

真实世界研究在中医儿科疗效评价中的应用和展望

潘开宇^{1(通讯作者)} 章澄玥² 詹建华¹ 俞连芳¹

1. 浙江省杭州市萧山区第一人民医院, 温州医科大学附属萧山医院儿科, 浙江 杭州 311201

2. 浙江大学医学院附属儿童医院, 浙江 杭州 310052

摘要: 本文系统梳理真实世界研究 (Real-World Study, RWS) 应用于中医儿科临床疗效评估的现有实践与现存难点。结合中医历代经典理论、儿科名家学术思路, 结合现代临床科研进展, 分析 RWS 适配中医儿科领域的应用价值与现存短板。依托真实世界数据搭建临床诊疗优化思路, 剖析现阶段该研究模式在证据可信度、药效作用机制阐释、行业标准化体系建设层面存在的不足, 同时预判后续研究发展方向, 为中医儿科临床诊疗实践与科研工作提供理论参考。

关键词: 真实世界研究; 中医儿科; 疗效评价; 应用; 展望

Application and Prospects of Real-World Studies in the Evaluation of Pediatric Efficacy in Traditional Chinese Medicine

Pan Kaiyu^{1(Corresponding author)} Zhang Chengyue² Zhan Jianhua¹ Yu Lianfang¹

1. The First People's Hospital of Xiaoshan District, Hangzhou City, Zhejiang Province, and the Pediatrics Department of Xiaoshan Hospital affiliated to Wenzhou Medical University, Zhejiang Hangzhou 311201

2. Children's Hospital Affiliated to Zhejiang University School of Medicine, Zhejiang Hangzhou 310052

Abstract: This paper systematically sorts out the practical application and existing bottlenecks of real-world study (RWS) in evaluating clinical efficacy of pediatric traditional Chinese medicine (TCM). Combined with classical TCM theories and academic thoughts of prestigious pediatric TCM experts, as well as modern clinical research progress, this paper analyzes the application value and existing deficiencies of RWS applied in TCM pediatrics. Clinical diagnosis and treatment optimization ideas are constructed based on real-world data, the defects of this research model in evidence reliability, explanation of pharmacodynamic mechanism and industrial standardization construction at present are analyzed, and the future research development trends are predicted, so as to provide theoretical reference for clinical treatment and scientific research of TCM pediatrics.

Keywords: real-world study; pediatric traditional Chinese medicine; efficacy evaluation; application; prospects

1 概述

真实世界研究 (RWS) 是指在真实临床环境中, 针对预设的临床问题, 收集与研究对象健康相关的数据 (即真实世界数据, real world data, RWD), 通过系统分析获得关于药物使用情况及其获益-风险证据的研究过程^[1]。RWD 来源于日常诊疗实践, 反映患者在实际医疗条件下的健康状况与诊疗过程^[2]。相较于随机对照试验 (randomized controlled trial,

RCT), RWS 通常不进行随机分组干预, 其数据更具多样性和实用性, 外部效度更高, 能更真实地反映干预措施在临床实际应用中的效果^[3]。

中医学历来重视从临床实践中总结规律, 其研究方法本质与真实世界研究具有内在一致性。中医强调“辨证论治”与“整体观念”, 注重从复杂临床现象中归纳证候演变规律, 进而指导诊疗实践^[4]。数千年来, 中医药积累的丰富经验均源于真实医疗环境的长期观察与反复验证^[5]。由此可见, RWS 和中医药个

体化施治、整体论治、立足临床实践的核心特征高度匹配，能够在真实诊疗场景下规范化采集临床数据，依托标准化研究设计与统计学分析，为中医临床疗效提供高可信度循证依据^[6]。与此同时，以医院诊疗原始数据为基础开展 RWS，对挖掘中医药新型诊疗技术、特色疗法、挖掘疗效客观证据具备重要实践价值^[7]。借助多源数据融合、大数据挖掘技术搭建多维度分析模型，还能进一步完善中医特色理论体系^[8]。

国内中医药领域自 2009 年引入 RWS 研究思路，早期多用于中成药用药安全性评估，后续逐步拓展至各类中医干预手段的临床效果验证工作^[9]。2010 年田峰团队首次系统阐释 RWS 用于中医药疗效评价的实践价值，成为该细分领域发展的标志性成果^[10]。2013 年刘保延教授提出“真实世界的中医临床科研范式”，倡导临床诊疗与科学研究一体化发展思路^[11]。2021 年中华中医药学会发布团体标准《中医药真实世界研究技术规范》，推进多类优势病种临床数据库搭建，旨在借助 RWS 优化中医药临床诊疗方案^[12]。

与 RCT 相比，RWS 干预控制较少，多以观察性研究为主，更贴近临床实际，易于实施，尤其在儿科领域受到广泛关注^[13]。儿童疾病谱广泛、证候变化快、个体差异大，中医儿科历来强调整体观与动态平衡，与 RWS 的“真实环境”理念相契合。例如，《小儿药证直诀》指出小儿“脏腑柔弱，易虚易实，易寒易热”，强调疗效评价需注重动态调整。《温病条辨·解儿难》提出“稚阴稚阳”的生理特点，提示疗效评估应涵盖体质、证候、环境等多维指标。现代名家江育仁强调“脾健不在补贵在运”，重视患儿饮食、生长发育等真实世界指标，为 RWS 提供了具中医特色的评价维度^[14]。

RWS 基于真实诊疗场景收集数据，更能体现中医诊疗的复杂性与整体性，尤其适用于儿科疾病特点。然而，目前中医儿科领域对 RWS 方法学的应用仍处于发展阶段，缺乏系统梳理与深入分析。因此，本文旨在系统阐述 RWS 在中医儿科疗效评价中的应用价值、现状及挑战，以弥补该领域在方法学整合与实践推进方面的知识空白。

2 RWS 在中医儿科疗效评价中的应用

2.1 呼吸系统疾病

针对儿童呼吸系统相关病症，RWS 已广泛应用于疗效评估、最优治疗方案筛选工作。段萌萌等依托真实世界临床数据，归纳儿童社区获得性肺炎风热闭肺证证候特征、实验室检测指标及常规中西医结合治疗方案，为该病中西医结合诊疗提供临床参考依据^[15]。何显单独聚焦痰热闭肺证患儿，依托真实世界观察研究总结该证型标准化诊疗规律^[16]。在中药复方疗效验证层

面，武超然采用倾向性评分匹配法开展真实世界回顾性队列研究，证实肺宁排毒汤可显著改善儿童大叶性肺炎临床症状、促进肺部炎症吸收^[17]。李利寻以喜炎平注射液为研究对象，依托真实用药数据搭建个体化给药推荐模型，提升儿童肺炎药物治疗精准度^[18]。

儿童支气管哮喘相关研究中，李文团队论证 RWS 用于中药干预小儿哮喘临床评估的可行性，为传统中医药疗效验证提供全新研究路径^[19]。陈国芳通过真实世界观察研究证实，定喘汤加减方可有效缓解小儿哮喘外寒内热证急性发作相关症状，且整体用药安全性良好^[20]。

此外，上呼吸道感染的药物比较研究也借助 RWS 得以推进。Linan Zeng 等通过前瞻性队列比较发现，丹木提取物糖浆在儿童急性上呼吸道感染中的疗效与安全性优于小儿豉翘颗粒^[21]。张依基于医院信息系统数据，利用 XGBoost 模型构建了双清合剂儿童剂量预测模型，为临床合理用药提供了量化依据^[22]。李蕾则通过 RWS 验证了“伏九贴敷疗法”治疗小儿反复呼吸道感染（肺脾气虚证）的有效性与安全性，支持其临床推广^[23]。

2.2 消化系统疾病

在消化系统疾病方面，RWS 为中药制剂的应用拓展与疗效评价提供了证据。赵泽慧等基于多中心医院信息系统数据分析发现，儿脾醒颗粒不仅用于消化系统病症，还可适用于反复呼吸道感染、IgA 血管炎等，且临床常与同类中成药或益生菌联用，疗效显著^[24]。李艺羿探讨了穴位敷贴辅助治疗儿童腹泻的效果，发现其对迁延性及慢性腹泻、非感染性腹泻的疗效优于单纯常规治疗，并能缩短止泻时间^[25]。

2.3 神经系统疾病

RWS 在儿童神经系统疾病领域主要用于挖掘临床诊疗规律、评估各类中医特色疗法疗效。龙政莉团队分析针灸干预儿童孤独症谱系障碍开展真实世界研究的适配性，提出需从基线资料均衡性、临床结局观测指标、亚组分层分析等维度合理解读研究结论^[26]。李少红依托专科门诊真实诊疗数据开展 RWS，系统总结针刺疗法干预孤独症谱系障碍的辨证分型规律、标准化治疗方案特征^[27]。

针对小儿脑性瘫痪，李珊珊基于真实临床病历数据，梳理脑瘫患儿发病特征、临床常用中药配伍规律，为制定分层阶梯式综合干预方案提供数据支撑^[4]。王兴团队通过真实世界观察证实痉瘫康胶囊能够有效改善痉挛型脑瘫患儿各类临床痉挛症状^[28]。袁杨阳采用实用性随机对照试验（兼具真实世界研究属性）对比发现，针刺联合 A 型肉毒毒素干预方案对改善痉挛型脑瘫患儿肌张力、运动功能的远期效果更突出^[6]。

儿童抽动障碍相关研究中,朱鹏程将大数据挖掘技术与真实世界研究相结合,系统提炼吴敏教授治疗本病的方药配伍、外治手段、辨证论治核心思路,为名老中医临床经验数字化传承提供全新研究模式^[29]。Jing Wang 等开展回顾性真实世界数据分析,筛选出防风、葛根、钩藤等临床核心用药,同时结合网络药理学技术阐释上述药物可能通过调控机体免疫、细胞信号通路发挥治疗作用的潜在机制^[30]。

2.4 内分泌与血液系统疾病

内分泌疾病研究方面,闫文月依托真实世界临床数据,归纳阴虚火旺型特发性中枢性早熟女童发病高危因素,为本病临床预防与干预提供参考^[31]。血液系统病症领域,Han Juan 开展多中心真实世界疗效评价,证实槐杞黄颗粒干预儿童慢性原发性免疫性血小板减少症,在提升血小板计数、降低出血发生风险方面效果优于安慰剂,长期用药安全性稳定^[32]。

2.5 过敏性疾病

RWS 在儿童过敏性疾病研究中多用于证候分布规律、中药作用机制探索。王佳妮整理新加坡地区儿科临床病例,总结当地儿童过敏性疾病发病特点,梳理徐氏儿科对应的辨证施治思路^[33]。Luo Changyong 依托真实世界病历数据挖掘得出,儿童过敏性鼻炎核心治疗方药包含防风、白芷、苍耳子等药材,其起效机制大概率与机体免疫调节、信号通路调控相关^[34]。

儿童过敏性紫癜研究中,李晓文依托医院电子病历真实数据证实,中医辨证分型论治可减少患儿激素使用剂量,同时有效下调证候积分,充分体现本病“清热祛湿、凉血散瘀”核心治则^[35]。燕丽团队开展多中心真实世界监测进一步证实,过敏性紫癜高发于春、秋两季,血热妄行为临床最常见证型,临床治疗以清热解毒、活血化瘀类中药为主^[36]。

2.6 泌尿系统疾病

郑容焕依托医院电子病历系统开展真实世界回顾性研究,梳理儿童肾病综合征发病诱因、辨证分型分布及临床常用中药配伍规律;同时验证越婢加术汤、四妙散对应证型的治疗优势,提出本病治疗核心以祛湿为基础,同步兼顾理气活血、益气扶正思路^[9]。

2.7 感染性疾病

儿童感染性疾病相关真实世界研究中,焦阳通过回顾性病历数据分析发现,EB 病毒感染患儿以湿热蕴结证为主要证型,临床中药以清热解毒类为主,中成药常选用炎琥宁、喜炎平等注射液,为优化儿童 EB 病毒感染中西医结合治疗方案提供依据^[37]。Rui Li 开展大样本真实世界临床观察得出,穴位贴敷外治干预发热、咳嗽等儿童常见感染性病症,可降低临床抗生素

使用频次,加快各类临床症状消退,0-6 岁低龄患儿获益更为明显^[38]。

3 挑战与展望

尽管 RWS 在中医儿科领域具备广阔应用潜力,现阶段该研究模式在方法学设计、临床落地实施层面仍存在多重难点。第一,真实世界原始数据均来源于日常门诊、住院诊疗记录,普遍存在病历记录缺失、数据格式不统一等问题;大样本数据虽能提升研究人群代表性,但同时引入大量混杂干扰因素,大幅提升数据统计分析难度^[39]。第二,中医证候术语、中医特色干预手段、临床疗效评价指标尚未形成行业统一标准,多中心、多来源临床数据难以统一整合、横向对比。第三,儿科研究对象为未成年人,受隐私保护相关法规约束,临床数据共享、二次使用需严格遵循医学伦理与法律法规要求,目前配套标准化管理机制仍不完善。

为推动 RWS 在中医儿科领域深度落地,后续可从四大方向开展探索:

第一,开展高质量前瞻性登记式真实世界研究,围绕哮喘、小儿厌食、抽动障碍等中医治疗优势病种,搭建多中心、标准化中医儿科临床登记数据库,统一采集结构化、高完整性真实世界临床数据。

第二,推进跨学科疗效机制深度挖掘,依托 RWS 筛选得到的有效复方、中医外治法,结合网络药理学、肠道微生物组、代谢组学等现代多组学技术,深度解析“疾病-中医证候-临床疗效”关联背后的生物学机制。

第三,研发适配儿科人群的中医数字化智能设备,普及移动医疗终端、可穿戴监测设备,实现居家患儿中医疗效指标实时采集、远程动态评估,提升临床数据采集连续性与客观程度。

第四,推动研究方法创新与行业标准化建设,引入目标试验模拟、边际结构模型等高级统计学方法控制混杂偏倚;同步加快制定中医儿科 RWS 专用术语、干预措施、结局评价指标统一行业规范。

4 结论

真实世界研究构建了贴合临床实际、兼顾中医个体化辨证与整体论治的新型疗效评估模式,能够有机融合中医药传统诊疗特色与现代循证医学标准。现阶段该方法已在儿科呼吸、消化、神经、内分泌等多系统疾病研究中积累大量临床实践数据,但仍存在循证证据质量参差不齐、行业统一标准缺失、药效作用机制阐释不足等短板。未来需重点搭建标准化、高质量中医儿科临床数据库,推动多学科技术交叉融合与研究方法创新,

助力中医儿科疗效评价从传统经验总结转化为标准化科学循证 证据,持续提升儿科中医临床诊疗规范化水平与基层可及性。

参考文献:

- [1]方碧陶. 国家药品监督管理局印发《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则(试行)》[J]. 中医药管理杂志, 2020, 28(02): 107.
- [2]中国中药协会. 中成药真实世界研究技术指导原则[EB/OL]. (2021-03-05)[2026-01-11]. <https://ndls.org.cn/standard/detail/796c8d5d2f3f87c2077c97af2fed774d>.
- [3]张茜. 基于真实世界和机器学习探寻参苓白术散加减治疗脾虚湿蕴证肥胖症的研究[D]: 山东中医药大学, 2024.
- [4]李珊珊. 真实世界小儿脑瘫中医综合干预方案发现与疗效评价方法研究[D]: 北京中医药大学, 2022.
- [5]盛松, 黄烨. 基于真实世界开展中医药研究的优势和局限性[J]. 中西医结合心脑血管病杂志, 2023, 21(02): 377-379.
- [6]袁杨阳. 针刺联合A型肉毒毒素治疗痉挛型小儿脑瘫的实用性随机对照试验研究[D]: 湖南中医药大学, 2024.
- [7]鄢灯莹, 郑琪光, 常凯, 等. 构建真实世界中医药临床研究人工智能技术体系: 重要价值、研究问题与发展方向[J]. 上海中医药杂志, 2025, 59(10): 1-8.
- [8]窦智丽, 韩东燃, 刘一星, 贾金柱. 基于真实世界研究的甲状腺疾病中医诊疗数据采集系统的构建研究[J]. 医学与社会, 2024, 37(06): 80-86.
- [9]郑容焕. 中西医结合治疗儿童肾病综合征真实世界研究[D]: 山东中医药大学, 2020.
- [10]田峰, 谢雁鸣. 真实世界研究: 中医干预措施效果评价的新理念[J]. 中西医结合学报, 2010, 8(04): 301-306.
- [11]刘保延. 真实世界的中医临床科研范式[C]// 中国中医药信息研究会第三届理事大会暨学术交流会议, 中国北京:2013:5
- [12]张娜, 魏天睿, 张子彦, 等. 基于真实世界研究方法的中医药研究进展[J]. 内蒙古医科大学学报, 2023, 45(05): 552-556.
- [13]漆林艳, 沈歆, 扶琦博, 等. 儿科人群真实世界研究伦理审查要点探析[J]. 中国医学伦理学, 2023, 36(01): 27-32.
- [14]汤玲玲, 赵霞, 严花, 吴嘉宝. 江育仁教授“运脾法”治疗小儿脾胃疾病的传承创新与现代诠释[J]. 南京中医药大学学报, 2024, 40(10): 1064-1070.
- [15]段萌萌. 中西医结合治疗儿童社区获得性肺炎风热闭肺证的真实世界研究[D]: 山东中医药大学, 2022.
- [16]何显. 中西医结合治疗儿童社区获得性肺炎痰热闭肺证的真实世界研究[D]: 山东中医药大学, 2022.
- [17]武超然, 韩雪, 赵闪闪. 肺宁排毒汤治疗儿童大叶性肺炎的回顾性队列研究[J]. 中国中医急症, 2025, 34(08): 1345-1349+1354.
- [18]李利寻. 中成药真实世界研究[D]: 中国中医科学院, 2022.
- [19]李文, 王敏, 王智勇. 中药治疗儿童支气管哮喘临床研究新方法的新选择[J]. 中国中西医结合儿科学, 2017, 9(02): 115-117.
- [20]陈国芳. 定喘汤加减治疗小儿哮喘外寒内热证的真实世界研究[D]: 湖南中医药大学, 2023.
- [21]Zeng L, Li H, Zhang C, et al. Effectiveness and safety of Danmu extract syrup for acute upper respiratory tract infection in children: A real-world, prospective cohort study[J]. J Evid Based Med, 2022, 15(1): 19-29.
- [22]张依. 基于HIS的双清合剂儿童用药特征分析及用药剂量预测模型构建[D]: 天津中医药大学, 2023.
- [23]李蕾. 基于真实世界研究“伏九贴贴敷疗法”治疗小儿反复呼吸道感染的临床疗效[D]: 天津中医药大学, 2020.
- [24]赵泽慧, 胡思源, 张依, 等. 基于真实世界儿脾醒颗粒的临床用药特征及临床疗效分析[J]. 药物评价研究, 2023, 46(05): 1057-1063.
- [25]李艺羿. 中医护理技术辅助治疗儿童腹泻的效果研究[D]: 甘肃中医药大学, 2025.
- [26]龙政莉, 孙铭璘, 邓辉, 等. 基于儿童孤独症的针灸真实世界研究方法探索[J]. 世界中医药, 2024, 19(07): 927-930.
- [27]李少红. 针刺治疗孤独症谱系障碍临床特征及疗效评价研究[D]: 中国中医科学院, 2022.
- [28]王兴, 庞芳, 张玲. 基于真实世界的痉瘫康胶囊治疗小儿痉挛性脑瘫研究[J]. 山东中医杂志, 2017, 36(07): 555-557.
- [29]朱鹏程. 基于大数据的吴敏教授治疗抽动障碍真实世界研究及相关安全性研究[D]: 上海交通大学, 2019.

- [30]Wang J, Luo C, Wang Z, et al. Clinical management of children with tic disorder: insights from therapeutic visits in China—a real-world study [J]. Front Pediatr, 2024, 12: 1360470.
- [31]闫文月. 基于真实世界研究的阴虚火旺型中枢性性早熟女童综合评价 [D]: 山东中医药大学, 2022.
- [32]Han J, Fu Q, Liang C, et al. The efficacy and safety of Huaiqihuang Granule in the treatment of childhood chronic primary immune thrombocytopenia: a multi-centre, randomized, double-blind, placebo-controlled clinical study () [J]. J Ethnopharmacol, 2026, 359: 121050.
- [33]王佳妮. 运用徐氏儿科学术思想治疗新加坡儿童过敏性疾病的真实世界分析 [D]: 上海中医药大学, 2021.
- [34]Luo C, Wang Y, He B, et al. Exploring the Core Prescription and Underlying Mechanism of Traditional Chinese Medicine in Treating Allergic Rhinitis in Children: A Real- World Study Based on an Illustrious Senior Traditional Chinese Medicine Practitioner [J]. Comb Chem High Throughput Screen, 2023, 26(1): 207-223.
- [35]李晓文. 中西医结合治疗儿童过敏性紫癜真实世界研究 [D]: 山东中医药大学, 2020.
- [36]燕丽, 王连心, 谢雁鸣, 等. 真实世界中过敏性紫癜的发病特点及中医证候分布 [J]. 中医杂志, 2014, 55(21): 1872-1876.
- [37]焦阳. 中西医结合治疗儿童 EBV 感染的真实世界研究 [D]: 山东中医药大学, 2020.
- [38]Li R, Li Q N, Li C F, et al. [Influence of acupoint application on clinical use of antibiotics: a real world study of 1.23 million primary clinic patients] [J]. Zhongguo Zhen Jiu, 2022, 42(3): 241-249.
- [39] 康超飞. 基于 HIS 真实世界的六黄益津丸对糖尿病肾病的疗效评价 [D]: 河北大学, 2023.

作者简介: 潘开宇 (1972—), 女, 汉族, 浙江杭州人, 博士研究生学历, 医学博士学位, 浙江省杭州市萧山区第一人民医院儿科主任医师。研究方向: 儿童内分泌疾病的中西医结合诊治。

基金项目: 2026 年度浙江省中医药科技计划项目, 编号: 2026ZL0658, 项目名称: 基于真实世界研究和机器学习算法的中药四君子汤对儿童生长激素缺乏症 (GHD) 适应症模型构建和应用。

本文第一作者潘开宇为该基金项目的项目负责人。