

患者投入式研究的概念和理论框架

杨琳^{1,2}, 胡嘉乐³, Michael D Fallacaro⁴, 阮洪⁵

Concept and theoretical framework of patient engagement in research Yang Lin, Hu Jiale, Michael D Fallacaro, Ruan Hong

摘要: 介绍患者投入式研究的概念, 总结患者持续投入比较效果研究的理论框架、患者和服务用户投入研究的框架、患者投入基于实践的研究与创新的框架及患者持续投入临床实践指南构建的理念框架四种理论框架及其应用, 并分析其共性与差异, 以期为我国相关领域的研究提供参考, 考虑实施过程中可能的促进或障碍因素, 探索适合我国患者投入研究的策略。

关键词: 患者投入式研究; 患者参与; 理论框架; 综述文献

中图分类号: R47 **文献标识码:** A **DOI:** 10.3870/j.issn.1001-4152.2019.08.101

以患者为中心的照护和参与决策已被广泛接受, 其有利于提高患者满意度, 带来更好的健康结局^[1]。伴随患者参与维度的不断丰富, 由最初的参与临床照护扩展至参与组织设计和管理、政策制定等方面^[2]。患者投入式研究 (Patient Engagement in Research, PER) 也逐步受到关注, PER 可提高科研透明度, 可能有益于研究结果的传播、推广, 使得研究本身更具临床价值^[3]。有学者提出应鼓励患者投入临床指南的构建, 以确保考虑患者需求^[4-5]。PER 不同于患者“被纳入”研究, 而更聚焦于患者主动参与研究的过程^[6]。但目前国内研究局限于患者参与临床试验时的依从性等, 并未强调这种主动性, 尚缺乏实践和研究经验。因此, 本研究介绍 PER 概念、理论框架及其应用, 以期为我国相关领域的研究提供参考。

1 PER 的概念

不同研究可能采用多种术语表达 PER。“患者”不仅指狭义的患者本人, 部分研究使用了更广泛的术语, 如公众、终端用户 (end-users)、利益相关者^[7]。Duffett^[3]认为这一概念中的患者可包括具有个人经验或受到健康状况影响的患者、家庭和照护者。对于“投入”一词, 需区分于参与 (participation)、纳入 (involvement) 等术语^[8], 后两者常交替使用, 用于描述患者积极加入与医疗专家的咨询会诊; 参与由患者和专业人士共同决定, 并以对话或共同决策的形式实现。患者投入表达的范围更广, 关注服务提供者与患者之间的关系和相互作用, 而参与通常只关注患者本身^[9]。从参与到投入, 存在由外在动机到内在动机的转变, 投入更体现参与的主动性。PER 意味着这一群体与临床医生、科学家和其他研究团队成员建立有意义的、平等的同伴关系, 共同合作研究方案^[3]。

作者单位: 1. 上海交通大学医学院附属第九人民医院骨科 (上海, 200011); 2. 上海交通大学护理学院; 3. 渥太华大学护理学院; 4. 弗吉尼亚联邦大学麻醉护理学院; 5. 上海交通大学医学院附属第九人民医院综合办

杨琳: 女, 硕士, 护士

通信作者: 阮洪, ruanhong2003@163.com

科研项目: 上海市教委护理学高原项目 (Hlgy17001yjs)

收稿: 2018-11-02; 修回: 2018-12-08

PER 可贯穿于整个研究周期中, 包括预概念、研究设计、执行研究、分析及传播阶段^[3]。另外, 在不同的研究范围内, 投入深度可能有所不同, 可包含代表 (Representative)、咨询 (Consultant)、合作 (Partnership)、领导 (Leadership) 和倡导 (Advocate) 五个层次^[3]。

2 PER 的框架及其应用

2.1 患者持续投入比较效果研究的理论框架 (Continuous Patient Engagement in Comparative Effectiveness Research Framework) 2012 年, Mullins 等^[10]提出此理论框架, 包括以下 10 个步骤: ①征集主题; ②选择优先主题; ③形成研究问题; ④选择对照和结局指标; ⑤形成概念框架; ⑥分析计划; ⑦收集数据; ⑧总结和解读结果; ⑨翻译、转化; ⑩传播。这项研究获得了患者导向医疗质量研究所 (Patient-Centered Outcomes Research Institute, PCORI) 的资助, 研究者提出这一框架尚需实践验证、修订。2016 年, Vandigo 等^[11]将该框架应用于心血管疾病的比较效果研究, 并根据 PCORI 发布的患者投入说明^[7], 将 10 个步骤分为三大阶段, ①~⑤属于研究设计, ⑥~⑧属于研究实施, ⑨~⑩属于研究结果的应用。并以心血管疾病为例列举了患者投入在各阶段的具体方法, 如在研究设计阶段, 通过患者论坛确定感兴趣的心血管疾病主题, 召集患者加入焦点小组讨论以确定研究开展的优先顺序, 采用 Delphi 法以达成对干预方法和结局指标的共识; 在研究实施阶段, 将患者或利益相关者纳入研究团队的面谈会议或视频会议, 帮助思考研究设计和潜在的混杂因素, 通过协作软件联合患者进行在线合作, 确定如何收集数据可产生可信的结果, 将数据用邮件发送给患者伙伴, 以便确定初步研究结果是否导致了其他问题; 在研究结果的应用阶段, 通过社交媒体平台聚集患者, 以确保研究结果对目标人群是有意、可操作, 并通过召开市民大会传播研究结果。Vandigo 等^[11]还提出, 需在患者持续投入开始前, 进行预投入 (pre-engagement), 包括与患者建立关系, 投入相关的健康活动或加入学会, 熟悉可能影响决策的因素等; 患者投入全程还需定期评估, 通过加入正式的咨询委员会, 持续监督所有投入

活动^[11]。2017年,Sofolahan-Oladeinde等^[12]首次评价了此框架的前3个步骤在实际研究中的效用,发现PER存在挑战,包括如何确保投入研究的患者具备代表性,患者在选择研究主题时多集中于自身当前面临的问题,以及如何用一种让患者容易理解的方式呈现科研。鉴于这些挑战,研究者提出重新定义患者投入的过程可能会更有成效,在未来的资金公告、投入说明和方法学框架中会考虑这些问题。

2.2 患者和服务用户投入研究的框架(Framework for Patient and Service User Engagement in Research) 2015年,Shippee等^[13]在PCORI的基金支持下,系统检索了相关资料,并参考患者咨询小组的反馈等,构建了患者和服务用户投入研究的模型。模型描述了患者和服务用户投入的4个要素:开启患者和服务使用者,建立互惠关系,合作学习进程,重新评估和反馈。4个要素间呈循环双向关系,包括研究者与患者和服务用户代表(Patient and Service User Representatives, PSURs)协作中的连续反馈回路。另外,模型展示了患者和服务用户投入研究的阶段和步骤。见图1。该模型提出后,多名学者基于此开展相关研究。2014年,Domecq等^[6]对患者投入研究进行了系统综述,基于上述模型中患者投入研究的阶段/步骤分类形成纳入文献的筛选标准,结果显示现有的文献尚未给出有关确定和选择患者、投入方法的最佳证据推荐。Rutten等^[14]基于该模型,采用焦点小组访谈法了解患者在投入研究的准备、执行和转化3个阶段的投入意愿。Wright等^[15]以该模型为基础,改编形成适用于患者投入急诊科研究的理论模型,探讨了投入研究的3个阶段可能出现的挑战,并最终提出理论模型。

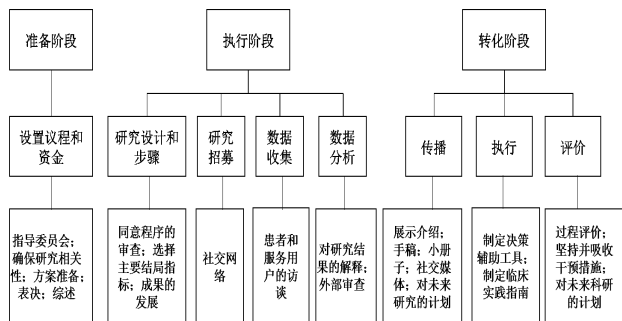


图1 患者和服务用户投入研究的阶段和步骤

2.3 患者投入基于实践的研究与创新的框架(Patient Engagement in Practice-based Research and Innovation Framework) 2016年,Ruco等^[16]基于加拿大卫生研究机构发布的患者投入模型^[17],在多伦多新宁医疗科学中心提出的《基于实践的研究与创新战略计划(2012—2017年)》引领下,开发了此框架,包括PER的3个层面:研究者层面、组织层面和系统

层面。在研究者层面,患者投入的活动包括确定研究重点,设计和实施研究项目;在组织层面,患者投入研究的资金筹募活动,投入“研究和创新能力建设项目”的实施和教育,投入知识转化和研究结果传播;在系统层面,患者投入多中心合作,共同审查并提供反馈和建议,推广患者投入研究的方法。对于未来的发展,Ruco等^[16]提出2018年以后需制定新的战略计划,继续延伸患者投入在各个层面的概念内涵,扩大患者投入的范围,重点让患者及家庭投入到研究设计中,尤其在网页的内容制定和设计上发挥更大作用,以提高语言的可读性和影响力。

2.4 患者持续投入临床实践指南构建的理论框架(Framework for Continuous Patient Engagement in Clinical Practice Guideline Development) 构建临床实践指南的目的是明确某一临床情境预防、筛选和治疗护理措施,以提高临床工作的质量并减少医疗护理费用,其产物是一种平衡成本、效益、风险的最佳决策依据^[18]。需成立指南制定小组,让患者加入该小组可充分听取其意见,补充被医务工作者忽略的问题^[18]。对此,Armstrong等^[4]在2016年提出了患者投入指南构建的10个步骤:①提名指南选题;②提名优先的指南选题;③选择指南构建小组的成员;④构思研究问题(包括对照组和结局指标的选择);⑤构建研究分析的框架和研究计划;⑥开展系统综述得出结论;⑦制定推荐意见;⑧传播和执行推荐意见;⑨更新;⑩评价患者投入的方法和影响。研究者提出了患者投入各个步骤的目的,例如提名优先的指南选题是为了征求患者对主题相关性和优先级的看法,讨论选题的紧迫性;在选择指南构建小组成员阶段,患者投入可帮助确保成员的组成具有代表性且值得信任,并可从患者角度评估小组成员是否存在利益冲突;制定推荐意见有助于将循证结论转化为有意义的、清楚的、便于理解的推荐意见,对缺少直观理解的建议进行额外解释;在传播和执行推荐意见中,可协助制定研究结果的科普性摘要、开发患者决策辅助工具,确定证据实施可能遇到的障碍及解决方案,促进其他患者参与传播,提高指南的可信度,使得建议更有可能被实施;制定指南有助于在公众观点发生变化后及时提出更新指南的需求;评价患者投入的方法和影响有助于确定患者投入是否有意义的方法,并可对未来的投入策略提出改进建议^[4]。研究还提供了患者在各阶段投入指南构建的方法,包括对患者的调查、咨询患者、共同讨论、综述已有研究等,其中加入指南构建小组这一策略出现最多,贯穿于②~⑨阶段,并可能需要额外培训患者后实施^[4]。目前多数指南的构建尚缺乏患者参与,但这种投入至关重要,强调对医患分歧领域的关注,利于从患者角度考虑问题,并保证以清晰易懂的语言进行陈述^[18]。虽然多个证据实践中心和研究所都建议患者投入系统评价,但目前大

部分临床实践指南的构建没有患者投入,有学者建议未来可采用质性研究的方法,探索不同投入策略或患者投入到研究的不同阶段对指南制定的影响,进而细化患者投入指南构建的具体方法^[6]等。

3 不同 PER 理论框架的共性与差异

四种理论框架均列举了患者投入研究的步骤,见表 1。尽管不同框架在应用对象和领域上稍有差异,但在患者投入的阶段和步骤上存在一定共性,多个框架均包含了提名研究主题、选择对照和结局指标、研究传播等部分,且均体现患者投入研究存在持续性,侧面反映出患者在保障研究质量的各个环节发挥作用。在选题和研究设计阶段,患者投入可真正为该群体发声,提出往往被专业的医疗群体所忽视、忽略的问题。在实施阶段,患者除了作为研究对象,也可以发挥监理人、督促员的角色。对于投入的患者而

言,固然更容易接受研究结果,甚至愿意主动推广这一成果,契合了转化医学的理念,体现研究的价值。患者投入不同类型和领域的研究其具体方法也存在差异,例如投入指南构建时可加入指南构建小组等,这可能与研究过程本身的区别有关,也反映出 PER 正朝向追求更细化、更具有实操性的患者投入方式的目标发展。即对于不同研究类型,患者投入的方法、内容、时机都值得探索,这也为未来的相关研究提供了更广阔的思路。同时,投入方式的区别也可能与研究的难度有关,如柏冬丽等^[19]报道,患者参与临床决策的期望值得医务人员关注,通过满足患者对疾病及治疗等相关知识的需求,可促进患者参与决策的积极性。因此,医务人员及研究者应积极面对患者投入研究的困难,为患者提供更多信息有助于鼓励其投入研究,不能因为患者不知、不会而拒绝其加入。

样表 1 患者投入式研究的理论框架的研究步骤

患者投入研究步骤	患者持续投入比较 效果研究的理论框架	患者和服务用户 投入研究的框架	患者投入基于实践的 研究与创新的框架	患者持续投入临床实践 指南构建的理论框架
提名研究主题	+	+	+	+
选择优先主题	+			+
选择指南构建小组的成员				+
资金募集		+	+	
形成研究问题	+			+
选择对照和结局指标	+	+		+
形成概念框架	+			+
研究者招募		+		
研究计划分析	+			+
开展系统综述得出结论				+
收集数据	+	+		
数据分析		+		
制定指南推荐意见				+
总结和解读结果	+			
翻译、转化	+		+	
传播	+	+	+	+
研究结果的执行		+		
指南更新				+
评价		+		+

注: + 表示理论框架包括相应的患者投入研究步骤。

4 小结

本研究分析了 PER 的概念以明确其内涵,综述并比较了 PER 4 种理论框架及其应用现况。PER 不同于以往研究中纳入患者或仅仅将患者作为研究对象,而关注患者与研究者的关系,重视患者对研究的贡献。国外学者探索患者投入研究的模型已相对成熟,国内在开展类似研究时可参考相关模型,同时需考虑该理念在实施过程中可能的促进或障碍因素,寻找适合我国患者投入研究的策略。

参考文献:

[1] Rathert C, Wyrwich M D, Boren S A. Patient-centered care and outcomes: a systematic review of the literature [J]. Med Care Res Rev, 2013, 70(4): 351-379.

[2] Carman K L, Dardess P, Maurer M, et al. Patient and family engagement: a framework for understanding the

elements and developing interventions and policies [J]. Health Aff (Millwood), 2013, 32(2): 223-231.

[3] Duffett L. Patient engagement: what partnering with patient in research is all about [J]. Thromb Res, 2017, 150: 113-120.

[4] Armstrong M J, Rueda J D, Gronseth G S, et al. Framework for enhancing clinical practice guidelines through continuous patient engagement [J]. Health Expect, 2017, 20(1): 3-10.

[5] Schunemann H J, Fretheim A, Oxman A D. Improving the use of research evidence in guideline development: 10. Integrating values and consumer involvement [J]. Health Res Policy Syst, 2006, 4(22): 66-73.

[6] Domecq J P, Prutsky G, Elraiyah T, et al. Patient engagement in research: a systematic review [J]. BMC Health Serv Res, 2014, 14: 89.

[7] PCORI (Patient-Centered Outcomes Research Institute).