
临床研究方法中的比较效果研究、实效研究和真实世界研究是什么？

作者：陶立元 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/6143.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！

近些年来，在临床研究方法的领域出现了一些新词，如Comparative Effectiveness Research（比较效果研究）、Outcome Research（实效研究）和Real-world Research（真实世界研究）等。他们都是什么意思，在何种情况下提出的，又有什么用呢？下面我们就跟大家一起来认识一下他们吧。

Comparative Effectiveness Research

Comparative Effectiveness

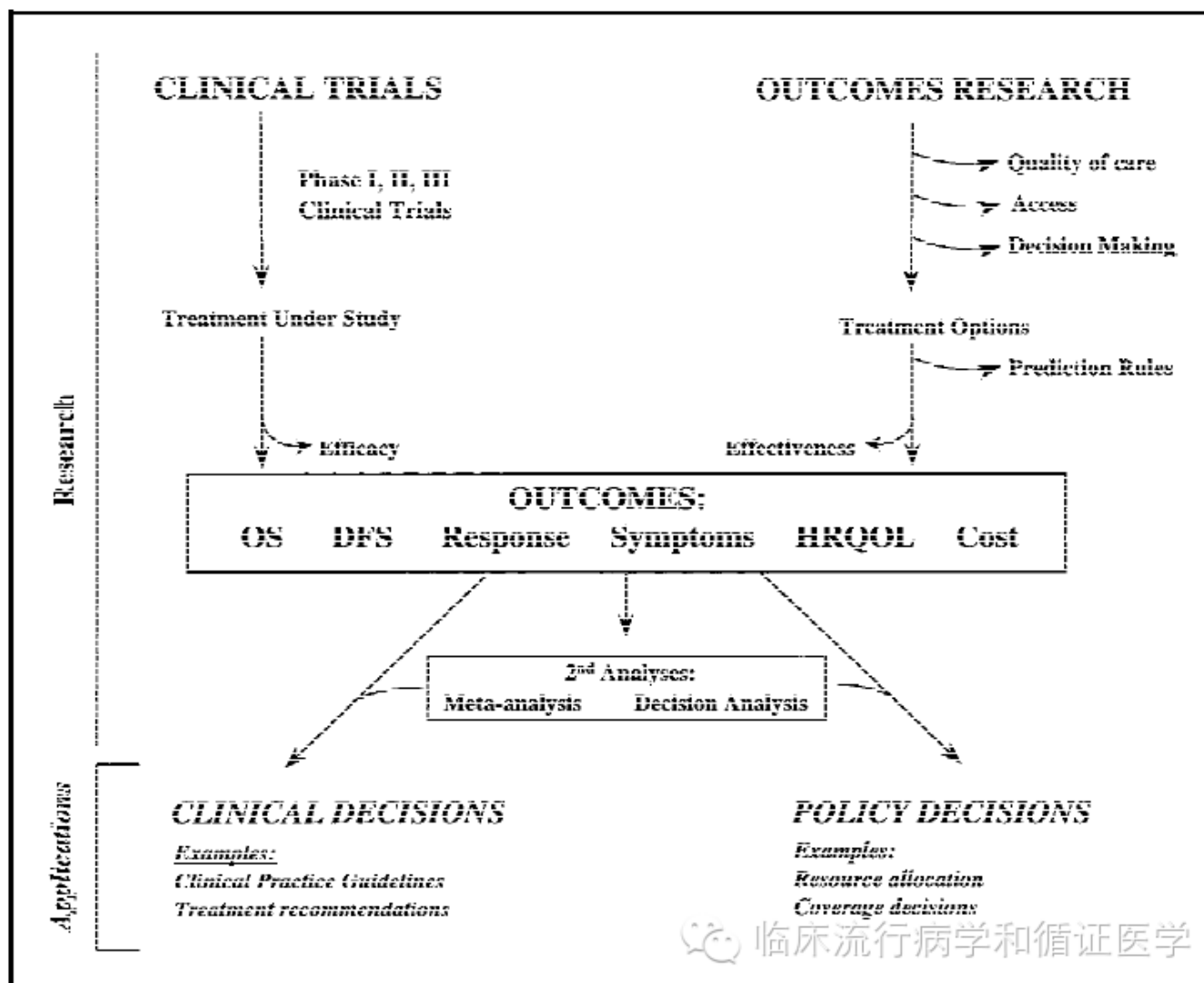
Research(CER)翻译成中文叫“比较效果研究”

，一看中文是不是觉得欢乐。比较效果？大部分临床研究都是在比较效果啊，它又有什么特别的吗？来看一下Amy Price等人[1]在其文中给出的定义：通过比较获益与风险，为医疗活动中预防、诊断、治疗和监测某一问题产生和综合证据。CER的目的是帮助患者、临床大夫、支付方(医保部门)和政策制定者选择合适的诊疗措施去同时提高群体层面和个体层面的医疗卫生服务水平。

CER就是去产出针对不同人群的医疗服务报告/论文，有给病人看的，也有给大夫看的，也有给医保部门看的，等等。那么CER都有哪些研究设计形式呢？理论上CER研究设计形式是不限的，可以包括系统综述/Meta分析、横断面研究、病例对照研究、队列研究和RCT等等形式。CER的主要特点是其研究的结局是“比较效果”，并给出有实际指导价值的方案供参考，往往是大规模的临床研究。

Outcome research

Outcome research中文翻译为“实效研究”，那么什么是实效研究呢？Stephanie J. Lee等人[2]在其论文中说：极端地看，所有的结果都是outcome，如此一来所有的研究都是outcome research。这肯定不合适，那么如果区别实效研究与临床试验呢？现在比较流行的观点是看研究观察的是效果(effectiveness)还是效力(efficacy)，是效果就是实效研究，是效力就是临床试验。所谓的“效果”就是指在临床实践中开展的研究，研究对象是异质性较大的群体，观察指标是相对长期的指标；而效力是指在临床试验下开展的研究，研究对象是异质性较小的群体，观察指标是短期指标或生物标志等。



但是效果与效力有时候又是存在共性的，如下图：

当结果指标都是总体存活率(OS)时，如果是在一项 期药物临床试验观察OS则是效力，而在一项基于社区的队列研究中则是效果。同时实效研究或临床试验均可以产出临床决策和政策决策。Stephanie J. Lee等人也给实效研究下了一个相对宽泛的定义：实效研究是指在临床研究中针对健康状况、生存质量以及效果的研究，同时又不是看中效力的药物临床试验和动物实验。如此一来实效研究就自然包括了除药物临床试验和动物实验以外的所有研究形式。

Real-world research

Real-world

research中文为“真实世界研究”

”，它指该研究是在“真实世界”里开展进行的，也就是说没有在研究对象的入选和临床药物的治疗等方面进行严格的限定，它的研究环境更加贴近于临床实际，这也就使得它的研究结果能够更好地运用于临床实际。真实世界研究不仅仅包括实用性临床研究，它也包括观察性研究，如队列研究等[3]。

David Price等人[4]指出：它的提出是相对于传统的或经典的RCT而言的，它更强调研究的外部真

实性，也就是研究结果在临床实际中的外推性，这一点类似于实用性临床试验(pragmatic clinical trials)，除此之外它又包括各类观察性研究，如队列研究等。

Feature of trial design	Classical RCT	Pragmatic RCT
Randomisation	Yes	Yes
Control group	Yes	Yes
Setting/ecology of care	- Highly controlled - Specialised centres (secondary or tertiary)	- Pragmatically controlled - Usual care (> primary care)
Patient population	- Highly selected - Confirmed diagnosis Narrow ("pure") population	- Pragmatically selected - Clinical diagnosis Broad ("real-life") population
Inclusion/exclusion criteria	Many	Few
Adherence	Very good (stimulated and monitored)	Low (real-world adherence)
Therapy	- Blinded (single- or double-blind); or - Open-label	Usually open-label to allow for effects of different technologies <i>e.g.</i> device or mode of administration
Comparator	Placebo; and/or active treatment	Active treatment
Outcome	Efficacy	Real-life effectiveness (comparative effectiveness)
Safety	Usually short-term	Short-term and long-term

下面补充一下经典RCT和实用性RCT的区别：

在了解上述Comparative Effectiveness research、Outcome research和Real-world research的概念和特征之后，我个人来小结一下：(1)这三类研究都是在特定的环境下提出的，分别有其明显的自身特点；(2)这三类研究之间互相包含的关系比较混乱，没有严格意义上的区分；(3)这三类研究都是包含了我们常见的多种研究设计类型，如横断面、病对或队列等，另外它们的命名也都是research，其在英文意义上与study还是有区别的；(4)它们的提出有什么用呢？呃，我觉得它们存在的价值更多是在政策层面上的，至于推进临床研究类型的进化其作用有限。(5)以上小结仅代表个人观点。

参考文献：

[1]. A.P., C. P and B. R, comparative effectiveness research collaboration and precision medicine. Ann Neurosci, 2015. 22(3): p. 127-9.

[2]. Lee, S.J., C.C. Earle and J.C. Weeks, Outcomes research in oncology: history, conceptual framework, and trends in the literature. J Natl Cancer Inst, 2000. 92(3): p. 195-204.

[3]. Knottnerus, J.A. and P. Tugwell, Real world research. Journal of Clinical Epidemiology, 2010. 63(10): p. 1051-1052.

[4]. Price, D., et al., Real-world research and its importance in respiratory medicine. Breathe (Sheff), 2015. 11(1): p. 26-38.

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://iikx.com)转发