
通过实例来认识实用性随机-对照试验（PCT）

作者：曾琳，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/2725.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！

通过实例来认识实用性随机-对照试验（PCT）。上次文章和大家分享过实用性随机-对照试验(pragmatic clinical trials,PCTs)的特点，PCT研究极大提高了原来RCT的外部真实性，改善了研究结果的外推性。且由于PCT的研究目标更关注干预措施的效果(effectiveness)，因此，常用于卫生医疗政策研究的课题中。下面我们通过一个实际例子来进一步认识PCT。

在 pubmed上检索，得到了较新的一篇PCT论文是2015年12月22日epub在BMC Family Practice上的Effects of a lifestyle program in subjects with Impaired Fasting Glucose, a pragmatic cluster-randomized controlled trial. 这是一篇旨在了解健康指导干预措施对空腹血糖受损者的可行性和效果的研究。抛开其研究意义和研究结果，我们来看它的研究设计。在这个研究中，随机的方式是cluster-randomized即群组随机，也就是随机单位不是个体而是一个小群体，在这项研究中随机的单位是primary care practices，是以医疗服务机构作为随机的基本单位，一共纳入了26个primary care practices(包含43名全科医师)，其中12个机构被随机分配到干预组，14个分到常规组，后又有4个primary care practices从研究中退出，其中1个属于干预组，3个属于常规组。可见在PCT中随机分组方案比较灵活，随机分组单位不一定是患者个体，可以是按患者个人进行随机也可以是群组随机。

这项研究中试验组将接受一年期的干预，包括4-5次面对面个体健康咨询，第二年接受的是常规卫生服务;而对照组则两年均接受常规卫生服务。通常PCT研究要解决的问题是干预措施在常规环境中是否能起作用，因此其干预往往是一个package，是一整套的干预方案，而不是解释性RCT中的单独使用某个药物或医疗器械。

在这项研究的实施中，不管是给予卫生咨询和指导的医师还是研究的受试者，甚至效果的评价者均未使用盲法。可见在PCT研究中，由于的实施难度较大，所以并不太强调盲法的使用，而且在这项研究中首要终点是BMI的变化量，这个outcome相对比较客观，对于实施者、受试者及评价者即便有倾向性也不会对结果造成很大影响。而对于结局指标的选择，在解释性RCT中通常要求选择生理或病理生理指标，而在PCT中则常常选择多重结局，常有首要终点和次要终点，在这个研究中首要终点是BMI而次要终点很多包括：体重、腰围、报告的体育活动次数等等。

在这项研究的统计分析中研究者采用的是ITT(intention – to – treat)原则。一般认为PCT必须做意向性治疗分析，以保障研究结果的真实性。PCT并不强调所有受试者按照分配方案完成试验，而将依从性评价做为一个结局进行分析，依从性差提示该治疗在真实临床中不可行。比如这项研究的目标之一是要探讨试验组的干预措施的可行性(feasibility)，因此，在实施中允许患者不依从研究分组的干预方案，收集其依从性数据应是该研究的一项重要内容。

通过这项研究我们了解到了PCT对研究设计的要求不像RCT般严格，其目标和真实世界临床研究

相近，尽量模拟常规医疗环境，其随机单位可以是患者个体也可以是群组，在分析过程中应采用ITT原则，除了干预效果外，常常还关于干预方案的实用性和可行性，通常用于比较和研究医疗干预方案的实施效果，为政策决策提供证据和建议。

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