

文献研究

DOI: 10.13288/j.11-2166/r.2020.05.016

考虑患者偏好的部分随机对照试验的文献计量学研究

张雅静¹, 曹卉娟^{1*}, 刘建平¹, 李欣霖², 谢占国³

1. 北京中医药大学循证医学中心, 北京市朝阳区北三环东路 11 号, 100029; 2. 中国中医药出版社; 3. 北京市东城区第一人民医院

摘要 目的 采用文献计量学研究方法总结既往发表的考虑患者意愿的部分随机对照试验 (PRPP) 研究的特征, 为中医非药物疗法的临床试验方法学提供参考。方法 检索中国知网、维普网、万方数据知识平台、PubMed、Cochrane 图书馆数据库, 纳入从建库至 2019 年 4 月 30 日发表的 PRPP 研究。采用 Excel 2010 设计资料提取表对纳入研究进行资料提取, 并对定量资料进行趋势分析与频数分析。结果 共纳入 42 项 PRPP 研究, 研究数量逐年增长并在 2009 年达到高峰 (6 篇)。应用 PRPP 最多的前四类疾病为妊娠、分娩和产褥期疾病 12 篇 (28.57%), 肿瘤 6 篇 (14.29%), 消化系统疾病 6 篇 (14.29%) 以及精神和行为障碍类疾病如抑郁 6 篇 (14.29%)。研究总样本量范围为 31~5231 例, 平均样本量 598 例; 随机组与意愿组样本量之比平均值为 1:1.12。纳入研究中共 17 项 (40.48%) 采用随机对照试验样本量计算方法。对照类型中位列前 3 的是不同非药物治疗法之间的比较 (21 项, 50.00%)、药物与非药物治疗法之间的比较 (11 项, 26.19%) 和不同用药途径的比较 (5 项, 11.90%)。结局指标的选择位列前 3 的为疗效评价指标 (78.57%)、患者意愿 (26.19%) 和患者满意度 (14.29%)。结论 现有的 PRPP 大多应用于非药物治疗法的评价, 涉及疾病也常见于手术等非药物治疗的类型。

关键词 考虑患者意愿的部分随机对照试验; 中医非药物治疗法; 文献计量学

随机对照试验一直以来作为评价一个治疗措施疗效的金标准, 主要有赖于随机和盲法的实施可以很好避免外在偏倚, 保持研究结果的内部真实性。对于没有理想安慰剂对照的非药物治疗法, 研究数据很可能受到患者主观意愿的影响, 经典的随机对照试验显然存在一定的局限性。1989 年 Brewin 等提出应首先考虑患者对所接受干预措施的意愿来进行分组, 这就是考虑患者偏好的部分随机临床试验 (partially randomized patient preference trial, PRPP trial)^[1]。该模式首先询问患者对所接受的干预措施有无明显的偏好, 当入组患者有明显偏好时, 可按照患者的意愿分组而不采用随机; 当患者无明显偏好时则采用完全随机的方法分组^[2]。这样既能鼓励更多患者参与临床研究, 从而较好地反映真实治疗环境中一般患者的治疗效果, 同时也能将

“意愿”这一由于盲法缺失而导致信息偏倚的因素考虑到疗效评价中, 提高了研究的外部真实性^[3]。

中医药非药物治疗法很难做到有效的盲法和安慰剂对照, 随机对照试验在标准化干预与治疗的同时忽略了研究对象对干预措施的意愿选择, 以及其在结局指标的统计阶段可能产生的偏倚及影响。PRPP 模式理论上恰好可以弥补这个不足, 在考虑患者意愿进行分组治疗的同时对干预措施的治疗效果有更为全面的了解。为了更好地分析 PRPP 模式的优势和特征, 本研究通过总结以往发表的已完成的 PRPP 研究, 探讨 PRPP 研究现有领域的基本运用情况, 为其在中医非药物领域的运用提供建议与参考。

1 资料与方法

1.1 纳入标准

本研究纳入既往发表的所有 PRPP 研究, 病种、干预措施、人群特征、结局指标等不限, 发表类型及发表语种不限。

基金项目: 国家自然科学基金 (81804000); 北京市优秀人才资助项目 (2017000020124G292)

* 通讯作者: huijuancao327@hotmail.com

1.2 文献检索方法

检索中国知网、维普网、万方数据知识平台 3 个中文数据库, 及 PubMed、Cochrane 图书馆 2 个英文数据库, 检索时间为建库至 2019 年 4 月 30 日。以题目和摘要为检索条件进行高级检索, 具体检索逻辑式如下: 1) “partially randomized” or “nonrandomized” or “randomization” or “random” or “randomized”; 2) “patient preference” or “preference” or “preferred”; 3) “trial” or “study”; 4) 1) and 2) and 3)。

1.3 资料提取方法

使用 Excel 2010 进行资料提取表设计以及数据提取。文献筛选与数据提取由两名研究者独立同时进行, 对不一致的内容进行讨论协商, 讨论意见不一致时由第三方进行判定。提取内容包括: 文献一般信息 (研究编号、期刊名称), 方法学相关信息 (样本量计算、基线可比性), 研究对象信息 (对象来源、疾病类型、样本量), 干预措施信息 (干预措施类型、对照措施类型), 结局指标 (类型及结果)。

1.4 数据分析方法

对提取的信息进行描述统计, 主要分析 PRPP 研究的年度发表数量变化趋势、所涉及疾病类型、干预类型、对照类型及结局指标类型; 对计数资料采用率或构成比进行描述分析。为探讨 PRPP 模式的方法学特征, 统计各研究样本量估算的方法及可行性探讨结果, 计算随机组与意愿组样本量的比例, 描述其可行性探讨时所采用的指标及主要结果。

2 结果

2.1 文献检索、筛选及纳入情况

根据检索条件进行初步检索, 得到总计 11 775 篇文献题录, 包括中国知网 2 篇, 万方数据知识平台 152 篇, PubMed 文献 5107 篇, Cochrane 图书馆文献 6514 篇。将题录导入 NoteExpress 3.0 进行文献管理。限定题录类型、作者、年份、标题完全相同为重复文献, 进行文献查重, 查重结果排除 225 篇文献。余下 11 550 篇文献通过浏览文献题目及内容摘要进行初筛, 排除随机对照试验、系统综述、横断面调查及按非患者意愿 (医生经验或医生偏好等) 分组的研究后剩余 257 篇。再通过浏览全文排除重复 61 篇, 研究方案和正在进行中尚未完成的试验 20 篇, 方法学研究 22 篇, 双层随机 (随机分为随机组与意愿组) 6 篇, 混合入组 (随

机入组和意愿入组同时施行, 不含随机组与对照组比较) 7 篇, PRPP 后期研究 (经济学, 人口学等) 6 篇, 按家长意愿入组 1 篇, 无摘要并且未找到全文 16 篇, 其他类型研究 76 篇, 最后纳入 42 项 PRPP 研究^[4-43], 无中文发表文献。

2.2 纳入文献特征

2.2.1 文献年度构成 纳入的文献发表时间为 1986—2015 年。随着时间推移, PRPP 文献数量增加, 在 2009 年发表文献量达到高峰 (6 篇), 发表年度趋势见图 1 (以 5 年为一个度量单位)。

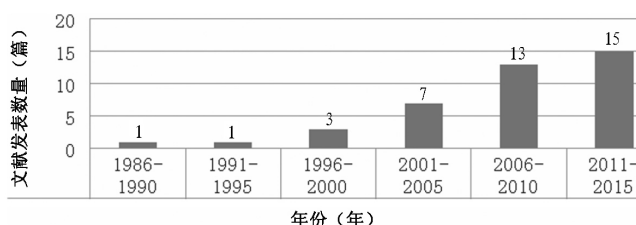


图 1 1986—2015 年考虑患者意愿的部分随机对照试验研究发表年度趋势图

2.2.2 文献涉及疾病种类 PRPP 模式目前应用于 29 种疾病。根据世界卫生组织国际分类 ICD-10 分类准则, 其运用范围大致为消化系统疾病, 内分泌、营养和代谢类疾病, 泌尿生殖系统疾病, 妊娠、分娩和产褥期疾病, 肿瘤, 肌肉骨骼系统和结缔组织疾病, 精神和行为障碍, 传染病, 循环系统疾病和成瘾类疾病。其中 12 项研究^[5-6,9,11-14,24,34,37,41,43] (28.57%) 疾病类型为妊娠、分娩和产褥期疾病; 5 项研究^[10,16,19,28,31] (11.90%) 为消化系统疾病; 6 项研究^[17,30,35,40,43-44] (14.29%) 为肿瘤相关疾病; 7 项研究^[7,8,21-23,32-33] (16.67%) 为精神和行为障碍疾病; 3 项研究^[26,38-39] (7.14%) 为内分泌、营养和代谢疾病; 3 项研究^[20,36,42] (7.14%) 为肌肉骨骼系统和结缔组织疾病; 2 项研究^[25,27] (4.76%) 为泌尿生殖系统疾病; 2 项研究^[4,29] (4.76%) 为成瘾类疾病; 1 项研究^[13] (2.38%) 为传染病; 1 项研究^[18] (2.38%) 为循环系统疾病。应用 PRPP 研究数量最多的前 4 位病种为妊娠、分娩和产褥期疾病, 肿瘤, 消化系统疾病以及精神和行为障碍类疾病。纳入研究特征信息见表 1。

2.2.3 纳入研究涉及的对照类型 3 项研究^[15,33,39] (7.14%) 为药物治疗措施的比较 (其中 1 项为药物与空白对照对比^[15,33], 1 项为药物与安慰剂对比^[39]), 其余 39 项研究 (92.86%) 均为

非药物治疗法之间的比较。3 项研究进行了多组比较, 其中 1 项研究^[1]进行了意愿组与不治疗组的比较, 1 项研究^[2] (2.38%) 在两种治疗措施外, 增加了常规治疗组, 另 1 项研究^[3] (2.38%) 为三种治疗措施的比较; 其余 39 项研究 (92.86%) 均为两种治疗措施比较, 其中 2 项研究^[11,38] (4.76%) 分别

在随机组和意愿组内进行了两种治疗措施的比较。21 项研究^[4,8-9,17-18,21,25-27,30-38,40,42-43,45] (50.00%) 为两种不同的非药物治疗法之间的比较; 11 项研究^[5-7,10-12,19,22-24,28] (26.19%) 为药物与非药物治疗法之间的比较; 5 项研究^[13-14,17,20,44] (11.90%) 为不同用药途径的比较; 2 项研究^[29,41] (4.76%) 为

表 1 考虑患者偏好的部分随机对照试验纳入文献特征表

研究编号	疾病/症状类型	干预措施	对照措施	样本量 (例)	
				随机组 (干预/对照)	意愿组 (干预/对照)
Gossop M 1986 ^[4]	戒毒	门诊戒毒	住院戒毒	20 (未报告)	40 (未报告)
Henshaw RC 1993 ^[5]	流产	药物流产	手术流产	195 (99/96)	168 (73/95)
Cooper KG 1997 ^[6]	崩漏	药物	子宫内异位切除术	90 (45/45)	40 (19/21)
Bedi N 2000 ^[7]	抑郁症	抗抑郁药	心理咨询	103 (未报告)	220 (80/140)
King M 2000 ^[8]	抑郁症	非直接的咨询服务 认知疗法	传统治疗	197 (67/63/67)	137 (2/81/54)
Bain C 2001 ^[9]	子宫内消融术	局麻 + 静脉镇静	全麻	36 (20/16)	62 (32/30)
Melchart D 2002 ^[10]	胃镜	针刺 + 咪达唑仑	不治疗	28 (14/14)	80 (21/15/8)
Ashok PW 2002 ^[11]	早孕	药物流产	外科真空吸引术	400 (202/198)	86 (15/71)
Wieringade WM 2002 ^[12]	流产	常规门诊治疗	刮宫	122 (64/58)	305 (126/179)
Wallage S 2003 ^[13]	微波子宫内消融	局麻	全麻	191 (94/97)	131 (99/32)
Woodward J 2004 ^[14]	分娩	水中分娩	陆地分娩	60 (40/20)	20 (10/10)
Collinge J 2004 ^[15]	朊病毒病	奎纳克林	无	1 (0/1)	83 (24/59)
Mori A 2006 ^[16]	胃镜	经口胃镜	经鼻胃镜	167 (81/86)	760 (325/435)
Gall CA 2007 ^[17]	前列腺癌术后	一般术后疗法	外科术后疗法	203 (97/106)	135 (74/61)
Dalal HM 2007 ^[18]	心肌梗死后期	家庭恢复	医院恢复	104 (60/44)	126 (72/54)
Grant AM 2008 ^[19]	胃食管返流征	手术治疗	药物治疗	357 (178/179)	453 (261/192)
Underwood M 2008 ^[20]	慢性膝关节炎	口服布洛芬	局部布洛芬	282 (141/141)	303 (127/253)
Howard LM 2009 ^[21]	精神疾病	危机屋	精神病房	42 (19/22)	61 (37/24)
Dobbin A 2009 ^[22]	抑郁症	自我催眠疗法	抗抑郁药	4 (未报告)	54 (50/4)
Van HL 2009 ^[23]	抑郁症	心理治疗	药物治疗	59 (未报告)	63 (60/3)
Robson SC 2009 ^[24]	流产	手术流产	药物流产	349 (187/162)	1528 (705/823)
Tincello DG 2009 ^[25]	尿失禁	阴道悬吊术	无张力引阴道吊带	4 (2/2)	27 (6/21)
Glasgow RE 2009 ^[26]	糖尿病	DVD 教育	课堂教育	81 (42/39)	108 (87/21)
Majumdar A 2010 ^[27]	尿失禁	尿动力学治疗	常规治疗	99 (52/47)	210 (153/57)
Lock C 2010 ^[28]	儿童反复性咽喉痛	扁桃体切除术	药物治疗	268 (131/137)	461 (387/74)
Etter JF 2011 ^[29]	香烟戒断	直接快速戒断	缓慢戒断	974 (472/502)	4257 (2456/1801)
Jones L 2011 ^[30]	晚期癌症规划	改进护理策略	常规护理策略	42 (22/20)	35 (21/14)
Raue W 2011 ^[31]	憩室病	腹腔镜检查	乙状结肠切除术	149 (82/67)	304 (277/27)
Bergk J 2011 ^[32]	精神病	隔离	机械控制	26 (12/14)	76 (48/28)
Sertim JE 2012 ^[33]	抑郁症	抗抑郁药	无	94 (未得到)	170 (未得到)
Crowther CA 2012 ^[34]	分娩	经阴产	剖腹产	22 (10/12)	2323 (1098/1225)
Inadomi JM 2012 ^[35]	结肠癌筛选	大便隐血试验	结肠镜检查	676 (344/332)	321 (未报告)
Weinstein SL 2013 ^[36]	青少年特发性脊柱侧弯	刚性胸腰矫正器	空白对照	116 (51/65)	126 (88/38)
van der Kooij SM 2013 ^[37]	子宫肌瘤	子宫切除术, 动脉栓塞术	其他治疗	156 (75/81)	103 (46/9/48)
Wermeling PR 2013 ^[38]	糖尿病后期恢复	3 个月控制	6 个月控制	791 (未报告)	1424 (未报告)
Vahedian M 2013 ^[39]	糖尿病后期恢复	维生素 D	安慰剂	58 (未得到)	62 (未得到)
Martelli G 2014 ^[40]	乳腺癌	按照腋窝结构手术	常规手术	238 (未报告)	109 (未报告)
Hubacher D 2014 ^[41]	避孕	长效避孕药	短效避孕药	392 (194/198)	525 (2/523)
Kerr D 2015 ^[42]	腰椎间盘突出	椎间盘摘除术	非手术治疗	474 (未报告)	721 (未报告)
Nozaki I 2015 ^[43]	食管癌	食管切除术	放化疗	11 (4/7)	368 (209/159)
Chekerov R 2017 ^[44]	复发性卵巢癌	口服苏消安	静点苏消安	3 (0/3)	116 (17/99)
Lemmers M 2017 ^[45]	药流后子宫出血	刮宫术	常规治疗	59 (30/29)	197 (65/132)

不同起效时间措施之间比较; 1 项研究^[34] (2.38%) 为非药物疗法与空白对照的比较。在所有纳入研究的干预措施中, 位居前 3 位的是不同非药物疗法之间的比较、药物疗法与非药物疗法之间的比较、不同用药途径的比较。

2.2.4 样本量及其估算方法 纳入的 42 项研究中, 4 项研究^[4,38,40,42] (9.52%) 未报告随机组与意愿组两种治疗措施各自的样本量; 3 项研究^[7,22-23] (7.14%) 未报告随机组两种治疗措施的样本量; 2 项研究^[33,39] (4.76%) 只获得摘要未获得各组样本量的信息。其余 33 项研究显示总样本量范围为 31 至 5231 例, 平均样本量 598 例; 随机组样本量范围 1~974 例, 平均样本量 187 例; 意愿组样本量范围 20~4257 例, 平均样本量 405 例。随机组与意愿组样本量之比范围为 0.01~4.65, 平均比例为 1:1.12。意愿组人数总体大于随机组, 其中随机组样本量比意愿组样本量数值最小的为传染病 (平均比例为 1:100), 最大的为妊娠、分娩和产褥期疾病 (平均比例为 1.32:1), 其余疾病类型随机组与意愿组样本量比值见表 2。

表 2 各疾病类型考虑患者意愿的部分随机对照试验研究中随机组与意愿组样本量比例分析表

疾病种类	随机组样本量/意愿组样本量		
	最小值	最大值	平均值
妊娠、分娩和产褥期疾病	1:100	4.65:1	1.32:1
肿瘤相关疾病	1:33.33	2.18:1	1.18:1
泌尿生殖系统疾病	1:6.67	1:2.13	1:3.23
消化系统疾病	1:4.55	1:1.27	1:2.13
循环系统疾病	-	-	1:1.20
精神和行为障碍类疾病	1:14.29	1.44:1	1:1.52
内分泌、营养和代谢类疾病	1:1.79	1:1.06	1:1.33
成瘾类疾病	1:1.79	1:1.06	1:1.33
肌肉骨骼系统和结缔组织类疾病	1:1.52	1:1.09	1:1.30
传染病	-	-	1:100

注: - 为仅 1 项纳入研究的疾病, 无最小或最大值。

纳入的 42 项研究中, 14 项研究^[4,8-9,12,17,21-22,24-26,37-38,43,45] (33.33%) 未报告样本量估算方法, 2 项研究^[33,39] (4.76%) 只获取到摘要无法得到样本量估算信息, 19 项研究^[5-7,10-11,13-16,18-19,23,28-29,31-32,34-36] (45.24%) 按照随机对照试验方法进行样本量估算, 4 项研究^[40-42,44] (9.5%) 按照随机对照试验计算样本量但是意愿组作为试验外人员进行最后统计分析比较; 1 项研究^[24] (2.38%) 显示随机组按照随机对照试验计算样本量, 非随机组依据预试验比例估

算样本量; 1 项研究^[27] (2.38%) 整体估算样本量后 50% 参加随机组进行样本量估算; 1 项研究^[6] (2.38%) 显示为探索性试验。其中按照随机对照试验整体计算样本量的研究最多, 其次为意愿组作为试验外人员不进行样本量估算。

2.2.5 结局指标选取 在 42 项研究选用的结局指标中, 34 项研究^[4,6-13,15-16,18-20,22-24,26,28-30,32-38,40-43] (78.57%) 选用了疗效相关结局指标; 10 项研究^[5-6,10-11,16,24,29,37,41,44] (26.19%) 进行患者偏好的研究; 6 项研究^[6,9,17,24,38,42] (14.29%) 进行患者满意度研究; 5 项研究^[7-8,18,20,23] (11.90%) 探究了患者偏好对疗效可能产生的影响; 4 项研究^[6,21-22,31] (9.52%) 对 PRPP 模式的可行性进行探讨; 4 项研究^[9,12-13,24] (9.52%) 对治疗措施受试者的可接受性进行探讨; 4 项研究^[7-8,20,28] (9.52%) 进行干预措施与对照措施经济学效应的比较; 1 项研究^[4] (2.38%) 进行患者脱落率依从性比较; 1 项研究^[17] (2.38%) 为不同癌症后期护理对生活质量进行比较; 1 项研究^[13] (2.38%) 对药物安全性进行比较。在纳入的研究中主要研究目的排前 3 位的为不同干预措施疗效的比较、患者偏好的研究及患者满意度的研究。在满意度研究中 1 项研究^[42] (2.38%) 比较了两种治疗措施的满意度, 6 项研究^[7,17,24,30,38,42] (14.29%) 比较了随机组与意愿组的满意度。

2.3 对 PRPP 模式可行性探讨

在纳入的 42 项 PRPP 研究中, 有 4 项研究对 PRPP 模式的可行性进行了探讨。Copper 等^[4] 指出 PRPP 研究模式对受试者招募过程没有影响, 但 PRPP 研究结论增加了 RCT 结论的适用范围。Howard 等^[21] 指出精神类疾病急性发作期的试验 PRPP 研究模式可以很好地解决受试者招募问题, Dobbin 等^[22] 指出 PRPP 研究模式可以很好地解决关于治疗措施前期的随机对照试验, 受试者不愿意入组的情况, 而 Rawe 等^[17] 则指出 PRPP 研究对微创手术等干预措施的研究提供了一个很好的办法。

3 讨论

本研究基于文献计量学方法对 PRPP 研究模式进行现状分析。结果显示, PRPP 既往应用的疾病类型并无特殊规律, 但所评价的干预措施大多包含非药物疗法, 结局指标也多为患者自我报告的结局, 这类研究最容易受到患者主观意愿的影响。

对于 PRPP 研究的样本量估算, 从已有的研究

来看,随机组的样本量可以参照随机对照试验的样本量估算方法进行计算,而意愿组样本量则可能等于或多于随机组(平均比值 1:1.12)。在意愿对结果影响不明确的情况下,尚无法确定意愿组样本量估算的最佳方法。也有研究者^[6]提出可以考虑按照队列研究的样本量估算方法来计算意愿组的样本量。因此,建议未来的研究可以考虑结合预试验的结果探究样本量估算的方法。

本研究本拟将各研究随机组与意愿组结果进行比较,但由于大部分纳入研究并未以模式可行性探讨作为研究目的,未比较随机组与意愿组的数据,故而无法进行二次分析。从仅有的涉及模式可行性分析的 4 项研究来看,PRPP 模式可能会提高受试者的入组率,在非药物治疗疗效评价时减少由于盲法无法实施而导致的偏倚。

理论上来说,PRPP 研究模式初衷恰好与中医非药物治疗中患者存在治疗措施的选择意愿且尚无比较好的对照盲法的特点相似。随着近年来大力提倡与发展真实世界研究理念,队列研究为中医药疗效评价的主题模式的论点也应运而生^[7]。既往本研究团队曾经从方法原理、可行性、优势和注意事项几方面探讨了 PRPP 模式在中医非药物治疗疗效评价领域的应用^[8]。本研究的文献分析结果也恰好显示,PRPP 模式能在一定程度上将随机对照试验与队列研究的优势结合起来,随机组很好地保证基线资料的可比性,意愿组加入患者意愿的因素,更贴近实际临床应用的环境。增强了内部真实性和外部真实性,使得研究结果能够更好地服务于临床,但这种研究模式尚需实际应用的案例来进一步验证其评价中医非药物治疗疗效的可行性。

参考文献

- [1] BREWIN CR, BRADLEY C. Patient preferences and randomised clinical trials [J]. BMJ, 1989, 299(6694): 313-315.
- [2] HALPERN SD. Evaluation preference effects in partially unblinded, randomized clinical trials [J]. J Clin Epidemiol, 2003, 56(2): 109-115.
- [3] 李欣霖, 张雅静, 刘建平, 等. 考虑患者偏好的部分随机临床试验在中医非药物治疗疗效评价中的设计与应用 [J]. 中医杂志, 2016, 57(20): 1750-1754.
- [4] GOSSOP M, JOHNS A, GREEN L. Opiate withdrawal: inpatient versus outpatient programmes and preferred versus random assignment to treatment [J]. Br Med J (Clin Res Ed), 1986, 293(6539): 103-104.
- [5] HENSHAW RC, NAJI SA, RUSSELL IT, et al. Comparison of medical abortion with surgical vacuum aspiration: women's preferences and acceptability of treatment [J]. BMJ, 1993, 307(6906): 714-717.
- [6] COOPER KG, GRANT AM, GARRATT AM. The impact of using a partially randomised patient preference design when evaluating alternative managements for heavy menstrual bleeding [J]. BJOG, 1997, 104(12): 1367-1373.
- [7] BEDI N, CHILVERS C, CHURCHILL R. Assessing effectiveness of treatment of depression in primary care: Partially randomised preference trial [J]. Br J Psychiatry, 2000, 177: 312-318. doi: 10.1192/bjp.177.4.312.
- [8] KING M, SIBBALD B, WARD E. Randomised controlled trial of non-directive counselling, cognitive-behaviour therapy and usual general practitioner care in the management of depression as well as mixed anxiety and depression in primary care [J]. Health Technol Assess, 2000, 4(19): 1-83.
- [9] BAIN C, COOPER KG, PARKIN DE. A partially randomized patient preference trial of microwave endometrial ablation using local anaesthesia and intravenous sedation or general anaesthesia: a pilot study [J]. Gynaecol Endos, 2001, 10(4): 223-228.
- [10] MELCHART D, STEGER HG, LINDE K. Integrating patient preferences in clinical trials: a pilot study of acupuncture versus midazolam for gastroscopy [J]. J Altern Complement Med, 2002, 8(3): 265-274.
- [11] ASHOK PW, KIDD A, FLETT GM. A randomized comparison of medical abortion and surgical vacuum aspiration at 10-13 weeks gestation [J]. Hum Reprod, 2002, 17(1): 92-98.
- [12] WIERINGADE WM, VOS J, BONSEL GJ. Management of miscarriage: a randomized controlled trial of expectant management versus surgical evacuation [J]. Hum Reprod, 2002, 17(9): 2445-2450.
- [13] WALLAGE S, COOPER KG, GRAHAM WJ. A randomised trial comparing local versus general anaesthesia for microwave endometrial ablation [J]. BJOG, 2003, 110(9): 799-807.
- [14] WOODWARD J, KELLY SM. A pilot study for a randomised controlled trial of waterbirth versus land birth [J]. BJOG, 2004, 111(6): 537-545.
- [15] COLLINGE J, GORHAM M, HUDSON F, et al. Safety and efficacy of quinacrine in human prion disease (PRION-1 study): a patient-preference trial [J]. Lancet Neurol, 2009, 8(4): 334-344.
- [16] MORI A, FUSHIMI N, ASANO T. Cardiovascular tolerance in unsedated upper gastrointestinal endoscopy: prospective randomized comparison between transnasal and

- conventional oral procedures [1]. *Dig Endosc*, 2006, 18 (4): 282-287.
- [7] GALL CA, WELLER D, ESTERMAN A. Patient satisfaction and health-related quality of life after treatment for colon cancer [J]. *Dis Colon Rectum*, 2007, 50(6): 801-809.
- [8] DALAL HM, EVANS PH, CAMPBELL JL. Home-based versus hospital-based rehabilitation after myocardial infarction: a randomized trial with preference arms—Cornwall Heart Attack Rehabilitation Management Study (CHARMS) [J]. *Int J Cardiol*, 2007, 119(2): 202-211.
- [9] GRANT AM, WILEMAN SM, RAMSAY CR. Minimal access surgery compared with medical management for chronic gastro-oesophageal reflux disease: UK collaborative randomised trial [J]. *BMJ*, 2008, 337: a2664. doi: 10.1136/bmj.a2664.
- [10] UNDERWOOD M, ASHBY D, CROSS P, et al. Advice to use topical or oral ibuprofen for chronic knee pain in older people: randomised controlled trial and patient preference study [J]. *BMJ*, 2008, 336(7636): 138-142.
- [11] HOWARD LM, LEESE M, BYFORD S. Methodological challenges in evaluating the effectiveness of women's crisis houses compared with psychiatric wards: findings from a pilot patient preference RCT [J]. *J NervMent Dis*, 2009, 197(10): 722-727.
- [12] DOBBIN A, MAXWELL M, ELTON R. A benchmarked feasibility study of a self-hypnosis treatment for depression in primary care [J]. *Int J Clin Exp Hypn*, 2009, 57(3): 293-318.
- [13] VAN HL, DEKKER J, KOELEN J. Patient preference compared with random allocation in short-term psychodynamic supportive psychotherapy with indicated addition of pharmacotherapy for depression [J]. *Psychother Res*, 2009, 19(2): 205-212.
- [14] ROBSON SC, KELLY T, HOWEL D, et al. Randomised preference trial of medical versus surgical termination of pregnancy less than 14 weeks' gestation (TOPS) [J]. *Health Technol Assess*, 2009, 13(53): 1-124, iii-iv. doi: 10.3310/hta13530.
- [15] TINCELLO DG, KENYON S, SLACK M. Colposuspension or TVT with anterior repair for urinary incontinence and prolapse: results of and lessons from a pilot randomised patient-preference study (CARPET 1) [J]. *BJOG*, 2009, 116(13): 1809-1814.
- [16] GLASGOW RE, EDWARDS LL, WHITESIDES H. Reach and effectiveness of DVD and in-person diabetes self-management education [J]. *Chronic Illn*, 2009, 5 (4): 243-249.
- [17] MAJUMDAR A, LATTHE P, TOOZS-HOBSON P. Urodynamics prior to treatment as an intervention: a pilot study [J]. *Neurourol Urodyn*, 2010, 29(4): 522-526.
- [18] LOCK C, WILSON J, STEEN N, et al. North of England and Scotland Study of Tonsillectomy and Adenotonsillectomy in Children (NESSTAC): a pragmatic randomised controlled trial with a parallel non-randomised preference study [J]. *Health Technol Assess*, 2010, 14(13): 1-164, iii-iv.
- [19] ETTER JF. Comparing abrupt and gradual smoking cessation: a randomized trial [J]. *Drug Alcohol Depend*, 2011, 118(2/3): 360-365.
- [20] JONES L, HARRINGTON J, BARLOW CA, et al. Advance care planning in advanced cancer: can it be achieved? An exploratory randomized patient preference trial of a care planning discussion [J]. *Palliat Support Care*, 2011, 9(1): 3-13.
- [21] RAUE W, LANGELOTZ C, PAOLUCCI V, et al. Problems of randomization to open or laparoscopic sigmoidectomy for diverticular disease [J]. *Int J Colorectal Dis*, 2011, 26(3): 369-375.
- [22] BERGK J, EINSIEDLER B, FLAMMER E, et al. A randomized controlled comparison of seclusion and mechanical restraint in inpatient settings [J]. *Psychiatric Serv*, 2011, 62(11): 1310-1317.
- [23] STREIM JE, FILIPPO S, HAVE T, et al. Antidepressant discontinuation associated with cognitive decline in older adult residents of long-term care facilities [J]. *Am J Geriatr Psychiatry*, 2012, 20(1): S147-S148.
- [24] CROWTHER CA, DODD JM, HILLER JE, et al. Planned vaginal birth or elective repeat caesarean: patient preference restricted cohort with nested randomised trial [J]. *Plos Med*, 2012, 9(3): e1001192.
- [25] INADOMI JM, VIJAN S, JANZ NK. Adherence to colorectal cancer screening: a randomized clinical trial of competing strategies [J]. *Arch Intern Med*, 2012, 172(7): 575-582.
- [26] WEINSTEIN SL, DOLA LA, WRIGHT JG, et al. Effects of bracing in adolescents with idiopathic scoliosis [J]. *N Engl J Med*, 2013, 369(16): 1512-1521.
- [27] VAN DER KOOIJ SM, HEHENKAMP WJ, BIRNIE E, et al. The effect of treatment preference and treatment allocation on patients' health-related quality of life in the randomized EMMY trial [J]. *Eur J Obstet Gynecol Reprod Biol*, 2013, 169(1): 69-74.
- [28] WERMELING PR, JANSSEN J, GORTER KJ, et al. Satisfaction of well-controlled type 2 diabetes patients with

- three-monthly and six-monthly monitoring [1]. BMC Fam Pract, 2013, 14: 107. doi: 10.1186/1471-2296-14-107.
- [9] VAHEDIAN M, MARACY MR, PARHAM M. Impact of vitamin D on insulin resistance in patients with type II diabetes: a comprehensive cohort design [J]. J Isfahan Med Sch, 2013, 31(239): 777-791.
- [10] MARTELLI G, BORACCHI P, ORENTI A, et al. Axillary dissection versus no axillary dissection in older T1N0 breast cancer patients: 15-year results of trial and out-trial patients [J]. Eur J Surg Oncol, 2014, 40(7): 805-812.
- [11] HUBACHER D, SPECTOR H, MONTEITH C, et al. Rationale and enrollment results for a partially randomized patient preference trial to compare continuation rates of short-acting and long-acting reversible contraception [J]. Contraception. 2015, 9(3): 185-192.
- [12] KERR D, ZHAO W, LURIE JD. What are long-term predictors of outcomes for lumbar disc herniation? A randomized and observational study [J]. Clin Orthop Relat Res, 2015, 473 (6): 1920-1930.
- [13] NOZAKI I, KATO K, IGAKI H, et al. Evaluation of safety profile of thoracoscopic esophagectomy for T1bN0M0 cancer using data from JCOG0502: a prospective multicenter study [J]. Surg Endosc, 2015, 29(12): 3519-3626.
- [14] CHEKEROV R, HARTER P, FUXIUS S, et al. Preference of elderly patients' to oral or intravenous chemotherapy in heavily pre-treated recurrent ovarian cancer: final results of a prospective multicenter trial [J]. Gynecol Oncol Res Pract, 2017, 4: 6. doi: 10.1186/s40661-017-0040-2.
- [15] LEMMERS M, VERSCHOOR MAC, OVERWATER K, et al. Fertility and obstetric outcomes after curettage versus expectant management in randomised and non-randomised women with an incomplete evacuation of the uterus after misoprostol treatment for miscarriage [J]. Eur J Obstet Gynecol Reprod Biol, 2017, 211: 78-82. doi: 10.1016/j.ejogrb. 2017.01.055.
- [16] HOWARD L, THORNICROFT G. Patient preference randomised controlled trials in mental health research [J]. Br J Psychiatry, 2006, 188: 303-304. doi: 10.1192/bip.188.4.303.
- [17] 郑刚, 花宝金, 侯炜. 队列研究在中医肿瘤临床研究中的应用 [J]. 世界科学技术-中医药现代化, 2009, 11(5): 694-697.

Bibliometric Study on Partial Randomized Controlled Trials Considering Patients' Preference

ZHANG Yajing¹, CAO Huijuan¹, LIU Jianping¹, LI Xinlin², XIE Zhanguo³

1. Centre for Evidence-based Chinese Medicine, Beijing University of Chinese Medicine, Beijing, 100029; 2. China Press of Traditional Chinese Medicine; 3. The First People's Hospital of Dongcheng District, Beijing

ABSTRACT Objective The bibliometric method was used to summarize the characteristics of the previously published partial randomized controlled trial (PRPP) studies that considered the patient's willingness, and to provide a reference for the clinical trial methodology of traditional Chinese medicine non-drug therapy. **Methods** CNKI, VIP Net, Wanfang Data Knowledge Platform, PubMed, and Cochrane Library databases were searched on PRPP study published from the establishment of the database to April 30th, 2019. Excel 2010 was used to design the data extraction table to extract data from the included studies, and quantitative analysis was performed for trend analysis and frequency analysis. **Results** A total of 42 PRPP studies were included, and the number of studies increased year by year and reached a peak in 2009 (6 articles). The top 4 diseases with the most PRPP application are pregnancy, childbirth and puerperal diseases (12 articles 28.57%), tumors (6 articles, 14.29%), digestive diseases (6 articles, 14.29%), and mental and behavioral disorders such as depression (6 articles, 14.29%). The total sample size ranged from 31 to 5231, with an average sample size of 598 cases. The average ratio of randomization and preference group is 1 : 1.12. In the included studies, a total of 17 items (40.48%) use the method of calculating the sample size of randomized controlled trials. The top 3 control types were comparisons between different non-drug therapies (21 items, 50.00%), comparisons between drugs and non-drug therapies (11 items, 26.19%), and comparisons of different medication routes (5 items, 11.90%). The top 3 outcome indicators were efficacy evaluation indicators (78.57%), patient willingness (26.19%), and patient satisfaction (14.29%). **Conclusion** Most of the existing PRPPs are used in the evaluation of non-pharmacological therapies, and the diseases involved are also common in the types of non-pharmacological treatments such as surgery.

Keywords partially randomized patient preference trial; non-pharmaceutical Chinese medicine therapy; bibliometrics research

(收稿日期: 2019-04-29; 修回日期: 2019-07-11)

编辑: 柴倩云