

《医学科研设计》编委会

主 编：钟南山

副 主 编：曾广仁 龙大宏 王心旺 吕嘉春

编 委：钟南山 曾广仁 陈耀勇 龙大宏

王心旺 吕嘉春 蒋义国 燕启江

责任编辑：阮 继

责任校对：刘叔伦

医学科研设计

钟南山 主编

中山大学出版社

·广州·

版权所有 翻印必究

图书在版编目(CIP)数据

医学科研设计/钟南山主编 —广州:中山大学出版社,2000 7
ISBN 7-306-01666-0

I. 医· · II. 钟· · III 医学-论文-写作 IV H152 3

中国版本图书馆(CIP)数据核字(2000)第 30381 号

中山大学出版社出版发行

(地址 广州市新港西路 135 号 邮编:510275

电话:020-84111998、84037215)

广东新华发行集团股份有限公司经销

广东番禺市市桥印刷厂印刷

(地址:番禺市桥环城西路 201 号 邮编:511400 电话:020-84881937)

850 毫米×1168 毫米 32 开本 8 印张 200 千字

2000 年 7 月第 1 版 2000 年 7 月第 1 次印刷

印数 1—5 000 册 定价 25.00 元

如发现因印装质量问题影响阅读,请与承印厂联系调换

编写说明

本书是几位教师在为广州医学院研究生班开设“科研设计”课程及为本科生开设“医学科研设计”选修课课程的基础上编写而成的。参加编写的同志参阅了许多医学界前辈和学者出版的有关文献，并直接引用了一些经典性论述和例子，谨此特向这些文献的作者们致谢。本书由各位编写者先写出初稿后交几位副主编讨论阅改，最后由主编充实、定稿。本书力求突出以下两个特色：第一是新颖性，本书既吸取同类书籍的优秀成果，又具有切合时代发展的创新内容；第二是实用性，即突出研究生、本科生及住院医师在医学科研中所需要的科研设计知识。本书可作为医学院校研究生、本科生和住院医师培训的教材。

限于编者的学识水平，本书一定存在不少缺点和不足，恳请读者批评指正。

主编 钟南山

2000年1月

目 录

第一章 绪论	(1)
第一节 医学科研设计的学科性质	(1)
第二节 医学研究与科学方法	(10)
第二章 医学科研设计的内容及原则	(15)
第一节 医学科研设计的目的和意义	(15)
第二节 医学科研设计的主要内容	(16)
第三节 医学科研设计的一般原则	(27)
第四节 医学科研设计中样本含量的确定	(33)
第五节 医学科研设计方案	(49)
第三章 医学科研设计中的量化分析方法	(61)
第一节 数理统计方法	(61)
第二节 其他量化分析方法	(71)
第四章 医学研究中的误差及其控制	(76)
第一节 误差的种类	(76)
第二节 误差的测量及其表示方法	(77)
第三节 系统误差	(81)
第四节 随机误差	(89)
第五节 离群值的发现	(89)
第六节 有效数字及其运算规则	(92)

第七节	实验研究的质量控制	(96)
第八节	调查研究中的偏倚及其控制	(106)
第五章	诊断试验设计	(114)
第一节	病例组与对照组的选择	(115)
第二节	诊断试验的常用指标	(116)
第三节	提高临床诊断效率	(131)
第六章	临床试验设计	(135)
第一节	临床试验设计的意义	(135)
第二节	临床试验设计的特点	(136)
第三节	临床试验设计的基本内容	(140)
第四节	临床试验常用的设计方案	(145)
附：1975年在东京召开的世界医学大会所通过的		
	赫尔辛基宣言	(150)
第七章	专题性医学研究设计	(154)
第一节	医学研究设计的主要类型	(154)
第二节	普查与抽样调查的方法	(178)
第三节	医学研究设计实例	(186)
第八章	Internet 信息资源在医学科研设计中的应用	(192)
第一节	Internet 及其在医学中的应用概况	(192)
第二节	Internet 上的医学信息资源	(193)
第三节	在科研设计中如何有效利用网络资源	(204)
第四节	课题设计中利用网络资源实例	(221)

第九章 医学科研计划书及论文的格式与写法 ·····	(226)
第一节 医学科研计划书的格式与书写 ·····	(226)
第二节 医学科研论文的格式与书写 ·····	(231)
参考文献 ·····	(243)
后记 ·····	(245)

第一章 绪 论

科学研究，在学术界已经成为一个广泛使用的词语，它是社会文明进步的标志之一。在特定的学科和专业，专家和学者们都在致力于进行各种各样的科学研究工作。科学研究已经深入到我们工作的各个领域。在实验室，在图书馆，在 Internet 信息网络，在我们所从事的各种实际工作中，都会找到科学研究的身影。科学研究对社会进步又是一种极其伟大的推动力量，科学研究使一切社会财富从无到有，使各种科学幻想成为现实。社会生活许多领域的进步都应归功于科学研究。科学研究预示着由落后到先进的不断创新过程。

第一节 医学科研设计的学科性质

一、医学科研设计既是世界观，又是方法论

医学科研设计是运用科学的、专业的和艺术的思维方法对医学所研究的问题进行决策、规划的过程。医学科研设计本身既是世界观，又是方法论。医学科研设计要从物质第一性、意识第二性，存在决定意识，以及事物的发展观、环境观、内因决定外因观等唯物主义世界观来指导科研设计的全过程。医学科研设计从定性分析到定量分析，从差异比较到误差控制，从静态研究到动态研究，从现场研究到实验研究，无不渗透着多学科的思维方法。一个好的研究设计只有集多种相关学科的有效方法之大成，

才能达到预期的研究目的。

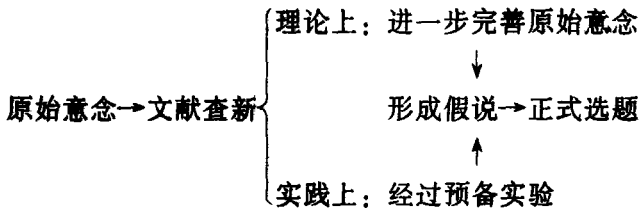
二、医学科研设计的研究对象

医学科研设计的研究对象是设计中所涉及的问题、变量、假设、研究方法等。医学科研对象的复杂性决定了不可能用一种典型的科研设计方案来作为各种研究的公用设计。由于每一种研究都有其唯一的问题和条件，所以尽管不同的研究项目之间存在着许多相似之处，但要使一种特定的研究项目获得成功，现实中并没有任何一种可以直接拿来照搬套用的科研设计方案。医学科研设计作为一项复杂的活动，在其形成和实施过程中需要仔细地计划、管理和执行。

(一) 问题

为了谋划好研究设计方案，首先就要选择好所研究的问题。选择好合适的问题就等于提出了好问题。也就是说，在所研究的领域，问题是至关重要的。选择研究问题是一个需要研究者从专业的角度对所研究的问题进行文献查新和全面了解之后，通过对比、论证、咨询以及与同行探讨才能确定下来的渐进过程。同时，对所研究的问题还需要不断地修改和再确定。有时研究的问题会因研究者思路的改变或研究条件的许可而被拓宽，有时也会因研究者受到理论启迪或实践影响而使所研究的问题大大精炼。总之，研究问题的选择涉及文献查新、对比、论证、咨询和构思等活动。它是一个与问题相关的因素被考虑时不断逼近问题的渐进过程。

研究问题的选择程序如下：



(二) 变量

对研究问题的陈述可以尽量简单明了，研究者在确定研究问题的同时，还要确定与所研究的问题相关联的常量、变量和操作性定义。常量是一个研究中所有个体都具有的特征或条件，变量是不同的个体具有不同价值或条件的特征。操作性定义则是一种规定，它使被确定的需要定义的变量和条件的操作或特征具体化。例如，一个临床医生要研究一种药物对同一批病人的治疗效果，那么药物对于这一批病人来说是相同的影响条件，即为常量，这批病人的疗效则可能互不相同，即为变量，而对于病人治疗效果的划定标准则需要从专业上给出具体的操作性定义。

(三) 假设

在提出研究问题之后，就要设法像证明数学命题那样去论证这一研究问题。研究者首先应将所研究的问题转化成一种假设（或称命题）。假设是对问题的结果、两个或多个变量之间的关系或某些现象的性质所作的推测或提议。一般地说，假设具有理论的某些特征，它通常被认为是关于某一现象的各种理论概括。一个理论可能包括多个假设。对假设进行检查的结果有两种，即接受假设或拒绝假设。美国学者伯格（Borg）和高尔（Gall）认为假设应具备4条标准：①说明两个或两个以上变量间的期望关系；②研究者应有该假设是否值得检验的明确的理由，这一理由应有专业理论或研究事实作为依据；③假设应是可检验的；④假

设应尽可能简洁明了。美国学者克林格 (Kerlinger) 于 1989 年撰文指出, 从广义上讲, 研究者所使用的假设有两种: 实质性假设和统计假设。实质性假设也叫研究假设, 它提示了研究结果的方向; 统计假设用于资料的分析, 它是推断性统计, 是关于总体测量研究中一个或多个参数的描述。在统计学中, 统计假设又分单侧假设和双侧假设, 相应的统计检验又分为单侧检验和双侧检验。

可用下图来确定研究问题各组成部分之间的关系。

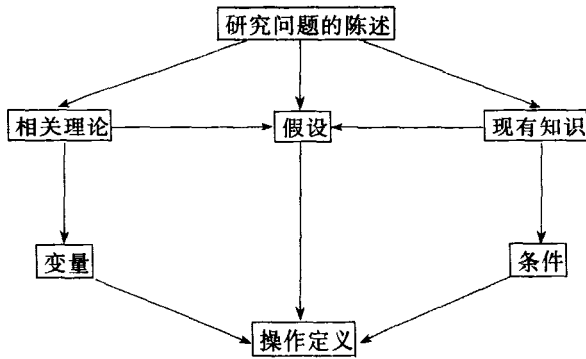


图 1-1

设计好对假设的验证方法即是研究设计的中心内容。

(四) 研究方法

验证假设有两种最基本的方法: 一种是定性研究, 另一种是定量研究。

定性研究是以整体的观点来分析现象, 是从现象到本质的渐进认识过程。在采用定性分析来验证假设时, 研究者是采用形式逻辑的判断方法, 以研究对象所表现出的现象作为建立假设的前

提，通过理性分析这些现象来验证假设和推导出研究结论。对整体的把握是定性研究的关键所在。研究者所观察到的任何复杂现象都不应被分解成几个因素或独立的几个部分来孤立地进行分析。在从假设推导出结论的过程中，研究者还应力求避免被事物的假象所迷惑，避免将发生在原因之后的现象都推论成事物的必然结果。

定量研究是从事物的量变来把握事物的质变的研究方法。由于定量研究方法是在定性研究方法的基础上形成的，因而从定性分析进入到定量分析就是在认识上的一个飞跃。在科学史上，定量研究被称为是一种以严格的、科学的实证评价和科学的方法为特征的哲学流派。与定性研究相比，定量研究的研究设计更倾向于结构化和规范性。定量研究的结果通常是由大量的数据来表示的，研究设计是为了使研究者通过对这些数据的比较和分析而作出有效的解释。

定量研究设计的基本任务是：①提供研究问题的答案。②解释和控制差异。研究设计应该是有效的，这包括它能够解释结果，并且通过这些结果来回答或揭示研究的问题。研究设计也应该是可控的，即研究者应能够对研究对象所表现的数据差异给出专业上的恰当解释，并可以采取有效措施对差异进行人为控制。控制差异的方法一般有四种，即：①随机化；②设计中建立一些条件或因素作为自变量；③保持条件或因素的不变；④统计调节。

良好的研究设计应该具备以下4个基本特征：

(1) 排除偏见。即研究设计应能提供没有偏见的资料。研究中所出现的任何差异都应归因于研究中的自变量。

(2) 避免混淆。即研究设计应能减少变量的混淆或使这种混淆处于最小程度。

(3) 控制无关变量。尽管无关变量在研究设计中不是最主要

的变量，但它们也许会对因变量发生作用。控制无关变量是为了能够辨别、平衡、减少它们的影响。

(4) 统计的精确性。定量研究需要对研究数据进行充分的统计分析，并对假设进行统计检验。从统计学来说，精确性随着随机性的增大或误差的减少而提高。研究设计应该为检验研究过程中的所有假设提供资料。

医学科学研究大多采用定量研究方法。研究者一般是在设立对照和随机化抽样的前提下，通过实验观察或调查收集来自研究对象的各种数据，并利用统计学方法分析这些数据后从医学专业上作出研究结论。如研究肺气虚与肺功能变化的规律，假设是肺气虚的肺功能变化较小，肺肾两虚的肺功能变化较大。研究时可将观察对象分为三组：第一组为健康人（对照人群），第二组为肺气虚组（为慢性阻塞性肺疾患病人），第三组为肺肾两虚组（也是慢性阻塞性肺疾患病人）。对三组对象进行肺功能测定，观察指标是肺活量、最大通气量、每秒肺活量、中期流速、气道阻力、残气等。将收集来的资料进行统计分析，检验三组间的差异是否显著，若差异显著，则提示假说成立。中医以“肺气失宣”、“肺气壅滞”、“肾不纳气”来定性描述肺部的病理生理变化；西医则通过测定肺功能来对肺部的病理变化作出定量描述。对这一研究问题的定量研究设计可作出“肺气虚者肺功能变化较小，肺肾两虚者肺功能有明显变化”的专业性结论。

三、医学科研设计的研究范围

(一) 研究策略的选择

研究策略的选择是研究设计的核心，也是研究者必须作出的唯一最重要的决定。

研究策略包括确定研究变量、变量的衡量标准以及变量之间的相互联系。例如，验证假设时，研究者若能把自变量或暴露变量配置给若干研究对象，而不给其他研究对象（对照），并通过控制各种外部变量或混杂变量，干预验证假设，这便是实验性研究。若研究者选择有无暴露的人群进行比较，分析发现的结果，判断疾病是否与暴露有关，这便是分析性研究。分析性研究方法虽有很多种类，但都含假设验证。若研究者可能只是简单地描述现象的分布或某规划的结果，而没有干预和先期假设，这就是描述性研究。

策略的选择，无论是描述性、分析性、实验性、操作性的，还是这些方法的综合运用，将取决于不同的考虑。研究的特殊类型如下：

(1) 描述性策略。如研究健康和疾病随着时间、空间而改变的模式，疾病登记与监测报告；疾病的自然史研究等。

(2) 观察分析性策略。如前瞻性研究、历史性定群研究、回顾性研究、分析性研究、随访研究等。

(3) 试验性策略。如动物实验、临床治疗试验、临床预防试验、现场实验等。

(4) 操作性策略。如时间动向研究。

(二) 研究场所的选择

研究场所包括研究的所有方面，如研究的人群、地点、时间和伦理道德问题等。

(三) 研究设计

1. 抽样

抽样是选择研究人群的方法。要考虑不同的研究所需的样本量及所需样本是否恰当。在采用实验方法时，如可行，应考虑设

立对照组。实验组和对照组除了正在研究的因素外，其他条件应尽量相同。因此，必须制定测试实验组和对照组均衡性的计划。

2. 资料收集

为尽量减少混杂、延误及偏倚的可能性，在研究设计中应包括资料收集方面的计划，项目书中应包括研究方法和研究设计预试验。测量的真实度和可靠度也应给予充分的考虑。

3. 分析和解释

分析计划也是研究设计整体中的一个组成部分，因为它们可以防止研究人员直至研究结束时才发现有些必需的资料尚未收集，或有些资料不能包括在分析中，或有些资料未以一种适于统计分析的形式加以收集。

4. 研究报告

应该提出以科研论文或专题报告的形式扩散研究结果的初步计划，在这些计划中应强调将研究结果分送到同行和有关专家手里。

(四) 研究的计划与管理

1 研究的规划

研究作为一项复杂的活动，在其形成和实施过程中需要仔细地计划、管理和执行。在科研经费短缺的情况下，精心制定研究计划、规定明确的和实际可达到的目的变得越来越必要。

制定研究规划所必须的几个基本步骤包括：

第一步：确定研究单位的作用和研究范围。

第二步：确定研究单位的能力和资源，包括人员、设施、设备、供应、时间和预算，以及便于查阅的研究资料。

第三步：选定研究题目，可考虑下列因素：

(1) 问题的重要性及其影响；

(2) 问题须待解决的迫切性；

- (3) 与资助机构目标的相关性；
- (4) 问题的可调查性；
- (5) 方法的可行性；
- (6) 成功的机会；
- (7) 成功以后的预期影响；
- (8) 在人员培训和其他研究能力方面有无增强实力的附带利益。

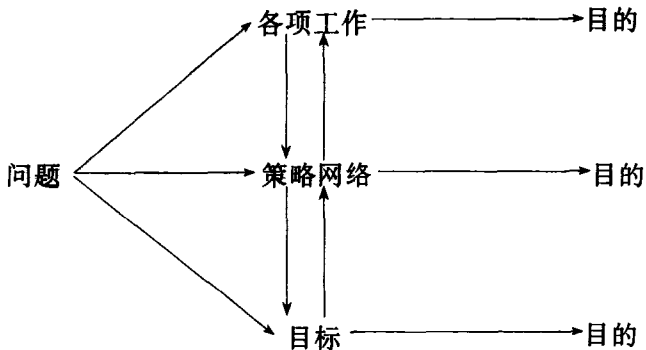
第四步：制定项目计划，作为执行、监测和评价研究的指导文件。

第五步：建立职责明确的行政管理机构。分为指导、监督、咨询和协调，每个都有明确的任务说明。

第六步：制定一份日程表，安排研究成果的整理、报告和论文发表。

2. 研究的实施

研究是按下述各步骤进行的：提出问题、制定研究计划（研究设计）以及在一策略网络中执行各项工作，通过达到一些特定的目的来解决各种问题。



在这个框架中，课题设计的各项要素必须融合在一起：

- (1) 问题的定义、需求、背景、理由；

- (2) 目标制定、形成假设、检验假设；
- (3) 方法设计、研究设计、各种策略路线、方法与材料；
- (4) 人群设计、目标人群、研究人群；
- (5) 各种测量的具体规定、收集方法、精密度、准确度、可靠性；

(6) 结果的分析与解释。

3 研究人员

要使研究成功，研究人员必须具备以下素质：

- (1) 探究新事物的冒险精神；
- (2) 坚韧不拔和耐性；
- (3) 对自己和对科学方法的价值的忠诚；
- (4) 具有分析的头脑和批判性的思维能力；
- (5) 在科研工作中能听取批评；
- (6) 虚心、坦率，能看到意外发现的意义；
- (7) 客观性。

科学研究是人类最富有挑战性的事业。现在研究的途径和方法已更精确、有效，探索未知的技术随手可得。科学研究的成功取决于那些受科学原则约束的研究人员个人和集体的才能，如处理次序、推理和概率等方面的才能，这些都体现和包括在扎实的研究设计和方法学中。

第二节 医学研究与科学方法

一、基本定义

医学科学研究是医学工作者通过探索、调查或实验以发现或解释医学新知识的过程。科学方法是应用于旨在获得新知识而进