

**编者按:**为深入学习贯彻党的十九届四中全会精神以及习近平总书记关于卫生健康工作系列重要论述和重要指示批示精神,坚决贯彻落实党中央、国务院决策部署,启动实施健康中国行动,深化医改和健康扶贫工作,稳步提升医疗服务水平,振兴中医药发展,我刊特从2020年7月起开设“全民健康助力全面小康专栏”,陆续推出一系列健康中国建设与药学工作结合的相关文章,从而助力提高人民健康水平制度保障、坚持和发展中国特色卫生健康制度。本期专栏文章《儿童生存质量测量量表应用的文献分析》对国内外应用儿童生存质量测量量表(PedsQL)的文献进行了汇总、分析,并提出相应建议,以期为该量表的进一步研究与应用提供有益参考。

## 儿童生存质量测量量表应用的文献分析<sup>△</sup>

陈亮江\*,沃田,陈磊,席晓宇<sup>#</sup>(中国药科大学国家药物政策与医药产业经济研究中心,南京 211198)

中图分类号 R195.1;R956 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2020)20-2539-07

DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2020.20.19

**摘要** 目的:为进一步开发与应用儿童生存质量测量量表(PedsQL)提供参考。方法:以“PedsQL”为检索词系统检索Medline、ScienceDirect、Cochrane图书馆、ISI Web of Science、SpringerLink、Embase、中国知网、万方数据、维普网、中国生物医学文献服务系统等中英文数据库,对发表日期为1999年1月—2019年12月的有关PedsQL在国内外的应用研究文献进行检索。结果与结论:共纳入文献2 117篇,其中国外文献1 836篇、国内文献281篇(中文242篇、英文39篇);文献发表数量基本呈现逐年增长的趋势。PedsQL量表在国内外应用广泛,依据用途可划分为4个主要领域,分别为健康影响因素分析(63项研究)、疾病负担评估(1 720项研究)、干预措施效果评价(285项研究)、其他量表的理论研究(49项研究)。PedsQL量表应用于临床研究进展迅速,但我国研究仍存在量表的选择与使用方法不当、在儿科临床实践领域应用偏少、对干预措施评价不够全面的问题。建议学者未来在选用工具时同时考虑普适性与疾病特异性、自填与家长代理版本PedsQL量表,应用PedsQL量表实施常规的临床健康相关生存质量筛查以优化儿科卫生资源使用效率,构建基于我国人群偏好的PedsQL量表映射函数以进行药物干预措施的经济学评价。

**关键词** 儿童;健康相关生存质量;PedsQL;应用

### Literature Analysis of Application of the Pediatric Quality of Life Inventory

CHEN Liangjiang, WO Tian, CHEN Lei, XI Xiaoyu (Research Center of National Drug Policy & Ecosystem, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China)

**ABSTRACT** OBJECTIVE: To provide reference for the development and application of the pediatric quality of life inventory (PedsQL). METHODS: Using “PedsQL” as keyword, retrieved from foreign databases as Medline, ScienceDirect, Cochrane Library, ISI Web of Science, SpringerLink and Embase, Chinese databases as CNKI, Wanfang database, VIP and SinoMed, research literatures about the application of PedsQL at home and abroad were collected during Jan. 1999-Dec. 2019. RESULTS & CONCLUSIONS: A total of 2 117 literatures were included, including 1 836 foreign literatures and 281 domestic literatures (242 in Chinese, 39 in English). The number of published literatures was increasing year by year. PedsQL had a wide range of applications and divided into 4 main areas according to purpose, including analysis of health influencing factors (63 items), assessment of diseases burden (1 720 items), evaluation of intervention measures (285 items), theoretical study of other scales (49 items). The application of PedsQL in clinical trials had made fast progress, but there were still some problems in China, such as improper selection and use of the scale, less application in pediatric clinical practice, and insufficient evaluation of intervention measures. It is suggested that future researcher should consider both universality and disease specificity, self-administered and parental surrogate version of PedsQL when selecting tools, and apply PedsQL to perform routine clinical health-related quality of life screening to optimize the utilization efficiency of pediatric health resources, and construct PedsQL mapping function based on Chinese population preference to realize the economic evaluation of drug intervention measures.

**KEYWORDS** Children; Health related quality of life; PedsQL; Application

<sup>△</sup> 基金项目:国家科技重大专项“重大新药创制”专项项目(No.2018ZX09721-003);国家卫生健康委员会卫生技术评估重点实验室(复旦大学)开放基金课题(No.FHTA2019-06);中国药科大学“双一流”学科创新团队建设项目(No.CPU2018GY39)

\* 硕士研究生。研究方向:药物经济学与医药卫生政策。E-mail: 1278227256@qq.com

<sup>#</sup> 通信作者:副教授,硕士生导师,博士。研究方向:药物经济学与医药卫生政策。E-mail: cpuxixiaoyu@163.com

随着儿童、青少年疾病谱的变化以及以患者为中心治疗理念的逐渐推广,使用经过验证的量表测量健康相关生存质量(Health related quality of life, HRQoL)以评价患者健康产出愈发为学界所接受<sup>[1-2]</sup>。儿童生存质量测量量表体系(Pediatric quality of life inventory, PedsQL)由美国加州圣地亚哥儿童医院和健康中心的James WV教授牵头开发,于1999年正式发布<sup>[3]</sup>。该量表自发布以来,因其开发范式规范、信效度优异、跨文化适用性良好,得到了众多研究者的青睐,现已成为最为常用的儿童、青少年HRQoL测量量表。该量表于2004年引入我国,并于2008年正式发布中文版,较常用于评估儿童慢性疾病治疗负担,尤其在评价药物治疗等干预措施对患儿HRQoL的影响中的应用较为广泛。例如,对于在过去具有致命或致残风险的疾病,虽然新的药物治疗方法提高了儿童存活率和HRQoL,但如何评估新方法所引发的不良反应即会用到PedsQL<sup>[4-7]</sup>。然而,目前国内学者在儿童HRQoL评估研究中普遍存在忽视量表质量、混淆量表适用人群、未开展规范的等价性研究等问题,导致评价结果无法准确反映儿童HRQoL<sup>[8]</sup>。为此,笔者检索了相关文献,对目前国内外应用PedsQL量表的文献进行了汇总分析,以期对PedsQL量表的进一步研究与应用提供参考。

## 1 PedsQL量表简介

PedsQL量表的设计初衷是为了解决当时儿童、青少年HRQoL测量领域没有成熟量表的问题,旨在开发一种结构简单、使用方便、易于儿童理解的HRQoL测量工具。该量表的开发以儿童癌症生活质量测量量表(Pediatric cancer quality of life inventory, PCQL)为基础,可用于不同年龄段、不同健康状态的儿童<sup>[3]</sup>。

在PedsQL量表发布以后,James WV教授的研究团队对量表进行了不断的改进与开发,目前已形成的量表体系由儿童生存质量普适性核心量表(The pediatric quality of life inventory version 4.0 generic core scales,以下简称“PedsQL 4.0”)及其简表(PedsQL 4.0 SF-15)和34个疾病和条件特异性模块(Disease and condition-specific modules)组成。其中,PedsQL 4.0的开发时间最早、使用次数最多、应用范围最广,适用于2~18岁的患病或健康儿童和青少年在HRQoL中的共性部分,可实现患病儿童与健康儿童HRQoL的对比。该量表能有效区分健康儿童与患有急性或慢性疾病儿童的健康状态,以及慢性疾病患儿的疾病严重程度。疾病和条件特异性模块则是对PedsQL 4.0的补充,适用于患有不同疾病的儿童群体,其对特定疾病的测量灵敏度相对更高,目前已公布的特异性评估量表包括针对癌症、癫痫、哮喘、心血管疾病、糖尿病、风湿性疾病、认知功能障碍等多种疾病的量表。PedsQL各量表均可由儿童自填或家长代理,

研究者可在使用时根据实际情况选择。目前,PedsQL量表已被翻译成多种语言,其中部分量表已被翻译为简体中文版本,可以适用于我国人群,包括PedsQL 4.0、PedsQL 4.0 SF-15以及癌症模块、哮喘模块、风湿模块、多维疲乏量表、脑瘫模块、神经肌肉模块、心脏病模块、移植模块、患者满意度癌症模块、家庭影响模块、患者满意度模块、儿科疼痛问卷等12个疾病和条件特异性模块<sup>[9]</sup>。

PedsQL量表体系中大部分量表是由多个条目构成的,每一个条目内容均为询问某一事件在最近1个月内的发生频率,采用李克特5级计分法计分:0表示“从来没有”,记为100分;1表示“几乎没有”,记为75分;2表示“有时有”,记为50分;3表示“经常有”,记为25分;4表示“一直有”,记为0分。各维度的得分取其所含条目的平均得分,取所有应答条目的平均得分为总得分。但也有特别的,如PedsQL儿科疼痛问卷与PedsQL儿科视觉模块采用视觉模拟评分法直接进行HRQoL评估<sup>[10]</sup>。

## 2 资料来源与研究方法

### 2.1 检索策略

系统检索Medline、ScienceDirect、Cochrane图书馆、ISI Web of Science、SpringerLink、Embase等英文数据库,中国知网、万方数据、维普网、中国生物医学文献服务系统(SinoMed)等中文数据库,对发表时间为1999年1月(因该量表发布年份为1999年)至2019年12月的相关文章进行检索。为保证检索全面,本研究中英文数据库检索词均为“PedsQL”,检索范围为标题、摘要及关键词,语种为中文和英文,国别不限。

### 2.2 纳入与排除标准

2.2.1 纳入标准 应用PedsQL量表的临床研究类文献,其中随机对照试验(RCT)研究应说明治疗分组、受试者入选标准、施盲方法、基线与结局、意向治疗分析;非RCT研究分为非随机同期对照研究、自身前后对照研究、历史对照研究、队列研究、病例对照研究和横断面研究等6类,应包含研究目的、研究人群、组间/前后可比性、研究结果;对于其他量表的理论方法研究,需明确与PedsQL量表进行对照的量表的应用对象及测量结果;各类研究需要在摘要中明确说明PedsQL量表的使用目的、应用对象及测量结果。

2.2.2 排除标准 未明确说明上述研究内容的文献;未明确说明PedsQL量表的使用目的、研究对象及测量结果的文献;PedsQL量表的理论方法学研究,如不同语言版本的开发与量表测量属性检验类研究;综述类研究、会议记录摘要;重复发表的文献。

### 2.3 研究方法

使用EndNote X9软件进行文献管理及筛选。由两名研究者首先剔除重复文献,再根据题目和摘要信息分

别进行文献初筛,最后详细阅读全文进行复筛,并核实筛选结果。将纳入文献的相关信息录入Excel 2016软件中,对文献内容进行汇总、分析。提取信息包括文献名称、发表年份、作者信息、研究对象、研究方法、研究结论、PedsQL量表的应用方法等。

### 3 结果与分析

#### 3.1 PedsQL量表应用文献基本情况

依照上述检索策略,本研究检索到国外文献共计3 412篇,剔除重复文献后,依据上述纳入与排除标准进行筛选,最终纳入国外文献1 836篇;共检索到国内文献623篇,剔除重复文献并筛选后最终纳入281篇,其中中文242篇、英文39篇(此处是指国内学者发表在外文期刊上的研究)。

国外有关PedsQL量表的相关文献最早发表于2002年;2002—2019年,国外研究人员共发表PedsQL量表的相关文献1 836篇,且2012年之后的年发文数量均在100篇以上,并总体呈逐年增长的趋势。我国PedsQL量表的相关研究起步较晚,相关应用研究最早发表于2006年,卢奕云等<sup>[9]</sup>学者首先对PedsQL量表的结构和国外应用情况进行了阐述;随着PedsQL 4.0中文版的开发<sup>[10]</sup>,从2006年起我国学者逐渐开始应用该量表体系,近年来的发文量基本呈现逐年增长的趋势,详见图1。

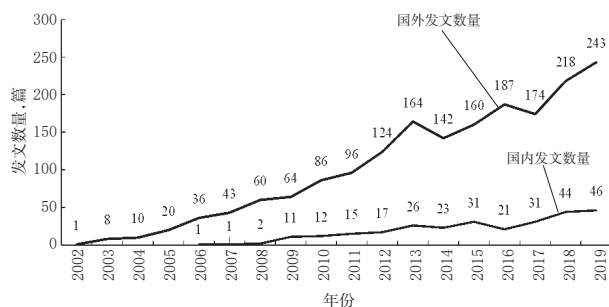


图1 PedsQL量表应用研究文献发表趋势

Fig 1 Publication trend of research literatures about the application of PedsQL scale

#### 3.2 PedsQL量表应用情况

PedsQL量表体系主要应用于临床研究,依据用途可划分为健康影响因素分析、疾病负担评估和干预措施效果评价;同时,该量表体系也常应用于其他量表的理论研究,为其提供方法学参考。

3.2.1 健康影响因素分析 健康影响因素分析是指根据健康儿童的PedsQL 4.0测量结果(由于研究对象为健康儿童,通常仅将PedsQL 4.0作为测量工具)和潜在的HRQoL影响因素,分析影响各年龄段儿童HRQoL的各类因素,例如饮食行为、睡眠质量、居住环境等。本研究纳入的用于健康影响因素分析的研究共计63项,其中国外研究44项、国内研究19项。国外研究提及的影响因素主要包括饮食安全<sup>[11]</sup>、体质量管理<sup>[12]</sup>、睡眠质量<sup>[13]</sup>、居

住环境<sup>[14]</sup>、视频游戏<sup>[15]</sup>、生活压力<sup>[16]</sup>、家长行为<sup>[17]</sup>、性别取向<sup>[18]</sup>等;而国内研究探讨的影响因素则主要包括家长陪伴<sup>[19]</sup>、家庭艾滋病影响<sup>[20]</sup>、自然灾害<sup>[21]</sup>、睡眠质量<sup>[22]</sup>、饮食行为<sup>[23]</sup>等。由此可见,国外研究探讨的影响因素集中于儿童主观感受层面,国内研究则侧重于对外界环境的影响因素进行分析,特别是探讨在儿童成长过程中父母的长期陪伴、家庭环境、社会支持等因素对儿童HRQoL的影响。国内外大部分研究结果均显示,PedsQL 4.0的可行性较好,量表应答缺失率普遍较低;同时,PedsQL 4.0的区分性亦良好,受同一因素不同程度影响下的受访儿童在PedsQL 4.0的维度得分或总得分上存在显著差异,这有助于学者有效区分不同因素对儿童HRQoL的影响及程度。

3.2.2 疾病负担评估 疾病负担评估是指利用PedsQL 4.0和/或疾病和条件特异性模块测量临床患病儿童的HRQoL,并将该结果作为主要或次要结局指标,用以评估患病儿童健康状况和疾病负担,并探讨各类疾病对儿童HRQoL的影响程度。本研究纳入的用于疾病负担评估的研究共计1 720项,其中国外研究1 561项、国内研究159项,数量较多,表明PedsQL在临床用于儿童疾病负担评估中已得到充分利用。国外该类研究主要涉及大部分儿童慢性疾病<sup>[7, 24-27]</sup>,如Varni JW等<sup>[24]</sup>应用PedsQL 4.0比较了2 500多名糖尿病、胃肠道疾病、心脏疾病、哮喘、肥胖、终末期肾病、精神障碍、癌症、风湿病和脑瘫患儿的HRQoL,发现该量表可以区分不同疾病类别和不同严重程度的儿童慢性疾病。本研究纳入的国内研究覆盖病种也较多,均为目前常见的儿童慢性疾病,如白血病<sup>[28]</sup>、脑瘫<sup>[29]</sup>等。进一步分析该量表在国内的应用情况发现,患儿自填和家长代理版本的PedsQL 4.0与疾病和条件特异性模块在各类慢性病患儿的HRQoL测量中表现出了良好的一致性和较高的准确性,验证了该量表在各领域代表性疾病中的有效性;少数研究报道了自填版本和家长代理版本之间存在一定的测量偏差,并建议将自填版本和家长代理版本结合使用<sup>[30-31]</sup>;另外,对于暂未开发疾病和条件特异性模块的情况,学者普遍使用PedsQL 4.0或其他经过验证的量表进行测量<sup>[32-34]</sup>;若疾病和条件特异性模块已开发,我国部分学者存在单独使用PedsQL 4.0而未采用疾病和条件特异性模块或其他疾病特异性量表的情况,还有部分学者选择将PedsQL 4.0和疾病及条件特异性模块结合使用<sup>[21-23]</sup>。

3.2.3 干预措施效果评价 干预措施效果评价是指借助患儿患病期间或愈后期PedsQL 4.0和/或疾病及条件特异性模块的得分情况,比较健康儿童与患病儿童之间的测量结果或同一群组患病儿童在不同时期的测量结果,以评价针对同一疾病的不同临床干预措施的实施效



果。本研究共纳入此类研究285项,其中国外研究191项、国内研究94项。国外研究涉及的干预措施主要包括药物治疗<sup>[25]</sup>、心理治疗<sup>[26]</sup>、手术治疗<sup>[27]</sup>等,其中对接受药物治疗和手术治疗的儿童HRQoL评价的研究数量最多,如Redman TA等<sup>[35]</sup>采用PedsQL 4.0和PedsQL 3.0脑瘫模块探讨上臂A型肉毒素治疗对偏瘫患儿HRQoL的影响,22名痉挛性偏瘫患儿被随机分配至试验组和对照组,试验组在实施常规疗法的基础上给予上臂A型肉毒素注射,对照组仅实施常规疗法,发现患儿自填版本和家長代理版本的结果表现出一致性,反映出PedsQL量表对患儿健康状况变化的响应性优良。Ryerson AB等<sup>[36]</sup>采用PedsQL 4.0调查了80名接受蒺环类药物治疗的癌症幸存患儿,分析其药物不良反应与HRQoL的关系,结果显示蒺环类药物导致的心脏毒性风险越高,量表所反映出的患儿HRQoL越低,表明该量表能区分不同严重程度的儿童癌症,并可为临床开展癌症患儿的药物治疗提供理论参考与建议。国内研究涉及的干预措施则主要包括药物治疗<sup>[32,34]</sup>、护理干预<sup>[28]</sup>、康复疗法<sup>[29]</sup>、手术治疗<sup>[33]</sup>等。与国外研究不同的是,国内对护理干预和药物治疗进行效果评价的研究数量较多,如王小钦等<sup>[34]</sup>采用PedsQL 4.0探究了癫痫患儿使用奥卡西平单药治疗前后的情绪和HRQoL变化,结果显示癫痫患儿HRQoL较低下,表现为PedsQL量表各维度得分均低于正常对照组;但奥卡西平单药对癫痫患儿的HRQoL无明显的影响。可见,该量表可为临床实施药物干预提供理论依据。

3.2.4 其他量表的理论研究 PedsQL量表遵循焦点小组访谈、条目汇总、认知访谈、预试验和实地调研这一标准的开发流程,且各量表测量属性在多项研究中得到验证,所以常用于其他量表的理论研究,为同类研究提供了具体的、可重复的方法学参考。本研究共纳入与其他量表理论研究有关的国外文献40篇,涉及30余种测量工具。其中,多个针对儿童、青少年专用的HRQoL量表与PedsQL量表进行对比研究,通过统计学方法检验PedsQL量表与各量表间的相关性以验证测量属性,如儿童健康问卷(CHQ)<sup>[37]</sup>、学龄前儿童生命质量量表(TAPQOL)<sup>[38]</sup>、欧洲五维健康量表-儿童青少年版(EQ-5D-Y)<sup>[39]</sup>、青少年生命质量量表(YQOL-R)<sup>[40]</sup>、儿科生命质量问卷(PAQLQ)<sup>[41]</sup>等。国内相关文献共9篇,涉及8种测量工具。其中,将PedsQL量表用于其他测量工具的开发与信效度验证的共有7项研究,包含6种测量工具,分别为儿童体质量-生存质量影响量表(IWQOL-KIDS)<sup>[42]</sup>、中文版KIDSCREEN-52量表<sup>[43]</sup>、中文版青少年癫痫量表(QOLIE-AD-48)<sup>[44]</sup>、儿童自我报告结局测量信息系统(PROMIS)<sup>[30-31]</sup>、YQOL-R<sup>[42]</sup>和斜视儿童生存质量量表(Child-IXTQ)<sup>[43]</sup>;另有2项研究将PedsQL

量表与世界卫生组织生存质量测定量表简表(WHO-QOL-BREF)<sup>[44]</sup>或鼻炎相关生活质量问卷(RQLQ)<sup>[45]</sup>同时用于相同的受试对象进行对比研究,以选择在某一具体情况下适用性更好的量表。

除应用于其他量表信效度研究,近年国外学者还进行了多项关于PedsQL量表的映射研究。目前,关于PedsQL 4.0与欧洲五维健康量表(EQ-5D)<sup>[46]</sup>、PedsQL 4.0简版与儿童九维健康效用量表(CHU-9D)<sup>[47]</sup>、PedsQL 4.0与CHU-9D<sup>[48]</sup>之间的映射关系已经建立,因此可将PedsQL量表得分转换为健康效用值,解决临床研究中健康效用值无法直接获取的问题。目前暂无基于我国人群偏好的PedsQL量表映射研究。

## 4 讨论与建议

### 4.1 依据研究实际需求选择合适版本的PedsQL量表

PedsQL量表在患病儿童疾病负担评估领域中应用广泛,但我国部分学者对量表的使用方法以及对国外经验和共识的理解存在一定偏差。在临床研究设计时,研究人员经常面临普适性工具或疾病特异性工具的选择问题。普适性工具虽可提高对整体结果的概括能力,但普适性HRQoL测量可能对特定疾病症状的变化响应不佳<sup>[49]</sup>,并且通常无法用来测量与特定疾病相关的症状和治疗副作用<sup>[50]</sup>,而疾病特异性工具在患者个体层面的解释能力更好,因此一项HRQoL研究通常既包括普适性的工具,也包括疾病特异性的工具<sup>[49]</sup>。PedsQL量表体系涵盖针对不同疾病和条件的特异性模块,各模块的开发基于James WV教授在儿童慢性健康疾病方面的研究和临床经验,每个模块中含有一个有独立评分的疾病特异性量表,其在有效的情况下维持适中的条目将有助于减轻受访者填写负担并减少研究者试验费用,对特定疾病的高灵敏度将有助于提高数据的准确性<sup>[7]</sup>。因此,笔者建议学者应根据临床试验的目的选择适合的量表,在有条件时应考虑同时选用普适性和疾病特异性工具,以获得对患儿HRQoL更全面的评估。

另外,虽然儿童自填版本常被认为是衡量HRQoL的标准,但在某些情况下儿童可能无法完成HRQoL量表的填写,如儿童年龄较小、认知和理解能力偏低、疾病负担过重或过于劳累等,此时便需要由家長填写代理版本<sup>[51]</sup>。然而,在慢性疾病儿童和健康儿童的HRQoL测量中,自填版本和代理版本之间的不完全一致性一直存在<sup>[52]</sup>,本研究的文献回顾结果也证实了这一观点。儿童自身因素会影响结果一致性<sup>[53]</sup>,年龄较小的儿童更难向家長表达他们的情感需求,独立性强、年龄较大的儿童拥有更好的语言技能,可以更好地表达他们的担忧;但同时一致性也受疾病自身特征或家長自身幸福感的影响,例如,病情复杂、治疗困难的疾病,家長可能更为焦虑,对量表的测量结果往往可能低于患儿个人对

HRQoL的评估<sup>[53]</sup>。实际上,这两个视角都是必需的<sup>[54]</sup>,并且在制定药物治疗计划或护理方案时都可能为决策者提供独特的信息,因此本研究建议对于8岁以下低龄儿童,在理想情况下儿童自填和家长代理版本均应纳入临床研究设计。

#### 4.2 应用 PedsQL 量表实施常规的临床 HRQoL 筛查

疾病、临床治疗干预措施及来自社会的各种因素在一定程度上均会对儿童 HRQoL 评估造成影响。目前应用 PedsQL 4.0 进行 HRQoL 测量的患儿疾病负担和各项治疗方案效果评估的研究数量较大,但国内外在儿科临床实践中实施常规 HRQoL 筛查的研究数量均较少<sup>[55]</sup>。目前,我国医疗卫生资源相对短缺,优化儿科医疗卫生体系内有限资源的使用效率非常必要。一方面,对于有潜在患病风险的儿童和青少年,实施常规的临床 HRQoL 筛查以识别 HRQoL 较低的儿童和青少年并及时采取干预措施,可能会降低未来不合理使用卫生资源的发生率<sup>[56]</sup>。PedsQL 4.0 具有普适性,在有潜在患病风险的儿童和青少年 HRQoL 筛查中具有一定的应用价值,证据显示通过 PedsQL 4.0 父母代理版本获得的 HRQoL 可以前瞻性地用于预测医疗费用<sup>[57]</sup>,为医护人员提前制定干预方案提供依据。另一方面,对于患病儿童和青少年,将以 HRQoL 为代表的基于患者报告的临床结局(Patient-reported outcome, PRO)整合到临床护理实践中将有助于监测疾病进展、区分药物治疗的益处和副作用、识别患者治疗负担、制定针对性治疗方案,是促进以患者为中心的高质量医疗保健服务的关键一步<sup>[58]</sup>。如有研究指出,药物不良反应对患者 HRQoL 有负面影响,在药物治疗过程中正确选择和使用药物有助于减少不良反应,从而有助于提高患病儿童的 HRQoL<sup>[4]</sup>。可见,对于患病儿童和青少年,需要选用符合特定疾病症状的测量工具,PedsQL 量表的 34 个疾病和条件特异性模块对特定慢性疾病的敏感性较高,对患儿 HRQoL 变化的响应性较好,具有一定的应用潜力<sup>[9]</sup>。因此,应用 PedsQL 量表实施常规的临床 HRQoL 筛查可以为医师和临床卫生管理者提供全新的视角和证据,为临床决策提供参考,最终实现医疗水平的不断提高和卫生资源的合理配置。

#### 4.3 构建基于我国人群偏好的 PedsQL 量表映射函数

大量研究通过该量表的测量结果比较了不同干预措施的实施效果,旨在证明干预措施的临床有效性,但大部分研究并未考虑干预措施的经济性。随着人们对医疗保健需求的增加,卫生资源的短缺性逐渐显露,频发的药物不良反应事件导致额外的医疗干预产生,加剧了卫生资源的消耗,因此对各项药物治疗措施进行评价时,全面考虑其经济性具有重要意义。对于已患慢性疾病并处于治疗或愈后阶段的儿童和青少年来说,对药物治疗措施进行经济学评估将有助于节约治疗成本。此

类研究虽已利用 PedsQL 量表获得大量临床原始数据,但将这些数据应用于药物经济学评估中仍存在一定的局限性,其原因是药物经济学评价中最常用的方法是成本-效用分析,该方法的关键步骤在于健康效用值的测量,但由于 PedsQL 量表基于经典测量理论开发,属于非基于偏好开发的量表,只能依据得分的高低评估受访者的生活质量,测量得到的分值无法作为基于受访者偏好的健康效用值,故不能直接用于药物经济学评价中的成本-效用分析<sup>[46]</sup>。为了解决这一问题,国外学者尝试将 PedsQL 量表与其他量表建立联系,进行映射研究<sup>[46-48]</sup>,即通过计量经济学方法在非基于偏好的生命质量量表与基于偏好的生命质量量表之间建立映射关系,这样的映射关系可以将非基于偏好的生命质量状态转换为基于偏好的生命质量状态,从而获得当前生存质量下的健康效用值,以实现使用成本-效用分析法进行药物经济学评价这一目标。该方法已经得到了国内外学者的广泛认可,英国的卫生技术评估指南对其进行了特别推荐<sup>[59]</sup>,我国的《药物经济学评价指南(2019 版)》也将其作为健康效用值获取的推荐途径<sup>[60]</sup>。由于不同国家人群的差异性和独特性,故需要在我国社会文化背景下,构建基于我国人群偏好的 PedsQL 量表与其他效用量表的映射函数,以达到充分利用现有临床数据进行药物经济学评估的目的。

综上所述,PedsQL 量表的应用广泛,覆盖健康影响因素分析、疾病负担评估、干预措施效果评价、其他量表的理论研究等多个领域。综合对比国内外应用情况,建议我国学者未来可依据研究实际需求选择合适版本的 PedsQL 量表、或应用 PedsQL 量表实施常规的临床 HRQoL 筛查、或构建基于我国人群偏好的 PedsQL 量表映射函数,以构建基于我国人群偏好的 PedsQL 量表映射函数以进行药物干预措施的经济学评价。

#### 参考文献

- [1] 杨娜,胡思源.儿童疾病负担及药物研发需求浅析[J].药物评价研究,2016,39(3):329-334.
- [2] 屈建,刘高峰,朱珠,等.我国医院药理学学科的建设与发展:上[J].中国医院药理学杂志,2014,34(15):1237-1246.
- [3] ARNI JW, SEID M, KNIGHT TS, et al. The PedsQL 4.0 generic core scales: sensitivity, responsiveness, and impact on clinical decision-making[J]. *J Behav Med*, 2002, 25(2):175-193.
- [4] DEL P, RIEDER MJ, LAZO LA. Quality of life in children with adverse drug reactions: a narrative and systematic review[J]. *Br J Clin Pharmacol*, 2015, 80(4):827-833.
- [5] HOLDSWORTH MT, FICHTL RE, BEHTA M, et al. Incidence and impact of adverse drug events in pediatric inpatients[J]. *Arch Pediatr Adolesc Med*, 2003, 157(1):60-65.
- [6] ADIA X, HERDMAN M. The importance of health-relat-



- ed quality-of-life data in determining the value of drug therapy[J]. *Clin Ther*, 2001, 23(1): 168-175.
- [7] ARNI JW, LIMBERS C. The pediatric quality of life inventory: measuring pediatric health-related quality of life from the perspective of children and their parents[J]. *Pediatr Clin N Am*, 2009, 56(4): 843-863.
- [8] 郝元涛, 方积乾. 生存质量测定量表等价性评价研究[J]. *中国行为医学科学*, 2003, 12(3): 98-100.
- [9] 卢奕云, 郝元涛. 儿童生存质量测定量表体系概况[J]. *中国行为医学科学*, 2005, 14(12): 1128-1129.
- [10] 卢奕云, 田琪, 郝元涛, 等. 儿童生存质量测定量表 PedsQL 4.0 中文版的信度和效度分析[J]. *中山大学学报(医学科学版)*, 2008, 29(3): 328-331.
- [11] CASEY PH, SZETO KL, ROBBINS JM, et al. Child health-related quality of life and household food security[J]. *Arch Pediatr Adolesc Med*, 2005, 159(1): 51-56.
- [12] LAMPARD AM, BYRNE SM, ZUBRICK SR, et al. Parents' concern about their children's weight[J]. *Int J Pediatr Obes*, 2008, 3(2): 84-92.
- [13] QUACH J, HISCOCK H, WAKE M. Sleep problems and mental health in primary school new entrants: cross-sectional community-based study[J]. *J Paediatr Child H*, 2012, 48(12): 1076-1081.
- [14] DHOUNDIYAL M, VENKATESH R. The psychological world of adolescence: a comparative evaluation between rural and urban girls[J]. *Irish J Psychol Med*, 2009, 31(1): 35-38.
- [15] HSIEH RL, LEE WC, LIN JH. The impact of short-term video games on performance among children with developmental delays: a randomized controlled trial[J]. *PLoS One*, 2016. DOI: 10.1371/journal.pone.0149714.
- [16] KACZMAREK M, TRAMBACZ OS. HRQoL impact of stressful life events in children beginning primary school: results of a prospective study in Poland[J]. *Qual Life Res*, 2017, 26(1): 95-106.
- [17] HOYTEMA VAN EMM, VAN D, TEEUW AH, et al. Psychosocial problems of children whose parents visit the emergency department due to intimate partner violence, substance abuse or a suicide attempt[J]. *Child Care Hlth Dev*, 2017, 43(3): 369-384.
- [18] SCOTT SM, WALLANDER JL, DEPAOLI S, et al. Gender role orientation is associated with health-related quality of life differently among African-American, Hispanic, and White youth[J]. *Qual Life Res*, 2015, 24(9): 2139-2149.
- [19] 周春燕, 吕紫嫣, 邢海燕, 等. 留守儿童生存质量、社会支持、家庭教养方式及其相关性研究[J]. *中国妇幼保健*, 2019, 34(4): 887-890.
- [20] XU T, WU Z, YAN Z, et al. Measuring health-related quality of life in children living in HIV/AIDS-affected families in rural areas in Yunnan, China: preliminary reliability and validity of the chinese version of PedsQL 4.0 generic core scales[J]. *J Acquir Immune Defic Syndr*, 2010, 53(1): 111-115.
- [21] 贾兆宝, 段光锋, 张崑, 等. 汶川地震后儿童和青少年生命质量随访研究[J]. *中国社会医学杂志*, 2014, 31(6): 403-406.
- [22] 宋沅瑾, 姜艳蕊, 孙莞绮, 等. 学龄前儿童睡眠与生活质量的相关性研究[J]. *中国儿童保健杂志*, 2014, 22(6): 591-593.
- [23] 祁华南, 马永红, 谭姣, 等. 学龄前儿童饮食行为与生存质量相关性研究[J]. *中国妇幼保健研究*, 2017, 28(4): 361-365.
- [24] VARNI JW, LIMBERS CA, BURWINKLE T, et al. Impaired health-related quality of life in children and adolescents with chronic conditions: a comparative analysis of 10 disease clusters and 33 disease categories/severities utilizing the PedsQL 4.0 generic core scales[J]. *Health Qual Life Out*, 2007. DOI: 10.1186/1477-7525-5-43.
- [25] SCHWIMMER JB, MIDDLETON MS, DEUTSCH R, et al. A phase 2 clinical trial of metformin as a treatment for non-diabetic pediatric non-alcoholic steatohepatitis[J]. *Aliment Pharm Ther*, 2005, 21(7): 871-879.
- [26] YOUSSEF NN, ROSH JR, LOUGHRAN M, et al. Treatment of functional abdominal pain in childhood with cognitive behavioral strategies[J]. *J Pediatr Gastr Nutr*, 2004, 39(2): 192-196.
- [27] NAIBOGLU B, KULEKCI S, KALAYCIK C, et al. Improvement in quality of life by adenotonsillectomy in children with adenotonsillar disease[J]. *Clin Otolaryngol*, 2010, 35(5): 383-389.
- [28] 张艳花. 以家庭为中心的护理对白血病患儿生命质量的影响研究[D]. 石家庄: 河北医科大学, 2014.
- [29] 张娟, 李俊霞. 综合康复疗法联合神经节苷脂对痉挛型脑瘫患儿粗大运动功能及生活质量的影响[J]. *河南医学研究*, 2018, 27(3): 517-518.
- [30] 刘砚燕. 儿童自我报告结局测量信息系统在儿童癌症人群中的测评[D]. 上海: 第二军医大学, 2013.
- [31] LIU Y, HINDS PS, WANG J, et al. Translation and linguistic validation of the pediatric patient-reported outcomes measurement information system measures into simplified chinese using cognitive interviewing methodology[J]. *Cancer Nurs*, 2013, 36(5): 368-376.
- [32] 李振国. 镇脑宁与苯妥英钠治疗偏头痛患儿疗效观察[J]. *中西医结合心脑血管病杂志*, 2012, 10(12): 1479-1480.
- [33] 王可, 张虹, 李迎. 不同手术方式治疗后先天性漏斗胸患儿生活质量的对照研究[J]. *现代养生月刊*, 2018(12): 36-37.

- [34] 王小钦.奥卡西平单药治疗对癫痫儿童情绪及生存质量的影响[D].福州:福建医科大学,2015.
- [35] REDMAN TA, FINN JC, BREMNER AP, et al. Effect of upper limb botulinum toxin-A therapy on health-related quality of life in children with hemiplegic cerebral palsy[J]. *J Paediatr Child Health*, 2008, 44(7): 409-414.
- [36] RYERSON AB, WASILEWSKIMK, BORDER WL, et al. Pediatric quality of life in long-term survivors of childhood cancer treated with anthracyclines[J]. *Pediatr Blood Cancer*, 2016, 63(12): 2205-2211.
- [37] SOUZA JGS, PAMPONET MA, SOUZA TCS, et al. Tools used for evaluation of Brazilian children's quality of life[J]. *Rev Paul Pediatr*, 2014, 32(2): 272-278.
- [38] SCHEPERS SA, VAN OERS HA, MAURICE SH, et al. Health related quality of life in Dutch infants, toddlers, and young children[J]. *Health Qual Life Out*, 2017. DOI: 10.1186/s12955-017-0654-4.
- [39] SCOTT D, FERGUSON GD, JELSMA J. The use of the EQ-5D-Y health related quality of life outcome measure in children in the Western Cape, South Africa: psychometric properties, feasibility and usefulness: a longitudinal, analytical study[J]. *Health Qual Life Out*, 2017. DOI: 10.1186/s12955-017-0590-3.
- [40] JANSSENS L, GORTER JW, KETELAAR M, et al. Health-related quality-of-life measures for long-term follow-up in children after major trauma[J]. *Qual Life Res*, 2008, 17(5): 701-713.
- [41] SARRIA EE, ROSA RC, FISCHER GB, et al. Field-test validation of the Brazilian version of the paediatric asthma quality of life questionnaire[J]. *J Bras Pneumol*, 2010, 36(4): 417-424.
- [42] 姜晓莹.青少年生命质量量表(YQOL-R)的汉化研究[D].杭州:浙江大学,2014.
- [43] 卞薇,刘洋,杨思思.中文版斜视儿童生存质量量表的信度和效度研究[J].中华护理杂志,2015,50(1):48-52.
- [44] 任静.13~18岁在校青少年生存质量测评量表的适用性分析[D].长春:吉林大学,2015.
- [45] 张耀庭,张欣,李佩忠. PedsQL 4.0及RQLQ量表在变应性鼻炎患儿生活质量测定中的应用比较[J].临床耳鼻咽喉头颈外科杂志,2017,31(1):27-29,33.
- [46] KHAN KA, PETROU S, RIVERO-ARIAS O, et al. Mapping EQ-5D utility scores from the PedsQL generic core scales[J]. *Pharmacoeconomics*, 2014, 32(7): 693-706.
- [47] MPUNDU-KAAMBWA C, CHEN G, RUSSO R, et al. Mapping CHU9D utility scores from the PedsQL 4.0 SF-15[J]. *Pharmacoeconomics*, 2017, 35(4): 453-467.
- [48] MPUNDU-KAAMBWA C, CHEN G, HUYNH E, et al. Mapping the PedsQL onto the CHU9D: an assessment of external validity in a large community-based sample[J]. *Pharmacoeconomics*, 2019, 37(9): 1139-1153.
- [49] TEMPLE L, FUZESI S, PATIL SJS. The importance of determining quality of life in clinical trials[J]. *Surgery: Saint Louis*, 2009, 145(6): 622-626.
- [50] GUYATT GH, FEENY DH, PATRICK DL. Measuring health-related quality of life[J]. *Ann Intern Med*, 1993, 118(8): 622-629.
- [51] VARNI JW, LIMBERS CA, BURWINKLE T, et al. Parent proxy-report of their children's health-related quality of life: an analysis of 13 878 parents' reliability and validity across age subgroups using the PedsQL 4.0 generic core scales[J]. *Health Qual Life Out*, 2007. DOI: 10.1111/j.1365-2214.2007.00778\_4.x.
- [52] UPTON P, LAWFORDD J, EISER C. Parent-child agreement across child health-related quality of life instruments: a review of the literature[J]. *Qual Life Res*, 2008, 17(6): 895-913.
- [53] EISER C, VARNI JW. Health-related quality of life and symptom reporting: similarities and differences between children and their parents[J]. *Eur J Pediatr*, 2013, 172(10): 1299-1304.
- [54] CREMEENS J, EISER C, BLADES M. Characteristics of health-related self-report measures for children aged three to eight years: a review of the literature[J]. *Qual Life Res*, 2006, 15(4): 739-754.
- [55] DESAI AD, ZHOU C, STANFORD S, et al. Validity and responsiveness of the pediatric quality of life inventory (PedsQL) 4.0 generic core scales in the pediatric inpatient setting[J]. *JAMA Pediatr*, 2014, 168(12): 1114-1121.
- [56] VARNI JW, BURWINKLE TM, LANE MM, et al. Health-related quality of life measurement in pediatric clinical practice: an appraisal and precept for future research and application[J]. *Health Qual Life Out*, 2005. DOI: 10.1186/1477-7525-3-34.
- [57] SEID M, VARNI JW, SEGALL D, et al. Health-related quality of life as a predictor of pediatric healthcare costs: a two-year prospective cohort analysis[J]. *Health Qual Life Out*, 2004. DOI: 10.1186/1477-7525-2-48.
- [58] QUITTNER AL, NICOLAIS CJ, SAEZFE. *Kendig's disorders of the respiratory tract in children*[M]. 9th Edition. Philadelphia: Elsevier. Inc, 2019: 231-240.
- [59] EARNSHAW J, LEWIS G. NICE guide to the methods of technology appraisal[J]. *Pharmacoeconomics*, 2008, 26(9): 725-727.
- [60] 刘国恩,胡善联,吴久鸿,等.中国药物经济学评价指南: 2019版[EB/OL]. (2019-07-06)[2020-06-15]. <http://www.doc88.com/p-87516994700123.html>.

(收稿日期:2019-10-18 修回日期:2020-06-15)  
(编辑:孙冰)