如何选择终点评价指标？

作者：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/1931.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！

终点评价指标
是临床研究指标体系的重要组成部分。我们说临床研究以临床问题和科学问题为导向，合理的终点评价指标决定了研究能否回答研究者提出的临床问题和科学问题。

首先，**终点评价指标应有明确的临床意义**
。如急性心梗患者能否救活，在多少病例中死了几例，病死率是多少，就是重要的重点评价指标。病死率高说明治疗水平不高，病死率低说明治疗水平高，临床意义非常明确。有些研究将中间评价指标作为终点评价指标，就存在临床意义不明确的问题。如有的研究将体内激素水平作为终点评价指标，通过研究观察到组间激素水平确实有差异，但激素水平的差异究竟与什么临床问题相关，有何临床意义，对于临床工作中的哪一点有指导价值……?结果的临床意义解读很困难，原因是激素水平是中间评价指标，没有到终点。原则上终点评价指标最好选择那些直接反映患者的实质性健康状况，临床意义明确的指标。

其次，
终点评价指标选择学术界公认的规范的成熟的
指标
。在上面的案例中死亡/存活就是学术界最早使用的终点评价指标，被认为是硬终点。死亡是疾病发展到最后的最差结局，而且判断起来相对容易，从临床记录或其它途径(如户籍管理)可以得到相关信息，许多理由决定了死亡是第一个可以考虑的终点评价指标。其次，疾病的复发、转移对某些疾病是非常重要的指标。如白血病复发有明确的定义，学术界公认，拿过来直接使用就是很好的终点评价指标。某些指标看上去很软，但学术界公认仍可使用。如抑郁症的诊断使用国际学术界公认的量表，填个表，打个分，评估一下就能诊断。许多学者对这样的做法有异议，但在没有更好的诊断方法出来之前，研究中选用用目前的量表诊断是合适的。

第三，**当评价终点有合理的原因和依据时可以前移**
。高血压、糖尿病、高脂血症等慢性病的治疗效果好不好与患者的治疗依从性有关，依从规范治疗效果好，不依从效果不好。研究治疗依从性问题的终点评价指标可以选用依从率，如服药依从率。在这种案例中已知依从治疗效果好，终点可以从疗效前移至依从，这在学术上被普遍认可，另一个案例是颈动脉内中膜结构与功能，在过去一段时间内在许多研究中作为终点评价指标使用。颈动脉内中膜结构与功能的改变并不能诊断疾病，是中间评价指标，为什么在研究中大量使用并被学术界认可?原因是许多研究要观察到脑梗、心梗等硬终点，需要等待很长时间，研究周期太长，因而选择了与脑梗、心梗等硬终点密切相关的颈动脉内中膜结构与功能作为替代性终点评价指标。这种做法有一定的合理性和良好的可行性，在没有更好办法的情况下在研究中应用。需要注意的是，在这个案例中终点评价指标的替代方案并不是完美的，是有缺陷的，是不得已而为

之的做法，最后还是要落实到硬终点。

第四，**终点评价指标应与研究的产出对接**。在选题凝练临床问题和科学问题的过程中，研究者已经在考虑终点评价指标了，尤其是主要终点评价指标。如某种药物治疗某一疾病的研究，通常要考虑疗效和安全性，多数研究以疗效为主。选题时不可避免会考虑用什么指标反映疗效得到的结果有明确的临床意义，能够得到学术界认可。从产出反推终点评价指标选择是否合理可以作为一种手段，保证研究结果有实际意义，总结的规律能够得到学术界认可，所写的论文能够发表。

终点评价指标的选择和设计需要考虑许多问题，限于文章篇幅，在这里仅介绍讨论了指标的选择问题，其它问题我们在以后的文章中再组织介绍讨论。

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转发