

行 為 科 學

病人自述結果在療效評估上的意義和用途

葉姿麟[1,2]　蔡明潔[2,3]

前言

隨著醫療技術的進步，有更多元的治療方式，如標靶治療、免疫療法於癌症；腸泌素於糖尿病；甚至是雙乳切除手術於乳癌基因帶原者。除了治療方式的日新月異，病人在醫療決策中扮演的角色，也越受重視。從前醫療知識不對等，常抱持著醫師父權式的想法；如今隨網路普及，病人能獲得更多醫療資訊，病人是否願意配合治療計畫，對治療效果的影響顯著。

疾病對於病人的影響可分為三個層次：

(1) 器官損害(impairment)：任何生理、心理、構造解剖或功能上的異常，多為目前臨床試驗效果或副作用的指標。但若病人忽視或不覺生活受到影響，這些器官損害的指標就不具意義。

(2) 失能(disability)：生活功能之影響，包括穿衣、走路、吃飯、如廁等。但因不同文化對個人生活自理功能期待不同，因此有時偏離文化社會常軌即被認為失能。失能常會直接影響到個人的健康相關生活品質(health-related quality of life, HRQoL)，也經常是設定治療或復健的評估指標。

(3) 社會參與障礙(handicap)：指無法完成社會期待的角色，需多方考量如年紀、性別、社會、文化背景等。可從六方面評估，多是從家庭社會的觀點出發，也常用於社會資源分配的評估與決策，包含認知(orientation)、獨立生活(physical independence)、移動能力(mobility)、就業(occupation)、社會整合 (social integration)、和經濟自主(economic self-sufficiency)。有時病人的失能對群體的影響，甚有可能多過對本身的影響。

1 新竹馬偕紀念醫院家庭醫學科
2 臺大公共衛生學院流行病學與預防醫學研究所
3 馬偕紀念醫院新陳代謝科
關鍵詞：patient-reported outcomes, PROs
通訊作者：葉姿麟

生活品質(quality of life, QoL)評估

生活品質最早由世界衛生組織所定義[1]，疾病本身當然對會影響QoL，但病人人格、經濟狀況、環境社會關係及文化規範也都會有所影響。例如皮膚疾病對

QoL是否有影響，受到此病灶是否能被衣物遮蔽、氣候冷熱、人際關係、社經地位等諸多因素之左右，病人可能因此放棄部份生活功能，如游泳、曬日光浴或其他休閒活動以維持QoL。

常用的QoL評估如下：

(1) 健康相關的生活品質：根據個人年紀及其主要社會角色，是否有能力進行日常生活而決定其HRQoL；若偏離常軌，即可能造成HRQoL之下降[2]。此評估著重於疾病「症狀」及「功能」的測量，注重於健康狀態的評估。然而此聚焦於完成社會認定的「正常角色」，在面對未就業或殘障族群時，會使得某些評估面向變得較無用處；而HRQoL強調的生理功能面向，可能使得殘障族群評估起來必然有不良的生活品質。健康相關的生活品質常應用於描述病人的健康狀態、作為療效評估、經濟決策成本效益分析之工具。常見的評估量表例如健康調查量表(MOS 36-item short-form health survey, SF-36)、台灣世界衛生組織生活品質問卷(The World Health Organization Quality of Life, WHOQoL)等[3]。

(2) 需求導向的生活品質(needs-based QoL)：了解病人目前在此疾病下，能滿足多少社會角色的需求(needs)；當多數需要被滿足時，QoL會較高。例如當行走的功能可以滿足時，許多需求如休閒運動、社會需求、購買必要食物、通勤需求、獲得醫療等也可以達成。常見的評估量表通常是針對特殊疾病發展而成，例如退化性關節炎生活品質評估(osteoarthritis quality of life questionnaire)[4]、僵直性脊椎炎生活品質評估(ankylosing spondylitis quality of life questionnaire)[5]等。

病人自述結果

在臨床研究中我們會得到許多行為可測量的變化，稱為結果(outcome)。以往專家只在意疾病端，但健康是種人權，若著重於病人端的結果，在最早稱為「健康狀態」，之後重點在「生活品質」，新興名稱為「病人自述結果」(patient-reported outcome measures, PROs)[6]。對於病人而言，真正重要的健康效能，有時候和專家眼中的生物健康狀態(biomedical status)截然不同，病人似乎更在意疾病對於自己在家庭生活，社會角色上所帶來的限制。

PROs療效之評估

PROs在療效評估上是否有意義，由於定義及評估的不一致，自2006年以來，一直有爭議。為了增加PROs的可信度及科學價值，可以考慮以下方法改善[7]：

(1) 以具一致定義且有效度的問卷評估PROs。

(2) 以PROs為基礎，發展出整合專家及病人多視角，整合定性且定量的有效指引。
(3) 先以一般症狀或功能，設計出適用一般族群的問卷，確認重要的問題，檢視PROs的內容有效性；在此已確立有效的一般問卷下，若針對不同疾病，可再合併或調整合理的問卷題目輔助。

醫療決策配合PROs的情境

上述觀點或許可以解答臨床醫療人員現在所面對的困境，實證醫學是否就能解決現代醫療決策的全部問題？舉例說明：雖然許多大型的研究都說明了sodium-glucose co-transporter 2 inhibitors (SGLT2) 在第二型糖尿病人除了能有效降低血糖，並且降低心衰竭死亡率與住院率38%的效果，並對糖尿病患者的尿蛋白有明顯的保護作用，從實證醫學發展出來的美國糖尿病學會指引(American Diabetes Association guideline)都清楚的指出，在眾多的糖尿病用藥當中，SGLT2藥物必須優先被考慮。但現實的狀況下是，許多的病人在服用SGLT2藥物之後，因為泌尿生殖系統的感染、搔癢、頻尿、分泌物增多，甚至發燒，讓他們日常生活不斷受到干擾，無法像往常般執行社會角色，包括有效率的工作，不中斷的聚會社交，或是家務常規等，他們無法看見長期服用該藥物對他們心臟的好處，他們只希望換成另一顆療效較差的藥物，但能回到原有的生活。這時常讓臨床醫師很挫折，為何不能符合臨床治療指引裡的建議。這卻讓我們反省，我們是否在臨床建議的制定之中，輕忽病人在醫療決策中所扮演的決定性角色，這項治療會帶來病人生活上，社會角色上什麼影響，都是我們必須更多關注的層面。如何讓病人所回報的主觀經驗，包括生理、心理、家庭社會角色所造成的衝擊和生活品質改善，量化成為科學性的客觀資料，進一步加以分析甚至納入臨床醫療決策的實證醫學當中。進而制定法規，分配醫療教育社會福利資源等種種公部門，以確實的符合社會大眾的需求。

討論

在醫療當中，病人專業知識相對弱勢，但是生活卻直接受到衝擊，因此病人對於治療的評價，是一定要列入決策考慮的。那我們該如何量化眾多不同文化背景的病人的觀點？量化哪方面的觀點？怎麼量化？怎麼解讀和應用？又怎樣結合到以客觀生物科學數據為基礎的醫學知識體系？或許是醫學在這一個世紀所面對的挑戰，希望在大家的努力之下，我們能對這部分的知識有更多的了解，進而改善人類健康的福祉。

結論

病人自述結果，不僅可作為臨床試驗中結果之評估，可作為醫師對於疾病進程之參考，對於病人也多了一些選擇治療的機會，也可以在醫院決策端作為分析改善醫療品質的工具，若能妥善應用PROs，將能達到共享共贏之局面[8]。

參考資料

1. McKenna SP, Doward LC, Whalley D: The development and testing of the well-being index for surgical patients(WISP). Qual Life Res 1998; 7: 167-73.
2. Guyatt GH, Feeny DH, Patrick DL: Measuring health-related quality of life. Ann Intern Med 1993;118: 622-9.
3. 姚開屏：健康相關生活品質概念與測量原理之簡介。台灣醫學2002；6：183-92。
4. Keenan A-M, Mckenna SP, Doward LC, et al: Development and validation of a needs-based quality of life instrument for osteoarthritis. Arthritis Rheum 2008; 59: 841-8.
5. Duruöz MT, Doward L, Turan Y, et al: Translation and validation of the Turkish version of the Ankylosing Spondylitis Quality of Life (ASQOL) questionnaire. Rheumatol Int 2013; 33: 2717-22.
6. Doward LC, McKenna SP: Defining patient-reported outcomes. Value Health 2004; 7: S4-8.
7. Magasi S, Ryan G, Revicki D, et al: Content validity of patient-reported outcome measures: perspectives from a PROMIS meeting. Qual Life Res 2012; 21: 739-46.
8. Nelson EC, Eftimovska E, Lind C, et al: Patient reported outcome measures in practice. BMJ 2015; 350: g7818.