

PRECIS-2：实用性RCT，“P”也不是说有就有的

作者：李楠，赵一鸣 来源：临床流行病学和循证医学

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/statistics/1671.html>

本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

一、两大神开天辟地，众小弟一脸迷茫

说到实用性临床试验(PRCT)还要感谢Schwartz和Lellouch两位大神的恩赐。这两位大神早在1976年就指出，RCT应该分为解释性RCT(ERCT)和实用性RCT(PRCT)。ERCT更精致，旨在创造一个理想化的条件，精确的找到效应是否存在及大小如何;PRCT则是一个实用主义者，更在乎研究的外推性，专注于在更接近真实应用的情况下完成RCT，使其更有实际应用的借鉴价值。

两位大神的这两个“儿子”在而立之年还都籍籍无名，但忽如一夜春风来，真实世界(RealWorld)喊得嗨。借着RWS这股东风，俩儿子中年成名，一鸣惊人。就连临床研究方法学的著名期刊Journal of Clinical Epidemiology也不惜放下身段，在2009年拿出Original Article的位置来，重新刊登了Schwartz和Lellouch两位老哥儿1976年的原文。

不过问题来了，虽然历经30多年，RCT从此正式有丝分裂为ERCT和PRCT，但是玩儿转唯物主义辩证法的我们从根子上就会质疑这种“二元论”的合理性。毕竟任何非黑即白的说法都会造成应用层面的割裂，至少很多RCT再被重新分类的时候会让我们精神分裂。毕竟，到底一个RCT有多“实用”，这很难简单的变成“实用”和“不实用”两个答案。

二元论



果然很2

临床流行病学和循证医学

二、众仙修神器，攻克乃还

不过当我们翻一翻2009年重发神文的JCE杂志，不难发现其实此时发文也是有深意的。因为就在同一期杂志上，一个跨过的研究团队就给出了打破这一二元论困局的解决方案，这就是我们今天的主角的前身，PRECIS——pragmatic-explanatory continuum indicator summary。



Journal of Clinical Epidemiology 62 (2009) 464–475

Journal of
Clinical
Epidemiology

ORIGINAL ARTICLE

A pragmatic—explanatory continuum indicator summary (PRECIS): a tool to help trial designers

Kevin E. Thorpe^{a,*}, Merrick Zwarenstein^b, Andrew D. Oxman^c, Shaun Treweek^d,
Curt D. Furberg^c, Douglas G. Altman^f, Sean Tunis^g, Eduardo Berger^h, Jan Harveyⁱ,
David J. Magid^j, Kalipso Chalkidou^k

临床流行病学和循证医学

2009年版的PRECIS认为，所谓的ERCT和PRCT不应该是二元的这么简单，而是一个相对连续的状态。所有的RCT其实都应该在ERCT和PRCT及其中间的某一个位置上。所以我们无论是设计一个研究，还是解读一个研究，都不能简单的把研究归到某一个极端情况，而是应该充分评价研究本身在“各个维度”上到底趋近于哪一端?从而对研究本身有个更为真实的认识。因此国际大牛们商量一圈，提出了由下面10个维度组成的PRECIS。

维度	极端的P-Trail	极端的E-Trail
研究对象		
对象入选标准	纳入所有具有适应症的患者，不考虑预期风险、应答情况、共病、既往依从性	应用了以下条目的作为入排：a、排除不良结局高风险的对象；b、在此之上，进一步限制在预期反应良好的人群内；c、在上述基础上选择依从性较好的对象
干预措施和技术水平		
试验干预措施的灵活性	高度灵活的干预说明。在决定如何实施干预上，给操作者相当大的决策余地。	不可改变的试验干预措施，对每个要点都进行严格的把控
试验干预措施实施者的技术水平	由各类研究者在各种临床条件下实施干预措施，不考虑实施者的专业技能，仅对可选剂量、不良反应进行一般的关注	干预措施的实施仅有经验丰富的研究者（高成功率、低并发症率），在特定的条件下（健保系统和提供者具有丰富的管理特定患者的经验）实施。干预过程被密切监测，使其“剂量”得到优化、不良反应得以治疗，且对于其他疾病也同时给予治疗。
对照干预	“常规治疗”或最优的其他可选治疗策略，给实施者充分的余地去决定如何给予对照干预。	对照干预没有弹性，可能使用安慰剂而不是最优的可选治疗策略或竞争策略
对照干预实施者的技术水平	由各类研究者在各种临床条件下实施干预措施，不考虑实施者的专业技能，仅对培训、经验、表现进行一般的关注	对照干预实施者的技术水平经过特定标准限定，从而将实验干预可能具有的竞争获益的检出机会最大化
随访和结局		
随访密度	对研究个体没有正式的随访节点。作为替代，应从管理数据库（如死亡登记）中检索并发现结局。	研究个体被频繁的随访，在未考虑发生了任何事件的情况下，常规工作中更多的额外数据被收集和记录。
首要试验结局	首要结局是研究对象身上发生的客观的、具有临床意义的结局。结局不应依赖于特别的观测方法，应是在常规条件下可接受的方法：如，需要特别的检验或处理。	结局是干预措施已知的直接且短期发生的事件。结局通常具有临床意义，但有时（比如早期探索剂量的试验）会使用关心的后续结局的替代指标。也许会需要其他在判断/裁定结局状态是所不常用的特殊的处理或检测方法。
依从性		
研究对象依从预定的干预措施	隐秘的评价或不评价依从性，无特别的措施用于维持对象依从或提高依从性。	密切监测研究对象对于干预措施的依从性，这可能是研究起步的必备环节。将会通过预防性策略和补救策略来保持高依从性。
实施者依从与研究方案	隐秘的评价或不评价实施者依从性，无特别的措施用于维持或提高依从性。	密切监控参研医生和中心对于试验细节和实施细则的依从性如何。
分析		
首要结局的分析	分析包含了全部患者，不考虑依从性、合适与否或其他信息（ITT分析）。总之，分析的目的是看治疗是否在一般情况下（存在各种噪声）都有效。	通常使用ITT分析：同时加以PP分析进行补充，或仅限于“依从这”或是其他亚组，从而估计可能带来的最大疗效。分析用于回答很窄的“机制”问题（可能是生物学、教育、组织）。

这10个维度可以投影在这样一个雷达图中：

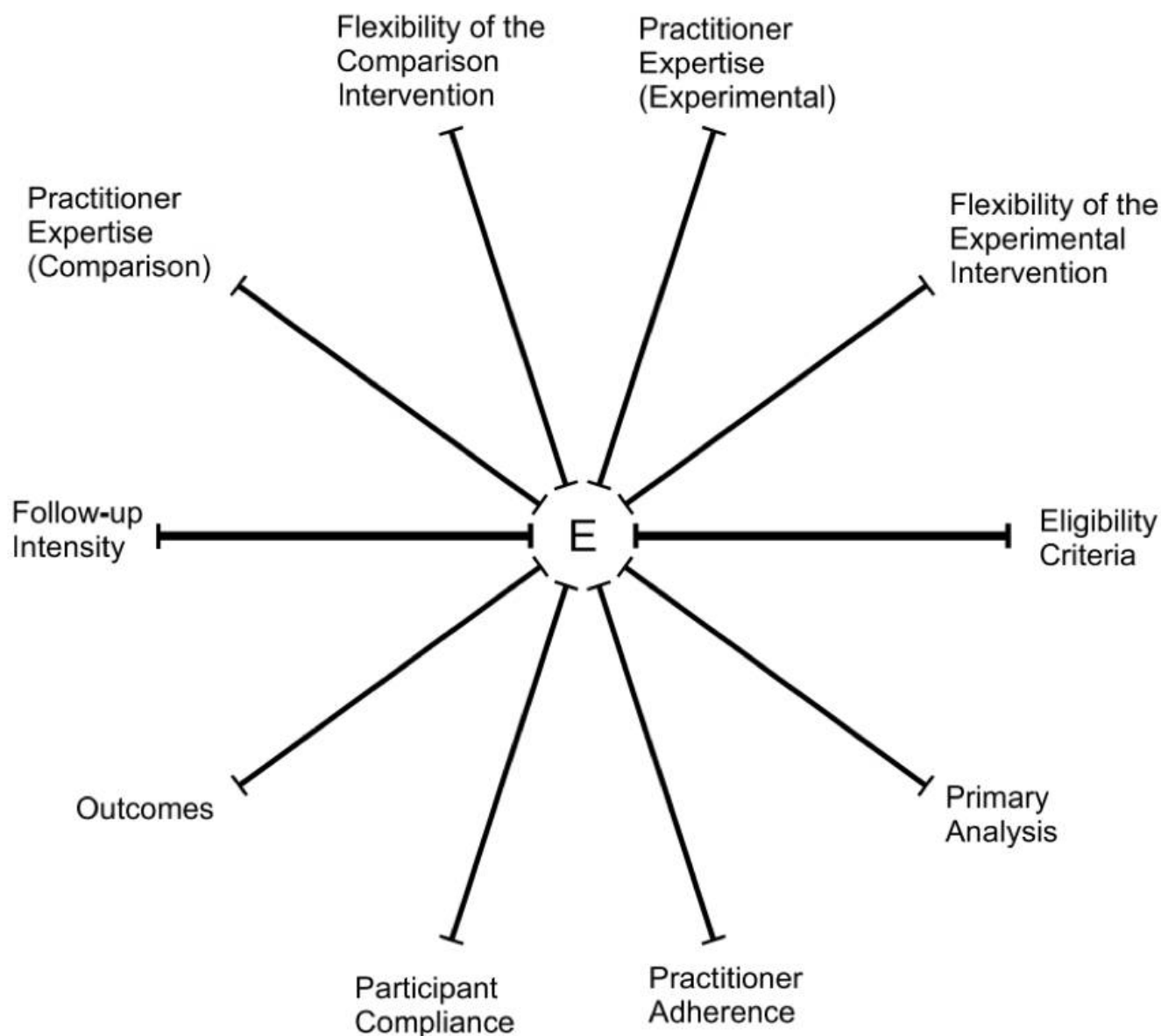
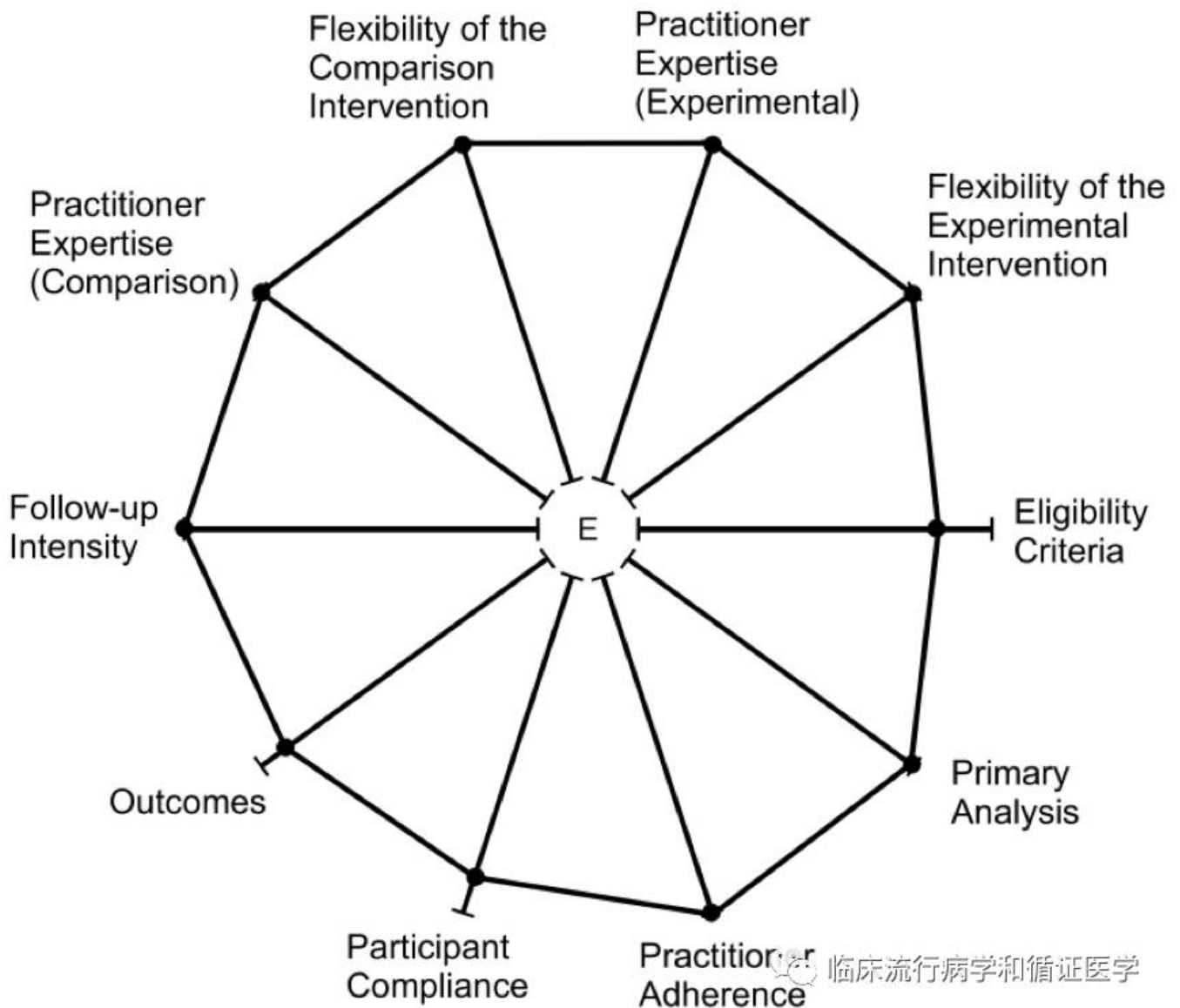


Fig. 1. The blank pragmatic-explanatory continuum indicator summary

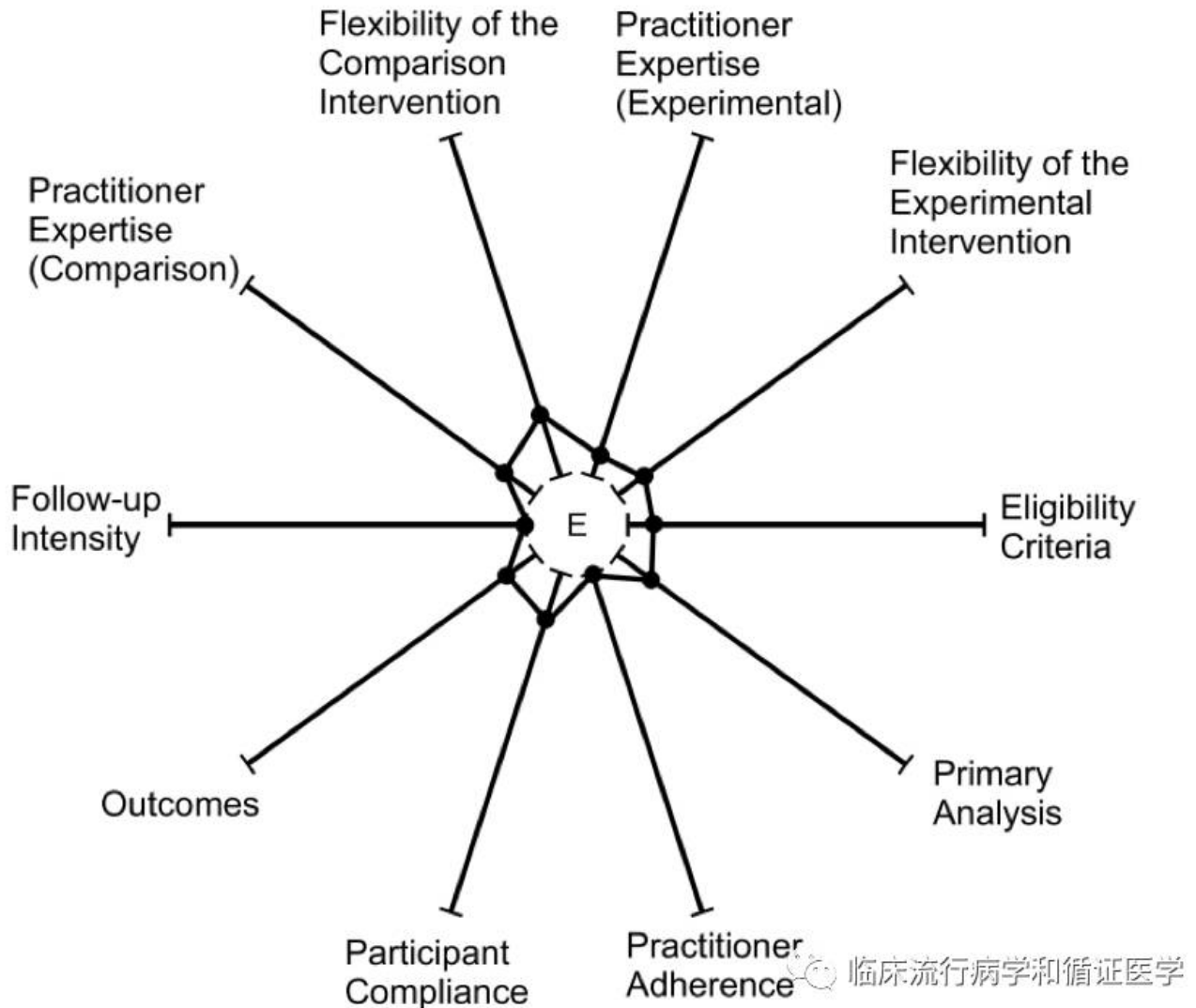
如果把单个研究的这10个维度都进行了评价，并且描绘出他们在ERCT端和PRCT端之间的位置，就能充分的展示出一个研究到底有多接近“P”或是“E”。连起来的图看起来大致是这个样子的：

PRECIS summary of a randomized controlled trial of self-supervised and directly observed treatment of tuberculosis (DOT) [9]



上图是个很接近PCT的研究。

PRECIS summary of the North American Symptomatic Carotid Endarterectomy Trial (NASCET) of carotid endarterectomy for symptomatic patients with high-grade carotid stenosis [10]



上面这个图是很接近ERCT端的研究。

三、神器也有Bug，一个补丁打5年

PRECIS神器一出，立马让人对RCT有了全新的认识，也为我们如何采信RCT的结果提供了一个额外的参考维度。但是问题来了，当我们用PRECIS进行评价的时候，每个维度的“小钉钉”应该扎在哪里呢？估计也只能凭感觉了。对于研究的设计者还好说，毕竟他们还没把研究做出来，眼前无研究、只在心中存，我们跟着感觉走，大致画一画也能用了。

当我们用来解读他人研究的时候问题就来了，从文章中能够获得的信息量总是有限的，我们怎么才能脑补出PI当初的内心戏，这才是难点啊。

Tjarco Koppenaal等人对此深感郁闷，所以无奈之下在2011年(才用了两年啊哥)提出，当我们用PRECIS进行评价的时候，需要对其进行修订：给他加上刻度吧!!!专门用来评价他人研究的版本应运而出：PRECIS-Review tool(PR-tool)。

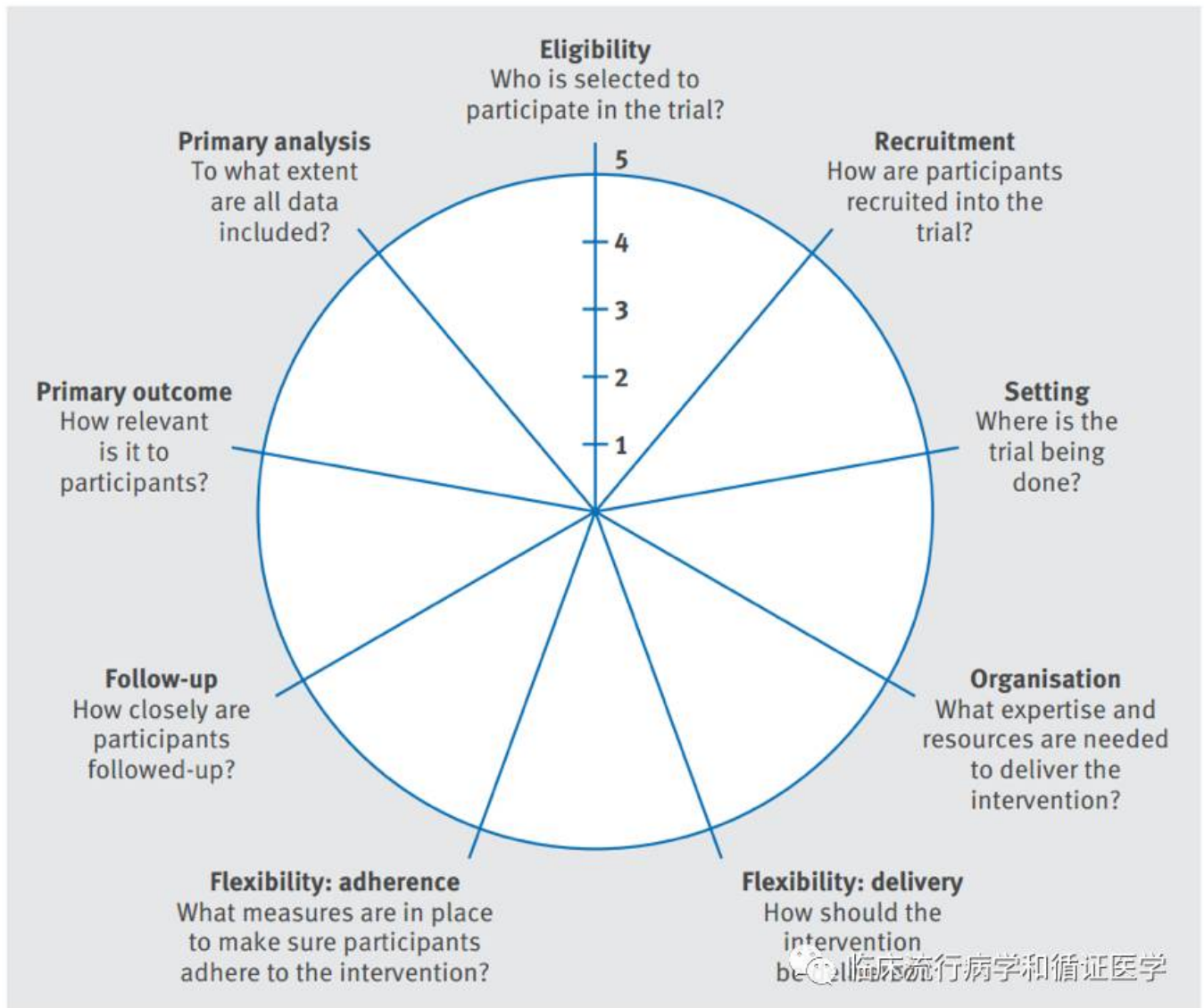
但是PRECIS的宏图大志终究不仅限于评价，因此2013年PRECIS团队正式组建了“二代神器修炼团”，预计在2014年拿出升级换代版神器PRECIS-2。日历划过了2014年，二代神器没有出现。当日历来到2015年的时候，PRECIS-2终于姗姗出现在BMJ上。

四、神器再临+节目预告

新的PRECIS-2不在沿用前一版中的10个维度，而是重新整合为9个维度，按照BMJ上的发布所说，PRECIS-2做了如下修订：

- 各维度分为1-5分
- 入选标准被放入图中
- 各维度在图中依据推断的逻辑顺序顺时针排布
- 实施者的入排被拆分入“入选”和“研究条件”两个维度
- 加入了“排除”和“组织”维度
- 维度更名：
 - “研究者依从性” “灵活性：给予干预”
 - “对象依从性” “灵活性：依从性”
 - “随访密度” “随访”
 - “结局” “首要结局”
- 删除了对照措施的维度“实施者技术水平”和“对照干预灵活性”
- 图形上的维度名称下加上了简短的说明
- 改进了PRECIS-2的使用指南

新的图形也变得更为简洁易懂：



当然，如果您关心PRECIS-2更为详细的知识，或是想尝试应用PRECIS-2。小编建议您访问他的官方网站<http://www.precis-2.org/>



PRECIS-2

Designing clinical trials is challenging. PRECIS – PRagmatic EXplanatory Continuum Indicator Summary – is a clever acronym for a tool to help trialists designing clinical trials consider where they would like their trial to be on the pragmatic/explanatory continuum.

不过需要注意的是：

- 1、更详细的信息以及使用网站的PRECIS-2工具需要先申请账号;
- 2、申请账号得等上几天才能被人工授权(小编等了3天)。

所以如果真的感兴趣，不如现在先动起手来吧。

更多 统计方法 请访问 <https://www.iikx.com/news/statistics/>

本文版权归原作者所有，请勿用于商业用途，[爱科学iikx.com](https://www.iikx.com)转发