

ICS **.***. **
C**



团体标准

T/CACM ****—202*
代替 T/CACM ****—****

中医临床疗效评价指标和应用技术规范

第 1 部分：通则

Clinical Efficacy Evaluation Outcomes and Application Technical Standards for
Traditional Chinese Medicine
Part 1: General rule

(文件类型：公示稿)

(完成时间：20**年*月)

20**--**--**发布

20**--**--**实施

中华中医药学会发布

目 次

前言	1
引言	2
1 范围	2
2 规范性引用文件	2
3 术语和定义	2
4 基本原则	4
5 内容主体和功能要求	4
6 技术要求	6
参考文献	7

前 言

本文件参照GB/T1.1—2020《标准化工作导则 第1部分:标准化文件的结构和起草规则》的规定起草。

本文件是为T/CACM ****-202*《中医临床疗效评价指标和应用技术规范》的第1部分。T/CACM ****-202*共包括十六部分:

- 第1部分: 通则;
- 第2部分: 轻型流行性感冒;
- 第3部分: 脓毒症;
- 第4部分: 支气管哮喘;
- 第5部分: 特发性肺纤维化;
- 第6部分: 社区获得性肺炎;
- 第7部分: 过敏性鼻炎哮喘综合征;
- 第8部分: 慢性心力衰竭;
- 第9部分: 心房颤动;
- 第10部分: 脑卒中;
- 第11部分: 腰椎间盘突出症;
- 第12部分: 儿童抽动障碍;
- 第13部分: 前列腺癌;
- 第14部分: 重症肌无力;
- 第15部分: 肌少症;
- 第16部分: 失眠障碍。

请注意本文件的某些内容可能涉及专利。本文件的发布机构不承担识别专利的责任。

本文件由天津中医药大学提出。

本文件由中华中医药学会归口。

本文件起草单位: 天津中医药大学、中国中医科学院望京医院、首都医科大学附属北京中医医院、河南中医药大学、中国中医科学院临床基础医学研究所、成都中医药大学附属医院、天津中医药大学第一附属医院、广州中医药大学、上海中医药大学附属曙光医院、北京中医药大学东直门医院、北京中医药大学中医脑病研究院、河南中医药大学第一附属医院、天津中医药大学第二附属医院、四川大学华西第二医院、华西医院、兰州大学、北京中医药大学、中国中医科学院西苑医院、江苏省中医院。

本文件主要起草人: 张俊华、张伯礼、朱立国。

本文件其他起草人: 胡镜清、刘清泉、李建生、谢雁鸣、唐健元、贾英杰、杨忠奇、元唯安、林谦、高颖、魏戌、戎萍、王明航、孙增涛、赵敏、王志飞、庞博、封继宏、张伶俐、杜亮、喻佳洁、田金徽、费宇彤、黄宇虹、高蕊、陆芳、张永刚、邹冲、郑文科、王辉、刘春香、庞稳泰、杨丰文、金鑫瑶、张明妍、张冬、曹璐佳。

引 言

循证医学的发展为中医药临床疗效评价提供了新的理念和方法学借鉴。20多年来，我国中医药临床研究设计、实施和质量控制等技术体系不断发展，中医药临床研究数量和质量也不断提升，一批高质量研究成果在国际高影响力期刊发表，产生了较高的学术影响。但是中医药临床疗效评价领域还存在诸多关键问题没有得到很好的解决，其中，欠缺符合中医药疗效特点的评价指标就是一块基础性短板^[1]。

临床研究方案设计主要由“PICO”四要素组成，即受试对象(patients/population, P)，干预措施(intervention, I)，对照措施(control/comparison, C)，评价指标(outcome, O)。其中，评价指标尤为关键，对临床研究结果的价值评估至关重要。然而，大量研究显示，当前临床研究采用的评价指标普遍存在不规范、不一致、不重要、随意化等问题，导致研究结果脱离决策需求、选择性报告偏倚、同类研究数据不能合并分析等研究浪费现象。在中医药临床研究中也存在西医临床疗效评价指标问题，同时也存在特殊的问题。因此，梳理中医药干预不同优势病种的临床疗效评价指标，构建体现中医药特色和优势的指标体系，是一项关键性的基础工程，也是中医药临床研究和证据转化应用的关键问题^[2]。

针对中医药临床研究指标存在的共性问题，项目团队率先提出以“国际标准+中医特色”为基本原则的中医药临床研究核心指标集(Core outcome set of traditional Chinese medicine, COS-TCM)研究策略。系列团体标准《中医药临床试验核心指标集研制技术规范》被中华中医药学会批准为团体标准立项，并于2020年7月发布正式标准文本^[3]。在相应方法体系逐步健全的基础上，起草组联合中医临床优势专科及方法学领域专家，制定《中医临床疗效评价指标和应用技术规范》系列团体标准，旨在规范中医优势病种临床研究评价指标遴选和测量方法，为提高临床研究质量和透明化、健全科学监管体系奠定基础。

本文件是上述系列标准的通则部分。

中医临床疗效评价指标和应用技术规范

第1部分：通则

1 范围

本文件规定了中医临床疗效评价指标的相关术语、定义，疗效评价指标体系构建的基本原则、内容主体和各项技术要求。

本文件适用于中医临床疗效评价指标和应用相关标准规范的研制，可供各利益相关方（研究、医疗、决策、审评和企业等）参考使用。

2 规范性引用文件

下列文件中的内容通过文中的规范性引用而构成本文件必不可少的条款。其中，注日期的引用文件，仅该日期对应的版本适用于本文件；不注日期的引用文件，其最新版本（包括所有的修改单）适用于本文件。

T/CACM 1339—2020 中医药临床试验核心指标集研制技术规范

T/CACM 1403—2022 中成药上市后临床有效性研究指南

T/CACM 1404—2022 中成药上市后临床安全性研究指南

ZY/T 10—2024 中医病证诊断与疗效评价规范制修订通则

药物临床试验质量管理规范（2020，国家药品监督管理局，国家卫生健康委员会）

中药新药临床研究一般原则（2015，国家药品监督管理局）

3 术语和定义

下列术语和定义适用于本文件。部分定义来源于T/CACM 1403—2022和中药新药临床研究一般原则。

3.1

临床研究 *clinical research*

对人类受试者进行的任何研究，旨在发现或验证试验产品的临床、药理及其他药效作用；确定试验产品的不良反应；研究试验药物的吸收、分布、代谢和排泄，目的是确定试验产品的有效性与安全性^[4,5]。

3.2

评价指标 *evaluating outcome*

干预措施作用于受试对象会产生一定的效应，包括有益或有害的作用，干预的效应通过对相关评价指标的测量和数据分析来表达。指标一般分为有效性、安全性、经济性等类型^[2]。

3.3

有效性指标 efficacy outcome

又称为疗效指标，是反映药物作用于受试者所表现出的有效性的主要观测与评价工具。主要包括疗效观测指标和以疗效观测指标为基础用于药物疗效比较的评价指标（即疗效评价标准）^[6]。

3.4

疗效观测指标 efficacy assessment outcome

是用于评价药物有效性的主要观察和测量工具，可以是疾病临床终点（如死亡、残疾、功能丧失）、影响疾病进程的重要临床事件（如心肌梗死、脑卒中的发生），也可以是反映患者社会参与能力（残障）、生存能力（残疾）、临床症状和/或体征、心理状态等内容的相关量表或其他形式的定量、半定量或定性的指标；也可以是通过某些医疗仪器和设备测量手段获得的数据或检查结果，主要包括影像学、病理、生化等指标（如病理检查结果、细菌培养、血脂、血压等）^[6]。

3.5

主要疗效指标 primary efficacy outcome

是反映临床试验主要目的的指标。在确证性临床试验中，反映药物有效性的主要疗效指标一般应该是该目标适应症的临床结局指标或公认的替代指标^[6]。

3.6

次要疗效指标 secondary efficacy outcome

指与临床试验主要目的相关的重要支持性疗效指标，或与次要目的相关的疗效指标。次要疗效指标可以为疗效确定提供支持，但不能作为疗效确证性依据^[6]。

3.7

安全性指标 safety outcome

指干预措施在对病情发生影响的同时，有可能会对特定患者造成的不适甚至伤害的情况。临床上主要通过记录分析不良反应（adverse drug reaction，ADR）、不良事件（adverse event，AE）、严重不良事件（serious adverse event，SAE）等，对干预的安全性进行评价。此外，安全性指标还包括实验室检查指标，以及所有的症状、体征等临床表现。

3.8

核心指标集 core outcome set

是特定病种临床研究必须测量和报告的、统一的、标准化的最小指标集合^[7]。

3.9

最小重要临床差异值 minimal clinical important difference

最小重要临床差异值 (MCID) 即指从医生和患者角度考虑, 对临床有指导意义的最小治疗受益的变化值^[8]。

4 基本原则

4.1 构建符合中医药价值定位和体现疗效优势的临床疗效评价指标体系, 以适应中医临床价值评估和临床证据转化的需要, 总体需遵循国际规范与中医特色相结合、指标选择与指标测量相结合、指标利用与指标创新相结合, 保证研制工作的科学性、规范性、公认性、实用性和创新性。

4.2 对于临床研究中评价指标的选择、测量与报告, 需基于药物临床试验质量管理规范(GCP)^[9]中疗效指标观测与评价标准相关要求, 以及主要疗效指标、次要疗效指标及安全性指标的设计原则进行推荐。此外, 建议结合临床试验报告规范(如CONSORT^[10]及CONSORT-Outcomes 2022扩展^[11])对临床研究评价指标的报告进行说明。对于二次研究评价指标的遴选、合并与报告, 需遵循国际相关指南对证据综合过程中评价指标设置(如Cochrane手册^[12]3.2.4部分)及报告(如PRISMA^[13]和PRISMA-COSMIN for OMI 2024^[14])、ZY/T 10—2024相关规范并进行说明。

4.3 评价指标体系分类及命名符合国际指标分类体系的相关规定, 包括世界卫生组织(World Health Organization, WHO)健康维度^[15]、患者报告的指标体系(Patient Reported Outcomes Measurement Information System, PROMIS)^[16]、人用药品注册技术国际协调会(International Conference on Harmonization, ICH)分类^[17]、5Ds分类^[18]、威尔逊指标分类^[19]、指标测量框架(Outcome Measures Framework, OMF)^[20]、COMET协作组^[7]、ChiCOS中心^[3]、ZY/T 10—2024等推荐的指标分类体系。

4.4 研制工作需严格遵循T/CACM 1339—2020的相关流程及国际相关组织制定的核心指标集研制与报告指南, 结合具体疾病的特点及适用场景制定指标收集、利益群体遴选、共识认定方法、成果报告及推广方案。

5 内容主体与功能要求

5.1 评价指标

5.1.1 核心指标

依据核心指标集研制技术规范, 经过学术界共识(如通过德尔菲法、共识会议等结构化方法)遴选得出的研究结果, 优先采用国内外权威机构正式发布且经过严格方法学验证的相关疾病核心指标集。推荐作为临床研究中主要疗效指标的首选来源, 或在证据合成研究中作为高优先级的合并分析指标。

5.1.2 扩展指标

在核心指标集的基础上,经过不同利益群体代表共识认定(如通过访谈调研、德尔菲法、共识会议等结构化方法)的对于相关疾病临床评价重要但非核心的疗效评价指标。通常考虑作为临床研究中的次要疗效指标。在特定研究背景和充分理由下(例如,该指标是某种干预的核心作用机制或关键获益点),经严格论证后,可考虑作为主要疗效指标,但需在研究方案中明确说明其作为主要指标的合理性并与核心指标的关系。或在证据合成研究中作为较高优先级的合并分析指标(次于核心指标)。

5.1.3 安全性指标

应包含经不同利益群体代表共识认定的疾病/干预特异性关键安全性指标,以及公认的常规安全性监测指标(如生命体征、实验室检查、不良事件/严重不良事件报告等)。建议遵循安全性指标观测与评价相关规范(如T/CACM 1404—2022)^[6,21],对必须观察的安全性指标和需要共识的安全性指标进行说明。

5.1.4 探索性指标

经遴选和不同利益群体代表共识认定的与相关疾病临床评价可能相关的其他指标。原则上仅考虑作为临床研究中的次要疗效指标或探索性终点。

5.2 指标测量方法及评价标准

5.2.1 指标测量方法的说明需符合当前国内外相关规范(包括相关疾病的国内外诊疗指南、临床研究指导原则、循证医学证据、临床调查、专家共识等),并经学界共识,且测量工具具有较好的信度和效度并被广泛采用、容易理解。

5.2.2 对稳定性较好的疗效指标(如重要临床事件的发生率),也需提供符合国内外共识的具体观测和判断的详细标准。

5.2.3 对于主观性较强或容易变异的疗效指标,有时需要规定用于疗效评价的测量值的取值要求,如最小重要差异(minimally important differences, MID)和/或最小临床重要差异(minimal clinically important difference, MCID),需提供国内外已经制定发布并推广的标准化操作规范或指南。

5.2.4 对于量表的推荐需说明制定相关的使用指南和标准、存在争议时的处理方法等。

5.3 指标观测时点

5.3.1 指标观测时点的说明需基于循证研究,并符合当前国内外相应适应症领域的指南或共识,但不作为临床研究设计的必要性参考规范。不同的疾病,不同的试验目的、不同的疗效观测指标,其访视点(一般包括基线访视点、中间访视点、试验结束访视点、随访期的访视点)的设计需依据相关要求。

5.3.2 安全性指标检测时点（包括时间窗）的设置需符合疾病发生发展变化的规律、相关指标变化规律及药物的特点等因素。

5.4 应用说明

5.4.1 应对标准在应用等具体适用范围和场景进行说明，考虑关联性、客观性、灵敏性、特异性、稳定性、精确性、可行性及经济性等。临床研究和二次研究设计需结合相关技术指导原则及报告规范进行参考。

5.4.2 需对标准中核心指标、非核心指标、安全性指标等在临床研究和二次研究中的使用进行解释，如各指标在临床试验作为主要指标还是用作次要指标的说明和建议，在中医临床疗效评价中各自所占的权重是多少，以及相关测量工具、观测时点的适用特点。

6 技术要求

整体技术流程需符合T/CACM 1339—2020中医药核心指标集研制的相关流程和技术要求。主要步骤及原则如下：

6.1 确定标准制定工作组成员

包括专家指导委员会、专家组、工作组。专家指导委员会需由本领域内高层次专家组成，按需设置，负责总体方向指导及研究内容变更等重要决策，建议3-5名；专家组成员需至少包括临床专家（中/西医、中西医）、方法学家、临床研究者、政策制定者，且考虑地域均衡性，负责制定计划及参与工作，建议10-20名；工作组成员负责研究任务和协调工作，建议至少10名，必须包含一名秘书。

6.2 确定标准的适用范围

包括标准的使用者、适用范围、应用场景和病证范围。目标病证范围需考虑包括疾病的类别、亚型、分期等。中医药领域的健康问题可遵循现代医学以疾病名称来定义或特定的疾病类型，但须考虑及描述其中医药相关研究的特色，如中医证候。必要时需明确不同中医药相关的干预措施是否对应不同的重要结局指标。

6.3 收集基础数据

通过检索文献数据库、临床研究注册库、医生问卷调查和患者问卷调查四种途径，补充查阅现行诊疗标准数据库、临床诊疗指南数据库或网站、专著教材、政策文件等，全面收集疗效评价指标要素，包括指标名称、测量工具、观测时点等，用于构建指标池。文献检索应提前制定文献检索和数据提取原则，对相关人员进行规范化培训，保证指标的全面性、完整性和可信性，建议近5-10年文献检索优先；问卷调查需考虑研究的可操作性和代表性，选择

跨地域、不同级别医院，建议医院数量>5家，医生代表（一线医疗人员）20-30名，患者代表10-20名。

6.4 构建条目数据库

对指标相关条目进行规范化处理，提前制定标准化方案及整理流程。中医指标宜优先参考相关国家标准或行业标准，避免因不规范的表述造成误解。对于指标域，需结合病证特点，参考国内外相关标准进行划分，如中医病证、症状/体征、理化检测、生活质量、远期预后、经济学评估、安全性事件7类。重视中医特色指标的表述和分类。

6.5 遴选核心条目

结合专业相关性、构成均衡性和利益代表性确立利益相关群体类型及规模，建议至少包括使用者、医疗卫生专家、方法学家及患者代表。结合实践过程的可行性确定利益相关群体样本量，一般建议Delphi调查第1轮总人数50-100人，第2轮30-50人且应为参与过第1轮调查的代表，具体人数设定宜结合研究目的、领域复杂性和资源限制进行考量，建议患者代表占比 $\geq 20\%$ 。Delphi调查过程中应关注调查形式、调查轮次、信息回收、评分机制、反馈机制、条目变动原则、应答率保证等关键环节的标准性和规范性，并建议对专家积极系数、专家权威系数、专家协调系数和变异系数等指标进行量化计算。

6.6 共识认定方法

通过专家会议、小组研讨、深度访谈等形式，召集不同利益相关群体的高级代表达成共识。共识前应明确共识定义，避免因改变标准出现潜在偏倚。参会人员的选择过程中，首先确定参加共识会议的利益相关群体类型，再考虑不同利益群体的代表人数，建议参会人数20-30人，保证每个人充分发表观点，特别是患者群体。共识会议普遍采取面对面研讨会形式，一般举行一次，主持人（一般是项目负责人）需对整体会议流程和关键环节进行引导，保障会议的高效进行。

6.7 标准形成及更新

标准文件参照GB/T1.1—2020 的相关规定进行起草，将标准研究过程的相关资料进行总结，在资料性附录中进行呈现。包括研制流程、文献研究、专家调查、共识过程等。标准发布后，通过行业学会发布、COMET/ChiCOS网站发布、发表文章、宣讲等形式，促进标准的应用。在应用过程中，开展实用性、应用范围和应用效果等方面的评价，为持续改进提供依据和指导，并根据新指标、新工具的实行和相关病证评估体系的变化考虑标准的更新。

参 考 文 献

- [1] 张俊华. 中医药核心指标集研究进展与展望 [J]. 中国药物评价, 2022, 39 (02): 101.
- [2] 张俊华, 王海南. 临床评价核心指标集研究方法与实践[M]. 上海: 上海科学技术出版社, 2021.
- [3] 张明妍, 张俊华, 张伯礼, 等. 中医药临床试验核心指标集研制技术规范[J]. 中华中医药杂志, 2021, 36(02): 924-928.
- [4] World Health Organization. Handbook for good clinical research practice (GCP): guidance for implementation [EB/OL]. [2025-04-30]. <https://iris.who.int/handle/10665/43392>
- [5] Guideline for Good Clinical Practice ICH E6(R2) ICH Consensus Guideline [EB/OL]. [2023 -10-12]. <https://ichgcp.net/1-glossary/>
- [6] 国家药品监督管理局药品审评中心. 中药新药临床研究一般原则[EB/OL]. (2015-11-03) [2025-04-30]. <https://www.cde.org.cn/zdyyz/domesticinfopage?zdyzIdCODE=c1e508cf80c961a4ede520fed397cfc9>
- [7] Williamson PR, Altman DG, Bagley H, et al. The COMET handbook: version 1.0[J]. Trials, 2017, 18(S3): 280.
- [8] McGlothlin AE, Lewis RJ. Minimal clinically important difference: defining what really matters to patients. JAMA, 2014, 312(13): 1342-3.
- [9] 国家药品监督管理局. 国家药监局 国家卫生健康委关于发布《药物临床试验质量管理规范》的公告（2020 年第 57 号）[EB/OL]. (2020-04-26) [2025-04-30]. <https://www.nmpa.gov.cn/zhuantipyzhcgblf/ypzhcgblfzhcwj/20200426162401243.html>
- [10] Hopewell S, Chan AW, Collins GS, et al. CONSORT 2025 statement: updated guideline for reporting randomised trials. BMJ, 2025, 389: e081123.
- [11] Butcher NJ, Monsour A, Mew EJ, et al. Guidelines for Reporting Outcomes in Trial Reports: The CONSORT-Outcomes 2022 Extension. JAMA, 2022, 328(22): 2252-2264.
- [12] Cochrane Training. Cochrane Handbook for Systematic Reviews of Interventions [EB/OL]. [2025-04-30]. <https://training.cochrane.org/handbook>
- [13] Page MJ, McKenzie JE, Bossuyt PM, et al. The PRISMA 2020 statement: an updated guideline for reporting systematic reviews. BMJ, 2021, 372: n71.
- [14] Elsmann EBM, Mokkink LB, Terwee CB, et al. Guideline for reporting systematic reviews of outcome measurement instruments (OMIs): PRISMA-COSMIN for OMIs 2024. J Clin Epidemiol, 2024, 173: 1114-22.
- [15] World Health Organization. WHO definition of Health. Geneva 1948 [EB/OL]. [2025-04-30]. <http://www.who.int/about/mission/en/>
- [16] National Institutes of Health. Patient-Reported Outcomes Measurement Information Sys

tem-PROMIS [EB/OL]. (2015-04-28) [2025-04-30]. <https://commonfund.nih.gov/patient-reported-outcomes-measurement-information-system-promis>

- [17] Kostanjsek N. Use of The International Classification of Functioning, Disability and Health (ICF) as a conceptual framework and common language for disability statistics and health information systems. *BMC Public Health*,2011,11 Suppl 4(Suppl 4):S3.
- [18] Fries JF, Spitz P, Kraines RG, et al. Measurement of patient outcome in arthritis. *Arthritis Rheum*,1980,23(2):137-45.
- [19] Wilson IB, Cleary PD. Linking clinical variables with health-related quality of life. A conceptual model of patient outcomes. *JAMA*,1995,273(1):59-65.
- [20] Gliklich RE, Leavy MB, Karl J, et al. A framework for creating standardized outcome measures for patient registries. *J Comp Eff Res*,2014,3(5):473-80.
- [21] 王志飞,彭文茜,乔萌,等. 中成药上市后临床安全性研究指南 [J/OL]. *中国中药杂志*, 1-10[2025-06-10]. <https://doi.org/10.19540/j.cnki.cjcmm.20250523.501>.

