



内科疾病循证治疗学丛书

丛书总主编 邹萍 侯晓华 陈璐璐 陈智超

Evidence-Based. Therapeutics of Endocrine and Metabolic Disease

内分泌代谢病循证治疗学

主编 陈璐璐 副主编 曾天舒



WUHAN UNIVERSITY PRESS

武汉大学出版社



内科疾病循证治疗学丛书

丛书总主编 邹 萍 侯晓华 陈璐璐 陈智超

Evidence-Based
Therapeutics
of Endocrine and
Metabolic
Disease

内分泌代谢病循证治疗学

主编 陈璐璐 副主编 曾天舒



WUHAN UNIVERSITY PRESS

武汉大学出版社

图书在版编目(CIP)数据

内分泌代谢病循证治疗学/陈璐璐主编;曾天舒副主编. —武汉: 武汉大学出版社, 2007. 9

内科疾病循证治疗学丛书

ISBN 978-7-307-05262-8

I. 内… II. ①陈… ②曾… III. ①内分泌病—治疗学 ②代谢病—治疗学 IV. R580.5

中国版本图书馆 CIP 数据核字(2006)第 116367 号

责任编辑:沈建英 夏敏玲

责任校对:黄添生

版式设计:詹锦玲

出版发行: 武汉大学出版社 (430072 武昌 珞珈山)

(电子邮件: wdp4@whu.edu.cn 网址: www.wdp.com.cn)

印刷:湖北科学技术出版社黄冈印刷厂

开本:720×1000 1/16 印张:29.125 字数:446千字 插页:1

版次:2007年9月第1版 2007年9月第1次印刷

ISBN 978-7-307-05262-8/R·111 定价:39.00元

版权所有,不得翻印;凡购我社的图书,如有缺页、倒页、脱页等质量问题,请与当地图书销售部门联系调换。

《内分泌代谢病循证治疗学》编委名单

(按姓氏笔画为序)

邓秀玲	孙 晖	李裕明
陈璐璐	郑 涓	夏文芳
袁 莉	曾天舒	黎慧清

总 序

近几年来，临床医学与实践进入了一个全新的时代，临床医学模式发生了巨大转变，即从传统的经验医学转变为循证医学（Evidence Based Medicine, EBM）。EBM 是国际医学界倡导的科学发展方向，并已成为当前医学研究的热点。

循证医学指全面、系统地收集、整理和应用所获得的最好的医学文献证据，对患者个体做出合理的临床决策，即制定、实施有科学依据的诊断、治疗方案的过程。传统的经验医学是以医师的临床实践经验为主，结合对病人发病机制、病理生理改变等基础知识的认知与理解，进而对病人做出临床判断并予以相应的治疗。而循证医学却强调临床医师应在仔细采集病史和体格检查的基础上，根据临床实践中需要解决的问题，进行有针对性的实验和功能辅助检查及相关信息、文献资料的查询，并对这些结果进行认真评估，从中找到对每个病人所患疾病最有力和最适宜的证据，再经过严谨、科学的分析判断，最后将最适合的诊断意见、较明确的预后评价及最安全有效的治疗方法用于对每个具体病人的服务。显然，经验医学在临床实践中只凭医师的所谓实践经验而缺乏最佳、最新、最有力的临床试验证据，临床医师极有可能采用已经过时的旧的诊疗方法，甚至给病人造成不必要的损害。医师的经验虽然非常有用，但许多事实却经不起科学的检查验证，例如过去认为 β -阻滞剂具有负性肌力作用，禁用于心力衰竭患者，1975 年瑞典学者 Waagstein 首先以 β -阻滞剂治疗扩张型心肌病心功能不全获得临床效果。以后，通过 MERIT-HF 等二十几个大型双盲对照研究，观察 1 万余例心力衰竭患者，证明 β -阻滞剂能显著降价心力衰竭患者死亡率及住院率。现在

β -阻滞剂已常规用于治疗心功能Ⅱ～Ⅲ级的心力衰竭患者，包括缺血性与扩张性心肌病，但瓣膜病例外。

循证医学作为一门新兴的临床医学基础学科，其核心思想是应用当前最佳临床研究证据，结合医生的专业知识，重视患者的意愿，三者有机结合进行医疗决策。循证医学的基本步骤包括提出临床问题，全面收集证据，科学评价证据，应用最佳证据指导临床实践，最后评价实践结果。循证医学的推广对临床工作的影响是显而易见的，将有利于促进临床决策的科学化，提高医疗质量；有利于促进医务工作者业务素质的提高；有利于促进医疗实践与医学研究相结合，提高科研水平。

近年来，循证医学证据在心血管、神经、呼吸、血液、内分泌、风湿以及肾脏内科等内科各学科的积累已经较为丰富，使循证内科学的发展进入一个新阶段。本丛书将从循证医学的角度，总结各内科学科的诊治进展，希望能对临床诊疗决策提供最佳的证据，从而提高各专科的诊治水平。

心血管病内科领域是循证医学研究和实践的典范，一系列大规模随机对照临床试验为循证医学提供了证据，大大提高了心血管病临床治疗水平。20世纪60年代，美国率先开始了治疗高血压的临床试验。70年代，欧美国家开始大样本多中心随机对照临床试验。80年代中期，中国开始了大样本抗高血压随机对照临床试验。近30年来，国内外已完成了数百项大样本随机对照心血管临床试验，为循证医学提供了宝贵的研究证据和实践经验。1992年David Sackett教授提出循证医学的概念。同年英国建立Cochrane中心，宣传循证医学。1992年美国心脏病学会杂志(JAMA)发表了循证医学工作组对循证医学论述的文章。自80年代以来，我国已经完成了10多个药物治疗心血管病的大型临床试验，样本数由几百例到2万例不等。从我国已完成的心血管病大样本随机对照临床试验的回顾分析来看，80年代是起步，虽有不足，但迈出了重要的一步；90年代后期渐趋成熟，在科研设计、随机方法和质量控制方面基本与国际接轨，参与的国际多中心大样本随机对照临床试验(如降压治疗预防脑卒中再发的研究)，多项研究质量指标名列前茅，得到了国际同行的认可。我国学者也对抗高血压临床试验、转换酶抑制剂治疗心肌梗死的大样本随机临床试验以及他汀类调脂药治疗缺血性心

脏病的大样本随机临床试验作了简要的汇总分析,为心肌梗死和冠心病及高血压的临床治疗指南提供了证据。我国完成的大样本随机对照临床试验 Syst-China、STONE、PATS、CCS-1、CAST 等已被国内外有关心脑血管病治疗指南引证或参考,为世界心脑血管病临床治疗水平的提高做出了贡献。

循证神经病学是随着世界循证医学和临床神经病学的进步而发展的。国际上将循证医学理念引入神经疾病领域始于 20 世纪 90 年代初期,并且最先是从小脑血管病的循证防治开始的。英国爱丁堡大学神经内科于 1993 年成立了 Cochrane 脑卒中协作组,率先在神经疾病领域开展提供系统评价证据的工作,随后发表了神经疾病领域最大的多中心随机对照试验 (International Stroke Trial, IST)。其基于社区的卒中登记项目 (OCSP) 为了解卒中中自然病史和疾病规律提供了大量可靠的临床证据,为循证神经病学的发展起到了带头和示范作用。但循证医学在神经疾病临床领域的应用尚不平衡。脑血管病、癫痫、帕金森病等领域的随机对照试验证据相对较多,而另一些少见疾病的证据则相对较少。

循证医学在临床血液学中也有了长足的发展,按照特定的病种和疗法,全面收集全世界已发表或未发表的临床研究结果,采用临床流行病学方法严格评价文献,筛选出符合质量标准的文献进行定量合成 (Meta 分析),得出的系统综述,对血液病学如口服铁剂治疗肾性贫血的有效性、肿瘤病人伴粒细胞减少的抗真菌治疗、5-HT₃ 受体拮抗剂和传统止吐药预防化疗后呕吐疗效的随机对照研究等各种问题进行了评价。以循证医学为基础的实践指南 (Evidence-based Clinical Practice Guideline),如美国血液学会编制的 ITP 实践指南,美国临床肿瘤学会编制的 CSF 使用实践指南,加拿大编制的促红细胞生成素 (EPO) 在非血液系统恶性肿瘤病人化疗后预防和治疗慢性病贫血的实践指南,美国癌症综合网络 (NCCN) 每年更新的对急性髓系白血病 (AML)、慢性粒细胞白血病 (CML)、骨髓瘤以及淋巴瘤的治疗指南等在近年来大量出现,为临床医疗决策提供了极好的依据。

循证医学在内分泌领域的应用起步稍晚,现主要在糖尿病及甲状腺疾病诊疗方面应用较多。在糖尿病一级预防的价值及方式方面,英国的前瞻性糖尿病研究 (UKPDS)、芬兰糖尿病预防研究 (The Finnish Dia-

betes Prevention Study, FDPS)、糖尿病预防计划 (Diabetes Prevention Program, DPP)、中国的大庆研究以及 STOP-NIDDM 研究均提示, 对糖耐量受损 (Impaired Glucose Tolerance, IGT), 即糖尿病前期 (prediabetic stage), 进行强化生活干预 (加强体力锻炼和科学饮食) 或应用拜糖苹等药物干预, 可以显著降低进展为 2 型糖尿病的危险。在糖尿病的第二级预防方面, 糖尿病控制与并发症试验 (Diabetes Control and Complications Trial, DCCT) 经过平均 6.5 年的治疗后, 证实强化治疗组患者的糖化血红蛋白 (A_{1c}) 水平为 7.2%, 并发现糖尿病眼、神经系统和肾脏并发症较传统治疗组大为降低, 且接受强化治疗的患者在研究结束后的 4 年随访期间, A_{1c} 水平虽然与传统治疗组持平, 眼和肾脏的并发症危险却仍然很低。强化治疗开始的时间越早, 持续的时间越长, 降低糖尿病并发症危险的机会就越大。UKPDS 经过 20 年的研究也得出类似结论。在 Graves 病的治疗, 如抗甲状腺药物 (Antithyroid Drug, ATD) 治疗、 ^{131}I 放射治疗及手术治疗等方面也已有较多证据的积累。

对于呼吸系统疾病, 循证医学为慢性阻塞性肺疾病 (COPD) 治疗中的支气管扩张剂、皮质类固醇以及抗生素等的应用, 支气管哮喘治疗中皮质类固醇、 β_2 受体激动剂、抗胆碱能药物、炎性介质拮抗剂、硫酸镁、特异性免疫治疗以及其他抗炎症抗过敏药物的应用, 急性支气管炎应用抗生素, 呼吸系统疾病的临床循证诊断以及阻塞性睡眠呼吸暂停综合征治疗等呼吸系统疾病的诊治提供了大量的证据。

Cochrane 协作网 50 个系统评价组 (CRCs) 中, 消化系统的 CRCs 组共有 5 个, 分别是肝胆组、炎性肠病组、上消化道和胰腺疾病组、结肠癌组及失禁组 (包括大便失禁和尿失禁), 在各种消化系统疾病, 如克罗恩病硫唑嘌呤或 6-巯嘌呤诱导缓解治疗、硫唑嘌呤维持治疗、抗结核药物对克罗恩病的维持治疗、皮质激素维持治疗克罗恩病; 溃疡性结肠炎、非溃疡性消化不良、胃-食道返流综合征 (CORD)、NSAIDs 诱发胃、十二指肠溃疡的预防、生长抑素对急性食道静脉曲张破裂的效果、肠梗阻的治疗等问题方面均有较多证据的积累。

迄今, 肾脏病的临床证据仍远较心脏病等专业少, 并且主要集中在治疗研究, 但这些研究已澄清了过去不少有争议的问题, 纠正了一些错误认识, 在指导临床治疗实践中发挥了重要作用。如肾实质性高血压的

治疗、慢性肾脏病肾性贫血的治疗、慢性肾脏病的低蛋白饮食治疗等。

循证风湿病学的发展远远落后于心血管病，Dieppe 查阅 1997 年 Cochrane 资料库后发现，在肌肉骨骼部分 15 个完整的报告中，大多数涉及骨折或背痛，4 个与风湿标题有关的 3 个是风湿病的药物治疗，在仅有的 2 个完整的风湿病学评论中 1 个涉及对比不同非甾体抗炎药对骨关节炎的影响。

目前循证医学尚在发展阶段存在着不少问题：（1）最佳证据常难以取得。经验医学时期进行的 RCT 本身常常存在设计上的缺陷，将其作为循证医学的证据存在着先天不足。循证医学提出后，进行的 RCT 也有可能存在不足，如观察时间较短、安慰剂效应、研究人群选择差异以及统计分析误差等，均可影响证据的可靠性。（2）临床中大量的治疗研究还未纳入 META 分析，许多疾病的治疗尚无法定论甚至结论互相矛盾。也有一些研究，如致死性感染性疾病的研究、少见病和疑难病的研究等，常无法进行 RCT。（3）循证医学强调人群研究容易造成对临床医疗个体化原则的忽略，如何辨证地处理好这些关系，也是医疗实践中的一个重要问题。

邹萍
2006 年 9 月

目 录

绪论 循证医学原则在内分泌代谢性疾病临床 实践中的应用	陈璐璐 (1)
第一章 下丘脑垂体疾病的循证治疗学	(8)
第一节 垂体瘤	夏文芳 (8)
第二节 催乳素瘤及高催乳素血症	夏文芳 (19)
第三节 巨人症和肢端肥大症	夏文芳 (27)
第四节 腺垂体功能减退症	夏文芳 (40)
第五节 生长激素缺乏及矮小症	李裕明 (59)
第二章 甲状腺疾病的循证治疗学	(90)
第一节 甲状腺功能亢进症	孙 晖 (90)
第二节 甲状腺结节	邓秀玲 孙 晖 (98)
第三节 甲状腺功能减退症	邓秀玲 孙 晖 (114)
第三章 肾上腺疾病的循证治疗学	(125)
第一节 肾上腺意外瘤	郑 涓 (127)
第二节 Cushing 综合征	郑 涓 (133)
第三节 原发性醛固酮增多症	郑 涓 (144)
第四节 嗜铬细胞瘤	郑 涓 (150)
第五节 慢性肾上腺皮质功能减退症	郑 涓 (156)

第四章 糖尿病的循证治疗学	(163)
第一节 糖尿病的治疗与预防	袁 莉 (167)
第二节 糖尿病患者降压治疗的循证医学问题	陈璐璐 (206)
第三节 糖尿病肾病的循证治疗学	陈璐璐 (226)
第四节 糖尿病神经病变	袁 莉 (242)
第五节 糖尿病急性并发症	曾天舒 (264)
第五章 甲状旁腺疾病和代谢性骨病	(275)
第一节 原发性甲状旁腺功能亢进症	曾天舒 (275)
第二节 原发性骨质疏松症	曾天舒 (283)
第三节 类固醇性骨质疏松症	曾天舒 (304)
第四节 变形性骨炎	曾天舒 (313)
第六章 其他代谢性疾病的循证治疗学	(322)
第一节 代谢综合征	袁 莉 (322)
第二节 肥胖症	袁 莉 (350)
第三节 血脂异常	袁 莉 (375)
第四节 痛风和高尿酸血症	李裕明 (410)
第七章 循证性激素治疗学	(424)
第一节 雌激素替代治疗	黎慧清 (424)
第二节 成年男性性腺功能减退的循证治疗学	曾天舒 (442)

绪 论

循证医学原则在内分泌代谢性疾病 临床实践中的应用

【循证医学的概念】

循证医学 (evidence-based medicine, EBM), 即遵循证据的医学实践过程, 其核心是指临床工作者应基于新近最佳临床科学研究证据 (current best evidence) 作出慎重的、准确的和明智的诊治决策。循证医学强调医生的个人经验及权威意见并不能证明其对某个病例的治疗方案一定是合理的, 同时强调在考虑到病人的价值和意愿的基础上, 将最适宜的诊断方法、最精确的预后估计及最安全有效的治疗手段应用于每个具体患者, 目的是为了临床医疗决策的科学化。

传统医学则是以经验医学为主, 医师对于诊断试验、治疗方法和预后的有效性评价是建立在非试验性的临床经验以及对发病机制和病理生理知识理解的基础上, 甚至有的是凭直觉来处理病人。然而, 传统医学

与循证医学并不是互相对立的，传统医学对各种疾病基础知识的理解是进行各项科学研究的基础，循证结论的有效性有赖于大量高质量的临床研究。但在那些缺乏大量研究的领域，专家的意见就可作为循证证据来使用，因此临床实践和经验在循证医学中也是十分重要的。缺乏临床实践经验的医生即使得到最好的证据也可能用错。

由此可见，循证医学是在传统医学的基础上逐步发展起来的，并为临床疾病的诊断和治疗提供了更科学的决策依据，其在临床医学界的兴起标志着临床医学将从经验医学进入循证医学。

【循证的过程】

循证的过程就是一个系统的文献收集和评估的过程，随之将所有文献按证据的质量进行分级，最后得出最佳的推荐结论。随机对照试验（randomized controlled trials, RCT）和根据收集的质量较高的 RCT 研究进行的系统综述（systematic reviews）是为临床实践提供可靠依据的主要来源。目前人们已普遍接受的大规模 RCT 能最大限度地减少系统和非系统偏倚，是当前评估各种干预措施效果的最佳方法。系统综述是针对某一具体临床问题系统全面地收集所有相关文献，用统一的科学评价标准进行文献筛选和评估，并用统计学方法如荟萃分析（meta-analysis）进行综合，从而获得定量结果。同时，根据新出现的临床研究结果及时予以更新。由于荟萃分析通过增大样本量来增加结论的可信度及解决许多研究结果中的不一致性，因此系统综述获得的结论也是比较可靠的。最近 20 年，使用 RCT 的临床研究正在快速增长。在 20 世纪 80 年代后期，每年大约有 5 000 篇 RCT 文献出版，到 1998 年 RCT 文献的年度出版量已超过 1 万篇。层出不穷的临床科学证据，只有被临床医师熟知和应用，才能对疾病的诊治产生重大影响。长期以来用传统医学解决临床问题的习惯造成了某些疗法虽有充分证据证明有效，却未能及时得到采用，如心肌梗死的溶栓疗法在 20 世纪 70 年代已有多篇文献证实有效，但到 80 年代末才被广泛应用。而另一些疗法根本无效甚至有害，却长期不被废弃，如临床上一直应用的抗心律失常药物利多卡因预防急性心肌梗死后的心律失常，而 RCT 的结论证明利多卡因虽然可以抑制室性心律失常的发生，但反而增加了病人的总死亡率，对病人有害无益。因

此,将循证医学原则应用到各科疾病中去,用以指导最佳治疗是十分必要的。

【循证内分泌学的发展】

循证内分泌学起步相对较晚,只是近十余年才得到较快的发展,主要是由于缺乏高水平的评价患者临床后果的证据,缺乏对这些证据的系统综述,以及从事内分泌专业的人员缺乏循证医学的系统训练。随着大规模 RCT 研究的不断开展,内分泌代谢疾病的治疗学也相继获得了许多重要成果。其中最引人注目的是美国 1 型糖尿病并发症试验 (DCCT) 和英国前瞻性糖尿病研究 (UKPDS)。自 1983 年开始,于 1993 年结束的 DCCT 是迄今为止在 1 型糖尿病患者中进行的规模最大的前瞻性随机对照临床试验,1 441 例平均年龄 27 岁的 1 型糖尿病患者随机分为强化治疗组和常规治疗组。强化治疗组患者每日注射胰岛素 3~4 次或用胰岛素泵治疗,每日测血糖数次,按需随时调整胰岛素剂量;而常规治疗组则每日注射 1~2 次中、长效或混合胰岛素。结果发现,在平均疗程 6.5 年中,两组患者 HbA_{1c} 中位数相差 1.7% (7.2% vs 8.9%)。试验结束时,与常规治疗组比较,强化治疗组糖尿病并发症风险的下降率分别为:视网膜病变为 76%,神经病变为 60%,肾脏病变为 50%。强化治疗组糖尿病微血管并发症风险下降与常规治疗组相比有显著性差异。在获取 DCCT 结果之前,对严格血糖控制是否较一般控制能延缓及减轻糖尿病并发症的发生和发展一直存在争议,DCCT 的结果清楚地揭示了严格血糖控制的益处,并对此后 1 型糖尿病患者的强化治疗提供了有力的证据。但是 DCCT 的结果并不能用来指导 2 型糖尿病患者的治疗。1998 年完成的 UKPDS 则是在 2 型糖尿病患者中进行的临床大规模试验,其目的在于回答一个基本问题,即在 2 型糖尿病患者中,强化血糖控制是否也能降低糖尿病并发症的危险。该研究历时 11 年,入组了 5 102 例新诊断的 2 型糖尿病患者,强化治疗组用磺酰脲类药物、胰岛素、二甲双胍 (仅肥胖患者) 治疗,平均疗程为 10.4 年。结果显示,强化治疗组 (磺酰脲类、胰岛素) 与常规治疗组 HbA_{1c} 中位数相差 0.9% (7.0% vs 7.9%),全部糖尿病相关的终点减少 12%,微血管病变 (包括视网膜病、肾病、神经病变) 减少了 25%,白蛋白尿减少了 33%,

均存在显著性差异。大血管病变如心肌梗死虽减少了16%，但没有统计学差异。而用二甲双胍治疗的肥胖2型糖尿病患者所有糖尿病相关的终点下降了32%，糖尿病相关死亡率下降了42%，所有原因相关死亡率下降了36%，心肌梗死下降了39%，与常规治疗组比较均存在显著差异，其微血管病变虽下降了29%，但没有统计学差异。DCCT和UK-PDS首次应用循证医学的方法证明了强化血糖控制较一般血糖控制能显著延缓和减轻1型、2型糖尿病并发症的发生、发展，为糖尿病的合理治疗提供了有力证据。随之陆续开展的一系列大型、随机、对照临床试验如CAPPP、HOPE、ALLHAT、INSIGHT、LIFE、HOT、IRMA2、RENAAL、IDNT等数十项研究则为糖尿病合并高血压、肾病、心血管疾病等的防治提供了治疗依据，虽然许多研究并非单纯为糖尿病患者而设计，但由于其研究对象中包含相当数量的糖尿病人群，通过糖尿病亚组分析，仍然能得出许多可应用于糖尿病人群的结论。

【循证医学的实施步骤】

那么，如何将循证医学原则具体应用到临床实践中去呢？循证医学实施的具体步骤包括：（1）确定一个需要回答的问题，如将在诊断、治疗、预防、预后等各方面的临床情况转换为一个可以回答的问题形式；（2）寻找可以回答上述问题的最佳证据，通过上网、图书馆检索等收集相关问题的资料；（3）评价证据的正确性、可靠性及作用的大小和临床上的实用性；（4）将所获得的循证结论应用于具体患者的临床治疗。以临床上常见的甲状腺功能亢进症的治疗为例，抗甲状腺药物的使用已超过半个世纪，人们对这些药物的作用机制、药代动力学和临床药理学已有了相当了解，但临床医师在如何最佳使用这些药物上仍然面临着许多实际问题。例如，一个明确诊断为甲状腺功能亢进症的患者，准备给予抗甲状腺药物治疗，临床医生实际上可能面临这样一些问题：最佳治疗应该使用哪一类药物，是丙基硫氧嘧啶（PTU）还是甲巯咪唑？开始使用的药物剂量是多少？药物剂量的选择会影响疾病的转归吗？患者应治疗多长时间？在抗甲状腺治疗过程中合并使用L-T₄会增强治疗效果和减少复发吗？通常医生都是根据经验来决定治疗方案，虽然大多数时候有效，但是否为最佳的治疗方案却没有可靠的依据。实际

上,上述问题惟有通过循证的方法才能获得答案,才能使患者获得最佳的治疗选择。应用循证医学的实施步骤,在提出这些实际的问题后,就可上网查询相关的文献资料,并将这些资料按证据等级分级评价,尽可能使用描述 RCT 的证据及根据 RCT 进行的系统综述。通过循证结果发现,甲巯咪唑应该是治疗 Graves 病甲状腺功能亢进的优先选择药物。对于患者的预后,通常很难预先判断患者的转归情况,但那些疾病较轻、甲状腺体积较小、缺乏循环抗-TSH 受体抗体的患者预后较好;大剂量(甲巯咪唑超过 60mg/d、PTU 超过 600mg/d)、长疗程(超过 12~18 个月)、合并应用 L-T₄ 治疗对疾病的转归和复发没有益处。最后,将获得的循证结论与临床上患者的具体情况(如病情轻重、甲状腺肿大的程度等)相结合,确定具体的、最佳的治疗方案。以上所述是一个完整应用循证医学程序解决临床问题的范例,但是在实际的临床应用中,由于时间和精力有限,我们更多的是将已经获得的可靠的循证结论直接应用到临床实践中,循证医学的实施过程缩短了,其基本原则却没有改变。对于那些还没有现成答案的临床问题,就惟有通过完整的循证医学程序以获得最佳的治疗决策了。

在循证医学的实施过程中,还有一个非常值得注意的问题需要考虑,即临床经济评价。临床经济评价是临床医生应用经济学的原理和方法评价疾病诊断、预防和治疗技术与措施的经济学效果,指导临床医生在诊疗过程中做出更合理的选择。临床医生在选择一项医疗措施的时候,不仅要注意其临床结果,如有效率、治愈率、敏感性、特异性,更要注意提高病人的生活质量以及所花费的医疗成本。成本-效果分析(cost-effectiveness analysis, CEA)是目前在医疗领域中最常用的一种经济评价分析方法,是通过分析成本消耗后得到的效果来确定最有效的使用有限资源的一种方法。对于内分泌代谢疾病来说,许多患者需要接受长期治疗,最佳的治疗策略对患者来说也一定应是成本-效果最高、经济上能够承受的决策;否则,即使有最佳的治疗方案,也没有实际的使用价值。目前,国外的许多治疗指南均进行了完善的成本-效果分析,以利于合理的治疗决策,但在国内,成本-效果分析还相当滞后,临床经济评价长期处于被忽略甚至缺乏的状态。由于国内外经济环境的差别,直接借鉴国外的成本-效果分析结果可能会导致错误的决策。因此,

加强在这一领域的临床研究已显得尤为迫切，在今后的循证医学实践过程中，必须注重对临床预防、诊疗的成本-效果分析。

自从 1948 年英国医学研究会领导开展了世界上第一个临床 RCT，肯定链霉素治疗肺结核的疗效以来，已有 10 万多篇 RCT 文章发表，临床研究所获得的证据在医疗实践决策中的地位越来越重要。那些仅仅涉及少数患者的个别研究可能会因为抽样误差得出不正确的结论，从而导致不理想甚至错误的决策。因此如何寻找合适的证据，怎样来评价现有的证据以及如何将证据用于解决病人的问题等方面都需要不断地学习。通过学习循证医学的基本理论和方法，合理设计大规模的 RCT 研究，使循证医学在日常医疗实践中得以应用，从而有力促进临床医疗质量的提高十分重要。已经有大量的事例证明许多理论上应该有效的治疗方法或方案在实际应用中却是无效甚至是有害的，这样不仅增加患者的医疗成本，延误疾病的诊断治疗，有时还会造成严重的后果。因此，临床医师要养成在临床实践中自觉应用循证原则解决实际问题的习惯，努力使提供给患者的治疗方案做到有根有据，而不是凭经验和疾病的病理机制等进行想象和推测。

【参考文献】

1. Ginsberg BJ, Mazze R. Clinical consequences of the Diabetes Control and Complications Trial. 1994, 91: 221-224
2. Leslie RD. United Kingdom prospective diabetes study (UKPDS): what now or so what? Diabetes Metab Res Rev, 1999, 15: 65-71
3. 王吉耀主编, 循证医学与临床实践, 北京: 科学出版社, 2002
4. Craig JC, Irwig LM, Stockler MR. Evidence-based medicine: useful tools for decision making. Med J Aust, 2001, 174: 248-253
5. Cooper DS. Antithyroid drugs in the management of patients with Graves disease: an evidence-based approach to therapeutic controversies. J Clin Endocrinol Metab, 2003, 88: 3474-3481
6. Devereaux PJ, Yusuf S. The evolution of the randomized controlled trial and its role in evidence-based decision making. J Intern Med, 2003, 254: