKA J, BELL K, COSTELLO S. Graded response model analysis and computer adaptive test simulation of the depression anxiety stress scale 21: evaluation and validation study [J]. J Med Internet Res, 2023, 25: e45334. doi:10.2196/45334.
- [10] GAO X, XIA L, WANG F, et al. Applying item response theory to the student adaptation to college questionnaire: examining psychometric characteristics and developing computerized adaptive testing version [J]. J Pers Assess, 2023, 105(6): 797–806.
- [11] OTTENHOF MJ, GEERARDS D, HARRISON C, et al. Applying computerized adaptive testing to the FACE-Q skin cancer module: individualizing patient-reported outcome measures in facial surgery [J]. Plast Reconstr Surg, 2021, 148(4): 863–869.
- [12] 侯政昆. 基于计算机自适应测试的胃痞患者报告结局量表研制 [D]. 广州: 广州中医药大学, 2012.
- [13] 李筱颖. 胃痛 PRO 计算机自适应试验的初步构建研究 [D]. 广州: 广州中医药大学, 2011.
- [14] 张晓雨, 田思超, 尤良震, 等. 大数据时代中医症状疗效评价存在的问题与解决对策 [J]. 中医杂志, 2024, 65(8): 792–795.
- [15] CARROZZINO D, PATIERNO C, GUIDI J, et al. Clinimetric criteria for patient-reported outcome measures [J]. Psychother Psychosom, 2021, 90(4): 222–232.
- [16] ZHANG Y, WANG X, CARROZZINO D, et al. Clinimetric properties of the Chinese version of the Euthymia Scale [J]. Clin Psychol Psychother, 2022, 29(1): 360–366.
- [17] MARSHALL J, GOSA MM, DODRILL P. Patient-reported outcome measures that describe the feeding skills domain for pediatric feeding disorder: a clinimetric review [J]. J Pediatr Gastroenterol Nutr, 2023, 77(1): 137–145.
- [18] HASSETT MJ, DIAS S, CRONIN C, et al. Strategies for implementing an electronic patient-reported outcomes-based symptom management program across six cancer centers [J]. BMC Health Serv Res, 2024, 24(1): 1386.
- [19] HETTIARACHCHI SENARATH GM, DELIR HAGHIGHI P, BAI L, et al. Barriers and facilitators to the uptake of electronic collection and use of patient-reported measures in routine care of older adults: a systematic review with qualitative evidence synthesis [J]. JAMIA Open, 2024, 7(3): o0ae068.
- [20] BRUSCO NK, MYLES PS, ATKINSON V, et al. Development of the ‘AusPROM’ recommendations for elective surgery patients [J]. Aust Health Rev, 2022, 46(5): 621–628.
- [21] KRISTENSEN S, HOLMSKOV J, PØLUND K, et al. Using patient-reported outcome measures in psychiatric hospital care: an observational study describing an iterative implementation process in Denmark [J]. Int J Qual Health Care, 2022, 34(Supplement_1): ii40–ii48.
- [22] 郑筱萸. 中药新药临床研究指导原则(试行) [M]. 北京: 中国医药科技出版社, 2002.
- [23] 国家中医药管理局. 中医内科病证诊断疗效标准 [EB/OL]. (1994-06-28) [2025-05-01]. <https://ndls.org.cn/standard/detail/e427980802f34bc876dcab00e66024c5>.
- [24] 梁茂新, 王雪峰. 中医疗效评价指标和方法研究需要解决的认识问题 [J]. 世界科学技术, 2006, 8(1): 31–35.
- [25] 刘凤斌. 胃肠疾病患者生存质量研究的探索 [J]. 广州中医药大学学报, 1997, 14(4): 10–13.
- [26] 刘凤斌, 王维琼. 中医脾胃系疾病 PRO 量表的研制与条目筛选 [J]. 世界科学技术-中医药现代化, 2009, 11(4): 527–531.
- [27] 黄尧达. 中医脾胃系疾病 PRO 量表之慢性胃炎模块的研制和考核 [D]. 广州: 广州中医药大学, 2009.
- [28] 梁炳君. 中医脾胃系疾病 PRO 量表之肠易激综合征量表的研制与考核 [D]. 广州: 广州中医药大学, 2010.
- [29] 余纯梓. 脾胃系疾病 PRO 量表之胃食管病模块的研制与考核 [D]. 广州: 广州中医药大学, 2011.
- [30] 唐旭东, 卞立群, 王凤云, 等. 功能性胃肠病症状重叠现象与中医药治疗思路 [J]. 中医杂志, 2010, 51(3): 271–273.
- [31] 唐旭东, 王萍, 刘保延, 等. 基于慢性胃肠疾病患者报告临床结局测量量表的编制及信度、效度分析 [J]. 中医杂志, 2009, 50(1): 27–29.
- [32] 唐旭东, 王萍, 赵迎盼, 等. 《基于慢性胃肠疾病患者报告的临床结局评价量表》应用于功能性胃肠病疗效评价适用性专家问卷调查 [J]. 中国中西医结合杂志, 2018, 38(2): 182–185.
- [33] 王凤云, 吕咪. 从中医药治疗胃食管反流病的优势环节解读《中药新药用于胃食管反流病的临床疗效评价指导原则》 [J]. 中国中西医结合消化杂志, 2023, 31(7): 493–496.
- [34] 卞立群, 王凤云, 陈婷, 等. 《中药新药用于慢性胃炎的临床疗效评价技术指导原则(试行)》内容解读 [J]. 中国中西医结合消化杂志, 2024, 32(11): 961–965.
- [35] 罗辉, 廖星, 王茜. 中医证候积分在疗效评价中的应用: 基于 240 项随机对照试验的比较研究 [J]. 中国中西医结合杂志, 2015, 35(10): 1261–1266.

- [36]史钊, 窦蕾, 李顺平. 国内外患者报告结局的应用现状与研究进展[J]. 中国全科医学, 2023, 26(4): 401-408.
- [37]GNANASAKHATHY A, MORDIN M, EVANS E, et al. A review of patient-reported outcome labeling in the United States (2011—2015) [J]. Value Health, 2017, 20(3): 420-429.
- [38]GNANASAKHATHY A, NORCROSS L, DEMURO ROMANO C, et al. A review of patient-reported outcome labeling of FDA-approved new drugs (2016—2020): counts, categories, and comprehensibility [J]. Value Health, 2022, 25(4): 647-655.
- [39]NAISMITH RT, WUNDES A, ZIEMSSSEN T, et al. Diroximel fumarate demonstrates an improved gastrointestinal tolerability profile compared with dimethyl fumarate in patients with relapsing-remitting multiple sclerosis: results from the randomized, double-blind, phase III EVOLVE-MS-2 study [J]. CNS Drugs, 2020, 34(2): 185-196.
- [40]方碧陶. 国家药品监督管理局印发《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》[J]. 中医药管理杂志, 2020, 28(2): 107.
- [41]国家药品监督管理局. 用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则(试行) [EB/OL]. (2021-04-13) [2025-05-01]. <https://www.cde.org.cn/attachmentout.do?method=list&id=0e208b282a448d40>.
- [42]唐凌, 艾星, 赵田, 等. 对“以患者为中心”的罕见疾病药物研发的审评考虑 [J]. 罕见病研究, 2024, 3(2): 168-174.
- [43]国家药品监督管理局药品审评中心. 患者报告结局在药物临床研究中应用的指导原则(试行) [EB/OL]. (2021-12-01) [2023-04-21]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/c2f79c22e8678241b030c71523eb300c>.
- [44]严华美, 江云, 胡慧慧, 等. 治疗症状类中药新药临床试验疗效指标设计的关键问题 [J]. 药物评价研究, 2023, 46(9): 1833-1840.

Application Value of Scales for Symptom & Syndrome Evaluation in Spleen-Stomach Diseases Related New Drug Research and Development

LIU Fengbin¹, YAO Simeng^{2,3}, WANG Ping⁴, BIAN Liquan⁴, HOU Zhengkun¹, TANG Xudong⁴

1. The First Affiliated Hospital of Guangzhou University of Chinese Medicine, Guangzhou, 510405; 2. The Eighth Clinical Medical College of Guangzhou University of Chinese Medicine; 3. Foshan Hospital of Traditional Chinese Medicine; 4. Institute of Spleen and Stomach Diseases, Xiyuan Hospital, China Academy of Chinese Medical Sciences

ABSTRACT Symptom and syndrome efficacy evaluation scales are indispensable tools for clinical efficacy assessment in traditional Chinese medicine (TCM), and hold significant value at all stages of new drug research development for spleen and stomach diseases. These scales can provide scientific basis for clinical positioning, efficacy evaluation, and expansion of indications of new drugs. By analyzing the current hotspots and difficulties in research, this study aims to explore the important significance of these scales in the development of new drugs for spleen and stomach diseases, summarize the domestic research progress, and conduct comparative analyses with international studies. Future development trends are also discussed in order to promote the application of symptom and syndrome efficacy evaluation scales in the development of new drugs for spleen and stomach diseases and to advance the modernization process of TCM.

Keywords spleen and stomach diseases; symptom; syndrome; scale; efficacy evaluation; new drug research and development

(收稿日期: 2025-06-25; 修回日期: 2025-12-31)

[编辑: 焦 爽]