
SCI文章中Efficacy、Effectiveness和Efficiency的区别

作者：褚红玲 来源：临床流行病学和循证医学

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/statistics/2103.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！

我们在看SCI文章的时候可能会常常看到efficacy、effectiveness和efficiency三个词，乍一看，貌似都是效果，那么真实面目是什么呢？请看下面分解。

Efficacy，一般被翻译为效力，是干预措施在理想条件下所能达到的治疗作用的大小，是干预措施的最大期望效果。对药物治疗来说，Efficacy是一个药物自身的一般特征，内部有效性(真实性)比较高。

我们一般通过解释性试验评价某种干预措施的Efficacy，以便将研究的偏倚和混杂控制在最小范围。而各种临床治疗指南多数就是由解释性试验(以随机对照试验为主)的结果决定首选的治疗方案。所以，医生在临床应用时有时会觉得治疗指南和现实的治疗结果看起来不太一样。因为现实治疗中大多数患者可能并不符合这种干预措施进行临床试验时的筛选要求，比如可能年龄太大或者太小，同时患有多种疾病，服用多种药物，而被排除在临床试验之外。

Effectiveness，是在实际医疗卫生条件下干预措施所能达到的治疗作用的大小，简称为效果或疗效。

和efficacy不同，在真实条件下，患者群体、药物的剂量、使用的频率等都是临床随机试验研究中不可能完全涵盖的，因此，其内部真实性不如解释性试验得出的efficacy，但是外推效果会比较好。

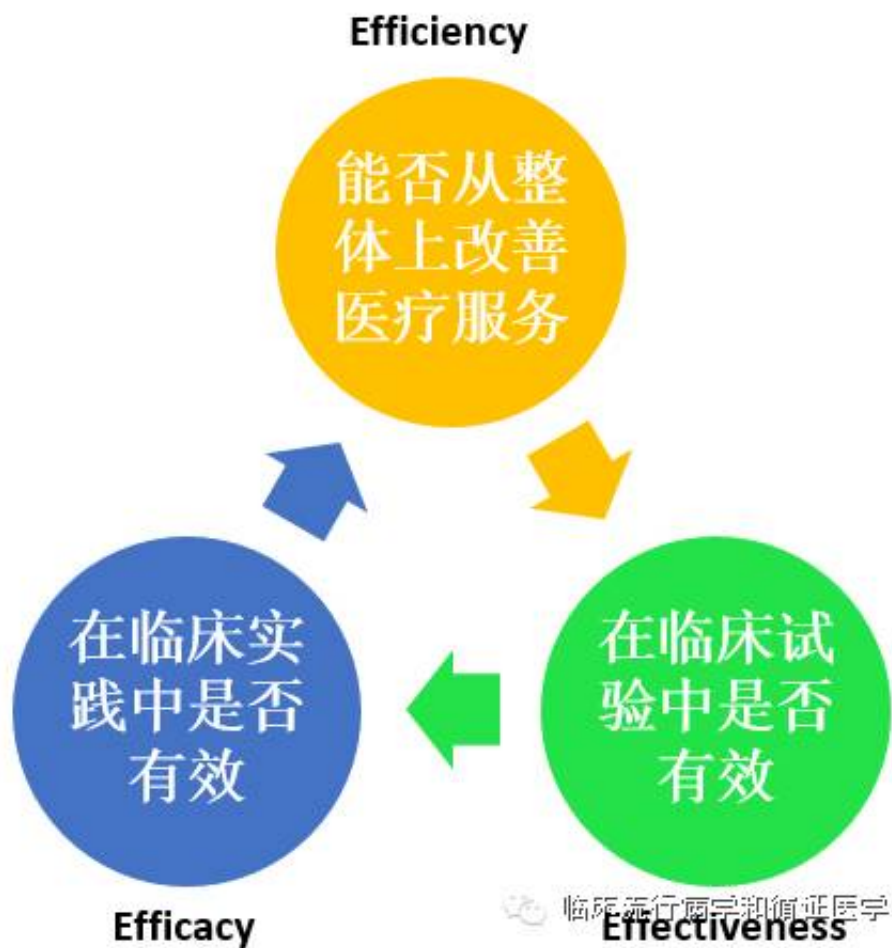
我们一般通过实用性临床试验来评估Effectiveness，即选择两种待比较的临床干预措施，采用宽泛的入选标准，以保证结论能够最大程度的外推。一般有多种结局，包括功能状态和医疗服务利用情况，使研究在实际临床实践条件下进行，尽可能少的干预常规治疗。

目前，越来越多的研究（SCI文章）干预措施Effectiveness的研究类型在迅速发展，如真实世界研究(realworld research)、注册研究、比较效果研究等。

另外，还有一个概念----Efficiency，一般翻译为效益。Efficiency取决于一种药物的价值是否与个人或社会支付的费用相当。循证医学中最有效的治疗未必是最划算的治疗，也可能是患者难以承受的治疗。因此既有良好的临床有效性(effectiveness)又能符合好的成本效益(efficiency)的研究将使更多患者受益。所以，Efficiency常常被用于卫生经济学评价。

如果按照药物临床试验的四期来比较划分，那么I、II、III期一般是用于评价药物的Efficacy。IV期一般评价药物的Effectiveness和Efficiency。当然，Efficiency可能更多由宏观的数据进行评价，

以供卫生政策决策使用。让我们看看图会更清楚一些。



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