

· 临床论著 ·

《基于慢性胃肠疾病患者报告的临床结局评价量表》 应用于功能性胃肠病疗效评价适用性专家问卷调查

唐旭东 王 萍 赵迎盼 卞立群

摘要 **目的** 考察《基于慢性胃肠疾病患者报告的临床结局评价量表》应用于功能性胃肠病(FGIDs)的适用性和可行性。**方法** 制定专家调查问卷,包括目的性评价、过程评价、科学性评价、实用性评价、总体评价 5 个方面。遴选国内 30 名在本学科领域有影响的中医及中西医结合专家进行现场问卷调查,通过对数据进行整理分析,计算专家积极系数、熟悉程度、集中程度、意见协调程度。**结果** 发放问卷 30 份,回收 30 份,专家积极系数为 100%。专家对 FGIDs 疾病方面的熟悉程度为 (4.83 ± 0.38) 分,对 PRO 量表方面的熟悉程度为 (3.83 ± 0.79) 分。各指标均数值均较大,标准差较小,满分率 80%~100%。所有专家对所有指标的协调程度较好($P=0.041$)。**结论** 《基于慢性胃肠疾病患者报告的临床结局评价量表》可用于 FGIDs 临床疗效评价。

关键词 功能性胃肠病;患者报告临床结局;问卷调查

Experts Questionnaires Survey on the Applicability for FGIDs of Patient Reported Outcomes Instrument for Chronic Gastrointestinal Diseases TANG Xu-dong, WANG Ping, ZHAO Ying-pan, and BIAN Li-qun Department of Gastroenterology, Xiyuan Hospital, China Academy of Chinese Medical Sciences, Beijing (100091)

ABSTRACT **Objective** To investigate the applicability for functional gastrointestinal disorders (FGIDs) of patient reported outcomes instrument for chronic gastrointestinal diseases. **Methods** Based on the previous research results and expert opinions, the survey questionnaire was established, including 5 aspects: purpose, developing process, scientificity, applicability and general evaluation, 30 senior experts of Chinese medicine and integrative medicine from digestive and instrument field were selected. The database was established after questionnaires reclaimed. The expert opinions concentrate degree was evaluated by mean and full mark rate. The expert opinions coordinate degree was evaluated by coefficient of variability and coordination coefficient. **Results** The study distributed 30 expert survey questionnaires in total and reclaimed 30 questionnaires. The expert positive coefficient was 100%. The mean degree of familiarity with FGIDs was 4.83 ± 0.38 , with the instrument field was 3.83 ± 0.79 . The mean of all items were larger, the corresponding standard deviation were smaller, full mark rate reached 80%–100%. The expert opinion cooperation degree reached the statistical differences ($P=0.041$). **Conclusion** The instrument is applicable for evaluating the clinical therapeutic effect of FGIDs.

KEYWORDS functional gastrointestinal disorders; patient reported outcomes; questionnaires survey

功能性胃肠病(functional gastrointestinal disorders, FGIDs)是指存在腹胀、腹痛、腹泻及便秘等症状,但缺乏器质性病变的一组消化道功能紊乱性疾病。

这类疾病症状往往持续存在或反复发作,对患者日常生活、健康和心理均有明显影响^[1]。普遍存在的症状重叠现象更是进一步降低患者生活质量,增加了治疗和疗效评价的难度^[2,3]。现有的评价方法难以全面反映疗效,亦不利于体现中医药治疗的特色和优势。专家强调 FGIDs 疗效观察除关注症状外,更强调生活质量对 FGIDs 治疗效果评价的特殊作用^[1]。基于患者报告临床结局(patient reported outcomes, PRO)评价量表

基金项目:国家“十二五”科技支撑计划(No. 2013BAI02B05);北京科技首都特色专项(No. Z141107002514018)

作者单位:中国中医科学院西苑医院脾胃病科(北京 100091)

通讯作者:唐旭东, Tel: 010-62835001, E-mail: txdy@sina.com

DOI: 10.7661/j.cjim.20170624.170

能够将临床治疗与患者的自身体验有效结合,在临床疗效评价中发挥重要作用。《基于慢性胃肠疾病患者报告的临床结局评价量表》是按照美国 FDA 规范的量表指南制作完成的,涵盖了最为常见的几种慢性胃肠疾病,具有较好的信度和效度^[4]。本研究对 30 位中西医消化领域权威专家进行现场问卷调查,旨在考察《基于慢性胃肠疾病患者报告的临床结局评价量表》应用于 FGIDs 的适用性和可行性,具体汇报如下。

资料与方法

1 专家遴选 遴选在本学科领域有影响的专家 30 名,分别来自北京(9 名)、天津(2 名)、广东(3 名)、江苏(3 名)、浙江(1 名)、湖南(1 名)、河南(1 名)、河北(1 名)、湖北(1 名)、四川(1 名)、广西(1 名)、甘肃(1 名)、山西(1 名),辽宁(1 名),贵州(1 名),福建(1 名),陕西(1 名)共 17 个省市三级甲等医院,具有副主任医师以上专业职称、从事消化专业 10 年以上中医和中西医结合临床工作的专业人员。临床经验丰富,有较好的权威性 & 地域代表性。

2 问卷内容(表 1) 基于前期量表工作的专家评阅意见,确定《基于慢性胃肠疾病患者报告的临床结局评价量表》应用于 FGIDs 疗效评价的适用性评价指标,形成专家调查问卷,主要评价指标包括目的性评价、过程评价、科学性评价、实用性评价、总体评价 5 个

表 1 问卷评价条目及内容

方面	条目	内容
目的性评价	条目 1	量表制作目的明确,针对 FGIDs 疗效评价中存在的实际问题
	条目 2	量表对研究内容表达到位,涵盖了 FGIDs 主要临床表现
	条目 3	量表的适用人群明确
过程评价	条目 4	量表制作的组成人员合理,体现了量表制作的要求
	条目 5	量表制作的程序科学规范
	条目 6	量表的制作过程独立,不存在利益冲突
科学性评价	条目 7	量表的条目能够反映临床中胃肠症状重叠的主要内容
	条目 8	量表的维度区分合理,囊括了主体框架和主要内容
	条目 9	量表的信度、效度达到设计要求
实用性评价	条目 10	量表的条目数量合理,便于患者在较短时间内完成
	条目 11	量表的条目在语言表述上通俗易懂
	条目 12	量表的使用方法明确,能够方便得到量表全文及其使用手册
总体评价	条目 13	量表经过临床研究课题的试用,反映良好
	条目 14	该量表包括反流、消化不良、排便状况、心理、全身状况及社会功能 6 个维度,体现了对 FGIDs 主要症状及其重叠情况的关注,达到了预期的设计目的,可以在 FGIDs 的临床研究中推广应用;考虑到临床上慢性胃肠疾病也广泛存在着症状重叠表现,也可在慢性胃肠疾病的研究中使用,但建议作为辅助评价指标

方面,共 14 个指标,各评价指标分为“是、说不清、否”3 级,分别赋以“2、1、0”分。

3 问卷调查 现场将问卷当面发放给各位专家,并对条目做适当解释,专家以不记名的方式独自对问题做出判断,相互之间不得进行任何形式的交流,现场回收问卷。

4 统计学方法及数据处理 应用 SPSS 16.0 统计软件进行数据录入和统计分析。计算专家的年龄、职称、权威程度、专家积极系数;计算各指标均数、标准差、满分比、变异系数;计算肯德尔和谐系数,用于评价专家对全部指标意见的协调程度。

4.1 专家积极系数 专家积极系数是专家对本项研究关心、合作程度,一般以专家咨询表有效回收率表示。专家积极系数 >70%,提示积极性较高。

4.2 专家熟悉程度 专家对疾病方面和疗效评价方面的熟悉程度分为 5 个等级:很不熟悉、不熟悉、一般、熟悉、很熟悉,相应赋值 1、2、3、4、5。依据专家对各指标的熟悉程度与判断依据得出平均分,得分高说明问卷内容涉及的专业领域中各专家均具有较高的理论和实践水平,问卷调查具有较高的可信度与权威度。

4.3 专家意见集中程度 用均数和满分频率来表示。均数值越大、满分率越高表明专家的意见越集中,在疗效评价指标体系中的作用越大,权重系数相对应的也越大^[5]。

4.4 专家意见协调程度反映 专家对全部评价指标评估的一致程度。用变异系数和协调系数来表示。变异系数表明专家对指标的协调程度,其值越小,说明协调程度越高;协调系数即专家一致性系数说明全部专家对全部指标的协调程度^[5,6],若 $P < 0.05$ 则说明专家对指标的评价结果具有一致性,结果可取;反之,则结果不可取。

结 果

1 专家基本情况 本次调查应邀专家 30 名,平均年龄(52.8 ± 5.0)岁。调查专家的职称分布情况为主任医师 29 名(9%),副主任医师 1 名(3%);专业分布为中医消化 19 名(63%),西医消化 2 名(7%),中西医结合消化 9 名(30%);学历博士 21 名(70%),硕士 4 名(13%),本科 5 名(17%);工作年限分布情况:10 年以上 20 年以下者 3 名(10%),20 年以上 30 年以下者 12 名(40%),30 年以上者 15 名(50%)。

2 专家积极系数 本调查发放 30 份调查问卷,

回收 30 份,均为有效问卷,专家积极系数为 100%。

3 专家熟悉程度 专家对 FGIDs 疾病方面的熟悉程度平均分为(4.83±0.38)分,对 PRO 量表方面的熟悉程度平均分为(3.83±0.79)分。FGIDs 疾病方面的熟悉程度为熟悉 6 名(20%),很熟悉 24 名(80%);PRO 量表方面熟悉程度为不熟悉 1 名(3.3%),一般 9 名(30%),熟悉 15 名(50%),很熟悉 5 名(16.7%)。

4 专家意见集中程度(表 2) 本次专家调查发现各指标均数值均较大,标准差较小,相对应的满分率 80%~100%,专家意见比较集中。

表 2 各指标评价结果

条目	均数	标准差	变异系数	满分率
条目 1	1.87	0.35	0.12	86.7
条目 2	2.00	0.00	0.00	100.0
条目 3	1.90	0.31	0.09	90.0
条目 4	1.87	0.35	0.12	86.7
条目 5	2.00	0.00	0.00	100.0
条目 6	1.83	0.38	0.14	83.3
条目 7	1.93	0.25	0.06	93.3
条目 8	1.87	0.35	0.12	86.7
条目 9	1.90	0.31	0.09	90.0
条目 10	1.80	0.41	0.17	80.0
条目 11	1.97	0.18	0.03	96.7
条目 12	1.93	0.25	0.06	93.3
条目 13	1.93	0.25	0.06	93.3
条目 14	2.00	0.00	0.00	100.0

5 专家意见协调程度 本调查中各指标变异系数均较小,所有专家对所有指标的协调程度较好($P=0.041$)。

讨 论

FGIDs 为临床常见病和高发病,且发病率呈不断上升趋势,西方人群患病率为 40%~60%,消化科就诊患者中至少 1/3 为 FGIDs。FGIDs 症状繁杂,常持续存在或反复发作,严重影响患者生活质量。同时,不同类型 FGIDs 常合并存在,近 1/3 的患者出现两种及以上症状重叠^[7],在病程中还可能出现病症的转换,如某一时期以功能性消化不良(functional dyspepsia, FD)的表现为主,而另一段时间则主要表现为肠易激综合征(irritable bowel syndrome, IBS)。症状重叠患者胃肠道症状更严重,焦虑抑郁更明显,生活质量也更差,治疗起来也更加棘手。

FGIDs 疾病的特点决定疗效评价应以患者为中心,以症状为基础,结合情绪、心理综合考评其临床结局。钱家鸣教授^[8]指出疗效观察指标不应仅限于临

床症状,应强调生活质量对反映 FGIDs 治疗效果的特殊作用。

PRO 研究得到国内外广泛重视。目前可用于 FGIDs 的量表分为普适性和疾病特异性两类,普适性量表(如 SF-36)能评价患者的总体健康状况,但缺乏反应性。特异性量表对于干预效应和疾病变化的反应性更敏感,如反流性疾病问卷(RDQ)、胃食管反流病问卷(GerdQ)、FD 生活质量量表(FDDQL)、IBS 生活质量量表(IBS-QOL)等,但这些量表针对的是具体的某一单病种,难以兼顾疾病重叠症状的评价。开发性能良好并获得广泛认可的针对 FGIDs 整体的普适性 PRO 量表有利于全面和准确地评价 FGIDs 疗效,能够解决症状重叠的评价问题^[9]。

中国中医科学院西苑医院唐旭东教授带领其团队引入 PRO 评价方法,结合国内慢性胃肠疾病(包括慢性胃炎、胃食管反流病、IBS、FD、功能性便秘、消化性溃疡等)患者的临床特点,参考美国 FDA2006 年发布的 PRO 量表指南草案,经过概念澄清与界定、建立条目池、条目筛选、问卷形成、预调查、临床调查等过程,制定了《基于慢性胃肠疾病患者报告的临床结局评价量表》。该量表包含 35 个条目,每项分为 5 级,最高 4 分,最低 0 分,得分越高代表症状越重,包括反流、消化不良、全身状况、排便异常、心理、社会功能 6 个维度。该量表定位于临床疗效评价,目标疾病涵盖了临床最为常见的几种慢性胃肠疾病,条目设置切合慢性胃肠疾病特征和患者最关心的临床问题,用词通俗易懂,患者易于理解和作答,可操作性好。临床调查数据显示该量表信度和效度良好,具有较好的测量性能。

慢性胃肠疾病中 1/3~2/3 为 FGIDs。该量表的目标疾病包括了症状性胃食管反流病、IBS、FD、功能性腹痛、功能性便秘几种最为常见的 FGIDs,因此临床亦可用于 FGIDs 临床疗效评价中。鉴于此,课题组开展了本次专家问卷调查研究,从专家积极系数、熟悉程度、集中程度、意见协调程度等方面考察该量表用于 FGIDs 的可行性和适用性,为临床应用提供参考依据。

本问卷调查参与专家在领域内权威系数高,参与调查积极系数较高,专家意见集中,协调系数较好。此次参与调查的专家对于《基于慢性胃肠疾病患者报告的临床结局评价量表》应用于 FGIDs 临床疗效评价的适用性和可行性给予了一致肯定,该量表是从患者角度进行疗效测评的有效工具,解决了 FGIDs 症状重叠的评价难题,完善了 FGIDs 疗效评价体系,可以在临床科研及新药研究中加以推广应用。后续可以在临床

广泛应用的基础上,进一步考察其性能,使其逐渐完善和优化。

[致谢:感谢下列专家教授对本调查的支持及所作的贡献(按姓氏首字母排序): 冯培民、胡玲、黄穗平、柯晓、李军祥、李保双、李慧臻、李振华、刘凤斌、孟立娜、任顺平、沈洪、时昭红、舒劲、舒磊、王垂杰、王凤云、王敏、王宪波、王彦刚、温艳东、魏玮、谢胜、徐进康、张声生、赵文霞、朱莹、周正华]

参 考 文 献

- [1] 方秀才,柯美云. 功能性胃肠病诊断中应该注意的几个问题[J]. 中国实用内科杂志, 2010, 30(2): 180-181.
- [2] 易智慧,杨正兵,康林,等. 肠易激综合征重叠功能性消化不良患者的临床症状、生存质量及精神心理状态分析[J]. 四川大学学报(医学版), 2014, 45(3): 493-496.
- [3] 孙艳芳. 功能性胃肠病重叠症状及生活质量的临床研究[D]. 济南: 山东大学, 2006.
- [4] 唐旭东,王萍,刘保延,等. 基于慢性胃肠疾病患者报

告临床结局测量量表的编制及信度、效度分析[J]. 中医杂志, 2009, 50(1): 27-29.

- [5] 王明航,李素云,李建生,等. 慢性阻塞性肺疾病疗效评价结局指标权重专家问卷调查研究[J]. 中华中医药杂志, 2013, 28(8): 2401-2404.
- [6] 翁思颖,周建扬. 基于德尔菲法研究熏蒸操作适宜部位、时间、温度的专家调查问卷分析[J]. 中国医药导报, 2016, 13(22): 85-88.
- [7] 焦阳. 功能性胃肠病及其症状重叠的研究[J]. 中国煤炭工业医学杂志, 2012, 15(5): 663-665.
- [8] 钱家鸣,王伟岸. 应重视功能性胃肠病临床研究的规范化[J]. 胃肠病学和肝病杂志, 2001, 10(2): 97-98.
- [9] 赵迎盼,陆芳,高蕊. 功能性胃肠病中药新药临床研究方案设计与疗效评价的探讨[J]. 中药新药与临床药理, 2015, 6(4): 566-570.

(收稿: 2017-01-21 在线: 2017-07-06)

责任编辑: 赵芳芳

欢迎订阅 2018 年《中国中西医结合杂志》

《中国中西医结合杂志》是由中国科学技术协会主管、中国中西医结合学会和中国中医科学院主办的中西医结合综合性学术期刊。1981 年创刊,由中国科学院院士陈可冀担任总编辑。设有述评、专家论坛、专题笔谈、临床论著、基础研究、临床报道、综述、学术探讨、思路与方法学、临床试验方法学、病例报告、中医英译、会议纪要等栏目。本刊多次获国家科委、中宣部、新闻出版署及国家中医药管理局颁发的全国优秀期刊奖;2001 年被新闻出版署评为“双效期刊”,列入中国期刊方阵;2002—2016 年连续 14 年被评为“百种中国杰出学术期刊”;3 次获中国科协择优支持基础性和高科技学术期刊专项资助;4 次获“国家自然科学基金重点学术期刊专项基金”资助;4 次获“中国科协精品科技期刊工程项目期刊”;2015 年 5 月荣获中国科协精品科技期刊 TOP 50 项目。并被多种国内外知名检索系统收录,如:中国科学引文数据库、中国生物医学文献数据库、美国医学索引(Medline)、美国《化学文摘》(CA)、俄罗斯《文摘杂志》(AJ)、日本《科学技术文献速报》(JST)、美国《乌利希期刊指南》(Ulrich's PD)、波兰《哥白尼索引》(IC)、英国《国际农业与生物科学研究中心》(CABI)、WHO 西太平洋地区医学索引(WPRIM)等;为中国科技论文统计源期刊、中国学术期刊综合评价数据库统计源期刊,被编入《中文核心期刊要目总览》,每年影响因子及总被引频次在中医药类期刊中均名列前茅。

《中国中西医结合杂志》为大 16 开本,月刊,128 页;铜版纸印刷,彩色插图。国内定价:30.00 元/期。全年定价:360.00 元。国际标准刊号:ISSN 1003-5370,国内统一刊号:CN 11-2787/R,国内邮发代号:2-52,国外代号:M640。国内外公开发售,在各地邮局均可订阅,也可直接汇款至本社邮购。

地址:北京市海淀区西苑操场 1 号,中国中西医结合杂志社,邮政编码:100091;电话:010-62886827,62876547,62876548;传真:010-62874291;E-mail:cjim@cjim.cn;网址: <http://www.cjim.cn>。