

CLINICAL  
RESEARCH  
DESIGN AND PRACTICE

# 临床研究 设计与实践

主编 孙颖浩 贺 佳



人民卫生出版社  
PEOPLE'S MEDICAL PUBLISHING HOUSE

# 临床研究 设计与实践

主 编 孙颖浩 贺 佳

副主编 贺 祥 吴 骋 王 睿 秦婴逸

编 者 (按姓氏拼音排序)

高青斌 郭晓晶 韩贺东 何 倩 贺 佳

贺 祥 金志超 刘厚佳 陆 健 秦婴逸

宋嘉麒 孙颖浩 王 睿 王志勇 吴 骋

徐 拯 许金芳 叶小飞 张新佶 赵艳芳

学术秘书 郭晓晶 赵艳芳

人民卫生出版社

图书在版编目(CIP)数据

临床研究设计与实践 / 孙颖浩, 贺佳主编. —北京: 人民卫生出版社, 2017

ISBN 978-7-117-25432-8

I. ①临… II. ①孙… ②贺… III. ①临床医学—研究  
IV. ①R4

中国版本图书馆 CIP 数据核字(2017)第 264541 号

人卫智网	<a href="http://www.ipmph.com">www.ipmph.com</a>	医学教育、学术、考试、健康, 购书智慧智能综合服务平台
人卫官网	<a href="http://www.pmph.com">www.pmph.com</a>	人卫官方资讯发布平台

版权所有, 侵权必究!

临床研究设计与实践

主 编: 孙颖浩 贺 佳

出版发行: 人民卫生出版社(中继线 010-59780011)

地 址: 北京市朝阳区潘家园南里 19 号

邮 编: 100021

E - mail: [pmph@pmph.com](mailto:pmph@pmph.com)

购书热线: 010-59787592 010-59787584 010-65264830

印 刷: 三河市尚艺印装有限公司

经 销: 新华书店

开 本: 787×1092 1/16 印张: 12 插页: 1

字 数: 292 千字

版 次: 2017 年 11 月第 1 版 2017 年 11 月第 1 版第 1 次印刷

标准书号: ISBN 978-7-117-25432-8/R·25433

定 价: 49.00 元

打击盗版举报电话: 010-59787491 E-mail: [WQ@pmph.com](mailto:WQ@pmph.com)

(凡属印装质量问题请与本社市场营销中心联系退换)

# 前 言

在新科技革命创新浪潮的推动下，“研究型医院”这一医院创新性发展的战略规划应运而生，其建设基础是研究型学科，关键是研究型人才。为配合研究型科室和研究型医师建设工作，我们编写此书，旨在培养临床医师的职业敏感性，促使其遵循医学科学规律，注重总结、提炼、发现临床研究问题，积极开展科学研究，提高诊疗水平，促进其在临床工作中以研究者的姿态投入临床实践。

临床科研水平的提高重点在于科研思路、研究设计、正确分析、合理解释等方面的知识与技能水平的提高。与之相呼应，本书采用“案例引入—案例解析—统计实践—结果解释—研究结论—论文报告”的思路撰写。各章均以近年国际顶尖杂志上发表的临床研究案例导入，解析其研究思路、研究设计、研究方法与主要结果。首先使读者对案例所涉及的临床研究类型形成整体认识。结合案例，详细介绍对应研究类型下的统计设计方法、统计分析方法及统计结果，包括研究对象的选择、统计设计的要点、样本量估算方法与 PASS 软件实现过程、统计方法及其应用注意事项、统计结果的解释等。部分案例还将剖析其统计学分析方法的缺陷。帮助读者了解如何合理选用、正确实施统计学方法，科学解释研究结果，得到研究结论。在各章最后，介绍国际上公认的对应该研究类型的论文报告规范，使读者能够规范合理、科学准确地报告研究成果，增强与国内外同行的交流。

本书从内容上涵盖了观察性研究、实验性研究、基于文献的研究等所有临床研究类型，以及比较效果研究、生物标记物驱动的临床研究等新兴研究类型。第一章为绪论，介绍临床研究的类型、步骤，新兴医学研究理念，以及常用统计软件。第二章为病例报告及病例系列研究，围绕案例分别介绍两类研究的设计、实施要点，及其论文报告规范——CARE。第三章至第五章为传统的观察性研究，分别介绍横断面研究、队列研究、病例报告研究，及其论文报告规范——STROBE。第六章为比较效果研究，在介绍比较效果研究基本概念的基础上，围绕案例介绍研究设计与统计分析方法，以及好的比较效果研究的评价标准——GRACE 清单。第七章和第八章为传统的实验性研究，分别介绍随机对照临床试验、非随机对照临床试验，及其论文报告规范——CONSORT、TREND。第九章为诊断试验，介绍含金标准、不含金标准等不同情况下的诊断试验设计、分析要点，及其论文报告规范——

STARD。第十章为 meta 分析,在介绍基本概念与步骤的基础上,围绕案例分别介绍基于 RCT 的 meta 分析、基于诊断试验的 meta 分析、剂量效应关系的 meta 分析和网络 meta 分析。第十一章和第十二章为一些新兴的临床研究类型,其中第十一章为生物标记物驱动的临床研究,包括富集设计、篮式设计、伞式设计;第十二章为临床医学研究中的信息平台及应用,在介绍临床医学研究常见信息平台的基础上,围绕案例分别介绍如何利用医疗信息系统、如何利用生物样本库、如何利用临床随访资料数据库开展临床研究。需要说明的是,除个别案例外,本书选择的临床案例均为在国际顶尖杂志上发表的文献,读者通过 PubMed 可免费获得原文。

本书注重解决临床研究设计与实践中的具体问题,既可作为研究型医师的培训教材,也可供从事临床医学科研的相关人员、医学院校师生,及医药企业临床研究相关人员等作为参考书或工具书使用。

由于编者的能力水平和认识有限,不可避免地存在不足和缺陷,望广大读者提出宝贵的意见和建议。

孙颖浩 贺佳

2017年5月

# 目 录

第一章 绪论	1
第一节 医学研究的常见类型	1
一、实验性研究	1
二、观察性研究	2
第二节 医学科研工作的基本步骤	3
一、科研选题、设计与实施	3
二、数据管理与统计分析	4
三、科研结论与研究报告	5
第三节 常用统计软件简介	6
一、常用样本量估算软件	6
二、常用统计分析软件	6
第二章 病例报告及病例系列分析	9
第一节 病例报告	9
一、案例介绍	9
二、案例解析	12
三、病例报告写作指南 CARE	13
第二节 病例系列分析	14
一、案例介绍	14
二、案例解析	17
第三章 横断面研究	19
第一节 案例介绍	19
一、研究目的	19
二、研究方法	19

三、研究结果 .....	20
四、研究结论 .....	21
第二节 案例解析 .....	21
一、如何选择研究种类 .....	21
二、如何设计 .....	21
三、如何估算样本量 .....	23
四、如何进行抽样 .....	24
五、如何收集数据 .....	26
六、如何进行统计分析 .....	28
七、统计学评价 .....	29
八、如何报告研究结果 .....	29
第四章 队列研究 .....	31
第一节 案例介绍 .....	31
一、研究目的 .....	31
二、研究方法 .....	31
三、研究结果 .....	32
四、研究结论 .....	33
第二节 案例解析 .....	33
一、如何设计队列研究 .....	33
二、如何确定混杂因素 .....	34
三、如何进行统计分析 .....	34
四、如何计算人年 .....	35
五、如何估算样本量 .....	36
六、如何进行敏感性分析 .....	37
七、如何控制时依性混杂因素 .....	38
八、什么是未亡时间偏倚 .....	39
九、什么是限制性立方样条 .....	39
十、统计学评价 .....	39
十一、如何报告研究结果 .....	40

<b>第五章 病例-对照研究</b> .....	41
<b>第一节 案例介绍</b> .....	41
一、研究目的 .....	41
二、研究方法 .....	41
三、研究结果 .....	42
四、研究结论 .....	44
<b>第二节 案例解析</b> .....	44
一、如何选择病例 .....	44
二、如何选择对照 .....	45
三、如何确定病例和对照的来源 .....	46
四、如何测量暴露 .....	46
五、如何估算样本量 .....	47
六、如何进行统计分析 .....	48
七、统计学评价 .....	49
八、如何报告研究结果 .....	50
<b>第六章 比较效果研究</b> .....	51
<b>第一节 案例介绍</b> .....	51
一、研究目的 .....	52
二、研究方法 .....	52
三、研究结果 .....	53
四、研究结论 .....	53
<b>第二节 案例解析</b> .....	53
一、如何确定比较效果研究的设计类型 .....	53
二、比较效果研究的特征 .....	56
三、如何控制观察性比较效果研究中的混杂偏倚 .....	57
四、统计学评价 .....	59
五、如何评价比较效果研究的质量 .....	59
<b>第七章 随机对照临床试验</b> .....	61
<b>第一节 案例介绍</b> .....	61



一、研究目的 .....	61
二、研究方法 .....	61
三、研究结果 .....	62
四、研究结论 .....	66
第二节 案例解析 .....	66
一、如何选择设计类型 .....	66
二、如何选择比较类型 .....	66
三、如何进行随机化 .....	68
四、如何选择对照组 .....	69
五、如何实施盲法 .....	69
六、如何估算样本量 .....	70
七、如何进行统计分析 .....	72
八、如何进行 CONSORT 报告 .....	74
<b>第八章 非随机对照临床试验</b> .....	<b>76</b>
第一节 案例介绍 .....	76
一、研究目的 .....	76
二、研究方法 .....	76
三、研究结果 .....	77
四、研究结论 .....	81
第二节 案例解析 .....	81
一、为何采用非随机对照临床试验设计 .....	81
二、非随机对照临床试验的统计学方法 .....	82
三、样本量估算 .....	82
四、非随机对照临床试验设计的注意事项 .....	83
五、统计学评价 .....	84
六、非随机对照研究的报告规范 .....	85
<b>第九章 诊断试验</b> .....	<b>86</b>
第一节 案例介绍 .....	86
一、研究目的 .....	86
二、研究方法 .....	86

三、研究结果 .....	87
四、研究结论 .....	88
第二节 案例解析 .....	88
一、如何设计诊断试验 .....	88
二、如何收集数据 .....	89
三、如何估算样本量 .....	89
四、如何进行统计分析 .....	90
五、统计学评价 .....	97
六、如何报告研究结果 .....	97
<b>第十章 meta 分析 .....</b>	<b>99</b>
第一节 meta 分析的基本概念与基本步骤 .....	99
一、提出研究问题 .....	99
二、文献检索 .....	99
三、选择文献 .....	100
四、数据提取 .....	100
五、文献质量评价 .....	101
六、异质性评价 .....	101
七、合并效应量 .....	101
八、发表偏倚的识别与控制 .....	102
九、亚组分析 .....	102
十、敏感性分析 .....	102
十一、meta 分析报告规范 .....	103
第二节 基于随机对照试验的 meta 分析 .....	103
一、案例介绍 .....	103
二、案例解析 .....	104
第三节 基于诊断试验的 meta 分析 .....	108
一、案例介绍 .....	108
二、案例解析 .....	109
第四节 剂量效应关系的 meta 分析 .....	113
一、案例介绍 .....	113

二、案例解析 .....	114
第五节 网络 meta 分析 .....	116
一、案例介绍 .....	117
二、案例解析 .....	118
第十一章 生物标志物驱动的临床研究 .....	124
第一节 如何进行富集设计及分析 .....	124
一、案例介绍 .....	124
二、案例解析 .....	130
三、富集设计的分类 .....	130
四、富集设计的设计要点 .....	132
第二节 如何进行篮式设计及分析 .....	133
一、案例介绍 .....	134
二、案例解析 .....	140
三、篮式设计的分类 .....	142
四、篮式设计的设计要点 .....	142
第三节 如何进行伞式设计及分析 .....	143
一、案例介绍 .....	143
二、案例解析 .....	150
三、伞式设计的分类 .....	151
四、伞式设计的设计要点 .....	151
第十二章 临床医学研究中的信息平台及应用 .....	154
第一节 临床医学研究常见信息平台简介 .....	154
一、医院一体化临床信息平台 .....	154
二、生物样本库 .....	159
第二节 如何利用医疗信息系统开展研究 .....	161
一、案例介绍 .....	161
二、案例解析 .....	161
三、注意事项 .....	168
第三节 如何利用生物样本库进行研究 .....	170
一、案例介绍 .....	171

二、案例解析 .....	171
三、注意事项 .....	173
第四节 如何利用临床随访资料数据库进行研究 .....	174
一、案例简介 .....	175
二、案例解析 .....	175
三、注意事项 .....	177

# 第一章

## 绪 论 ▶▶▶

临床工作者在日常的临床实践过程中,会碰到大量有关诊断、治疗的影响因素、预后、预测等方面的临床问题,这就需要凝练科学问题,提出研究假说,设计研究方案,开展临床研究。而问题的解决及假说的验证则需要通过开展严密的科学研究方能得到正确的解决。合理的研究设计、正确的研究实施、科学的研究评价是实施高质量科学研究的基本原则。因此,临床工作者需要了解并不断更新医学科学研究从设计到实践的理念和认知,进而提高医学科学研究水平。

目前,在国内外发表的许多临床医学研究中,从研究设计、数据分析、结果表达和解释等方面存在一定的问题。例如,McGuigan 发现 *British Journal of Psychiatry* 于 1993 年发表的文章中,40% 的文章存在统计错误; Welch 和 Gabbe 发现 *American Journal of Obstetrics and Gynecology* 于 1994 年发表的文章中,31.7% 的文章存在统计方法使用不合理的问题;即使如 *Nature* 和 *BMJ* 等著名期刊在结果表达方面存在缺陷的比例也分别高达 38% 和 25%。国内第二军医大学卫生统计学教研室在 2009 年开展的一项“关于国内中华系列杂志的设计和统计分析缺陷的调查”显示,我国部分中华系列期刊于 2008 年发表的 1578 篇文章中,存在设计缺陷的比例为 42.4%,存在统计分析缺陷的比例为 52.2%,存在结果表达或结果解释不合理的比例为 78.2%,另有 73.3% 的随机对照试验报告不符合 CONSORT 规范。

### 第一节 医学研究的常见类型

医学科学研究是以正确的观点和方法探索与医学有关的未知或者未全知的事物或现象的本质和规律的一种实践。其目的在于揭示人体生命本质和疾病机制,认识健康与疾病互相转化的规律,并按此规律提出有效的防治措施,增进人类的健康。因其研究目标、研究条件、研究对象等方面的特殊性,医学科研设计与实践也有其特殊的要求。

根据研究者是否主动地对研究对象施加干预,医学研究分为两大类:研究者主动施加干预的实验性研究(experimental study)和研究者未施加干预的观察性研究(observational study)。

#### 一、实验性研究

实验性研究是指研究者根据研究目的人为地对研究对象施加干预措施的研究,按照对照、重复、随机化的基本原则控制混杂因素的影响,通过对实验结果的分析,评价干预措

施的效果。根据研究对象的不同,实验性研究分为以动物或生物材料为对象的动物实验(animal experiment)、以人为对象的临床试验(clinical trial)和以人群为对象的社区干预试验(community intervention study)。本书主要介绍临床试验的设计与实践,包括随机对照临床试验(randomized controlled trial, RCT)、非随机对照临床试验、诊断试验,以及生物标记物驱动的临床研究。其中随机对照临床试验常被认为是“金标准”研究。但是,由于随机对照试验在研究对象方面具有严格的纳入排除标准,且实施过程中需严格控制合并用药等,也被称为是“理想世界”的研究。

## 二、观察性研究

观察性研究中,研究者不对研究对象施加干预,只是“被动”地观察和记录研究对象的客观情况。观察性研究分为描述性研究和分析性研究。描述性研究主要是对人群的疾病、治疗情况或健康状态等在人群、时间、地区分布等进行描述,主要目的是从样本中获得数据用来推断和评估总体参数,常见的有横断面研究、病例报告及病例系列研究。分析性研究主要是探索疾病的危险因素及健康的保护因素,估计其作用大小,并提出可能的干预措施,常见的有病例对照研究、队列研究。另外,由于医疗卫生信息化技术的应用和发展,积累了大量的医疗卫生数据资源,为医学科学研究提供了丰富的资料,利用医疗信息系统、生物样本库、临床随访资料数据库开展的临床研究也日益增加。这些研究利用现有数据资料进行研究,也属于观察性研究。

由于“理想世界”的随机对照试验结果的内部真实性较高,外部推广性较差,其结果的实际应用易受到限制,因此基于“真实世界”的研究越来越受到关注。真实世界研究(real world study, RWS)起源于实用性临床试验,意指在较大的样本量(覆盖具有代表性的更大受试人群)基础上,根据患者的实际病情和意愿非随机选择治疗措施,开展长期评价,并注重有意义的治疗结局,以进一步评价干预措施的外部有效性和安全性。其涵盖的范围较随机对照试验更宽,除治疗性研究外,还可用于诊断、预后、病因等方面的研究。

研究者通过真实世界研究获取的数据被称为“真实世界数据”(real world data, RWD),按照美国FDA的定义:“真实世界数据是指来自典型临床试验以外的其他类型的医疗保健信息,包括电子健康档案、医疗保险理赔与账单、药品与疾病的注册登记以及从个人医疗器械与保健活动中收集来的数据等”。欧洲研究人员也给出了与FDA非常一致的观点:“真实世界证据被定义为来自于传统随机对照试验以外与临床相关的数据。这种证据的来源丰富多样,如初级和次级保健数据、日常管理数据、注册登记和社交媒体”。

RCT用于评价效力(efficacy),而RWS用于确定效果(effectiveness),两者在数据来源、研究设计等方面均存在较大差别。本书在此以药物评价研究为例对两者的特点进行了比较,详见表1-1。需要注意的是虽然RCT和RWS差别较大,但并不是对立关系,前者的结果常需要后者的进一步验证及拓展,二者综合考虑互相补充才是最佳选择。

虽然常见的观点认为,真实世界研究是非干预的观察性研究。但是,近期有学者提出了不同的看法,如FDA专家认为,干预性试验也可以用于真实世界研究,“在传统的临床试验中,随机化设计被作为基本工具,用来均衡不同试验组之间潜在的风险,以降低试验倚倚,这种工具在真实世界研究中同样有用、同样重要”。FDA专家认为,真实世界证据与临床试验证据的根本区别在于获取数据的场景不同:前者源于实际临床医疗环境或社区等真

实场景,而后者则来自严格的科研学术环境。为了避免对这个新概念的误读,FDA 专家特别强调:“二者间的区别不应该建立在是否存在有计划的干预以及是否采用了随机化试验设计这两种情况之上”。也就是说,真实世界证据也可以来源于干预试验和随机化试验。

表 1-1 随机对照试验(RCT)与真实世界研究(RWS)特点比较

内容	随机对照试验	真实世界研究*
目的	随机对照的效力研究(efficacy) 着重于内部有效性和安全性	真实世界的效果研究(effectiveness) 着重于外部有效性和安全性
数据来源	专门为研究收集,有针对性的测量,数据收集过程常为前瞻性	来源多样,可基于现有数据库如电子医疗记录等,也可专门为研究收集,可前瞻性或回顾性收集
研究人群	有严格的纳入排除标准	实际用药的人群,无严格的纳入排除标准
样本量	通常较小	通常较大
设计	严格控制混杂和偏倚,常结合随机、对照、盲法等实施	为观察性研究,不可避免存在混杂和偏倚,但可实施随机抽样
干预情况	标准化治疗,强调随机分配,有明确的干预	真实性治疗,不干预,根据患者病情和意愿选择干预措施
评价时间及评价指标	通常较短,评价指标为临床终点指标或替代终点指标,如血压、PFS、OS 等	通常较长,多为远期结局,如心血管事件、生活质量、再次入院等
局限性	结论外推性较差	存在偏倚,且样本量较大、随访时间长可能造成研究成本较高
报告规范	CONSORT	STROBE

\* 此处 RWS 特指观察性研究的真实世界研究。

## 第二节 医学科研工作的基本步骤

医学科研课题根据其研究目的和研究任务,采取相应的研究方法和技术路线。遵循的科学研究基本步骤是:科研选题、设计与实施,数据管理与统计分析,科研结论与研究报告。

### 一、科研选题、设计与实施

科研选题、设计与具体实施是科学研究的关键环节,该过程主要是提出假说,进行设计,完善方案,开展研究,搜集论证假说的证据,累积资料和数据。

1. 科研选题就是确定所要研究的题目 医学科研选题是科学研究的起点。研究者发现有价值的问题,提出具体、可行的研究目标。

2. 科研设计是对医学科研项目实施的整体规划 需根据研究目的、现有资源和时间要求等因素,形成清晰、明确、严谨、对研究具有指导价值的研究方案(protocol),通常包括专业设计与统计设计。专业设计是在科研选题的基础上确定主要研究问题、次要研究问题、研究对象、结局指标等;而统计设计则是科学、高效开展科学研究的保证,其基本内容包括确定设计类型、确定研究总体和样本、拟定观察指标及测量方法、数据管理及统计分析计划等,根据医学科研特点和类型不同,内容也不尽相同。由于不同类型和不同研究目的医学

科研课题所采取的具体研究方案均不相同,研究者应根据研究设计类型和研究目的,由临床研究人员和统计学人员共同确定研究方案,也可参考借鉴本书不同章节的典型病例。

3. 医学研究实施过程的核心就是对数据进行收集的过程 在数据收集的过程中,严格的质量控制非常重要。要严格按照设计要求收集资料,一切可能干扰研究结果的因素均应当有效地控制,如处理方法应保持不变,研究的条件、环境保持稳定,采集、测量数据的方法和手段前后一致等。若是多人、多中心合作研究,实施前应对所有参与研究的人员进行统一培训,制定统一的标准操作规范。

另外,临床医学研究涉及患者,常需要获得伦理委员会的批准,其中,《纽伦堡法典》和《赫尔辛基宣言》是伦理委员会遵循的重要指南。若是临床试验,还应当遵守国家食品药品监督管理局颁布的相关法规和指导原则。

临床研究开展之前一般需要在相关的临床研究网站上进行注册,很多杂志对此有要求。目前,临床研究注册的要求是,前瞻性随机对照研究必须在研究开始前注册,观察性研究目前尚无统一要求,但有需要注册的趋势,该规定自 2004 年开始实行。国际认可的临床研究注册网站包括美国(ClinicalTrial.gov)、英国(ISRCTN)、日本(JRCTR)及中国(ChiCTR)等,具体的注册程序见相关网站的详细介绍,注册后可获取全球唯一的试验注册号。目前,国际医学期刊编辑委员会(International Committee of Medical Journal Editors, ICMJE)要求所有临床试验在发表之前必须进行国际注册,否则研究成果将不会在 ICMJE 成员杂志中发表(包括全球近 600 种医学期刊,其中 Lancet, JAMA, BMJ, Annals of Internal Medicine 等均为 ICMJE 成员期刊)。

## 二、数据管理与统计分析

数据管理与统计分析是临床研究中非常重要的部分。规范的数据管理有助于获得真实、准确、完整和可靠的高质量数据;详细的统计分析计划有助于保证统计分析结果正确和令人信服。

数据管理需遵循相关数据管理指导原则,进行数据库的建立、数据录入、数据质量核查、编码及相关数据文档的制定及保存等,确保数据的完整性和准确性。研究者可以通过数据库软件建立数据库并录入数据。数据录入后,一般需要通过相应的逻辑核查条件对数据质量进行核查,核查条件可以嵌入数据库软件中,也可以通过专业软件如 SAS 编程实现。同时,针对一些医学专业术语等需要采用专业词典如国际医学用语词典(medical dictionary for regulatory activities, MedDRA)、国际疾病分类(international classification of diseases, ICD)、专用药物字典等进行编码规范。

统计分析是医学研究中必不可少的一部分,统计分析包括统计描述和统计推断。统计描述主要针对指标进行描述性分析,如例数、均数、标准差、中位数、四分位数等,常借助统计表、统计图等对数据归类简化、展示数据特点;统计推断则需要根据不同的数据特征,选择合适的统计方法,对观察结果存在的差异和关联做出推断,由样本推断总体,进而得出专业结论。正确掌握和运用统计方法是医学科研中重要的基本功之一。通常在进行统计分析之前应拟定详细的统计分析计划(statistical analysis plan, SAP),如临床试验的统计分析计划是对临床试验的统计学考虑及拟对数据进行统计分析的清晰描述。统计分析计划可以是独立的文件,其内容涵盖试验中所涉及的所有统计学考虑,包括了设计的类型、比较的类型、随机化与盲法、主要指标和次要指标的定义与测量、检验假设、数据集的定义、疗效及安



全性评价和统计分析的详细计划。统计分析报告 (statistical analysis report, SAR) 则是依据统计分析计划, 对试验数据进行统计分析后形成的报告, 是临床试验结果的重要呈现手段。一般统计分析应有专业的统计人员参与, 采用专门的统计分析软件, 从而确保分析结果准确无误。

### 三、科研结论与研究报告

科研结论是指在得到统计分析的结果后, 结合专业背景所得出的科学结论, 以指导医学实践。在此过程中需要正确理解和区分“统计学意义”和“专业意义”, 通常两者一致时, 才认为所得结论客观、可靠和可信, 见表 1-2。

表 1-2 “统计学意义”和“专业意义”的正确理解

统计结论	专业结论	
	有意义	无意义
有意义	符合客观的结论	设计存在问题, 样本量过大
无意义	设计存在问题, 样本量不足	符合客观的结论

研究报告公开发表的常见形式是科研论文, 其是研究结果的概括, 可供学术期刊或学术会议发表或交流, 以便将有价值的研究成果进行推广、应用、转化等。研究完成后应全面衡量研究的学术水平, 选定相应的期刊, 根据其要求进行论文撰写、投稿。根据具体研究类型的不同, 科研论文报告时有其相应的规范或指南, 详见表 1-3。论文发表之后, 研究者还应注意收集论文被他人引用的情况与评价, 以进一步评估研究的科学价值与社会效益。

表 1-3 常见研究设计的论文撰写指南\*

研究类型	指南名称	发布指南的论文名称	发表年份
系统综述和 meta 分析 (随机对照研究)	PRISMA	Preferred reporting items for systematic reviews and meta-analyses: the PRISMA statement	2009
meta 分析 (观察性研究)	MOOSE	Meta-analysis of observational studies in epidemiology: a proposal for reporting Meta-analysis of observational studies in epidemiology (MOOSE) group	2000
随机对照试验	CONSORT	CONSORT 2010 Statement: updated guidelines for reporting parallel group randomised trials	2010
非随机对照试验	TREND	Improving the reporting quality of nonrandomized evaluations of behavioral and public health interventions: the TREND statement	2004
诊断研究	STARD	STARD 2015: an updated list of essential items for reporting diagnostic accuracy studies	2015
观察性研究	STROBE	The strengthening the reporting of observational studies in epidemiology (STROBE) statement: guidelines for reporting observational studies	2007
病例报告	CARE	The CARE guidelines: consensus-based clinical case reporting guideline development	2016

\*截至本书出版时间当前最新版本。