

# 中医疗效评价指标和方法研究 需要解决的认识问题\*

□梁茂新\*\* 王雪峰 (辽宁中医学院 沈阳 110032)

**摘要:**开展中医疗效评价指标和方法研究,应当首先解决7个认识问题:中医疗效评价指标研究与辨证规范研究的关系和程序;中、西医疗效评价指标之间的关系和取舍方法;把中医的证作为所有疾病疗效评价指标的可行性和科学性;证的诊断指标与证的疗效判断指标之间的关系和区别;证与量表的关系和择优选;证作为疗效评价指标自身存在的缺陷;建立中医疗效评价指标和方法体系与提高中医药疗效的关系。这是开展此类研究应当首先解决和统一的认识问题。本文对这些问题逐一进行了讨论。

**关键词:**疗效评价指标 中医 思路与方法

当前,建立中医药干预因素的疗效评价指标和方法的研究,已引起学术界的高度重视。这是因为,在中医药干预因素疗效评价方面,长期存在着疗效评价标准不统一、评价指标取舍无定律,以替代指标取代结局指标,用中医的证(或证候)评价疗效的科学性不明确等问题。因而中医药疗效难以得到客观评价,严重制约了中医药学发展和国际化、产业化进程。国家“十五”科技攻关计划项目“中医药疗效及安全性”的课题“中医辨证规范与疗效评价的研究”正是基于这一点而立项的。

分解这个课题,实际要求系统回答两大类问题,即“中医辨证规范”和“疗效评价”各自所要解决的问

题是什么?采用哪些方法解决这些问题?此前,我们已就前者初步阐明了看法<sup>[1]</sup>,而后一问题因无经验可资借鉴,其不确定性和探索性较之辨证规范研究更强。尽管各课题组设计了具体实施方案,然而许多重大认识问题并未真正解决,研究风险依然很大。因此,本文拟就这些认识问题展开讨论,希望引起有关方面的关注。

## 一、中医疗效评价指标和方法研究与辨证规范研究的关系

此前已经明确,中医辨证规范集中解决两大方面的问题,一是病证所属症状、体征的规范;二是疾病所属各证的规范。前者具体包括病证所属症状术语规范、症状间逻辑关系规范、症状体征分级规范、症状体征测量方法规范、症状体征诊断规范、体征

收稿日期:2005-10-08

修回日期:2005-11-14

\* 科学技术部国家“十五”攻关项目(2004BA721A05):以小儿肺炎为示范建立辨证规范及中医疗效评价方法体系的研究,负责人:王雪峰。

\*\* 联系人:梁茂新,研究员,博士生导师,从事中药临床药理,中医基础理论和中药新药开发研究, Tel: 024-31207279, E-mail: lmxin@163.com。

[World Science and Technology/Modernization of Traditional Chinese Medicine and Materia Medica] 31

(舌、脉象)诊断客观化等。后者则要完成西医疾病所属各证基本构成规范;西医疾病所属各证构成比确定;病证所属症状的基本构成规范;西医疾病中医各证临床诊断标准规范;西医疾病中医各证基本演变趋势确定;西医疾病分期、分类、分型、病情、疾病发展阶段与所属中医各证的对应关系的确认等<sup>[1]</sup>。

显而易见,上述辨证规范所要解决的问题不仅与中医的临床诊断和遣药组方有关,同样与中医临床疗效的评价密切相关。这些问题未解决,疗效评价指标中体现中医特色的内容便不能提取出来。所谓中医疗效评价指标和方法的研究也无从谈起。由此可知,辨证规范研究是中医临床疗效评价指标和方法研究的基本前提。亦即辨证规范搞清楚了,便可顺理成章过渡到中医疗效评价指标和方法的研究。两种研究密切相关,但层次分明,有先有后,必须分步进行。注意到这个问题,我们对小儿肺炎做两方面研究时,实际分三步走,首先进行辨证规范研究,其次进行疗效评价指标研究,最后再按GCP原则通过对照评价先期辨证规范和疗效评价指标研究所取得的成果。

顺便指出,此间有一种观点认为,辨证规范研究与中医疗效评价指标和方法研究应当一并进行,研究之初就应设对照组,以考察和确认中医疗效评价指标和方法。若此,即把中医疗效评价指标和方法的研究建筑在辨证规范尚不确定的基础之上,则该研究宛如沙中楼阁,没有根基,其结果是完全可以想象的。

## 二、中西医疗效评价指标和两者之间的关系

在疗效评价指标和疗效评价方法之间,前者决定后者,后者服从和服务于前者。因此,中医疗效评价指标和方法的研究中,关键是评价指标问题。谈到疗效评价指标,必然涉及中、西医两类疗效评价指标和相互之间的关系问题。

经过归纳,中医临床经常使用的疗效评价指标有证(包括其所属的证候)、量表(CHQOL)、生存质量、生活质量、生存率、生存期、放化疗完成率、症状、体征、理化检测指标(影像学指标、功能检测指标、生

化指标、病理指标等)。其中除证(包括证候)外,均为现代医学的检测指标。这些指标又可分为定量指标和半定量指标。证、量表、生存质量、生活质量和影像学指标属于半定量指标,生化指标、病理指标和生存期等属于定量指标。因这些指标在疗效方面的论证强度不同,故现代医学将其分为金标准或银标准等,其实,疾病性质不同,选择的疗效评价指标也不同,所谓的金标准是针对具体疾病而言的,不一定定量指标都是金标准。

就现代医学的疗效评价指标而言,不同指标回答疗效的侧重点不同,疗效评价的客观程度不同,反映的疗效水平不同,适用的疾病也不同。一般说来,量表适用于神经精神疾病和慢性病等;生活质量常用于慢性病疗效的考察;生存质量、生存率、生存期和放化疗完成率等主要用来评价癌症的疗效;症状、体征则可考察多种疾病的疗效;理化检测指标因性质不同可作为多种疾病的评价指标。其中量表、生存质量、生活质量和症状作为疗效评价指标,注重患者自身的心理感受,这是顺应医学模式转变而提出且逐渐得到重视的疗效评价指标。中医的证若作为疗效评价指标,与量表等大致同属一种类型,应用的范围大体相同。

不可否认,以上指标用于疗效评价的意义各不相同,且都曾在中医临床研究中使用。开展中医疗效评价指标和方法的研究时,必须对这些指标的取舍有一个非常明确和科学的原则。笼统地说,证作为疗效评价指标看来不应舍弃,那么现代医学的疗效评价指标是否留用?各项指标取舍的理由何在?我们认为,课题研究不应以全面建立中医自己的疗效评价指标为目的,也不应以舍弃现代医学的疗效评价指标为指向。正确的做法是,以评价指标和方法的客观性和科学性为依据,合理取用上述各种疗效评价指标。那种不分青红皂白存此废彼或厚此薄彼的做法,显然是不可取的。

如果认同这一点,本课题研究就应在综合各类疗效评价指标的基础上,明确各类指标评价的目的、性质、特点和适用范围,在正确原则指导下,对每一种疾病疗效评价的侧重点和多种疗效评价指标的选

择使用提出合理的建议。

### 三、把中医的证作为所有疾病疗效评价指标的科学性和可行性问题

可以注意到,各版《中药新药临床研究指导原则》对所列每一种疾病都确定了中医证的疗效判断标准,这等于说所有的疾病都要评价中医证的疗效。换言之,不管具体疾病的类型如何,只要采用中医药治疗,都必须把证作为疗效评价的必选指标。强调建立具有自身特色的中医疗效评价指标和方法体系,进一步突出了证在中医疗效评价中的地位和作用。这样似乎坚持和维护了自身特色,而实际情况如何呢?以下用具体的例证来说明。

如习惯性便秘,辨寒热虚实论治可收其效。在疗效评价时,若将参与辨证诊断的暖气、乏力、神疲和气短等作为疗效评价指标则会偏离疗效评价的侧重点,毫无疑问,以排便间隔时间、每次排便所需时间、大便的质地变化等作为疗效判定的指标,能够客观反映本病的真实疗效。如果是高脂血症,就不能回避血清胆固醇和甘油三酯等血脂含量的客观评价指标。在这种情况下,相关证的疗效判断已无实质意义(在不出现合并症的情况下,本病通常无证可辨)。如果坚持将证作为疗效的主要评价指标,难免有降低疗效标准以提高疗效的嫌疑。若为慢性肝炎,通常会同时选择血清ALT和AST等客观指标,以及中医的证、生活质量或相关量表等半定量疗效评价指标。当然,若中医药治疗围绝经期综合征和老年性痴呆之类的疾病,则倾向于采用中医的证或有关量表进行疗效评价。

由此可见,并不是所有的疾病都适合用证来评价中医干预因素的疗效。疗效评价指标的选择必须服从科学原则,因病制宜。否则,所有的疾病都要评价中医证的疗效,就会出现两方面问题,或偏离疾病疗效评价的侧重点,或降低疗效评价的标准。虽在疗效评价方面保持了中医特色,却可能抹杀了中医药干预因素的真实疗效。根据实际情况,在中医药作为干预因素的情况下,证在临床疗效评价时可能存在三种表现形式,一是证作为疗效评价的主要指标;二

是证作为疗效评价的辅助指标;三是压根不用证进行疗效的评价。对于第三种情况,是否丢弃了中医自身的特色呢?应当不会,因为坚持辨证论治本身已经保持了中医药诊疗特色。

有鉴于此,应当在确定有关原则的基础上,对适合以证评价中医疗效的疾病、疾病分期、疾病分型、疾病分类和病情等做出规范,这也应当是本题研究的重要内容之一。不过,正在执行的课题均已形成各自为战的格局,不可能从头再来。但至少应对各自规范的疾病提出具体的研究结论。

### 四、证的诊断指标与证的疗效判断指标之间的关系

把中医的证作为所有疾病的疗效判断指标,可能出于两种考虑。其一,证是中医的临床诊断指标,理所当然应当是中医的疗效评价指标;其二,因为证是中医的特色,应当在诊断和疗效评价的关键环节上充分体现出来。这样,客观存在着辨证指标与证的疗效评价指标之间的关系,即诊断指标是否必须同时作为疗效判断指标的问题。

可以看到,在现代医学方面,确实存在诊断指标与疗效评价指标相同的情况,如糖尿病的血糖值、高脂血症的血脂值、甲状腺功能亢进的激素值、慢性肾炎尿液检测值等,治疗前后均需检测,以考察这些指标的疗效。但确有许多疾病诊断一旦确立,有的疗效评价指标不再依赖诊断指标的重复检查比较。例如,缺血性脑中风用CT或MRI明确诊断后,其疗效的判断指标主要是神经功能的改善情况,而不是评价治疗前后影像学方面的变化。小儿肺炎经病原学诊断后,其愈后往往考察症状和体征的改变,也不是比较治疗前后的病原学检测指标。同样,中医临床诊断和疗效评价也存在类似的两种情况,辨证只解决确诊和论治问题,疗效评价则另选其他指标;辨证为论治服务,同时也参与疗效评价。这是根据临床实际可以做出的两种选择。故可认为,中医的辨证标准与疗效判断标准密切相关,但相互之间是有区别的。将两者完全等同起来,以辨证标准全面代替疗效评价标准,混淆了两者之间的界限。同时也会影响中医疗效评价的客观性和真实性。

因此,应当明确哪些疾病所属的证可以作为疗效评价指标,哪些则不能,应当选用证以外的其他疗效评价指标。这是中医疗效评价指标研究整体性上应当解决的重要问题。

### 五、证与量表在疗效评价方面的关系

明确了上述问题,特别是确认适合以证评价疗效的疾病后,课题研究的思路似乎清晰了。然而问题并未完全解决。因为在多数情况下,凡是认为适合以中医的证评价疗效的疾病,现代医学基本上均提供了相关的量表。若从疗效评价指标分类角度,证与量表应当划归一类,两者均为半定量评价指标。在临床试验方案设计时,必须对用中医的证评价疗效,还是用量表评价疗效做出选择,一般不会兼用属性相同的两种评价指标。作为本课题研究,同样不可回避这个问题,必须通过比较研究做出科学而理性的取舍。客观地说,两种类别相同的评价指标之间是有本质区别的。众所周知,量表的生成经历建立理论模型、实施研究步骤(产生条目池、形成预调查量表、进行预调查、形成正式量表)、量表考核(信度、效度和反映度分析)等反复研究过程而最终确定下来。中医的证作为疗效评价指标是基于临床经验和逻辑判断确定下来的,不是按照一种严密的论证和验证体系研究出来的,虽经多次规范问题仍然存在,故而借助现实的证进行的疗效评价是比较粗糙的。尽管中医界把证作为体现中医特色的疗效评价指标,但目前它还不具备“标准”的性质和要求。于是,问题又提出来了,证是有待规范的,而量表是通过比较严密的研究并得到学术界认可的,在具体应用时该如何取舍呢?若取用量表,人们期待的中医疗效评价特色如何体现?而坚持辨证规范,以便以规范后的结果取代量表,事实上有这个必要吗?是否可以采取“拿来主义”?如果中医学是非常自信的,是否有勇气用学术界公认的疗效评价指标和方法评价其干预因素的疗效?这些问题作为建立中医疗效评价指标和方法体系研究的模糊认识,必须在指导思想和具体方法上做出科学、肯定的回答。基于上述讨论,我们对小儿肺炎的疗效评价指标进行研究时,就没有考虑制作

量表。

当然,不排除有少数的疾病适合用证评价疗效,且没有制定相关的量表,需要我们去研究。这就涉及利用辨证规范的成果建立新的疗效评价指标,抑或重新建立一个体现中医特点的量表问题。

### 六、证作为疗效评价指标客观存在的问题

如果明确了某些疾病适合以证评价疗效,那么这些疾病所属的用于诊断的各证就具备了诊断和疗效评价两种功能。倘若对疾病进行了辨证规范,可否认认为该病的中医疗效评价指标问题便迎刃而解了呢?我们的回答是:不能。原因在于,用于诊断的证,其所属症状中保留了一些携带证的信息的症状,即根据这些症状便于做出证的诊断或鉴别诊断。如口不渴、不恶寒、无汗、无痰等症状在中医证的诊断时尚可使用,在疗效判断时便失去了存在的价值。另有一些症状,对其他相关症状起注释作用。例如疼痛固定不移、疼痛夜甚注释胸痛的血瘀性质;喜暖喜按提示腹痛属于虚寒;而头重如裹则是对其性质属湿的注释,在完成诊断后,它们的作用多数随即消失。此外,舌象和脉象在疗效评价中的意义也会因具体疾病而不同。在诊断上可以“舍脉从症”,在疗效判断上自然亦可如此。舌象的情况也是这样。舌、脉象是否作为疗效判断的指标,应根据疾病的具体情况通过研究确定下来。正因如此,基于小儿肺炎舌象变化与该病中医证的演变和疾病向愈密切相关,我们全程密集采集舌象变化图象数据,以考察舌象指标在小儿肺炎疗效判断中的意义。诸如此类,必须通过研究对作为诊断指标的证进行“瘦身”,才有可能将其转化为比较严密的疗效评价指标。否则,将证的诊断指标原封不动地用于疗效评价,就有可能影响评价结果的客观性和准确性。令人遗憾的是,现实的中药新药临床研究仍然全面保留这样的疗效评价方式。

### 七、未来可能确立的中医疗效评价指标应是一把双刃剑

最后需要指出,那种认为建立了中医疗效评价指标和方法体系,即可大面积提高中医临床疗效的

想法,是不现实的。未来可能建立的中医疗效评价指标和方法体系只要是科学的,它就应该具有通用性,不但可以用来评价中医干预因素的疗效,也可用以论证现代医学干预方法的效能,得到医学界的普遍认可。作为一种标准,应当是一把双刃剑,既可评价某种事物好,又能评价其低劣。同样道理,中医疗效评价指标和方法体系一旦建立起来,只要是科学的,它便由专门的标准上升为一般的标准,成为评优判劣的双刃剑。它不但可以评价中医药某一种疗法为优,同时也可判断中医药另一种疗法为劣。如果凡是中医药干预因素,经其评价的疗效普遍为优,其作为标准的科学性马上便会遭到质疑,其使用和存在价值也就荡然无存了。

因此,在进行本课题研究时,必须首先明确一个非常重要的认识问题,即中医药干预因素的疗效主要不是用什么标准或方法评出来的,而是通过研究实实在在提高上去的,是医患均看得见,体会得到

的。如果本来疗效平平,即使用一种指标或方法评价为优,也改变不了疗效平平的事实,并且这样一种偏离客观事实的评价指标和方法最终也是站不住脚的。由此可见,把整个研究的侧重点放在哪里,应当慎之又慎,仔细权衡。

综上所述,中医疗效评价指标和方法的研究,涉及到的深层次的认识问题较多,既有思路方法问题,也有挥之不去的“中医情结”。这些问题直接关系到整个研究的科学性和严密性,关系到研究结果的实际价值,以及能否被学术界所认可。在如此重大的科学问题面前,有关方面必须以高度的理性取代盲目性,以对中医药事业负责任的态度,做出科学的选择。

#### 参考文献

- 1 梁茂新,王雪峰,董丹.中医辨证规范所要解决的基本问题.世界科学技术-中医药现代化,2005,7(3):18~23.

### Some Problems of Understanding to Be Necessarily Resolved in Study of Index and Methods of Assessment of TCM Curative Effects

*Liang Maoxin and Wang Xuefeng*

*(Laoning Institute of Traditional Chinese Medicine, Shenyang 110032)*

It is necessary to resolve the following seven problems in the study on the index and method of the assessment of curative effects of traditional Chinese medicine (TCM): the relationship between the study on the index of the assessment of curative effects and that of the normalization of syndrome differentiation of traditional Chinese medicine as well as their procedures, the relationship between the index of the assessment of curative effects of traditional Chinese and Western medicine as well as the method for their choice, the feasibility and scientific criteria that the syndromes in TCM could be regarded as the indexes of the assessment of curative effects of all diseases, the relationship between the diagnostic indexes and those of effect judgement of syndromes and their distinction, the relationship between syndromes and scales and their choice, the faults of syndromes when taken for the index of curative effect, and the relationship between the establishment of the system of assessment index and method of TCM effect and the improvement of TCM effect. All the problems as mentioned above should be understood unanimously and resolved before embarking on the study of them. In this article the said problems are dealt with one by one.

Key Words: index of assessment of curative effect, TCM, train of thought and method

(责任编辑:付建华,英文译审:秦光道)

{World Science and Technology/Modernization of Traditional Chinese Medicine and Materia Medica} 35