

将 WOMAC 和整体健康状况评价量表结合引入 股骨头坏死保髋疗法结局评价的设想

陈志伟¹ 陈卫衡² 王荣田² 何海军² 刘道兵² 周宇² 谢斌²

(1 中国人民武装警察部队学院医院,廊坊,065000; 2 中国中医科学院望京医院,北京,100102)

摘要 股骨头坏死是骨伤科疑难病之一,选择适当的评价手段来评价其治疗方法显得非常重要。基于医生报告股骨头坏死保髋疗法结局评价方法有一定局限性;为适应现代生物-心理-社会医学模式,广大医学工作者提出了患者自我报告结局估量(Patient Reported Outcome Measures, PROMS)。PROMS 要求尽量选择症状等主要的自我报告结局指标,以增强量表的敏感性,但是量表的选择应该是互相补充的,末梢自我报告结局指标如综合评价生理、心理、健康相关的生存质量也应当作为评价指标;通过量表的筛选,我们建议将 WOMAC 和整体健康状况评价的量表结合评价股骨头坏死保髋结局。

关键词 股骨头坏死;患者自我报告结局估量;评价

Proposal on Bringing WOMAS and Holistic Health Evaluation Scale into Outcome Evaluation of Hip Protection Therapy for ANFH

Chen Zhiwei¹, Chen Weiheng², Wang Rongtian², He Haijun², Liu Daobing², Zhou Yu², Xie Bin²

(1 China Armed Police Force College Hospital, Langfang 065000, China; 2 Wangjing Hospital,
China Academy of Chinese Medical Sciences, Beijing 100102, China)

Abstract Avascular necrosis of the Femoral Head (ANFH) is one of tough orthopedic diseases, and finding appropriate tools to evaluate their treatment are very important. Outcome evaluations of hip protection therapy for ANFH based on doctor reports have some limitations. In order to adapt to modern biological - psychological - social medical model, medical workers proposed the patient reported outcome measures (PROMS). In order to enhance the sensitivity of the scale, primary PROMS such as symptoms were asked to include into the scale. However, the selected scales should be complementary, so distal self-reported outcome measures such as comprehensive evaluation of physical and psychological health, health-related quality of life also should be used as an evaluation index; through scale screening, we propose to combine the overall health and WOMAC scale to evaluate outcome of ANFH.

Key Words Avascular necrosis of the femoral head; Patient reported outcome measures; Evaluation

中图分类号:R684.1 文献标识码:A doi:10.3969/j.issn.1673-7202.2014.04.037

股骨头坏死是骨科疑难病之一,由于饮酒、滥用激素类药物、外伤等原因近年来日益增多,发病率逐渐增多,药物治疗、细胞疗法、生物制剂等方面保守治疗方法不断更新,特别是中医学在保髋治疗股骨头坏死治疗上显示了巨大的潜力,进行了大量有益的探索并积累了丰富的临床经验,因此选择恰当的评价方法评价治疗方案显得尤为重要。疗效评价是对干预措施和疾病结果进行评价,作为评价工具,应该具备以下特点:可靠、易于使用、快速、成本小、针对性强、实用性强,即信度、效度、灵敏度好。显然患者相关功能提高及症状是来自患者自我感知,但长期以来,患者评价主要来源于医生,为适应现代生物-心理-社会医学模式,广大医学工作者提出了患者自我报告结局估量(Patient Reported Outcome Measures, PROMS)。

1 基于医生报告股骨头坏死保髋疗法结局评价方法不足

Harris 评分和 Charnley 改良后的 Merle d' Aubigne' & Postel 评分是目前最常用的两种综合患者疼痛和功能评价方法,但这些综合评分提供的信息较分项评价疼痛和功能所提供的信息少;股骨头坏死主要有以下几个分期体系:Ficat 分期、宾夕法尼亚大学分期、ARCO 分期、日本骨坏死学会分期、Marcus 分期等,由于分期体系的多样性,比较疗效就显得比较困难,同时观察者内部、观察者之间在一些关键问题譬如新月征、股骨头变扁、关节炎出现上缺少统一的认识^[1];保髋治疗生存分析的终点是进行关节置换或者是否需要行关节置换,如果研究者挑选了早期股骨头坏死患者并进行了一个短的观察时期,疾病可能会进展明显,但是尚未到

需行关节置换的地步;而有些治疗可能减慢疾病进展,推迟了关节置换时间却是成功的手术^[2]。其他有生物标记物,多普勒超声等评价方法^[3-4]。

2 患者自我报告结局定义及其评价股骨头坏死保髋疗法结局的重要性

患者自我报告结局(Patient Reported Outcome, PRO)是直接来源于患者(即没有医生或其他任何人对于患者反应的解释)的对其自身健康状况各方面的自我评价,包括症状、功能、与健康相关的生存质量(HRQOL)、患者对治疗的认知和对治疗的满意度等,目前文献检索多用“生活质量”(QOL)分类此类文献^[5]。倾听患者早在希波克拉底时代就被认为是医学不可或缺的一部分;临床上合理的应用患者自我评价能够帮助医生了解治疗方案对患者功能、症状和整体健康状况认知,特别是在慢性疾病治疗过程中,PRO体现最重要的病情转归和治疗结果^[6]。PROMS要求患者填写相关的量表,医师将这些量表选项分别量化并以一定科学方式累加得出总和,并根据这个总和掌握患者症状的严重程度、心理、身体、社会功能及经治疗后的改善情况,加强医患合作、明确患者面临的困难、患者对治疗方案的反应^[7]。其重要性正在被医学界认知,2008年英国国民健康制度(NHS)下一阶段工作计划提出:将参照医院提供给患者和大众的医疗服务质量向医院提供支付,这些质量指标包括:临床结果、治疗方案安全性、患者满意程度、对成功治疗疾病治疗方法的自我评价,2009年4月1日起,英国国民健康制度将作为第一个健康系统常规收集患者报告结局,第一批相关统计数据已经公布^[8]。患者自我报告估量信息系统(Patient-Reported Outcomes Measurement Information System, PROMIS)的建立及FDA的相关指导意见出台规范PROMS应用^[9]。

在股骨头坏死临床保髋治疗过程中,我们观察到通过中医药治疗并获得两年以上随访的患者,影像学虽然看到股骨头骨质密度改善均匀,但关节面却已经欠光滑甚至略有塌陷,如果按照传统的临床疗效评价方法,会被认为已经属于加重的范畴,而这些患者的生理健康、心理健康及社会健康状况良好,具有较高的生活质量。经过治疗股骨头坏死患者的影像学可能稳定,但是患者疼痛、功能受限,我们就不能承认此种治疗的有效性,正如Hawkes所言患者自我对治疗结局的感知比医生对患者做什么重要^[10]。目前对股骨头坏死治疗常规治疗方法:钻孔减压、单纯植骨、带血管植骨、血管移植、中医中药等,自体骨移植是治疗骨缺损的“金标准”,Scully报道带血管蒂腓骨移植成功率为

90%,但是并发症较多,如取骨处的疼痛、血肿,皮下神经损害造成的感觉迟钝、瘢痕等^[11],即使患者症状缓解,上述症状会造成患者生活质量下降,因此对股骨头坏死保髋疗法的评价不仅仅以“股骨头生存时间”去衡量,更重视患者生活质量的评价。我们要选择一种更加人性化的股骨头坏死保髋结局的评价方法用于临床治疗方案的评价与选择,即通过对股骨头坏死患者不同疗法或措施中生存质量的测定与评价,为股骨头坏死保髋疗法治疗选择提供新的结局指标,找出防治重点,合理配置卫生资源并产生最大的收益。股骨头坏死病因学有多种假说,如股骨头血管的微血管被骨髓脂肪堵塞、骨髓脂肪的逆行栓塞、脂肪栓子、小梁骨的微骨折等,这些假说主要是集中在细胞外因素,近些年来,干细胞的行为改变和细胞凋亡学说日益引起学者关注^[12],干细胞假说支持非创伤性股骨头坏死是整体病变在股骨头局部的表现,这从股骨头坏死病因学上支持PROMS评价股骨头坏死保髋疗法结局。

3 股骨头坏死保髋治疗 PROMS 理论架构

评价方案决策应该由PROMS理论架构指导,架构定义了和评价方案决策相关的结局指标、假设的结局指标间关系和结局指标决定因素。理论模型架构前科研工作者应首先明确决策动机,即了解患者哪些相关信息。理论架构过程中各维度的选择应当包括疾病的结局并能体现治疗产生的重要结局。Wilson和Cleary依照患者自我评价对临床治疗反应的敏感程度,将PRO的各指标分类,症状作为最主要的指标,与生活相关生活质量作为最次要指标。文献显示,和主要的自我报告结局指标相比,次要指标的改变需要更大的临床干预措施^[13],生活质量不仅受患者健康状况的影响,还受经济状况等非医学因素的影响,有些情况下即使患者患病,但生活质量经常未受影响,所以对治疗的敏感性也较差,易于出现“天花板”效应。因此架构要求尽量选择主要的指标,以增强量表的敏感性,但是指标的选择应当是互相补充的^[14],次要指标如心理、生理、社会健康的生活质量也应作为评价指标。股骨头坏死症状主要有:髋部疼痛,髋关节活动僵硬,治疗结局可能包括改善患者功能、心理、社会健康,自我生活能力等。基于以上讨论的理论模式,条目的关键在于确定内容效度,内容效度是条目能够反映观察者意向测量的程度。国际药物经济学和结果研究协会(ISPOR)和FDA的指导意见表明对患者生活质量和自身健康状况评价前进行定性研究,所得的结论才是“准确”的;但是也有专家认为由于被研究对象存在潜在主观性,患者在答卷过程中出现文字理解差异所造成的

应答差异两个问题。基于以上两个问题,我们建议加强医患沟通,增加患者在治疗方案过程中决策权,激发患者驾驭健康的自我效能,增进患者依从性;通过定性研究补充定量研究,动态完善量表^[15]。

4 科学选择股骨头坏死保髋疗法结局 PROMS

量表的研制是一个系统工程,它不仅包括了量表理论结构模型的构建和量表条目收集与筛选过程的各个步骤,还包括了量表统计分析方法的应用和心理特性的考核等系列工作。生活质量测评个体(或患者)主观认知,在临床上属“软指标”,因此评价比较困难。国际循证医学专家根据现代多元统计分析原理,并借助心理测试方法学,研制出的测定生活质量量表具有良好的效度、信度和反应度,使生活质量测量的结果比较客观,而应用个人设计的评价量表不仅存在信度、效度、反应度较差的问题,而且限制了不同研究间研究结果的横向比较,不利于科研发展。因此建议选择效度、信度和反应度已被证明较良好的量表来评价股骨头坏死保髋疗法结局。挑选符合研究目的的量表是困难的,因为已开发出许多相关的量表。量表的选择可以参照 PESUDOVIS 建议的 6 项准则:1)确定量表的效度和信度;2)注意文化差异;3)确保应用合理的条目选择方法,如 Classical Test Theory, Item Response Theory, 条目内容精简,不会给患者造成负担;4)确保新增量表条目在统计学上合理;5)条目内容符合研究目的;6)确保所选量表的灵敏性和可解释性。患者报告临床结局和生存质量量表数据库(Patient - Reported Outcome and Quality of Life Instruments Database)提供了普适性评价量表,包括 SF - 12, SF - 36, 欧洲五维度健康量表(EQ - 5D)以及 WHO 联合 20 多个国家和地区研制的生存质量评价量表 wHOQOL - 100 等;针对骨和肌肉系统研发的有牛津髋关节评分,髋膝问卷等量表,该数据库没有收录股骨头坏死评价量表。通过挑选,我们发现西安大略和麦克马斯特大学骨关节炎指数(WOMAC)是数据库推荐的评价疼痛、身体僵硬和功能障碍的多维特异性疾病自我评价问卷,符合股骨头坏死理论建构维度要求。Gangji、Brigitte、Lieberman 等分别运用 WOMAC 评价股骨头坏死治疗。NHS 对髋膝关节置换等 4 类手术患者自我报告要求:结合整体健康状况评价的量表和针对特殊疾病设计的量表,我们可以参照以上办法,建议结合整体健康状况评价量表和 WOMAC 评价股骨头坏死保髋结局。

为更好地适应现代生物 - 心理 - 社会医学模式,我们建议结合整体健康状况评价量表和 WOMAC 评价股骨头坏死保髋结局,以加强医患沟通,增加患者在治疗方案过程中决策权,激发患者驾驭健康的自我效能,增进患者依从性。

参考文献

- [1] Schmitt - Sody, Kirchoff C, Mayer W, et al. Avascular necrosis of the femoral head; inter - and intraobserver variations of Ficat and ARCO classifications[J]. *Int Orthop*, 2008, 32(3): 283 - 7.
- [2] Lynne C. Outcome Measures for Evaluation of Treatments for Osteonecrosis[J]. *Orthop Clin N Am*, 2009, (40): 179 - 191.
- [3] Huffman, Synovial fluid metabolites in osteonecrosis[J]. *Rheumatology*, 2007, 46: 523 - 528.
- [4] Takao M, Sugano N, Nishii T, et al. Longitudinal quantitative evaluation of lesion size change in femoral head osteonecrosis using three - dimensional magnetic resonance imaging and image registration[J]. *J Orthop Res*, 2006, 24(6): 1231 - 9.
- [5] Fayers PM, Machin D. Quality of life: assessment, analysis and interpretation[M]. New York: John Wiley & Sons, Ltd; 2007.
- [6] Dennis Revicki, Recommended methods for determining responsiveness and minimally important differences for patient - reported outcomes[J]. *Journal of Clinical Epidemiology*, 2008, (61): 102 - 109.
- [7] Higginson, et al. Measuring quality of life: Using quality of life measures in the clinical setting[J]. *British Medical Journal*, 2001: 1297 - 1300.
- [8] Jacqui Wise, NHS publishes data on patient reported health outcomes[J]. *BMJ*, 2010, (341): 5143.
- [9] John F. Scoggins, The use of patient - reported outcomes instruments in registered clinical trials: Evidence from ClinicalTrials. gov, *Contemporary Clinical Trials*, 2009, (30): 289 - 292.
- [10] Hawkes N. How do we get the measure of patient care[J]. *BMJ*, 2008, (2): 336.
- [11] M. Jäger, M. Herten, Bone Marrow Concentrate; a novel tool for bone repair[J]. O. Dössel and (Eds.): WC, IFMBE Proceedings 2009, (8): 116 - 118.
- [12] You - Shui Gao & Chang - Qing Zhang, Comment on: Osteogenic abilities of bone marrow stromal cells are not defective in patients with osteonecrosis[J]. *International Orthopaedics (SICOT)*, 2010, (34): 457.
- [13] Krahn M, Bremner KE, Tomlinson G, et al. Responsiveness of disease - specific and generic utility instruments in prostate cancer patients[J]. *Qual Life Res*, 2007, (3): 509 - 22.
- [14] T. Lockett, Choosing patient - reported outcome measures for cancer clinical research - Practical principles and an algorithm to assist non - specialist researcher[J]. *Eur J Cancer*, 2010, 10(46): 3149 - 3157.
- [15] Leah McClimans, A theoretical framework for patient - reported outcome measures[J]. *Theor Med Bioeth* 2010, (31): 225 - 240.

(2013 - 12 - 16 收稿 责任编辑:曹柏)