

“效”的概念与临床疗效评价

闫韶花 郭 允 张 岩 仝小林 焦拥政*

(中国中医科学院广安门医院,北京市西城区广安门内大街北线阁 5 号,100053)

基金项目:国家重点基础研究发展计划(“973”计划)资助项目(2010CB530600)

* 通讯作者: yzhjiao@126.com, (010)88001245

[摘要] 以往的中医疗效评价注重患者的主观症状,而随着现代医学的发展,实验室检查在疾病的诊断及疗效评价中占据了重要地位。医学模式的转变又决定了生存质量评价成为疗效评价的重要组成部分。主观疗效评价结合客观疗效评价成为疾病疗效评价中的重要内容。如何根据不同疾病准确地选择评价指标及评价角度,权衡各指标之间的关系,综合判断干预措施的效力和效能,成为中医发展突破目前“瓶颈”的关键。

[关键词] 临床疗效;主观疗效评价;客观疗效评价;临床结局;生存质量

不同医学手段和措施作用于人体所产生的生物、心理、社会等属性的独立或综合效应称为临床疗效,可以从整体、系统、组织器官细胞和分子等不同水平对其进行研究。“效”包括效力和效能两个方面。按已确定的标准对“效”进行定性、定量和综合判断的过程称为疗效评价^[1]。临床疗效评价的核心是客观地判定干预措施如何及在何种程度上改变某一个体和(或)人群的特定病证或非健康状态的自然进程、结局或预后^[2]。

可靠的疗效是几千年来中医学存在和发展的基础。中医疗效评价以临床医师的个案为载体,主要通过患者主观症状的改善、消失作为有效的判断标准,以中医整体观、个体化治疗为指导思想重视患者的满意度和生活质量的改善。这种疗效评价方式是传统中医疗效评价的主要内容。然而随着西方医学的传入,以循证医学为标尺的疗效评价对中医的疗效提出了质疑,中医千百年来主体地位受到了强烈的冲击。现代医学重视总体评价,强调多中心、大样本、前瞻性的对照研究。根据美国预防医学工作组(U. S. Preventive Services Task Force)关于循证医学的证据质量分级方法,临床经验只能归属于Ⅲ级证据。缺乏检验中医药临床疗效的统一标准,使研究结果无法重复,导致中医治疗效果往往受到质疑,进而妨碍了中医学自身的发展^[3]。

中医药临床疗效评价是一个迫切需要解决的问题,其解决离不开标准化,需要明确证候的基本属性,重视建立规范和标准,把复杂的问题简单化^[4]。赖世隆^[2]认为,在中医药临床疗效评价中,认真实施随机对照试验是十分必要的,应该引进和应用包括

临床流行病学和循证医学等现代临床科研方法,立足于中医药理论与临床治疗学的基本特点和优势,建立关于干预措施有效性的科学假说。同时有效借鉴西医学的疗效评价标准,以建立反映中医药整体调节优势的多维结局指标评价体系。谭锋等^[5]认为,由于存在处理因素同质性、受试对象同质性、中医证型标准化和疾病诊断标准及实验室指标等四个方面的问题,使得现代医学科研手段和研究方法不能对中医药疗效做出科学的评价。杨志宏等^[6]认为,中医未能建立完善的疗效评价体系,解决规律化与个体化、标准化与个体化之间的矛盾,阻碍着中医药的进一步发展及国际的认同。

中医疗效评价体系的建立迫在眉睫,关乎中医的发展与未来。疗效评价分为主观疗效评价和客观疗效评价,而主观疗效评价按照不同的信息来源又可分为患者报告临床结局的疗效评价和医生报告临床结局的疗效评价两大类^[7]。此外,近年来临床疗效评价出现了一个重大的改变,即将观察重点由以往的临床症状、体征和物理检查转变为远期预后和生命质量与前者并重^[8],生存质量评价成为疗效评价的重要内容。

1 主观疗效评价与客观疗效评价

1.1 主观疗效评价

主观疗效评价在传统医学和现代医学中都有涉及,尤以传统医学中最为典型。限于古代科学技术的发展水平,中医获取患者病状信息的主要途径是依靠望、闻、问、切四诊合参,且中医的治疗重视患者的自身感受,所以无论是基于患者回答的问诊所得信息,还是基于医者个人体悟的望诊、闻诊、切诊信

息,都是个体的主观感知,而没有明确的标准。在此基础上的疗效的评价多采用主观判断和粗略估计来判断疾病的预后和转归,必然带有更多的主观色彩。所以主观指标是评价中医实践模式的主要组成部分。中医的优势需要更多地在主观评价中得到反映。对于相当数量中医有优势或有潜在优势的病种而言,如疼痛、失眠、过敏性疾病及慢性阻塞性肺疾病等,主观评价是惟一类别的评价指标。但是主观疗效评价由于临床可靠性差、重复性难以保证、不易量化^[9],导致其作为证据的可靠性及科学性大打折扣。

1.2 客观疗效评价

客观指标是现代医学最重要的疗效评价方式。现代医学是在实验室检查的基础上发展起来的,以各种生化指标和物理检查作为现代疾病的重要诊断标准,使得医疗措施的疗效评价有理有据,证据的可靠性和科学性得到公认。中医在发展过程中,逐渐借鉴了这种客观指标的评价方式,产生了中医度量化诊断及量化的证候评分量表。

中医量化诊断自 20 世纪 80 年代开始受到重视,相关研究人员对望、闻、问、切四诊信息的客观化、定量化表述进行了大量的探索与实践^[10]。半定量方法,多元分析方法,模糊数学方法,临床科研设计、衡量与评价等研究方法先后被引进以解决四诊信息定量化和辨证定量化问题。但是由于中医是介于自然科学与社会科学之间的科学体系,它的复杂性给定量研究带来很大的困难^[11]。

同时证候计量诊断标准是否符合临床实际还需在临床上进行验证。中医在传承与发展的过程中形成了不同的学术流派,“百花齐放,百家争鸣”是中医发展鼎盛的象征,但是正是由于各医家对中医“证”的认识各执己见,以至于在以往的研究中,用来验证的临床验证标准并不一致。缺乏具有临床实际指导意义的统一的证候诊断金标准,是证候量化标准研究中至关重要的问题^[12]。所以中医量化的进程到目前为止仍然没有突破性的进展。

2 临床结局与临床终点

疾病对于人的健康的影响称为结局(outcome),结局是带有方向和判断的结果表达,如恶化、加重或好转,它是通过选择终点测量比较得出的结果。用于测量结局的指标称为终点(endpoint)。指标又可分为主要终点和次要终点,复合终点和单独终点,硬终点和软终点及替代终点等。根据信息的来源,基于临床结局的疗效评价又有患者报告结

局与医生报告结局之分。

2.1 患者报告结局的疗效评价

患者报告结局(patient-reported outcomes, PRO)是指任何由患者或研究对象直接反馈的关于健康状况或治疗的报告。因为患者的某些健康状况及治疗效果的某些方面只有患者知道,所以患者报告结局为疗效评价提供了一个独特的视角^[13]。从症状的改善、功能的恢复及健康相关的生活质量等方面,提供疾病的治疗及疗效评价思路,可能更有利于解决患者最关心的问题^[7]。

中医对于问诊极为重视,重视患者报告,医生通过对患者或知情者进行有目的、有步骤的询问,依据医患互动的问答获得患者切身感受信息,了解疾病的现状、病史、治疗效果等与疾病诊疗有关的情况。此种途径所获得的信息即属于患者报告的范畴^[14-15]。

目前基于患者报告结局的评价信息主要依靠患者报告量表来完成。患者的主观感觉是患者报告结局量表的主要内容。根据 1989 年联合国世界卫生组织对健康的新定义,即“健康不仅是没有疾病,而且包括躯体健康、心理健康、社会适应良好和道德健康”。医学关注的对象开始由单纯的疾病转向人,除了强调疾病躯体症状的减轻或消除,更加注重对患者心身整体平衡的调节,这与中医的整体观思想不谋而合。患者报告结局的引进能够弥补仅采用单一的客观疗效指标的不足,从客观指标和患者的主观感受两方面更加全面地反映中医药的治疗效果,因此,将患者报告结局作为中医药疗效评价指标是完全可行的^[7]。而且随着疾病谱的改变,慢性、非传染性疾病成为威胁现代人健康的最主要原因^[16],客观指标与主观症状之间的不一致性愈来愈凸显出来,使得患者报告结局的临床疗效评价越来越受到重视。

2.2 医务人员报告结局的疗效评价

主要是基于医生的结局评价(clinician-based outcomes),是医生根据实验室检查结果、体格检查、功能测试、临床观察等对患者的治疗情况做出判断^[7]。

此外,尚有代理人报告结局的疗效评价。

3 生存质量评价

生活质量(quality of life)又被称为生存质量或生命质量,是指不同文化和价值体系中的个体对与他们的目标、期望、标准及所关心的事情有关的生存

状况的体验,是包含生物医学和社会、心理、精神等因素的多维概念^[2,17]。随着医学的发展和社会的进步,健康有了新的内涵。发病率、患病率、病死率及生存率等指标已经不能满足目前评价疾病防治有效性的需要。患者的主观感受,如饮食、睡眠、二便、痛苦与不适等逐渐成为疗效评价的重要内容,尤其是在疾病谱及医学模式转变的情况下,生存质量已成为当今临床治疗的主要目的^[2]。

生存质量评价主要依靠生存质量量表来反映人体的健康状态。生存质量测定内容有身体机能、心理状态、独立生活、活动能力、社会关系和环境 5 个方面,并据此对症状进行分级,制定各种不同的生存质量量表^[18]。

生存质量测定量表有助于观察研究者获得特定人群的详细的生活质量的资料,理解疾病、发展、治疗手段,判断患者受疾病影响最严重的方面,决定治疗方法,评价治疗过程中生存质量的变化^[19]。

古代中医对生存质量的描述早有记载,但是对生存质量的系统研究较晚。由于生存质量的人群是指“不同的文化和价值体系中的个体”,而国外研究较成熟的生存质量量表必须经过文化调试才能更好地适用于我国的人群,普适性量表的推广又存在争议,所以有关健康的生存质量评价的成熟与运用还需经过不断的修正与完善。中医药学是我国传统医学的瑰宝,优势在于临床疗效,其进一步发展所面临的突出问题仍然是疗效问题^[20]。医学疗效评价的主体是患者和疾病,无论西医还是中医莫不如此,而疗效评价体系和评价方法的差异则会导致双方意见的分歧^[21]。如何准确地选择评价指标及评价角度,根据不同疾病权衡各指标之间孰轻孰重,综合判断干预措施的效力和效能,将会成为突破目前中医发展的“瓶颈”的关键。

参考文献

- [1]李平.有关临床疗效评价若干基本问题的探讨[J].中国中医基础医学杂志,2008,14(3):236-237.
- [2]赖世隆.中医药临床疗效评价若干关键环节的思考[J].广州中医药大学学报,2002,19(4):245-250.
- [3]段碧芳,刘建平.中医人文特征与循证医学评价方法[J].中医杂志,2007,48(4):314-316.
- [4]聂慧,王奇.基于结局指标相关性的中医证候疗效评价[J].中医杂志,2011,52(2):111-113.
- [5]谭锋,王灿晖,杨进.关于中医药疗效评价问题的思考[J].湖北中医杂志,2006,28(6):20-21.
- [6]杨志宏,洪亚庆,沈舒文,等.中医临床疗效评价现状及评价方法的研究进展[J].中华中医药学刊,2010,6(6):1193-1195.
- [7]许卫华,梁伟雄,王奇,等.以患者报告结局为疗效评价指标时需注意的问题[J].中国中西医结合杂志,2011,31(8):1135-1138.
- [8]宋军,陈可冀.中医药临床疗效评价若干问题思考[J].中国中西医结合杂志,2003,23(8):564-565.
- [9]张宏伟,刘建平.临床试验中的结局指标及效应测量[J].中医杂志,2007,48(8):696-698.
- [10]戚沁园,陈长青,阮永队,等.中医诊断量化研究的现状、问题与对策[J].世界科学技术:中医药现代化,2011,13(2):282-286.
- [11]孟庆刚,王连心,赵世初.量在中医定量诊断研究中的应用[J].中国中医基础医学杂志,2005,11(11):849-852.
- [12]李君,刘保延.古代中医临床疗效评价方法研究[J].中国中医基础医学杂志,2011,17(4):383-385.
- [13]Patrick DL, Burke LB, Powers JH, et al. Patient-reported outcomes to support medical product labeling claims: FDA perspective[J]. Value Health, 2007, 10 (Suppl 2):125-137.
- [14]李君,刘强,刘保延,等.古代中医评价疗效的患者报告[J].中国中医基础医学杂志,2012,18(8):900-902.
- [15]何建成,王文武.中医问诊溯源[J].江苏中医药,2009,41(1):60-62.
- [16]杨添安,黎彬,孙灵芝.我国慢性非传染性疾病预防与控制研究进展[J].医学研究杂志,2011,40(4):9-11.
- [17]郝元涛,方积乾.世界卫生组织生存质量测定量表中文版介绍及其使用说明[J].现代康复,2000,4(8):1127-1145.
- [18]刘凤斌,王建华,方积乾.生存质量研究及其与中医的关系探讨[J].医学与哲学,1997,18(12):649-651.
- [19]刘婷婕,陈坤.生活质量量表在生活质量评价中的应用[J].中国临床康复,2006,10(26):113-116.
- [20]全小林,王跃生,焦拥政,等.方药量效关系研究思路探讨[J].中医杂志,2010,51(11):965-967.
- [21]赵一鸣.中医疗效临床评价中的几个问题[J].中国中西医结合杂志,2010,30(10):1013-1015.

(收稿日期:2013-01-17;修回日期:2013-03-18)

[编辑:黄 健]