

DOI: 10.13288/j.11-2166/r.2014.11.001

学术探讨

结局管理及其在真实世界中医临床研究中的应用

张艳宏¹, 刘保延^{2*}, 谢琪², 张润顺³, 周雪忠⁴, 王斌¹, 赵玉凤¹, 刘岩¹

(1. 中国中医科学院中医临床基础医学研究所, 北京市东城区东直门内南小街 16 号, 100700; 2. 中国中医科学院; 3. 中国中医科学院广安门医院; 4. 北京交通大学)

基金项目: 国家高技术研究发展计划(“863”计划)资助项目(2012AA02A609); 国家自然科学基金资助项目(81230086); 国家科技支撑计划资助项目(2013BAI02B10)

摘要 结局管理作为一种及时、高效的评估医疗结局的管理工具, 其过程就是在真实世界中收集、分析数据, 并做到实时反馈, 以调整治疗方案。理论与实践表明, 结局管理能够显著改善健康结局, 促进医疗资源合理分配。介绍结局管理的基本概念和特点, 并就其在真实世界中医临床科研范式基础上的合理应用与实践, 提出了一些初步思路与设想。

关键词 结局管理; 结局测量; 真实世界研究; 中医临床科研范式; 质量改进

真实世界中医临床科研范式的核心是临床科研一体化, 其鲜明的特征是以人为中心, 以数据为导向, 以问题为驱动, 医疗实践与科学计算交替, 从临床中来到临床中去^[1]。结局管理(outcomes management)作为一种及时、高效的评估医疗结局的管理工具, 是中医临床科研范式的具体展示。结局管理的过程就是将患者的医疗实施和管理结合起来, 连续不断地积累患者特征、治疗过程和结局等海量数据, 预测和评估干预措施对生存质量的影响, 关注医疗服务相关的技能优势, 通过实时灵活的反馈, 帮助决策者做出更理性的治疗决策。尝试将结局管理嵌入到中医临床科研信息共享系统, 不但是既往结局管理研究在中医药领域应用的延伸, 也是评价辨证论治个体化诊疗效果的更好契合点。

1 结局管理的内涵及功能

1.1 结局管理的定义

结局管理是一个新兴领域, 尚无统一的定义描述。结局管理的概念最早由 Ellwood 提出, 他将结局管理定义为“作为国家常设医疗数据库, 运用一套通用的定义测量患者的生存质量, 旨在帮助患者、医生以及医疗费用支付方做出明智的健康选择”^[2]。Al-Assaf^[3]提出, 结局管理是收集、分析、

评估和推广医疗程序的过程, 目的是通过医生、患者、保险公司、政府机构等多方的集体努力改善医疗结果, 结局管理与连续质量改进是互相影响的。Kennedy^[4]认为, 结局管理通过运用绩效衡量评价真实世界患者结局, 对治疗措施的结果实现很好的控制, 将科研向实践转化, 实现证据知情治疗, 最终目的是改善医疗结局。美国马里兰大学教授 Perkins^[5]认为, 结局管理是协调医疗服务的影响因素并进行处理加工, 实现高效的服务质量和成本效益, 同时运用测量与通信, 改善医疗服务过程及结局。简言之, 结局管理就是针对治疗结果的管理, 通过评价医疗结局, 在医生、患者、保险公司乃至政府部门间对患者的健康状态达成共识, 实现患者利益的最大化。

1.2 结局管理的功能

结局管理在中医药领域的应用尚属起步阶段, 但作为一种极具应用价值的评估医疗结局的管理工具, 其研究已比较深入, 如使医疗服务资源得到更合理的配置、有助于推动科学研究向临床实践转化等^[6-7]。执行结局管理, 可能带来如下益处: ①对既往标准不断改进。医生临床实践的依据, 诸如标准或指南, 影响着医疗结局的效力或效果; 反过来, 结局管理通过对治疗措施结局的反馈, 为这些标准的不断改进提供依据。②对结局测量工具的评

* 通讯作者: cectcm@gmail.com, (010) 64014411 转 2820

估与修正。结局管理所涉及的测量工具会不断地在分析和结果反馈的基础上进行修正,这是结局管理不同于以往临床试验的重要特点。③对结局进行追踪与预测。结局管理可以提升患者信息的可用性和可访问性,为决策者提供追踪结局的能力,可以在相似的条件对当前结局和既往结局进行比较;与此同时,通过情景模拟,医生可以以电子方式测试不同的临床管理模式,尽可能选择最好的临床结局。④参与以患者为核心的研究。结局管理可以使医生从患者处获得更多的反馈信息,可以使医生在流行病学背景下诊治患者,形成以患者为核心的研究模式。⑤实现广泛的信息传播。结局管理可以使每个决策者得到所关注的信息,适时进行分析,并以各种形式将分析结果提供给各方受众群体。

2 结局管理的实现条件

根据 Ellwood^[8] 的观点,结局管理有 4 个基本要素:可靠的结局 (reliable outcomes)、更好的标准 (better standards)、强大的数据库 (powerful data bases)、有前途的分析 (promising analyses)。具体来讲,结局管理就是要使用患者普遍理解的语言描述健康结局,要更多地依赖于医生在选择干预措施时所使用的标准和指南,能够在合适的时间间隔内不断地测量与患者疾病相关的健康结局,将各类结局数据很大程度上联合起来进行分析,将分析结果的合适片段有针对性地传播给决策者,同时,结局管理也会随着医学科学的进步、人们预期的变化和可供资源的改变而不断地改进和提高。

2.1 结局的规范流程

追踪和测量患者的生存质量是结局管理的核心内容。首先要回答“哪类结局”、“应该测量什么”、“从哪种角度测量”等一系列问题,提前明确管理的目标,对适合收集的数据进行界定;然后选择合适的测量工具,结局的评估应该从医生和患者两个角度来进行,但提倡采用患者对症状和生存质量改善的评估结果作为标准,用整体变化评分反映患者病痛的总体减轻程度;最后选择最便捷的方式获取生存质量的数据。为了不加重医生和患者的负担,可以在特定的时间间隔收集数据,同时对收集数据所用的时间也要有所限制,要考虑数据的可靠性、敏感性和特异性。另外,要加强结局的随访,因为慢性病的曲线发展、并发症的叠加效应等,都有可能使我们对生存质量的结果产生疑虑。

2.2 合适的标准或指南

患者的病情严重程度、疾病发展阶段、并发症

等都会对健康结局产生影响。Markson^[9] 提出,疾病分期在结局测量和结局管理方面有着重要作用,有助于开展更有效的病例组合测量,使相关标准更具有临床意义。因此,有必要对患者的整个治疗过程进行判断和评估,这就要依赖医生在临床实践中选择最优的有关治疗措施的标准、指南以及必须遵守的规则,以便于对生存质量的结果有更合理的解释。

2.3 建立一个自动化系统

将医疗人员的活动与患者的行为联系起来,利用计算机技术建立一个自动化系统,是结局管理的重要组成部分。该系统以决策支持为基础,多渠道、多时点地收集信息,通过若干数据库和逻辑路径的智能联合,开展数据的收集、录入、分析和提取,允许多用户同时共享信息,以加强临床和管理的决策过程。具体来讲,数据采集的成本必须降至最低,数据分析所使用的复杂逻辑编程工具必须强大而灵活,各种报告和决策支持工具应该快速开发和部署。

2.4 持续不断地改进结局质量

结局管理将患者、医生和自动化系统在信息循环中相链接,以医疗过程为导向,及时报告关键风险因素和患者病情的变化情况。通过生成的事实和见解,结局管理最终帮助人们做出更合理的决策,以达到持续质量改进 (continuous quality improvement)^[10]。要注意的是,由于结局管理只是以接受医疗服务的患者为基础,并不包含未经治疗的自然病程所带来的信息,因此关于治疗措施有效性和其他方面的结论要谨慎得出。

总之,结局管理是一个质量不断改善提高的动态过程,是一个连续不断的反馈系统,而不仅仅是孤立的研究或管理项目^[9]。

3 结局管理在中医药领域应用的设想

改善患者生存质量,实现患者利益最大化,是结局管理的最初由来,也是结局管理的最终目的。参考现有研究成果,将结局管理作为对中医治疗过程中所产生的结局进行管理的工具,我们认为可以从以下几方面予以考虑。

3.1 结局管理模型的描绘与实现

可以综合参考 Perkins^[11] 与 Hodegs^[12] 提出的结局管理模型和结局管理系统模型,尝试设计中医药领域的结局管理模型。根据结局管理的最终目的,“患者的最终结局”是核心内容,至少要在初始治疗时和治疗结束时两次评估患者的健康结局。整个

结局管理模型实质上是医疗服务的设计与活动,包括患者的特征与需求,患者与医生的互动,服务质量与成本效益的评估,基于数据分析结果而做到连续不断的质量改进。

3.2 结局管理基本要素的具体化

3.2.1 结局评估的内容与方法 确定收集数据的时间间隔,如患者初次治疗时、第 3 次治疗时和第 5 次治疗时,以后依据患者病情不定期收集数据,每次收集数据时间限定在 5 分钟之内,这样可以有效地减轻医生和患者的负担,最大限度地降低收集数据的成本。患者初次治疗时,包括人口学资料、既往治疗史、治疗目的、治疗优势、退出风险、复发风险、病情严重程度等,都要进行评估。患者治疗期间,使用相关量表评估患者的健康状态、病情进展、所接受的医疗服务及治疗满意度。患者报告的症状和生存质量改善是评估内容的重点,同时医生也可以使用简单的问卷对患者的健康状态、病情进展、预后进行评估,以加强预测。

3.2.2 数据的提炼加工方法 有关治疗措施的标准、指南以及必须遵守的规则,虽然被许多医生当作“参考书”,但临床应用时仍然存在争议。因此,在临床实践中医生往往将遇到的情况全部描述出来,这就导致了医疗记录是模糊的、不确定的。以这些临床描述和观察为基础,从中提炼出所谓可靠的数据,再转入到计算机数据库,可能是结局管理系统面临的最大的技术障碍。

3.2.3 强大的数据知识库 知识库的建立是结局管理中是非常必要的,包括传统的数据库领域和用于决策的人工智能领域。例如, Brown^[4] 介绍的一家名为 PBH 的行为健康管理公司的结局管理系统,就有一个超过 15 000 例样本的数据知识库,为病情变化轨迹的建模提供依据;还有一个未经任何心理治疗的正常志愿者数据知识库,用于评估正常状态和临床严重程度之间的截点,通过追踪每个患者相对于正常人的病情改善程度,帮助医生决定患者是否需要继续接受治疗。

3.2.4 性能指标和决策支持工具 性能指标和决策支持工具是结局管理的关键要素。性能指标是从一个阶段到下一阶段结局测量的变化情况。除非我们知道这种变化的合理预期水平,否则结局就无法解释。PBH 的结局管理系统推荐使用病例组合模型 (case-mix model),即使用最初数据预测治疗结束时患者性能指标的变化^[4]。患者最初几次治疗后的病情变化轨迹,可以帮助判断患者治疗初期的反应以及是否有必要调整治疗方案。PBH 的结局

管理系统还通过病例组合模型回归方程对最终治疗结局的预测,帮助及早发现有脱落风险的患者,使他们避免提前终止治疗^[4]。Toche-Manley^[7] 介绍的 Polaris CD 结局管理系统将患者按照脱落风险的低危、中危、高危进行分类,通过分析脱落病例特征与 Polaris CD 初始评估内容的相关性,提示患者的脱落风险水平,使医生意识到有必要对高脱落风险病例进行激励访谈 (motivational interviewing)。Polaris CD 系统还做到了问题—治疗匹配,具体来讲,就是“什么样的患者”可能对“什么样的治疗”有效,这种治疗能够达到“什么样的目标”,以此决定患者是否需要增加个性化治疗^[7]。

有效的决策支持工具可以帮助改善结局和更有效地进行资源分配。可能提前终止治疗的患者,也是最可能在进一步治疗中有较大获益的患者;初期治疗效果不明显却有可能在后续治疗中病情有较大改善的患者,应该获得更好的治疗条件和更严格的治疗措施,甚或有必要进行特殊的治疗监测;病情显著改善、进一步治疗不太可能获得更明显效果的患者,就要权衡是否有必要继续治疗。决策支持工具就是潜在地将资源提供给那些最需要帮助的患者和最有可能获得收益的患者。

3.2.5 性能反馈与报告生成 性能反馈主要是指将以结局为基础的信息提供给决策者,能够基于某些临床变量追踪和识别高危患者,以更好地计划和监测治疗。PBH 的结局管理系统按报告生成的时间,可以分为日报告、周报告和月报告^[4]。日报告与周报告类似,对最近的患者评估数据和医生评估数据进行扫描,分析风险指标,预测病情变化轨迹,生成高危患者个性化的临床报告。月报告有两套,一个是针对已结束治疗的患者结局的总报告,另一个是针对治疗中的患者结局变化指数的报告。Polaris CD 结局管理系统按报告特点分为临床报告、运行报告和程序层次总报告^[7]。临床报告对治疗方案和监测提供详细的信息,在患者每次完成评估后就立即生成;运行报告显示在过去 1 周、4 周或 1 年内完成实时评估的患者百分比;程序层次总报告概括了患者的人口学特征、治疗目标、初始时病情严重程度、治疗过程、治疗措施变化的原因、治疗优势,还包括治疗满意度、随病情严重程度变化的临床结局等信息。结局管理系统生成的报告会及时反馈给决策者,以便他们不断地调整治疗方案。与那些不根据反馈而治疗的患者相比,前者病情改善程度要高于后者,这也暗示结局管理在医疗服务领域是一项有前途的项目。

4 小结

综上所述,结局管理是一个动态的综合过程,是多种方法的联合应用以监测和改善患者生存质量。结局管理能够使医生更快捷准确地评估患者的健康状态,帮助制定治疗方案、掌握病情进展、证实健康结局;结局管理能够使医患双方更为满意,在做出医疗决策时,个人与社会的价值会更合理地加以权衡,促进医疗资源的合理配置。当然结局管理的开发和执行在现实中也存在一定的挑战。首先,结局管理跨越了诸多活动,并不是一个工具或一种方法能够完成的,这就在方法学方面带来了诸多难题;其次,结局管理不但要求患者具有良好的依从性,而且医生也要认真实施和配合,所以在执行力度方面也存在一定的难度。因此,结局管理要依赖于多学科人员的紧密合作,还要对包括患者和医生在内的所有涉及到的人员进行培训和引导,才能保证结局管理的顺利实施。

虽然结局管理涉及到的方法学还有待完善和验证,但使用结局管理来监测治疗过程越来越多地得到医生、患者、医疗保险机构和政府部门的支持和鼓励。结局管理的最大特点就是真实世界收集数据,临床医生将源于成千上万患者实际治疗中得出的重要信息再反馈应用到患者,以增强临床实践能力。这种将科研成果向循证实践的转化,正是中医真实世界临床科研新范式的现实反映,随着中医临床科研信息系统研究的不断深入,在不久的将来,结局管理就会嵌入到该系统,这将更有利于提高辨证论治个体化诊疗的疗效评价水平。

Outcome Management and Its Application in Real-World Clinical Research in Traditional Chinese Medicine

ZHANG Yanhong¹, LIU Baoyan¹, XIE Qi¹, ZHANG Runshun², ZHOU Xuezhong³, WANG Bin¹, ZHAO Yufeng¹, LIU Yan¹

(1. China Academy of Chinese Medical Sciences, Beijing 100700; 2. Guang'anmen Hospital, China Academy of Chinese Medical Sciences; 3. Beijing Jiaotong University)

ABSTRACT As a timely and efficient management tool to assess the medical outcome, the procedure of outcome management is collecting and analyzing data to do real-time feedback and then adjust the treatment plan in the real world. Theory and practice shows that outcome management can significantly improve health outcome and promote the rational allocation of medical resources. We introduced the basic concept and feature of outcome management and proposed some preliminary ideas and vision for its rational application and practice in TCM real-world clinical research paradigm.

Keywords outcome management; outcome measurement; real-world study; clinical research paradigm in traditional Chinese medicine; quality improvement

参考文献

- [1] 刘保延. 真实世界的中医临床科研范式 [J]. 中医杂志, 2013, 54(6): 451-455.
- [2] Ellwood PM. Outcomes management: a technology of experience [J]. N Engl J Med, 1988, 318(23): 1549-1556.
- [3] Al-Assaf AF. Healthcare outcomes management and quality improvement [J]. J R So Health, 1996, 116(4): 245-252.
- [4] Kennedy AW. Outcomes management: an opportunity for our future [J]. Gynecol Oncol, 1996, 63(2): 157-158.
- [5] Perkins SB, Connerney I, Hastings CE. Outcomes management: from concepts to application [J]. AACN Clin Issues, 2000, 11(3): 339-350.
- [6] Brown GS, Burlingame GM, Lambert MJ, et al. Pushing the quality envelope: a new outcomes management system [J]. Psychiatr Serv, 2001, 52(7): 925-934.
- [7] Toche-Manley L, Grissom G, Dietzen L, et al. Translating addictions research into evidence-based practice: the Polaris CD outcomes management system [J]. Addict Behav, 2011, 36(6): 601-607.
- [8] Markson LE, Nash DB, Louis DZ, et al. Clinical outcomes management and disease staging [J]. Eval Health Prof, 1991, 14(2): 201-227.
- [9] Geehr EC. The search for what works [J]. Health Forum J, 1992, 35(4): 28-33.
- [10] Hodges K, Wotring JR. Outcomes management: incorporating and sustaining processes critical to using outcome data to guide practice improvement [J]. J Behav Health Serv Res, 2012, 39(2): 130-143.

(收稿日期: 2013-09-16; 修回日期: 2014-03-17)

编辑: 崔京艳