

· 学术关注 ·



扫描二维码查看  
原文 + 培训视频

## 患者报告结局的应用近况及思考

隆莉芝, 袁玲\*

**【摘要】** 我国患者报告结局 (PROs) 的研究和发展缓慢, 需要大力开展和推广, 有助于改善医疗服务质量, 提高人民的健康福祉。本文综述 PROs 的国内外研究进展, 以期相关的临床研究和卫生管理提供参考。通过对近年来 PROs 的国内外文献进行分析和总结, 论述了 PROs 的概念, 分类和内容, 量表的选择、制作和实施, 以及主要的应用概况, 探讨了我国 PROs 发展所存在的问题并提出了相关的建议。

**【关键词】** 患者报告结局; 结果评价 (卫生保健); 综述

**【中图分类号】** R 19 **【文献标识码】** A DOI: 10.12114/j.issn.1007-9572.2020.00.015

隆莉芝, 袁玲. 患者报告结局的应用近况及思考 [J]. 中国全科医学, 2020, 23 (32): 4120-4127. [www.chinagp.net]

LONG L Z, YUAN L. The application and consideration of patient-reported outcomes [J]. Chinese General Practice, 2020, 23 (32): 4120-4127.

**The Application and Consideration of Patient-reported Outcomes** LONG Lizhi, YUAN Ling\*

Nanjing Drum Tower Hospital, the Affiliated Hospital of Nanjing University Medical School, Nanjing 210008, China

\*Corresponding author: YUAN Ling, Associate chief nurse; E-mail: yuanling73@hotmail.com

**【Abstract】** The research and development of patient-reported outcomes (PROs) in China are slow, which needs to be vigorously carried out and promoted to improve the quality of medical services and improve people's health and well-being. This is a review of the research progress of PROs at home and abroad, with a view to providing references for related clinical research and health management. Based on PROs at home and abroad in recent years the literature analysis and summary, this paper introduced the concept, classification and content, the selection of scale, the making and implementation of Patient-reported outcomes, as well as its general situation of the main application. We also proposed the problem of PROs development in our country and put forward related suggestions.

**【Key words】** Patient-reported outcomes; Outcome assessment (health care); Review

在某些情况下, 如疲劳或疼痛评估, 患者报告结局 (patient-reported outcomes, PROs) 可能是唯一可行的终点, 因为没有临床医生、观察者或实验室可测量的疾病或治疗活动标记<sup>[1]</sup>。同时, 人们在医疗实践中发现, 患者对其疾病和相关治疗的体验常与医生的观点不同, 在病情的严重程度上一致性较低<sup>[2]</sup>。再则, 在治疗的效果方面, 也需要了解患者的体验和想法, 生理和临床终点指标的改善可能并不总是转化为患者疾病或病症的改善<sup>[3]</sup>。PROs 的这些特性, 使其成为临床研究和治疗不可替代的工具, 也越来越受到各国卫生系统和政府的关注, 成为近年来研究的热点, 现对 PROs 国内外的研究和应用综述如下。

### 1 PROs 与患者报告结局测量工具 (PROMs) 的概念及概况

2009 年美国食品药品监督管理局 (FDA) 对 PROs 的定义为: 直接来自患者本人, 对自身健康状况及其与健康相关

方面的主观反应, 并不包含临床医生或其他任何人对患者主观反应的评释<sup>[4]</sup>。PROs 所包括的任何有关治疗或结局评价是来自照护者、卫生保健人士或父母和监护人的替代报告并不能认为是患者报告的临床结局, 而应视为一类独立的结局资料<sup>[5]</sup>。欧洲药品管理局 (EMA) 在《关于医疗产品评估中使用健康相关生活质量 (HRQL) 测量方法的监管指南的反思文件》中将 PROs 定义为“任何结果是基于患者对自身疾病和治疗的感知并直接由患者自身评估”<sup>[6]</sup>。可见, 欧盟和美国均强调 PROs 的信息来源必须是患者本人。尽管 PROs 在医疗实践中长期被使用, 但正式的尺度在 20 世纪 60 年代开始发展, 并且越来越多地被用于更精确地描述患者对疾病和治疗以及健康和功能影响的看法<sup>[7]</sup>。而 PROMs 并不等同于 PROs, 也不是所谓的“结果测量”, 其是一种工具或手段, 用来测量 PROs<sup>[8]</sup>。PROMs 最初是用于临床试验中研究个体中各组组长间比较以及人群中各群体之间的比较, 根据比较结果制定治疗建议和卫生政策的说明<sup>[9]</sup>。英国国家医疗服务系统 (NHS) 在 2008 年发布了《关于常规收集 PROMs 的指南》, 在指南中 PROMs 被界定为: 用来测量患者健康状况或与健康相关的

210008 江苏省南京市, 南京大学医学院附属鼓楼医院

\*通信作者: 袁玲, 副主任护师;

E-mail: yuanling73@hotmail.com

数字出版日期: 2019-12-16

生活质量的工具,其通常是简短的自填式量表,能够适时地测量患者的某个时间点的健康状况或健康相关的生活质量<sup>[10]</sup>。1975年,瑞典在隆德成立了全国范围内使用 PROMs 特定疾病的临床数据库质量登记册,使得相关疾病的患者从中获益<sup>[11]</sup>。PROMs 已经越来越多地被临床医生和医院所使用,但在卫生保健系统被广泛使用并不是很常见,仅限于英国、瑞典和美国的部分地区,英国政府希望通过公众对各医疗提供服务方进行比较以推动使用 PROMs,瑞典和美国则把 PROMs 作为医疗行业的领头羊,致力于应用 PROMs 改善患者的临床治疗<sup>[12]</sup>。

## 2 PROMs 的分类和内容

2.1 PROMs 的分类 随着电子信息技术的不断发展,PROMs 的分类也不断地发生变化,当前 PROMs 从使用的方式可分为两大类,纸质版 PROMs 和电子化 PROMs,纸质版 PROMs 即应用传统的纸张方式去收集 PROs,而电子化 PROMs 主要是指应用现代电子网络平台来获取 PROs,包括使用平板电脑、笔记本电脑、个人电脑(PC)、个人数字助理(PDA)、智能手机、互动语音电话系统(IVRS)<sup>[12-13]</sup>。2015年的一项 Meta 分析显示,无论是纸质版还是电子化 PROMs,总体上均具有较高的等效性,所使用的电子设备中应用最多的是 PC,其次是 PDA<sup>[14]</sup>。由于电子设备更容易使用也不要求有一定的经验,电子易用性设备已显示出更好的满意度和依从性<sup>[15]</sup>。同时,在数据的质量和完整性、减少管理负担方面,电子化 PROMs 显示更佳的优越性<sup>[1, 16-17]</sup>。另一种分类按测评方式可把 PROMs 分为:访谈类、自我评价、计算机测评和人机交互式测评4类,此外,还可根据测评目的、工具的条目数、测评对象和反应等级等来进行分类<sup>[18]</sup>。

2.2 PROMs 的内容 PROMs 的内容是量表研究的重要部分,包括以下几个方面:HRQL、功能状态、症状和治疗依从性等<sup>[19]</sup>。通常以标准化的调查问卷来测量,由多个小组和学科(比如临床医学和心理学)出于某种研究目的而共同开发(如一般健康人群或某种特定疾病的人群)<sup>[20]</sup>。专业人士可以从中得到某些人群的信息比如症状、整体健康状况以及疾病和治疗对患者生活质量的影响<sup>[21]</sup>。美国 FDA 自 20 世纪 60 年代以来,以各种目的而研发的 PROMs 开始兴起,并在研究与实践中证明了其有效性<sup>[22]</sup>。其中,HRQL 的内容是 PROs 其中一项,EMA 定义 HRQL 为疾病和治疗对患者日常生活、身体、心理、社会功能和幸福感影响的主观感受<sup>[6]</sup>。

## 3 PROMs 的确定

确定合适的 PROMs 对患者进行测评,可以得到想要的信息,特别是对于慢性病患者的测评,要想得到可靠和有价值的结果,确定好的 PROMs 显得尤为重要。PROMs 可以分为特异性量表和普适性量表<sup>[23]</sup>。特定疾病的特异性量表是针对特定的某一种疾病类型和人群的量表,工具侧重于主要关注的领域,能提高对患者的症状和病情的相关反应,而通用的普适性量表侧重于生活质量和健康状况的广泛方面,旨在用于一般人群或广泛的疾病状况,可对多种疾病和人群进行测量<sup>[24-25]</sup>。研究者可以使用普适性量表对一系列不同疾病和人群进行测量,对所获得的一般情况的结果进行比较<sup>[25-26]</sup>。现广泛使用的生存质量普适性量表,如世界卫生组织生存质

量测定量表(WHOQOL-100)、世界卫生组织生存质量测定量表简表(WHOQOL-BREF)<sup>[27]</sup>、健康状况调查表(SF-36)<sup>[28]</sup>;特异性生存质量量表,如针对癌症人群的欧洲癌症调查治疗组织生活质量调查表(The European Organization for Research and Treatment of Cancer Quality of Life-C30, EORTC QOL-C30)<sup>[29]</sup>、针对糖尿病患者研制的糖尿病生存质量量表(Audit of Diabetes-Dependent Quality of Life, ADDQoL)<sup>[30]</sup>。普适性量表并不用于评估疾病特异性效应,因此检测微妙治疗的效果可能不够敏感,例如,使用 SF-36 评估关节炎患者可能无法提供有关疾病的重要信息,如关节疼痛僵硬和相关症状对功能、态度和情绪的影响<sup>[31]</sup>。可见普适性量表,对特定疾病的灵敏度较差,问题相对宽泛,很可能因此无法获得某些疾病的重要信息,而特异性量表针对性较强,对特定疾病的数据和信息获得更为精确,反应更好。因此在确定使用哪个 PROMs 前,首先要明确研究目标和研究人群,研究内容是最基本的考虑因素,与测量健康维度相关部分也应考虑<sup>[25]</sup>。工具的可靠性、有效性、响应性、精确性、可解释性、可接受性和可行性也很重要,但是这些属性不是 PROMs 固定的属性,取决于研究的人群<sup>[32]</sup>。此外,国际生活质量研究学会制定了《临床实践中患者报告的结果评估用户指南》,以促进 PROMs 的选择<sup>[33]</sup>。

## 4 PROMs 在国家层面上的大型网络系统

为了便于临床研究和有效使用 PROMs,法国、美国、英国、加拿大相继建立了 PROMs 的国家层面的大型网络系统,以下分别做简要的介绍。

4.1 法国 患者报告结局和生命质量量表数据库(PROQOLID),2002年由法国里昂的 Mapi 研究基金会发起。该项目最初被称为生活质量仪器数据库(QOLID),其目的是为所有参与卫生保健评估的人员提供通过互联网获得的关于 PROs 和 HRQL 的全面和独特的信息来源<sup>[34]</sup>。现有超过 900 种测量工具的验证、许可和翻译信息,主要测量临床患者的症状、整体精神状态、疾病或治疗状况对患者功能的影响。如,糖尿病生活质量(DQOL)调查表、阿尔茨海默病相关生活质量(ADRQL)等,使用此数据库,可以为研究找到合适的研究工具;了解到如何使该工具的副本得到许可,能否获得该工具的其他语言翻译形式,使用条件是否适用;同时还可获得验证研究的参考资料<sup>[35-36]</sup>。

4.2 美国 美国是最早投入大量资金建立国家 PROMs 计划的国家之一。2004年,美国国立卫生研究院(NIH)发起并建立了 Promis 系统。Promis 系统是一种公开可用的、可靠的,精确地测量一般人群和慢性病患者(包括成年人和儿童)的身体、心理和社会健康状况的系统<sup>[37]</sup>。有 4 个优点:(1)适用性强,有超过 300 种的测量方法,适用不同的国家和文化,不同的人群和疾病,可用于测量包括癌症在内的多种慢性病相关的症状和健康相关的生活质量领域,例如疼痛、疲劳、情绪困扰和身体功能等;(2)可比较性,提供统一的标准,在多种情境下可用于不同人群和不同疾病之间的比较;(3)精确度高,测量工具制作严谨,信效度高,条目精简,在心理测试阶段采用经典的测量理论(CTT)和项目反应理论(IRT)

(4) 测量方式多样化, 计算机自适应测试 (CATs), 简短式量表和综合简表。这种基于网络的资源成功地解决了 PROs 缺乏标准化的问题并已经产生了实质性的影响, 目前大约可应用于 70 个领域, 其中包括疼痛、疲劳、抑郁、焦虑、睡眠障碍、身体功能、社交功能和性功能等领域, 已翻译成 40 余种语言文字 (包括英语和西班牙语) [37-38]。

4.3 英国 从 2009 年 4 月开始, NHS 开始进行自上而下的质量改进计划, 系统地使用 HRQL 措施, 并在初次实施手术中实施 [39]。NHS 还要求收集 PROs 在 4 种可择期的手术前后数据: 单侧髋关节置换术、单侧膝关节置换术、腹股沟疝手术、静脉曲张手术 [40]。这些 PROs 数据的收集, 可用于比较提供服务方或通过提供服务方的护理质量使患者能够自己选择服务, 另外, PROs 数据可以帮助患者了解手术可能对以患者为中心的结局的影响 [41]。

4.4 加拿大 加拿大安大略省患者报告结局症状和治疗毒性研究 (Ontario Patient Reported-Outcomes Symptoms and Toxicity, On-PROST) 是加拿大安大略省癌症护理中心 (Cancer Care Ontario, CCO) 协调和组织的 PROMs 的应用研究项目。On-PROST 于 2011 年创建, 用于制定针对疾病、治疗和阶段特异性症状和毒性的 PROs, 并解决癌症的核心多维影响 [42]。On-PROST 旨在通过常规收集标准化的 PROs 组合来改善患者体验和护理质量, 以便在临床护理和研究中联合使用 [42]。On-PROST 结构有 5 个研究支柱, 每个支柱均依赖于高质量的 PROs: 健康服务研究、生物标志物研究、放射肿瘤学、姑息支持治疗和 PROs-Cancer 核心项目, 正建立国际伙伴关系, 以开发标准化和实施与整个癌症连续体相关的 PROs [43]。

## 5 PROMs 的编制和实施

在临床实践中, 如果通过以上介绍的各大 PROMs 网络数据库及其他相关渠道均没有找到想要的量表, 制定量表则成为必然, 美国 FDA 鼓励人们在实践中进行量表的改进和制定。FDA 在 2009 年发布的最终指南《行业指导患者报告的结果: 用于支持标签声明的医疗产品开发患者报告结局的指导》[4] 建议 5 个步骤来完成工具的编制: (1) 预设概念框架 [包括确定目标人群, 进行文献回顾, 专家咨询, 确定预期的应用类型和特点 (评分标准、评估频率和管理模式), 记录初始工具开发的过程等]。(2) 调整概念框架和初步工具 (包括获取输入患者后的信息, 生成新的条目, 选择回忆期, 应答选项和格式, 选择管理和收集信息的模式, 进行患者认知访谈, 对初步形成的工具进行试点检测, 记录内容效度)。(3) 确定概念框架和评估其他测量属性 (确定带有评分规则的概念框架, 评估分数的可靠性, 结构效度和检测变化的能力, 最后确定工具的内容、格式、评分、程序、培训材料和记录测量的研发)。(4) 收集、分析和解释数据 (起草方案和统计分析; 收集和分析数据; 使用评估治疗反应, 累积分布和响应者定义; 记录有关声明的治疗益处)。(5) 修改工具 (更改条目的措辞、目标人群、反应选项、回忆期或管理模型或数据收集方法; 翻译和进行其他语言的文化调试; 评估修改是否恰当并记录所有更改)。FDA 认为工具的研制是一个迭代的过程, 需要不断地根据实际情况更新修订以适应不断变

化的需求, 同时, 在量表适用人群中, 强调青少年和儿童需要有专门的不同于成年人的量表, 在量表开发过程中要针对儿童和青少年在生长发育的不同阶段对量表的语言和概念的不同理解能力及回忆期的不同而进行相应的量表开发。对于无法沟通或认知障碍的人群, FDA 提倡报告观察者对此类人群所观察到的内容, 包括对尚无语言能力的婴幼儿, 仍不鼓励任何人的替代报告。在量表的语言和文化调试上, 则建议无论量表是否在多种文化或语言的背景下同时开发, 或是否对量表进行改编和翻译成新的文化和语言, 同一量表的不同版本在临床试验中, 内容效度及其他测量属性上, 均应显示出足够的相似性。

显然, 通过以上要求制作出高质量的量表是不够的, 要想得到科学的结果, 正确实施 PROMs 的方法是关键, 评估涉及到一些方法和实际决定, 包括: (1) 确定收集 PROs 的实践目标; (2) 选择患者, 设置和评估时间; (3) 确定使用哪些问卷; (4) 选择管理模式和对问卷进行评分; (5) 设计流程报告结果; (6) 确定便于评分的辅助工具解释; (7) 制定应对策略问卷来确定问题; (8) 评估 PROMs 干预对实践的影响 [44]。因此高质量的量表是成功实施的前提, 科学地选择和正确地实施是成功获取数据的保障。

## 6 PROs 的常见应用

6.1 医疗产品的评估和审查 在评估医疗产品, 特别是药物和医疗设备的有效性和安全性方面, 患者的经验已变得越来越重要。其补充了临床医生评估的使用客观统计数据 (如生存率) 以及临床疗效和安全性的其他传统指标。作为临床研究人员通常将 PROs 评估纳入临床试验中, 以帮助测量医疗产品对诸如症状严重程度和身体或心理功能等的影响 [45]。EMA 与美国 FDA 均要求在评估药物疗效和医疗设备时, 使用 PROMs [46]。美国在药物和生物制品批准过程中将 PROMs 评估作为确定治疗效果的主要或次要终点指标, 2004 年 WILLKE 等 [7] 报道了美国 FDA 在 1997—2002 年间 215 个新药的标签审批中有 30% 的药品标签包含了 PROs。而 2006—2015 年批准的 298 个新药中, 使用了 PROs 的新药占总审批新药中的 33.2% [47]。EMA 发布的 2008—2012 年授权的药品中使用 PROs 为主要或次要终点指标的占 47%, 其中 17% 的药品把 PROs 作为主要终点指标即硬性指标 [48]。PROs 不仅可以使相关部门更加全面地评估药物的安全性, 增加审查通过的概率, 而且能帮助患者全面了解药品或医疗器械可能带来的利弊。

6.2 新药开发 药物开发正在变得更加以患者为中心, 监管机构越来越关注准确和明确的方法, 以便在整个药物开发过程中严格捕捉患者的观点 [49]。在药物开发早期, 通过患者对药物的给药途径、剂量、不良反应的接受度等的报告, 研究人员能清楚地了解到患者的疾病和治疗体验, 可以帮助人们确定新疗法的医疗需求、目标药品的概况、药物剂量的选择等 [3]。例如, 在药物开发的早期临床试验评估良性前列腺增生的新的治疗方法, 使用治疗满意度量表对较低的剂量进行测试。尽管高剂量组对疗效的满意度得分较高, 但在疗效满意度、耐受性和便利性的综合得分上, 高剂量组 (其具有更

多不良事件)得分低于较低剂量组,这显示了较低剂量组比高剂量组总体上有更高的满意度<sup>[50]</sup>。然而要成功地将PROs纳入药物开发的临床试验中,仍需要遵守几项基本的设计原则,这些原则广泛地表征为:(1)使用假设驱动的研究问题,将PROs纳入临床试验应该根据研究者关于患者经验和预期与研究治疗相关性的假设进行预测;(2)使用经过验证的PROMs,能验证其有效性、可靠性和响应性;(3)PROs测试在试验主要目标范围内的可行性,参与PROs的生活质量报告的部分,受试者须有明确的纳入标准;(4)最大限度地减少患者和场所的应答负担,设计的量表能最大化地得到研究者想要的信息并减少受试者的应答时间,从而便于PROs数据的收集和管理;(5)避免PROs结果评估中的偏差,长期的跟踪和随访使非应答反应增加,这使得研究结果和推论受到潜在的影响,应制定PROs评估计划表,使用电子自动提醒业务,尽可能地减少数据中途的丢失和试验的偏差<sup>[51]</sup>。

将患者的声音纳入到药物开发中来,让其清晰和准确地表达服药后的经验,不仅是患者相应责任的一部分,而且有助于告知重要治疗方法的发展,从而减少失误,加快知识产生的速度。PROs协调小组在其关于“将患者的观点纳入药物开发和传播”的建议中提出,在临床试验中评估PROs非常重要,因为PROs是:(1)疾病影响的独特指标;(2)评估治疗效果至关重要;(3)有助于解释临床结果;(4)治疗决策的关键要素<sup>[19]</sup>。PROs数据可用于新药开发的所有阶段,可以在功效、耐受性、治疗满意度和便利性方面提供有价值的证据<sup>[3]</sup>。

鉴于PROs在新药开发的重要地位,欧洲患者治疗创新研究院与制药公司、研究机构、患者组织等合作,致力于培训和教育患者,并提供所需的资源,以便其能够获得一些技能和知识,更好地参与药物开发的过程<sup>[52]</sup>。

**6.3 捕捉不良事件** PROs还与典型的临床试验结果(如不良事件)具有很强的相关性,并被发现可以预测某些情况下的生存结果<sup>[53]</sup>。过去大约10%的症状性不良事件是由研究人员报告<sup>[54]</sup>。然而,大量研究证据显示,临床研究人员会丢失一半的患者症状性不良事件的报告<sup>[55-58]</sup>。有试验证据表明,直接从患者收集信息可以提高试验中不良事件探测的准确性和可靠性<sup>[55-56, 59-61]</sup>。为了更精确地捕捉到以患者为中心的的症状性不良事件,美国国家癌症研究所(NCI)开发了患者报告结局的条目库以支持不良事件通用术语标准(CTCAE),即《患者自我报告常见不良反应术语标准》<sup>[62]</sup>。CTCAE是代表790个独立分散的不良事件的条目库,每个不良事件使用序数进行严重性等级分级<sup>[63]</sup>。患者报告结局不良事件通用术语标准(PRO-CTCAE)现有124个条目,78个毒性症状,已经发展成为一种标准化的测量系统,可以为治疗、监管和健康政策决定,提供灵活而适用的方法以评估各种癌症治疗中的相关症状性不良事件<sup>[64]</sup>。

**6.4 评估和改善医疗服务质量** 将患者的观点纳入到医疗卫生服务质量的评估中,使PROMs用于评估医疗的有效性和安全性;这两个方面也被视为质量的特征<sup>[65]</sup>。在常规临床护理中使用PROMs的最大潜在好处是能够随着时间的推移跟踪症

状和问题的变化,帮助服务者关注患者的问题。例如,通过对患有慢性病的大量患者报告的结果数据进行长期的追踪管理,可以得到丰富的信息,规定的治疗有无对患者的治疗结果有所改善?生物标志物的改变能否转化为患者的实际主观改善?新药所带来的不良反应对于患者来说是否真正值得?这些问题能帮助建立一些评估服务质量的绩效指标<sup>[66]</sup>。NCI发布了报告,强调了以患者为中心的护理在癌症患者治疗中的重要性,以及使用PROs来评估患者接受的护理质量<sup>[67]</sup>。BASCH等<sup>[68]</sup>进行的一项大型的单中心随机对照试验显示,应用PROs对接受化疗的转移性实体肿瘤的癌症患者给予照护,PROs组的生存期明显长于常规照护组,其中的潜在机制是PROs组患者对化疗药物的耐受时间长于常规照护组。英国国家联合登记处为比较有效性的研究,提供了一种临床使用PROMs的模型。自2002年以来,英国国家联合登记处收集了英格兰和威尔士的所有髋关节、膝关节和踝关节置换术的数据。结果数据包括修复率或去除和替换失败的植入物所需的后续手术的比例以及死亡率数据,在首次手术后8年进行追踪并在年度公开报告中发布,通过提供关于不同关节置换技术和程序的比较有效性的信息,并为患者决策制定提供信息,从而改善患者安全和临床治疗结局<sup>[69]</sup>。DONOVAN等<sup>[70]</sup>对1643例前列腺癌患者随机分组后通过PROs了解了不同治疗方法的疗效以及治疗如何影响男性的生活,对医疗决策者及患者提供选择何种治疗和护理的途径起了至关重要的作用。在美国,“改善现在”网中的实践者正在使用PROs和临床数据来改善患有炎症性肠病的儿童的治疗结果。自2007年建立该网络以来,30个州的17000例患儿的缓解率从55%提高到77%<sup>[71]</sup>。

综上所述,PROs的应用具有广泛性和多样性:支持治疗决策,监测人群健康状况,推动健康政策,安全报告,改善临床医生与患者的沟通,筛查有风险的患者或需要转诊的患者,支持自我管理,给患者分类预后类别,以及基于患者优先级的设定治疗目标等<sup>[72]</sup>。PROs的这些应用特性,为今后开展与人的健康相关的研究开辟了新的途径,特别是对现有医疗质量的评估体系提出了新的挑战。

## 7 我国PROMs的发展

近些年来我国PROMs的研究虽有些进展但仍不足,常用的量表也大多直接翻译自国外,或经过翻译后加以修订,国内虽有很多学者对经过翻译文化调试后的量表进行科学考评,但这些研究存在样本量小、地区局限、效度考评缺乏对比标准等问题,故是否适用于国人还有待商榷<sup>[73]</sup>。目前,国内PROMs的研究主要集中在慢性病及中医领域,而西医领域比较少。刘保延课题组致力于将PROMs用于大量慢性病的临床疗效评价中,对脑卒中痉挛性瘫痪<sup>[74]</sup>、类风湿关节炎<sup>[75]</sup>、心血管疾病<sup>[76]</sup>、消化性疾病<sup>[77]</sup>、轻度痴呆<sup>[78]</sup>等10类疾病量表进行了研究,促进了PROMs在中医临床疗效评价的完善和发展<sup>[79]</sup>。何磊<sup>[80]</sup>通过对国内大量文献的分析,发现我国国内生活质量量表,躯体维度条目多见,社会维度条目较少,国内量表对于社会维度关注不够,国内量表的语言常有表达不够清晰、口语化不足等问题。

## 8 思考

我国 PROMs 的研究起步较晚,虽然近年来在中医领域取得了一些成果,但西医仍以引进国外量表为主,缺乏自主创新。现结合国内外 PROMs 的研究,总结几点如下:(1) PROs 的信息收集需要规范化,我国尚未建立起国家层面上的 PROMs 大型网络收集平台,国内相关的指南和统一的行业标准还未出台;使得信息收集难以规范管理。(2) 加强合作,寻求支持,可以促进 PROs 的发展,美国的 Promis 就是一个例子。我国应积极地参与国际合作,寻求各方的支持,共同推进 PROMs 的开发和利用,以改善临床管理和评估、改进医疗质量及监测人群健康。在荷兰、德国、西班牙、加拿大和其他国家进行的工作,充分展示了国际合作伙伴如何共同开发和验证 PROMs,协同推进 PROs 的科学发展,并协助全球人口监测,以改善世界各地人民的健康和健康相关的生活质量<sup>[81]</sup>。(3) 相关法规和制度需要健全,在越来越多地普及电子数据收集的今天,电子数据监管的必要性以及审查和制定电子数据收集的规则,也势在必行。(4) PROMs 的一些方法学和结构仍待改进,迄今为止,PROMs 概念的异质性以及所使用的工具,分析和呈现方法阻碍了 PROs 数据在药物开发中的实用性<sup>[49]</sup>;当前,经典测量理论(CTT)仍是研制 PROs 普遍采用的方法,CTT 的主要测试指标是信度、效度、项目区分度和难度,其存在各种参数的估计对样本的依赖性太大、误差指标笼统单一、指标之间的配套性较差、信度的估计精确度不高等问题。(5) PROMs 应用范围较单一,尽管 PROMs 应用领域广泛,但国内外当前仍重视对 HRQL 以及药品的疗效评价的研究,而对于护理、疗效等的满意度、治疗依从性、照护负担等研究不多。应用 PROs 的一个重要领域是评估护理质量,对 PROs 的常规测量也能转向提供目标导向的护理而不是传统的问题导向的护理。但是目前为止,国内外研究仍较少。美国国家质量论坛(NQF)已经批准了许多成果措施来跟踪医疗服务机构的服务质量,但只有极少数是来自 PROs<sup>[66]</sup>。(6) 缺乏高质量和特异性强的 PROMs,同时,高质量的 PROMs 也没有得到合理的应用,国内量表多采用国外量表经过翻译文化调试,能否完全表达量表编制者的初衷,适用于当前的文化环境,仍值得商酌。且在临床应用上,出现未经足够大的样本量进行信效度检测的 PROMs 被广泛应用的问题。针对以上情况,笔者认为:第一,清除应用 PROMs 的障碍,PHILPOT 等<sup>[33]</sup>的一项定性研究表明,对患者调查的长度和复杂性是在日常临床护理中使用 PROMs 最重要的障碍。因此,增加 PROs 数据的相关性和解释能力的方法,同时最小化患者的负担,以确保每次评估患者时,其均能以最好的状态提供来自患者本人体验的报告;报告的内容是需要患者回忆的,记忆随着时间的推移,难免有误差,尽管电子化 PROMs 因为即时性,在一定程度上减少回忆的误差,比如电子日志,但是具体到如何操作才能更准确和及时地收集到 PROs 仍是需要解决的问题。第二,在量表研制过程中应该遵循严格的方法学标准,才能获得高质量的 PROMs。同时重视心理测评,语言尽量简洁易懂,避免使用暗示或诱导式的问题,勿使用存在歧义的概念,以免使理解存在个体差异。同时,

在 PROMs 使用中还应该考虑一些疾病的类型和治疗阶段的不同。因疾病类型和治疗阶段的不同,也随之使患者有不同的心理体验和诉求,借助 PROMs 来了解患者需要什么样的治疗结果,期望什么,什么对于其来说是最为重要的,常比观察到的和经验性地判断更为可靠。第三,开发相应的教育课程和培训体系,教会医护人员对 PROMs 的科学使用方法,加强 PROs 数据的解释能力,同时,大力推广和加大对 PROMs 的应用和研究力度,让更多的医疗保健从业人员、专家和医疗费用支付者所熟知和重视,以实际成效推动我国 PROs 蓬勃向上发展,造福于民。

### 本文文献检索策略:

检索关键词: patient reported outcome、PRO、患者报告结局;检索数据库: PubMed、Web of Science、Medline、PMC、万方数据知识服务平台、维普网、中国知网;检索时间为建库至 2019 年 5 月。同时采用滚雪球方法搜寻文献,通过大量阅读患者报告结局的国内外文献,对其进行大致的归纳和总结,主要引用高质量的原始研究、指南共识等,并首选高引文献和核心期刊文献,同时引用官方网站数据,纳入文献的标准是近 20 年来国内外有关患者报告结局的中英文文献。排除标准:(1) 医务人员报告的数据结果;(2) 生理实验室报告的结果资料;(3) 护理人员报告的资料。

作者贡献: 隆莉芝进行文章的构思与设计,研究的实施与可行性分析,文献收集、整理,撰写论文;袁玲进行论文的修订,负责文章的质量控制及审核,对文章整体负责,监督管理。

本文无利益冲突。

### 参考文献

- [1] COONS S J, GWALTNEY C J, HAYS R D, et al. Recommendations on evidence needed to support measurement equivalence between electronic and paper-based patient-reported outcome (PRO) measures: ISPOR ePRO Good Research Practices Task Force report [J]. Value Health, 2009, 12 (4): 419-429. DOI: 10.1111/j.1524-4733.2008.00470.x.
- [2] MCCOLL E, JUNGHARD O, WIKLUND I, et al. Assessing symptoms in gastroesophageal reflux disease: how well do clinicians' assessments agree with those of their patients? [J]. Am J Gastroenterol, 2005, 100 (1): 11-18. DOI: 10.1111/j.1572-0241.2005.40945.x.
- [3] HAREENDRAN A, GNANASAKTHY A, WINNETTE R, et al. Capturing patients' perspectives of treatment in clinical trials/drug development [J]. Contemp Clin Trials, 2012, 33 (1): 23-28. DOI: 10.1016/j.cct.2011.09.015.
- [4] Center for Drug Evaluation and Research (CDER), Center for Biologics Evaluation and Research (CBER), Center for Devices and Radiological Health (CDRH). Guidance for industry patient-reported outcome measures: use in medical product development to support labeling claims [EB/OL]. (2009-12-01) [2018-07-22]. <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/patient-reported-outcome-measures-use-medical-product-development-support-labeling-claims>.

- [ 5 ] HIGGINS J P T, GREEN S. Cochrane Handbook for systematic reviews of interventions version 5.1.0 [ EB/OL ] . ( 2011-03-01 ) [ 2018-07-23 ] . <https://training.cochrane.org/handbook/archive/v5.1/>.
- [ 6 ] European Medicines Agency. Reflection paper on the regulatory guidance for the use of health related quality of life ( HRQL ) measures in the evaluation of medicinal products [ EB/OL ] . ( 2005-07-27 ) [ 2018-05-23 ] . [http://www.emea.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Scientific\\_guideline/2009/09/WC500003637.pdf](http://www.emea.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Scientific_guideline/2009/09/WC500003637.pdf).
- [ 7 ] WILLKE R J, BURKE L B, ERICKSON P. Measuring treatment impact: a review of patient-reported outcomes and other efficacy endpoints in approved product labels [ J ] . *Control Clin Trials*, 2004, 25 ( 6 ) : 535-552. DOI: 10.1016/j.cct.2004.09.003.
- [ 8 ] WELDRING T, SMITH S M. Patient-reported outcomes ( PROs ) and patient-reported outcome measures ( PROMs ) [ J ] . *Health Serv Insights*, 2013, 6: 61-68. DOI: 10.4137/HSI.S11093.
- [ 9 ] KYTE D G, CALVERT M, VAN DER WEES P J, et al. An introduction to patient-reported outcome measures ( PROMs ) in physiotherapy [ J ] . *Physiotherapy*, 2015, 101 ( 2 ) : 119-125. DOI: 10.1016/j.physio.2014.11.003.
- [ 10 ] Department of Health. Guidance on the routine collection of patient reported outcome measures ( PROMs ) [ J ] . Department of Health, 2009.
- [ 11 ] Nationella Kvalitetsregister. National quality registry for knee arthroplasty [ EB/OL ] . [ 2018-05-19 ] . <http://www.kvalitetsregister.se/englishpages/findaregistry/registerarkivenglish/nationalqualityregistryforkneearthroplasty.2190.html#kontakt>.
- [ 12 ] BLACK N. Patient reported outcome measures could help transform healthcare [ J ] . *BMJ*, 2013, 346: f167. DOI: 10.1136/bmj.f167.
- [ 13 ] 李娜. 比较电子化和传统纸质病人报告结局在神经科学临床研究中的应用 [ D ] . 上海: 复旦大学, 2012.
- [ 14 ] MUEHLHAUSEN W, DOLL H, QUADRI N, et al. Equivalence of electronic and paper administration of patient-reported outcome measures: a systematic review and meta-analysis of studies conducted between 2007 and 2013 [ J ] . *Health Qual Life Outcomes*, 2015, 13: 167. DOI: 10.1186/s12955-015-0362-x.
- [ 15 ] JAMISON R N, RAYMOND S A, LEVINE J G, et al. Electronic diaries for monitoring chronic pain: 1-year validation study [ J ] . *Pain*, 2001, 91 ( 3 ) : 277-285. DOI: 10.1016/s0304-3959(00)00450-4.
- [ 16 ] STOKES T, PATY J. Electronic diaries, part 2: the role of the clinical protocol in developing and implementing electronic diaries [ J/OL ] . *Applied Clinical Trials*, ( 2003-03-01 ) [ 2018-06-09 ] . <http://www.appliedclinicaltrials.com/electronic-diaries-part-2-role-clinical-protocol-developing-and-implementing-electronic-diaries>.
- [ 17 ] 刘衍波. 电子化和传统纸质病人报告的临床结局数据质量的比较 [ D ] . 上海: 复旦大学, 2013.
- [ 18 ] 刘砚燕, 陈如男, 姚静静, 等. 患者报告结局的国内外研究进展 [ J ] . *现代预防医学*, 2013, 40 ( 12 ) : 2268-2271, 2279.
- [ 19 ] ACQUADRO C, BERZON R, DUBOIS D, et al. Incorporating the patient's perspective into drug development and communication: an ad hoc task force report of the Patient-Reported Outcomes ( PRO ) Harmonization Group meeting at the Food and Drug Administration, February 16, 2001 [ J ] . *Value Health*, 2003, 6 ( 5 ) : 522-531. DOI: 10.1046/j.1524-4733.2003.65309.x.
- [ 20 ] MACEFIELD R C, JACOBS M, KORFAGE I J, et al. Developing core outcomes sets: methods for identifying and including patient-reported outcomes ( PROs ) [ J ] . *Trials*, 2014, 15: 49. DOI: 10.1186/1745-6215-15-49.
- [ 21 ] MARQUIS P, ARNOULD B, ACQUADRO C, et al. Patient-reported outcomes and health-related quality of life in effectiveness studies: pros and cons [ J ] . *Drug Development Research*, 2006, 67: 193-201. DOI: 10.1002/ddr.20077.
- [ 22 ] SAWATZKY R, CHAN E K H, ZUMBO B D, et al. Montreal accord on patient-reported outcomes ( PROs ) use series-paper 7: modern perspectives of measurement validation emphasize justification of inferences based on patient reported outcome scores [ J ] . *J Clin Epidemiol*, 2017, 89: 154-159. DOI: 10.1016/j.jclinepi.2016.12.002.
- [ 23 ] SCHIFFERDECKER K E, YOUNT S E, KAISER K, et al. A method to create a standardized generic and condition-specific patient-reported outcome measure for patient care and healthcare improvement [ J ] . *Qual Life Res*, 2018, 27 ( 2 ) : 367-378. DOI: 10.1007/s11136-017-1675-5.
- [ 24 ] CELLA D, HAHN E A, JENSEN S E, et al. Patient-reported outcomes in performance measurement [ J ] . NC: RTI Press, 2015. DOI: 10.3768/rtipress.2015.bk.0014.1509.
- [ 25 ] CHE HAMZAH J, BURR J M, RAMSAY C R, et al. Choosing appropriate patient-reported outcomes instrument for glaucoma research: a systematic review of vision instruments [ J ] . *Qual Life Res*, 2011, 20 ( 7 ) : 1141-1158. DOI: 10.1007/s11136-010-9831-1.
- [ 26 ] COONS S J, RAO S, KEININGER D L, et al. A comparative review of generic quality-of-life instruments [ J ] . *Pharmacoeconomics*, 2000, 17 ( 1 ) : 13-35. DOI: 10.2165/00019053-200017010-00002.
- [ 27 ] GHOLAMI A, JAHROMI L M, ZAREI E, et al. Application of WHOQOL-BREF in measuring quality of life in health-care staff [ J ] . *Int J Prev Med*, 2013, 4 ( 7 ) : 809-817.
- [ 28 ] WARE J E Jr, GANDEK B. Overview of the SF-36 Health Survey and the International Quality of Life Assessment ( IQOLA ) Project [ J ] . *J Clin Epidemiol*, 1998, 51 ( 11 ) : 903-912. DOI: 10.1016/s0895-4356(98)00081-x.
- [ 29 ] AARONSON N K, AHMEDZAI S, BERGMAN B, et al. The European Organization for Research and Treatment of Cancer QLQ-C30: a quality-of-life instrument for use in international clinical trials in oncology [ J ] . *J Natl Cancer Inst*, 1993, 85 ( 5 ) : 365-376. DOI: 10.1093/jnci/85.5.365.
- [ 30 ] OSTINI R, DOWER J, DONALD M. The Audit of Diabetes-Dependent Quality of Life 19 ( ADDQoL ) : feasibility, reliability and validity in a population-based sample of Australian adults [ J ] . *Qual Life Res*, 2012, 21 ( 8 ) : 1471-1477. DOI: 10.1007/s11136-011-0043-0.
- [ 31 ] CALVERT M J, FREEMANTLE N. Use of health-related quality of life in prescribing research. Part 1: why evaluate health-related

- quality of life? [J]. *J Clin Pharm Ther*, 2003, 28 (6) : 513–521. DOI: 10.1046/j.0269-4727.2003.00521.x.
- [32] FITZPATRICK R, DAVEY C, BUXTON M J, et al. Evaluating patient-based outcome measures for use in clinical trials [J]. *Health Technol Assess*, 1998, 2 (14) : i – iv, 1–74.
- [33] PHILPOT L M, BARNES S A, BROWN R M, et al. Barriers and benefits to the use of patient-reported outcome measures in routine clinical care: a qualitative study [J]. *Am J Med Qual*, 2018, 33(4) : 359–364. DOI: 10.1177/1062860617745986.
- [34] EMERY M P, PERRIER L L, ACQUADRO C. Patient-reported outcome and quality of life instruments database (PROQOLID) : frequently asked questions [J]. *Health Qual Life Outcomes*, 2005, 3: 12. DOI: 10.1186/1477-7525-3-12.
- [35] PINOTTI R. PROQOLID [J]. *J Med Libr Assoc*, 2016, 104 (1) : 91–92. DOI: 10.3163/1536-5050.104.1.022.
- [36] THORNTON A. New resource available: PROQOLID [EB/OL]. (2015-03-04) [2019-03-10]. <https://libguides.mssm.edu/blog/new-resource-available-proqolid>.
- [37] National Institutes of Health. Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS) –announcements [EB/OL]. [2019-4-30]. <https://commonfund.nih.gov/promis/index>.
- [38] Northwestern University. Intro to PROMIS® [EB/OL]. [2019-4-30]. <http://www.healthmeasures.net/>.
- [39] BLACK N, JENKINSON C. How can patients' views of their care enhance quality improvement? [J]. *BMJ (online)*, 2009, 339 (7714) : 202–205. DOI: 10.1136/bmj.b2587.
- [40] Department of Health. Guidance on the routine collection of Patient Reported Outcome Measures (PROMs) for the NHS in England [EB/OL]. (2008-12-08) [2018-07-14]. [http://webarchive.nationalarchives.gov.uk/20130107105354/http://www.dh.gov.uk/prod\\_consum\\_dh/groups/dh\\_digitalassets/@dh/en/documents/digitalasset/dh\\_092625.pdf](http://webarchive.nationalarchives.gov.uk/20130107105354/http://www.dh.gov.uk/prod_consum_dh/groups/dh_digitalassets/@dh/en/documents/digitalasset/dh_092625.pdf).
- [41] SNYDER C F, JENSEN R E, SEGAL J B, et al. Patient-reported outcomes (PROs) : putting the patient perspective in patient-centered outcomes research [J]. *Med Care*, 2013, 51 (8 Suppl 3) : S73–79. DOI: 10.1097/MLR.0b013e31829b1d84.
- [42] LIU G, HOWELL D, PEREZ COSIO A, et al. Creation of On-PROST: the Ontario patient-reported outcomes of symptoms and toxicity applied clinical research unit [J]. *J Clin Oncol*, 2012, 30(34 suppl) : 47. DOI: 10.1200/jco.2012.30.34\_suppl.47.
- [43] HOWELL D, PEREZ COSIO A, LIU G, et al. PHP198 from science to service: the Ontario Patient Reported Outcomes of Symptoms and Toxicity (On-PROST) research unit [J]. *Value Health*, 2012, 15 (7) : A324. DOI: 10.1016/j.jval.2012.08.740.
- [44] SNYDER C F, AARONSON N K, CHOUCAIR A K, et al. Implementing patient-reported outcomes assessment in clinical practice: a review of the options and considerations [J]. *Qual Life Res*, 2012, 21 (8) : 1305–1314. DOI: 10.1007/s11136-011-0054-x.
- [45] ZBROZEK A, HEBERT J, GOGATES G, et al. Validation of electronic systems to collect patient-reported outcome (PRO) data-recommendations for clinical trial teams: report of the ISPOR ePRO systems validation good research practices task force [J]. *Value Health*, 2013, 16 (4) : 480–489. DOI: 10.1016/j.jval.2013.04.002.
- [46] BARTLETT S J, AHMED S. Montreal Accord on Patient-Reported Outcomes (PROs) use series – Paper 1: introduction [J]. *J Clin Epidemiol*, 2017, 89: 114–118. DOI: 10.1016/j.jclinepi.2017.04.012.
- [47] GNANASAKTHY 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. DOI: 10.1016/j.jval.2016.10.006.
- [48] BANSAL D, BHAGAT A, SCHIFANO F, et al. Role of patient-reported outcomes and other efficacy endpoints in the drug approval process in Europe (2008–2012) [J]. *J Epidemiol Glob Health*, 2015, 5 (4) : 385–395. DOI: 10.1016/j.jegh.2015.04.006.
- [49] KLUETZ P G, O'CONNOR D J, SOLTYS K. Incorporating the patient experience into regulatory decision making in the USA, Europe, and Canada [J]. *Lancet Oncol*, 2018, 19 (5) : e267–274. DOI: 10.1016/S1470-2045 (18) 30097-4.
- [50] HAREENDRAN A, ABRAHAM L. Using a treatment satisfaction measure in an early trial to inform the evaluation of a new treatment for benign prostatic hyperplasia [J]. *Value Health*, 2005, 8 (Suppl 1) : S35–40. DOI: 10.1111/j.1524-4733.2005.00074.x.
- [51] UNGER J M, VAIDYA R, GORE J L. Key design and analysis principles for quality of life and patient-reported outcomes in clinical trials [J]. *Urol Oncol*, 2019, 37 (5) : 324–330. DOI: 10.1016/j.urolonc.2018.02.012.
- [52] European Patients' Academy on Therapeutic Innovation. What is EUPATI? [EB/OL]. [2019-03-23]. <https://www.eupati.eu/what-is-eupati/>.
- [53] KYPRIOTAKIS G, VIDRINE D J, FRANCIS L E, et al. The longitudinal relationship between quality of life and survival in advanced stage cancer [J]. *Psychooncology*, 2016, 25 (2) : 225–231. DOI: 10.1002/pon.3846.
- [54] TROTTI A, COLEVAS A D, SETSER A, et al. Patient-reported outcomes and the evolution of adverse event reporting in oncology [J]. *J Clin Oncol*, 2007, 25 (32) : 5121–5127. DOI: 10.1200/jco.2007.12.4784.
- [55] BASCH E. The missing voice of patients in drug-safety reporting [J]. *N Engl J Med*, 2010, 362 (10) : 865–869. DOI: 10.1056/NEJMp0911494.
- [56] FROMME E K, EILERS K M, MORI M, et al. How accurate is clinician reporting of chemotherapy adverse effects? A comparison with patient-reported symptoms from the Quality-of-Life Questionnaire C30 [J]. *J Clin Oncol*, 2004, 22 (17) : 3485–3490. DOI: 10.1200/JCO.2004.03.025.
- [57] DI MAIO M, GALLO C, LEIGHL N B, et al. Symptomatic toxicities experienced during anticancer treatment: agreement between patient and physician reporting in three randomized trials [J]. *J Clin Oncol*, 2015, 33 (8) : 910–915. DOI: 10.1200/JCO.2014.57.9334.
- [58] BASCH E, IASONOS A, MCDONOUGH T, et al. Patient versus clinician symptom reporting using the National Cancer Institute

- Common Terminology Criteria for Adverse Events: results of a questionnaire-based study [J]. *Lancet Oncol*, 2006, 7 (11): 903-909. DOI: 10.1016/S1470-2045 (06) 70910-X.
- [59] BASCH E, JIA X Y, HELLER G, et al. Adverse symptom event reporting by patients vs clinicians: relationships with clinical outcomes [J]. *J Natl Cancer Inst*, 2009, 101 (23): 1624-1632. DOI: 10.1093/jnci/djp386.
- [60] QUINTEN C, MARINGWA J, GOTAY C C, et al. Patient self-reports of symptoms and clinician ratings as predictors of overall cancer survival [J]. *J Natl Cancer Inst*, 2011, 103 (24): 1851-1858. DOI: 10.1093/jnci/djr485.
- [61] ATKINSON T M, LI Y L, COFFEY C W, et al. Reliability of adverse symptom event reporting by clinicians [J]. *Qual Life Res*, 2012, 21 (7): 1159-1164. DOI: 10.1007/s11136-011-0031-4.
- [62] BASCH E M, REEVE B B, MITCHELL S A, et al. Electronic toxicity monitoring and patient-reported outcomes [J]. *Cancer J*, 2011, 17 (4): 231-234. DOI: 10.1097/PPO.0b013e31822e28b3.
- [63] DUECK A C, MENDOZA T R, MITCHELL S A, et al. Validity and reliability of the US national cancer institute's patient-reported outcomes version of the common terminology criteria for adverse events (PRO-CTCAE) [J]. *JAMA Oncol*, 2015, 1 (8): 1051-1059. DOI: 10.1001/jamaoncol.2015.2639.
- [64] KLUETZ P G, CHINGOS D T, BASCH E M, et al. Patient-reported outcomes in cancer clinical trials: measuring symptomatic adverse events with the national cancer institute's patient-reported outcomes version of the common terminology criteria for adverse events (PRO-CTCAE) [J]. *Am Soc Clin Oncol Educ Book*, 2016, 35: 67-73. DOI: 10.1200/EDBK\_159514.
- [65] British Standards Institution. Health care services-quality management systems-requirements based on En Iso 9001: 2008 [EB/OL]. [2019-04-09]. <https://www.galp.at/dateien/EN1522430895.pdf>.
- [66] FROSCHE D L. Patient-reported outcomes as a measure of healthcare quality [J]. *J Gen Intern Med*, 2015, 30 (10): 1383-1384. DOI: 10.1007/s11606-015-3476-2.
- [67] CHAWLA N, URATO M, AMBS A, et al. Unveiling SEER-CAHPS®: a new data resource for quality of care research [J]. *J Gen Intern Med*, 2015, 30 (5): 641-650. DOI: 10.1007/s11606-014-3162-9.
- [68] BASCH E, DEAL A M, DUECK A C, et al. Overall survival results of a trial assessing patient-reported outcomes for symptom monitoring during routine cancer treatment [J]. *JAMA*, 2017, 318 (2): 197-198. DOI: 10.1001/jama.2017.7156.
- [69] HOSTETTER M, KLEIN S. Using patient-reported outcomes to improve health care quality [EB/OL]. [2019-03-20]. <https://www.commonwealthfund.org/publications/newsletter-article/using-patient-reported-outcomes-improve-health-care-quality>.
- [70] DONOVAN J L, HAMDY F C, LANE J A, et al. Patient-reported outcomes after monitoring, surgery, or radiotherapy for prostate cancer [J]. *N Engl J Med*, 2016, 375 (15): 1425-1437. DOI: 10.1056/NEJMoa1606221.
- [71] CRANDALL W, KAPPELMAN M D, COLLETTI R B, et al. Improve Care Now: the development of a pediatric inflammatory bowel disease improvement network [J]. *Inflamm Bowel Dis*, 2011, 17 (1): 450-457. DOI: 10.1002/ibd.21394.
- [72] COOK K F, SCHALET B D. Montreal accord on patient-reported outcomes (PROs) use series-commentary [J]. *J Clin Epidemiol*, 2017, 89: 111-113. DOI: 10.1016/j.jclinepi.2017.04.009.
- [73] 曹阳, 余小萍. PRO量表国内外研究近况 [J]. *中医杂志*, 2014, 55 (8): 710-714. DOI: 10.13288/j.11-2166/r.2014.08.023. <http://www.cnki.com.cn/Article/CJFDTotal-ZZYZ201408028.htm>.
- [74] 张艳宏, 刘保延, 何丽云, 等. 基于中风痉挛性瘫痪患者报告的临床结局评价量表的信度、效度分析 [J]. *中医杂志*, 2008, 49 (8): 698-700.
- [75] 刘宏潇, 姜泉, 刘保延, 等. 基于类风湿关节炎患者报告的临床结局测量量表的初步构建 [J]. *中医杂志*, 2009, 50 (6): 503-506. DOI: 10.3321/j.issn: 1001-1668.2009.06.009.
- [76] 李立志, 董国菊, 王承龙, 等. “基于心血管疾病病人报告的临床疗效评价量表”的研制及统计学分析 [J]. *中西医结合心脑血管病杂志*, 2008, 6 (7): 757-759. DOI: 10.3969/j.issn.1672-1349.2008.07.001.
- [77] 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. DOI: 10.3321/j.issn: 1001-1668.2009.01.012.
- TANG X D, WANG P, LIU B Y, et al. Development and analysis of a Patient Reported Outcome Instrument for Chronic Gastrointestinal Diseases [J]. *Journal of Traditional Chinese Medicine*, 2009, 50 (1): 27-29. DOI: 10.3321/j.issn: 1001-1668.2009.01.012.
- [78] 金香兰, 张允岭, 韩振蕴, 等. 关于引入 PRO 理念评价中医药治疗轻度痴呆疗效的思考 [J]. *天津中医药*, 2008, 25 (1): 29-31.
- JIN X L, ZHANG Y L, HAN Z Y, et al. Evaluation of therapeutic effect of mild dementia with introduction of patient reported outcome method [J]. *Tianjin Journal of Traditional Chinese Medicine*, 2008, 25 (1): 29-31.
- [79] 刘保延. 中医临床疗效评价研究的现状与展望 [J]. *中国科学基金*, 2010, 24 (5): 268-274. DOI: 10.16262/j.cnki.1000-8217.2010.05.012.
- LIU B Y. Present situation and prospect of the study on clinical effectiveness evaluation of tcm [J]. *Bulletin of National Natural Science Foundation of China*, 2010, 24 (5): 268-274. DOI: 10.16262/j.cnki.1000-8217.2010.05.012.
- [80] 何磊. 量表在中医健康评价研究中的应用分析 [D]. 北京: 北京中医药大学, 2018.
- HE L. Application analysis of scale in health evaluation of traditional Chinese medicine [D]. Beijing: Beijing University of Chinese Medicine, 2018.
- [81] BARTLETT S J, WITTER J, CELLA D, et al. Montreal Accord on Patient-Reported Outcomes (PROs) use series-paper 6: creating national initiatives to support development and use-the PROMIS example [J]. *J Clin Epidemiol*, 2017, 89: 148-153. DOI: 10.1016/j.jclinepi.2017.04.015.

(收稿日期: 2019-09-13; 修回日期: 2019-11-08)

(本文编辑: 陈素芳)