
单组目标值法简介

作者：褚红玲 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/1865.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！

概念

单组目标值法

是指从大量历史数据库(如文献资料或历史记录)的数据中得到的一系列可被广泛认可的性能标准，这些标准可以作为说明某类临床干预措施的安全性或有效性的替代指标或临床终点。进而通过与这些性能标准的比较，分析验证临床干预措施的有效性。

为什么要使用单组目标值法?

大家都知道，随机对照临床试验研究在临床有效性的验证中占有最为重要的地位。但是，在临床研究中，并非所有的临床情况都能满足实施随机对照临床试验研究的应用条件。例如，对照组的处理不能做到盲法，受试者不愿接受对照组处理，在随机分组后因依从差而退出试验等。在这种情况下，目标值法(objective performance criteria，OPC)成为了一种颇具实际意义的研究方法。

尤其是在医疗器械的临床试验中，因为所评价的医疗器械不能进行盲法操作，临床试验往往为开放性研究，受试者或研究者有时不能依从随机化分组方案。另外，大多情况下评价的医疗器械(仪器)本质没有发生太多的改变，仅对外形设计、材质表面等少许改进或仅仅是进行仿制，或在某些类型医疗器械研究之前，已有同类上市产品的大量的临床试验数据，或审评机构已制定此类产品的某些有效性和安全性指标的标准。鉴于医疗器械临床试验的特殊性，近年来，非随机对照设计越来越受到重视，其中，目标值法在医疗器械非随机对照临床试验中应用特别多。在某些情况下，目标值法同样可以保证临床试验的科学性和可靠性。在美国FDA对医疗器械审评中，目标值法在某些医疗器械临床试验中的应用已被认可，并将其作为RCT不适合时的替代方法之一。

根据目标值法进行临床试验的步骤

- (1)根据专业知识确定本医疗器械的有效性和/或安全性指标，这些指标可充分反映其有效性和安全性;
- (2)根据历史数据(或审评机构)确定这些指标的目标值;
- (3)根据目标值确定该临床试验所需受试者人数;
- (4)将所有受试者均接受该医疗器械的治疗(或检查)，观察其有效性和安全性指标;

(5)最后，估计出点估计值与单侧可信区间(一般为95%单侧可信区间)，然后与目标值进行比较，得出结论。

目标值怎么确定?

通常目标值由靶值(target)和单侧可信区间界限(通常为95%单侧可信区间界限)组成，其中，单侧可信区间界限最为重要。目标值应具有充分的公认性，能够准确代表现有的可接受的治疗水准。在很多研究领域，已经存在着本领域被公认的主要疗效/安全性评价指标及其评价标准，则可以此评价标准作为目标值。必要时目标值的获取也可以通过meta分析，由各方面专家组成的研究小组共同讨论决定，并且需要通过相关官方审评机构的认可。在统计分析过程中，将首先估计主要终点指标的点估计值和单侧可信区间界限值，并将其与相应目标值进行比较。一般要求点估计值及其单侧可信区间界限均分别达到相应的目标值要求。通常更侧重单侧可信区间界限间的比较，如果单侧可信区间界限不低于(或不高于)预设的单侧可信区间界限，即可认为干预措施的有效性(或安全性)达标。

单组目标值法的局限性

单组目标值法拥有所有历史对照的不足：无法采用盲法和随机控制研究偏倚，如人口学特征、诊断标准、诊疗技术、疾病分期、疾病严重程度、观察条件，还可能包括很重重要但未被认知的、或无法测量的预后因素等。

组间不可比，即使是复杂的统计分析技术也无法消除偏性。

美国FDA对于目标值法应用的最低要求

被试产品拥有大量的临床应用历史及经验，无明显安全性或有效性问题;

对疾病的自然史和病情有相当多的了解;

患者人群可以被很好的定义或相对稳定;

获得FDA、工业界、临床领域、学术界和患者群体的共识;

显著的阳性与其治疗效果。

最后提醒，单目标值法是在实在没有其他更好的办法时使用。使用套路深，决定需谨慎啊!

参考文献：

[1] 吕德良等, 目标值法在医疗器械非随机对照临床试验中的应用. 中国卫生统计, 2009(03): 第258-260+263页.

[2] 李雪迎, 临床验证中的单组目标值法. 中国介入心脏病学杂志, 2015(07): 第393页.

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](http://www.iikx.com)转发