随机对照临床试验(RCT)也能有好的外部真实性——实用性试验(PCTs)

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/2729.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！

随机对照临床试验(RCT)
也能有好的外部真实性——实用性试验(PCTs)。随机对照临床试验(RCT)其外部真实性最受临床医生诟病。可以想象，在常规的RCT设计中由于其严格的入选排除标准，导致进入临床试验的患者都比较年轻、更少合并症，甚至病情比较轻;此外，由于RCT研究中对研究流程要求比较严格，研究中合并用药等均有明确的限制和规定，和临床中的实际患者还是有较大差距。因此临床医生常会发现RCT研究中得到的研究结果在临床实践中难以重现。这就是所谓外部真实性的问题。外部真实性即普遍性，是研究结果与推论对象真实情况的符合程度，回答研究结果能否推广到广义的患者群体。

这样我们就有疑问了，RCT研究以其严格的设计著称，其内部真实性、科学性都很好。我们如何才能提高RCT研究的外部真实性，以达到既能准确的回答研究问题，又能把研究结果外推到广大患者群体的目的呢?法国统计学家Schwartz 与Lellouch提出临床试验应分为两类，一类是我们常说的RCT即解释性试验，另一类是实用性试验(pragmatic clinical trials, PCTs)。其中，解释性试验是在理想条件下、精确定义干预措施、严格筛选受试者的临床试验，用于确证干预的生物学效应(efficacy);而实用性试验则可纳入多样化受试者、多个医院、可进行多种措施比较、可观察多结局，常用于评估干预措施现实条件下的效果(effectiveness)。

由于PCT研究对象的纳入标准更为宽泛，且研究过程不那么严格，对合并用药等要求相对宽松，因此，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。

那么PCT研究都有哪些特点呢?

首先，在PCT研究中可以设计多个干预组，同时比较多种干预措施的优劣。其次，对照组常为标准或常规临床治疗方案，而不是安慰剂。再者，研究对象允许存在异质性，即常规可能接受该干预的人群(根据适应症)。第四，在研究中通常不设盲，如果应用盲法则常为评价者盲。第五，结局指标往往选择反映整体健康、与实际生活密切相关的指标，常有卫生经济学评价指标。

看到上面这些PCT研究的特点，是不是觉得实用性临床试验比我们常说的RCT研究“平易近人”很多呢?如果大家对这个研究设计感兴趣，不妨给我们留言，我们会继续分享研究实例和研究设计的注意事项哦。

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