

真实世界数据适用性评价指标体系研究

杜 耀^{1,2},袁小量^{1,3},陈玉文^{1,3}

(1 沈阳药科大学工商管理学院,沈阳 110016; 2 南京中医药大学医学院·整合医学学院,南京 210023;
3 国家药品监督管理局药品监管科学研究基地/沈阳药科大学药品监管科学研究院,沈阳 110016)

[摘要] **目的:**建立科学的真实世界数据适用性评价指标体系,为真实世界数据转化为真实世界证据提供定量分析依据。**方法:**通过研读国内外相关指南、文件及文献,对影响真实世界数据适用性因素进行多层次提取分析,综合运用层次分析法和群组决策特征根法对选取指标建立递阶层级结构,构建专家打分矩阵,利用 MATLAB 软件为评价指标体系确定权重。**结果:**从相关性和可靠性两方面构建了真实世界数据适用性评价指标。相关性下设包括数据来源与样本、暴露/干预和事件结局定义、多源数据的整合、监管要求、伦理要求 5 个子准则层指标及 26 项具体评价指标;可靠性下设数据的有效性、质量控制、质量保证 3 个子准则层指标及 27 项具体评价指标。**结论:**从建立的评价指标体系与所赋权重来看,采集和应用真实世界数据时,应重点关注数据的来源、有效性及质量控制手段,以保证数据与需求密切相关且真实可靠,提高真实世界数据转化为真实世界证据的适用性。

[关键词] 适用性评价;真实世界数据;评价指标体系

[中图分类号] R95 **[文献标志码]** A **[文章编号]** 1003-3734(2023)16-1593-07

Study on applicability evaluation index system of real-world data

DU Yao^{1,2}, YUAN Xiao-liang^{1,3}, CHEN Yu-wen^{1,3}

(1 School of Business Administration, Shenyang Pharmaceutical University, Shenyang 110016, China;
2 School of Medicine & Holistic Integrative Medicine, Nanjing University of Chinese Medicine, Nanjing 210023, China; 3 Drug Regulatory Research Base of NMPA/Research Institute of Drug Regulatory Science, Shenyang Pharmaceutical University, Shenyang 110016, China)

[Abstract] **Objective:** To establish a scientific applicability evaluation index system of real-world data (RWD), and provide a quantitative analysis basis for the transformation of RWD into real-world evidence (RWE). **Methods:** Hierarchical extraction analysis of factors affecting the applicability of RWD was carried out by studying domestic and international guides, documents and literature. Analytic hierarchy process (AHP) and group eigenvalue method (GEM) were used in combination to establish the hierarchical structures of the selected indicators, expert scoring matrix was constructed, and MATLAB software for index system was used to compute the weights. **Results:** Applicability evaluation index was constructed from two aspects: relevance and reliability. Relevance included five sub-criteria level indexes and 26 specific evaluation indicators: data source and sample, exposure/intervention and event outcome definition, integration of multi-source data, regulatory requirements, ethics. Reliability consisted of three sub-criteria level indexes and 27 specific evaluation indicators: data validity, quality control, and quality

[基金项目] 辽宁省科技厅 2021 年度科学事业公益研究基金资助项目(软科学研究计划,2021JH4/10100055);辽宁省教育厅科学研究经费项目(2020WJC01);沈阳药科大学工商管理学院学科建设课题项目(2021-sygsxk-03);沈阳药科大学中青年教师事业发展支持计划项目(2QN202209)

[作者简介] 杜耀,男,硕士研究生,主要从事药事管理研究。E-mail:dy2774315651@163.com。

[通讯作者] 袁小量,女,博士,副教授,主要从事药事管理及创新管理研究。E-mail:80716217@qq.com。

assurance. **Conclusion:** When gathering and applying RWD, attention should be paid to the data source, validity, and quality control, to ensure that the data is closely related to the demand and is reliable, and then to upgrade the applicability from RWD to RWE.

[**Key words**] applicability evaluation; real-world data; evaluation index system

2019年4月国家药品监督管理局(NMPA)正式发布“中国药品监管科学行动计划”,将“真实世界数据用于医疗器械临床评价方法研究”列为9个首批行动计划中的一项,该计划的发布标志我国药品监管部门正式启动将真实世界数据(real-world data, RWD)用于审评审批方面研究^[1];2020—2021年我国NMPA陆续发布《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》、《真实世界数据用于医疗器械临床评价技术指导原则(试行)》、《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则(试行)》等多项指导原则,为规范使用RWD提供指导,探索利用RWD进行药品、医疗器械、化妆品研发与审评审批、上市后安全检测评价与监管的新方法,RWD研究得到了我国药品监管部门和诸多医疗机构的关注与重视。由于在RWD采集、整理、存储的过程中存在缺乏有效的监管措施或标准操作流程等问题,RWD能否转化为真实世界证据(real-world evidence, RWE)成了关键性问题。目前亟须一种方法或标准既要提高RWD收集质量,又要包含对采集的数据适用性进行评价的方法,以期更好地利用RWD^[2]。本文通过对RWD适用性评价指标体系的研究,旨在提高RWE质量,为支持药物研发、临床评价、监管决策和风险效益评估等获得真实、有效的RWD提供定量分析依据。

1 RWD概述

1.1 RWD定义

不同国家不同监管机构对RWD定义并不相同,根据我国NMPA 2020年发布的《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》^[3]和美国FDA在2018年发布的《真实世界数据框架》中的定义^[4],RWD可被理解为来源于多种途径日常可收集的对于患者自身健康、临床治疗、医疗保健等进行描述的数据。RWD作为RWE的来源,对真实世界研究起着基础性作用。

1.2 RWD来源

从国内外关于数据来源的规定来看,可将RWD来源分为电子健康记录、医疗保健诊断和注册登记数据三大类^[5]。《用于产生真实世界证据的真实世

界数据指导原则(试行)》^[6]指出应根据数据功能类型对数据来源进行分类,RWD可来源于医院信息系统数据、医保支付数据、登记研究数据、药品安全性主动监测数据、自然人群队列数据、组学数据、死亡登记数据、患者报告结局数据及来自移动设备的个体健康监测数据和包括公共卫生监测数据、患者随访数据、患者用药数据在内的其他具有特定功能的数据。根据研究开展的时间不同,RWD可通过回顾性收集和前瞻性收集2种方式获取。本文构建的RWD适用性评价指标体系主要针对回顾性数据设计。

1.3 我国RWD研究面临的挑战和风险

与传统的临床试验数据相比,RWD的优势在于其数据更贴近真实临床、社区、家庭等多样化的要求,从而使数据使用更准确可信。但因RWD数据来源范围广泛,我国RWD研究和应用方面仍存在诸多风险和障碍,具体表现为:①数据可及性问题。国内的大部分医疗机构包括医院、药房等基于患者信息安全考虑,并未选择开放临床数据或患者诊疗情况,导致国内临床研究很难收集到一手的RWD进行利用^[7]。②数据标准化问题。RWD的来源多种多样,往往存在数据偏倚与混杂化的问题,且数据在录入过程中还存在诸多描述性文本化的非结构化数据,因此为保障将多源数据进行高质量转化,亟待制定处理和利用数据的标准^[2]。③适用性问题。将数据转化为真实有效的证据,也需要拥有权威的判定决策标准和若干足够描述数据相关可靠和安全的评价指标^[8]。④监管问题。RWD作为支持监管决策的重要证据来源,需要有严谨的监管法律和原则保证RWD在采集提取和使用的全过程中有所凭据,或在出现问题时有明确的作为审批仲裁的原则性文件进行指导,这也是要解决的重要问题。

2 RWD适用性评价指标体系构建

2.1 指标选取依据

本文在充分查阅国内外指导原则、文件及相关文献基础上选取评价指标,具体参考文件见表1。美国FDA的《使用真实世界证据支持医疗器械的监

管决策指南》^[9]指出,不管 RWD 存在于纸质病历还是电子病历中,是否受控于某特定管理数据库,是在疾病特异性数据库还是在特异治疗性数据库进行提取、汇总和存储,或通过其他方式进行整合,当与经过证明的源文件进行比较时,其准确性需得到保证,即需通过相关性和可靠性的检验证明其适用性和准确性^[9]。根据我国 NMPA 发布的《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》^[3]指出适用性评价主要通过数据相关性和可靠性进行评估;《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则(试行)》^[6]指出适应性评价可以从 2 个阶段考量:第一阶段是从数据可及性、伦理、合理合规性、代表性、关键数据的完整性、抽取样本量及源数据活动状

态等多角度进行评价。第二阶段是对影响 RWD 关键因素相关性和可靠性进行评价,以及对采用的数据治理机制评价分析,进而判断获取的数据是否适合作为进一步的证据进行应用。因此本文综合国内外指导原则观点,按照指标评价体系构建全面性和系统性、科学性和客观性、可比性和可行性相结合的原则,对应着层次分析法(AHP)中目标层、准则层、子准则层、指标层 4 个层级构建 RWD 适应性评价指标体系。RWD 适用性评价指标体系以 RWD 适用性评价作为目标层,从相关性和可靠性两方面构建准则层,准则层下设计子准则层及具体评价指标层,其中伦理及可及性等要素评价合并相关性评价中进行考量。

表 1 RWD 适应性评价指标选取参考指导原则或文件列表

序号	指导原则或文件名称	发布方
1	真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)	我国 NMPA
2	真实世界数据用于医疗器械临床评价技术指导原则(试行)	我国 NMPA
3	用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则(试行)	我国 NMPA
4	国家药品监督管理局关于进一步加强药品不良反应监测评价体系和能力建设意见	我国 NMPA
5	Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devices	美国 FDA
6	Use of Electronic Health Record Data in Clinical Investigations	美国 FDA
7	Framework for FDA's Real-World Evidence Program	美国 FDA
8	Submitting Documents Using Real-World Data and Real-World Evidence to FDA for Drugs and Biologics	美国 FDA

2.2 相关性评价

《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》^[3]提出相关性是评估 RWD 是否与所关注的临床研究问题密切相关的。本文参考表 1 中文件,重点参考 1,3,5,8 号指导原则并结合大量国内外文献研究成果,在相关性评价指标下设置了数据来源与样本、暴露/干预和事件结局定义、多源数据的整合、监管要求、伦理要求 5 个子准则层指标^[1]。

2.2.1 数据来源与样本 根据国内外监管决策与指导原则来看,RWD 主要来源于电子健康记录、医疗保险数据和注册登记数据^[5]。其数据来源是否为科学有效的健康诊疗数据库,且数据采集所选取的目标样本对于 RWD 的适用性都具有极大影响。根据对国内外相关指导原则的总结归纳,本文认为评价数据来源与样本的指标主要包括:数据的来源是否具有权威性;所选取的样本在全体样本中是否具有代表性;所记录的数据对于关键变量的覆盖程度如何;所记录的数据对于关键变量所覆盖的时间

如何;数据来源是否包含足够数量样本数;数据库是否具有可及性;数据库是否始终处于连续的活动状态^[10]。

2.2.2 暴露/干预和事件结局定义 基于对 RWD 的观察性研究,在定义暴露/干预乃至最终事件的结局时,避免定义的错分偏倚是至关重要的,需要研究者建立相关定义的不同算法,还需对算法的准确性进行验证,最终保证与研究的理论来源以及研究目的相一致^[11]。影响暴露/干预和事件定义的指标主要包括:是否对暴露因素或干预方案进行定义;暴露干预时间窗是否合理;是否有明确的事件评价标准;是否有准确的测量方法及其质量控制;是否有精确的测量工具;是否有明确的事件结局计算方法;测量时点是否明确;变量类型及其转换是否明确;是否具有明确的终点事件评价机制;不同数据源的事件结局定义是否统一^[12]。

2.2.3 多源数据的整合 通常情况下,指导临床使用数据的来源数据库是整合了区域医疗信息和链接了其他数据来源,其中患者唯一标识码又是数据链

接的关键性枢纽^[10]。只有将不同来源的数据进行链接、整合和一致化处理,才能得到最后真实有效的数据^[13]。评价多源数据整合的指标包括:是否制定个体唯一识别码并根据识别码进行有效数据链接;是否有行之有效链接不同形式多源数据的方法;是否对多源数据整合的结果进行评价。

2.2.4 监管要求 RWD 从采集到应用的全过程既需要接受相关部门的监督和管理,也可以为监管部门审评审批及决策提供支持。国外关于 RWD 支持医疗器械、药品和生物制品等作出了工业法案的规范^[14],国内的 RWD 指导原则,也从安全合规、质量保障和适用性等方面对 RWD 实际应用给出了指导性建议^[6]。基于此,本文综合国内外监管要求选取以下指标进行评价:是否适用于现有的监管问题;与现有的其他监管法律法规是否存在冲突;是否存在特殊监管要求适用于特殊疾病领域等。

2.2.5 伦理要求 作为与临床患者密切相关甚至直接来源于临床的 RWD,其伦理考虑与审查不容忽视^[15]。根据我国《药物临床试验质量管理规范》、《涉及人的生物医学研究伦理审查办法》等原则规定,RWD 伦理要求主要从数据安全和患者安全两方面进行考虑。本文从以下方面选取评价指标:是否建立有效的受访者隐私保护措施和流程;在设置评估指标时是否考虑当地法律法规和实际情况;是否制定正规的知情同意规范。

2.3 可靠性评价

RWD 可靠性评价指标对 RWD 是否具有能够转化为 RWE 进而支持监管决策的可信度和有效性的衡量评价^[16],本文重点参考表 1 中 1,3,5 号指导原则,从数据的有效性、质量控制、质量保证三方面设置子准则层评价指标。

2.3.1 数据的有效性 数据是否真实可信的核心是保证其有效性,即在解决相关监管决策和临床使用问题时,能形成真实证据放心使用,数据有效性可从数据的完整性、准确性和透明性等方面考量^[17-18]。因此,本文选取的衡量指标具体包括:数据信息的完整度如何;数据及其所描述的基本特征是否一致且合理;RWD 应用方案和全过程是否透明;科学处理后的数据是否具备解决实际问题的能力。

2.3.2 质量控制 质量控制是指在数据治理和使用的每个环节保证符合质量要求的技术活动。从选取核实数据库、确定数据获取方式、伦理审查、数据链接、数据提取、数据审查到数据清理,符合质量保

证系统和质量规范等方面控制所有的数据是可靠的。选取衡量指标包括:是否采用恰当的数据链接方式;是否采用恰当的方法进行文本数据结构化;是否核查录入数据准确性;是否实现在线数据传输;是否制定清晰明确的数据清理规则和流程;是否保存完整的数据清理记录;是否采用明确和恰当的极端值和异常值处理方法;是否采用明确和恰当的矛盾数据处理方法;是否报告缺失数据比例;是否有专人负责数据核查;是否对疑问数据生成数据质疑表发送至数据调查和录入单位;数据调查和录入单位是否返回核实后的意见;是否制定阶段化数据核查计划;是否制定数据更新规则等。

2.3.3 质量保证 质量保证是指采取有效措施对 RWD 采集到应用过程中出现的所有问题进行预防、探究和纠正的一系列活动^[19]。具体选取的评价指标包括:是否建立 RWD 治理全流程研究计划和方案;是否建立 RWD 治理全流程标准操作流程和规范;是否制定监管规定与要求并全过程遵守;数据收集是否有明确流程和合格人员;是否使用了共同的定义框架,即数据字典;是否遵守收集关键数据变量的共同时间框架;用于数据元素捕获的技术方法是否符合指定的技术规范与操作程序;数据输入输出是否及时安全;是否满足监管机构现场核查调阅源数据、源文件等相关要求。

3 基于 AHP-群组决策特征根法 (GEM) RWD 适用性评价模型构建

本文构建 RWD 适用性评价模型采用的方法是 AHP-GEM 法。该方法是结合了 AHP 和 GEM 的一种综合决策法,保留了 AHP 法中经典的递阶层级结构模型,再根据 GEM 法中专家打分构建专家打分矩阵,最终计算出指标相对重要性^[20]。这一方法不仅拥有 AHP 法中递阶矩阵科学分析的过程,并且绕开一致性计算,提高了准确性与可信度^[21]。

3.1 建立 AHP 递阶层级结构

本文在建立层级结构模型时,按照 AHP 法的构建思路将目标要素分为目标层、准则层、子准则层和指标层。由上述分析可知,RWD 适用性评价指标体系包括 2 个准则层和 8 个子准则层,并进一步对子准则层进行分化评价设立 53 项指标层评价指标(见表 2),在确保指标选取完整无缺漏的同时,保证指标的内涵和表达准确^[22]。其中子准则层需要分阶段确定权重,指标层相对于准则层需要确定权重。

表2 RWD 适应性评价指标体系及其权重表

目标层	准则层	子准则层	子准则层 权重	指标层	指标层 权重
RWD 适用性评价	相关性 A	数据来源与样本 A ₁	0.114 3	数据的来源是否具有权威性 A ₁₁	0.018 6
				所选取的样本在全体样本中是否具有代表性 A ₁₂	0.017 9
				所记录的数据对于关键变量的覆盖程度如何 A ₁₃	0.017 2
				所记录的数据对于关键变量所覆盖的时间如何 A ₁₄	0.015 0
				数据来源是否包含足够数量样本数 A ₁₅	0.015 6
				数据库是否具有可及性 A ₁₆	0.015 0
				数据库是否始终处于连续的活动状态 A ₁₇	0.015 0
		暴露/干预和事件 结局定义 A ₂	0.096 9	是否对暴露因素或干预方案进行定义 A ₂₁	0.008 6
				暴露干预时间窗是否合理 A ₂₂	0.010 3
				是否有明确的事件评价标准 A ₂₃	0.010 6
				是否有准确的测量方法及其质量控制 A ₂₄	0.010 2
				是否有精确的测量工具 A ₂₅	0.009 3
				是否有明确的事件结局计算方法 A ₂₆	0.009 8
				测量时点是否明确 A ₂₇	0.009 4
				变量类型及其转换是否明确 A ₂₈	0.009 4
	多源数据的整合 A ₃	0.096 1	是否具有明确的终点事件评价机制 A ₂₉	0.009 9	
			不同数据源的事件结局定义是否统一 A ₂₁₀	0.009 4	
			是否制定个体唯一识别码并根据识别码进行有效数据链接 A ₃₁	0.034 0	
			是否有行之有效链接不同形式多源数据的方法 A ₃₂	0.032 5	
			是否对多源数据整合的结果进行评价 A ₃₃	0.029 6	
	监管要求 A ₄	0.096 0	是否适用于现有的监管问题 A ₄₁	0.033 5	
			与现有的其他监管法律法规是否存在冲突 A ₄₂	0.032 0	
			是否存在特殊监管要求适用于特殊疾病领域 A ₄₃	0.030 5	
	伦理要求 A ₅	0.096 7	是否建立有效的受访者隐私保护措施和流程 A ₅₁	0.031 9	
			在设置评估指标时是否考虑当地法律法规和实际情况 A ₅₂	0.031 7	
			是否制定正规的知情同意规范 A ₅₃	0.033 1	
	可靠性 B	数据的有效性 B ₁	0.164 7	数据信息的完整度如何 B ₁₁	0.047 2
				数据及其所描述的基本特征是否一致且合理 B ₁₂	0.043 5
				RWD 应用方案和全过程是否透明 B ₁₃	0.032 2
				科学处理后的数据是否具备解决实际问题的能力 B ₁₄	0.041 8
				是否采用恰当的数据链接方式 B ₂₁	0.010 9
		质量控制 B ₂	0.164 6	是否采用恰当的方法进行文本数据结构化 B ₂₂	0.013 8
				是否核查录入数据准确性 B ₂₃	0.014 3
是否实现在线数据传输 B ₂₄				0.009 7	
是否制定清晰明确的数据清理规则和流程 B ₂₅				0.012 1	
是否保存完整的数据清理记录 B ₂₆				0.011 5	
是否采用明确和恰当的极端值和异常值处理方法 B ₂₇				0.011 6	
是否采用明确和恰当的矛盾数据处理方法 B ₂₈				0.012 1	
是否报告缺失数据比例 B ₂₉				0.011 4	
是否有专人负责数据核查 B ₂₁₀				0.012 0	
是否对疑问数据生成数据质疑表发送至数据调查和录入单位 B ₂₁₁				0.011 4	
数据调查和录入单位是否返回核实后的意见 B ₂₁₂	0.010 8				
是否制定阶段化数据核查计划 B ₂₁₃	0.010 9				
是否有制定数据更新规则 B ₂₁₄	0.012 1				

目标层	准则层	子准则层	子准则层 权重	指标层	指标层 权重
		质量保证 B ₃	0.170 7	是否建立 RWD 治理全流程研究计划和方案 B ₃₁	0.021 6
				是否建立 RWD 治理全流程标准操作流程和规范 B ₃₂	0.021 6
				是否制定监管规定与要求并全程遵守 B ₃₃	0.019 9
				数据收集是否有明确流程和合格人员 B ₃₄	0.017 2
				是否使用了共同的定义框架,即数据字典 B ₃₅	0.019 1
				是否遵守收集关键数据变量的共同时间框架 B ₃₆	0.018 3
				用于数据元素捕获的技术方法是否符合指定的技术规范与操作程序 B ₃₇	0.017 4
				数据输入输出是否及时安全 B ₃₈	0.018 3
				是否满足监管机构现场核查调阅源数据、源文件等相关要求 B ₃₉	0.017 3

3.2 构建专家打分矩阵

假设一个群组中有 m 位专家 $S_i (i = 1, 2, \dots, m)$, 根据 m 位专家对 n 个目标进行综合打分, 从而得到打分矩阵:

$$X = [x_{ij}]_{m \times n} = \begin{bmatrix} x_{11} & \cdots & x_{1n} \\ \cdots & \cdots & \cdots \\ x_{m1} & \cdots & x_{mn} \end{bmatrix}$$

其中, $x_{ij} \in [i, j] (i = 1, 2, \dots, m; j = 1, 2, \dots, n)$, 表示第 i 位专家 S_i 对第 j 个指标的评分值。

为使赋权过程专业化和增加结果的准确性和可信度, 本文综合专家专业能力和综合素养选取 5 位本领域专家组成专家组, 对于准则层相对于准则层、指标层相对于子准则层的相对重要性进行评价, 并运用李克特量表 (likert 5 级评分表) 进行打分, 分别构建专家打分矩阵。

3.3 计算各级指标权重

将“3.2”得到的专家评分矩阵转置自乘记为矩阵 F , 即 $F = x^T x$, F 的最大特征根的特征向量就是最优决策结论。在具体精度要求为 ε 的前提下, 采用数值代数中的幂法可算出 x^* 。具体的算法如下:

(1) 令 $k = 0, y_0 = \left(\frac{1}{n}, \frac{1}{n}, \dots, \frac{1}{n}\right)^T \in E^n$, 则 $y_1 = F \cdot y_0, z_1 = \frac{y_1}{\|y_1\|_2}$;

(2) 命 $k = 1, 2, \dots$, 则 $y_{k+1} = F \cdot z_k, z_{k+1} = \frac{y_{k+1}}{\|y_{k+1}\|_2}$

(3) 用 $|z_k \rightarrow z_{k+1}|$ 表示 z_k 到 z_{k+1} 对应分量之差的绝对值最大值, 然后判断是否 $|z_k \rightarrow z_{k+1}| < \varepsilon$, 若是, 则 z_{k+1} 为所要求的 x^* , 若否, 则转入步骤 (2)^[23]。

本文使用 MATLAB 软件进行分析, 根据上文所

述数学模型计算出各个指标权重, 计算后的评价指标体系及其权重赋值见表 2。

4 结语

本文基于 AHP-GEM 法建立 RWD 适用性评价指标体系, 旨在判断 RWD 适应性, 提高 RWD 转化为 RWE 的转化率。该评价指标体系对支持医药类产品研发、临床评价、审批和监管决策制定有较强应用价值。从建立的评价指标体系所赋权重来看, 在数据相关性评价方面, 所搜集数据的来源与样本是影响数据相关性的相对关键因素。在可靠性方面, 数据的有效性、质量控制和质量保证则共同占据着举足轻重的地位, 说明采集和应用 RWD 时应该特别注意数据的来源、有效性及质量控制手段等方面, 保证数据与需求密切相关且真实可靠, 以提高 RWD 转化为 RWE 的适用性。由于我国 RWD 研究正处于起步阶段, 随着实践经验的积累, 可在本文建立的 RWD 适应性评价指标体系基础上不断完善, 便于对 RWD 适应性做出科学准确的评价, 提高 RWD 采集及转化质量。

[参 考 文 献]

- [1] 袁小量, 董丽, 孟令全, 等. 美国 FDA《使用真实世界证据支持医疗器械的监管决策指南》对我国真实世界数据适用性评估标准建立的启示[J]. 中国新药杂志, 2021, 30(11): 976 - 979.
- [2] 赖俊恺, 王斌, 姚晨, 等. 从真实世界数据到临床研究数据的标准转化研究[J]. 中国食品药品监管, 2021(11): 39 - 46.
- [3] 国家药品监督管理局. 国家药监局关于发布真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)的通告[EB/OL]. (2020-01-07) [2022-07-10]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/ggtg/qtggtg/20200107151901190.html>.
- [4] US Food and Drug Administration. Framework for FDA's real-world evidence program[EB/OL]. (2018-12) [2022-07-10]. <https://www.fda.gov/media/120060/download>.
- [5] 聂晓璐, 王胜锋, 姚晨, 等. 国内外真实世界数据/证据的相关药械监管政策法规及指导原则比较研究[J]. 药物流行病学

- 杂志,2022,31(1):5-12,49.
- [6] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则(试行)》的通告. (2021-04-15)[2022-07-10]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/2a1e437ed54e7b838a7e86f4ac21e539>.
- [7] 姚晨. 利用好真实世界数据生产高质量真实世界证据支持药械监管[J]. 中国食品药品监管,2020(2):22-27.
- [8] 秦雪妮,陈维生,邵华,等. 真实世界研究在医药领域的应用及研究方法[J]. 药学进展,2021,45(7):512-523.
- [9] US Food and Drug Administration. Use of real-world evidence to support regulatory decision-making for medical devices [EB/OL]. (2017-08)[2018-09-17]. <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/use-real-world-evidence-support-regulatory-decision-making-medical-devices>.
- [10] 王雯,高培,吴晶,等. 构建基于既有健康医疗数据的研究型数据库技术规范[J]. 中国循证医学杂志,2019,19(7):763-770.
- [11] 彭晓霞,舒啸尘,谭婧,等. 基于真实世界数据评价治疗结局的观察性研究设计技术规范[J]. 中国循证医学杂志,2019,19(7):779-786.
- [12] 高培,王杨,罗剑锋,等. 基于真实世界数据评价治疗结局研究的统计分析技术规范[J]. 中国循证医学杂志,2019,19(7):787-793.
- [13] 谭婧,彭晓霞,舒啸尘,等. 患者登记数据库构建技术规范[J]. 中国循证医学杂志,2019,19(7):771-778.
- [14] US Food and Drug Administration. Submitting documents using real-world data and real-world evidence to FDA for drugs and biologics [EB/OL]. (2019-05)[2020-04-29]. <https://www.fda.gov/media/124795/download>.
- [15] 刘玉强,乔瑞,卓琳,等. 真实世界数据在上市后药品安全性研究中的伦理风险[J]. 中国药物警戒,2021,18(7):628-631.
- [16] 李培,陈玉文. FDA以电子健康档案作为真实世界数据的监管考虑[J]. 中国现代应用药学,2023,40(10):1411-1415.
- [17] 李传朋,董兴鲁,冯路达,等. 基于真实世界数据特点构建中医临床信息采集模式的对策[J/OL]. 世界中医药:1-5 [2023-07-20]. <http://kns.cnki.net/kcms/detail/11.5529.R.20230714.1643.016.html>.
- [18] 李培,陈玉文. 真实世界证据支持医疗机构中药制剂转化为新药的思考[J]. 中国新药杂志,2022,31(24):2475-2480.
- [19] 温泽淮,李玲,刘艳梅,等. 实效性随机对照试验的技术规范[J]. 中国循证医学杂志,2019,19(7):794-802.
- [20] 洪源源,邱苑华. AHP、GEM及其综合算法[J]. 中国管理科学,2000(4):37-43.
- [21] 张纪录. 基于AHP-GEM模型的工业低碳发展评价[J]. 统计与决策,2012(11):56-59.
- [22] 张晓梅,王薇,钟志贤. 现代远程教育实践教学基地评价体系研究[J]. 开放教育研究,2018,24(3):94-101.
- [23] 殷少美,金晓斌,周寅康,等. 基于主成分分析法和AHP-GEM模型的区域新增建设用地指标合理配置——以江苏省为例[J]. 自然资源学报,2007(3):372-379.

编辑:杨青/接受日期:2023-01-10