



中华人民共和国医药行业标准

XX/T XXXXX—XXXX

医疗器械真实世界数据 术语和定义

Medical device real world data—Terms and definitions

(点击此处添加与国际标准一致性程度的标识)

(征求意见稿)

(本草案完成时间: 2024.8.5)

在提交反馈意见时, 请将您知道的相关专利连同支持性文件一并附上。

XXXX - XX - XX 发布

XXXX - XX - XX 实施

国家药品监督管理局 发布

前 言

本文件按照GB/T 1.1—2020《标准化工作导则 第1部分：标准化文件的结构和起草规则》的规定起草。

请注意本文件的某些内容可能涉及专利。本文件的发布机构不承担识别这些专利的责任。

本文件由国家药品监督管理局提出。

本文件由全国医疗器械临床评价标准化技术归口单位归口。

本文件起草单位：国家药品监督管理局医疗器械技术审评中心

本文件主要起草人：

医疗器械真实世界数据 术语和定义

1 范围

本文件界定了医疗器械真实世界数据涉及的术语和定义，包括医疗器械真实世界研究过程中使用的术语和定义。

本文件适用于医疗器械临床评价。

2 规范性引用文件

本文件没有规范性引用文件。

3 术语和定义

3.1

真实世界数据 real-world data (RWD)

是指传统临床试验以外的，从多种来源收集的各种与患者健康状况和/或常规诊疗及保健有关的数据。

3.2

真实世界证据 real-world evidence (RWE)

通过分析真实世界数据，形成医疗器械使用、风险/收益相关的临床证据，可能作为有效的科学证据用于监管决策。

3.3

真实世界研究 real-world study (RWS)

围绕相关科学问题，综合运用流行病学、生物统计学、循证医学等多学科方法技术，利用真实世界数据开展的研究。

3.4 数据来源

3.4.1

医疗器械登记 medical device registry

一种组织化系统，可持续不断收集与常规临床治疗相关的数据、评价有意义的结局并且以合理规模全面涵盖了医疗器械的暴露人群（例如：国际、国家、地区和卫生系统），主要目的是提高患者治疗质量。

3.4.2

医疗器械登记数据 medical device registry data

从医疗器械登记数据库中获得的数据。

3.4.3

医疗机构病历 medical record

医务人员在医疗活动中形成的文字、符号、图表、影像、切片等资料的总和，包括门（急）诊病历和住院病历。病历归档以后形成病案。

按照病历记录形式不同，可区分为纸质病历和电子病历。电子病历与纸质病历具有同等效力。

3.4.4

卫生信息系统 hospital information system (HIS)

由医疗机构中授权的临床专业人员创建、收集、管理和访问的个体患者的健康相关信息电子记录。

3.4.5

电子病历 electronic medical record (EMR)

由医疗机构中授权的临床专业人员创建、收集、管理和访问的个体患者的健康相关信息电子记录。

3.4.6

区域健康医疗数据 regional health care data

某个区域内，在人们疾病防治、健康管理等过程中产生的与健康医疗相关的数据。

3.4.7

医疗保险数据 medical insurance data

医疗保健提供者向保险公司提交的用以获得治疗和其它干预措施赔付的医疗费用及相关医疗信息汇编。

3.4.8

健康档案 health record

医疗卫生机构为城乡居民提供医疗卫生服务过程的规范记录，是以居民个人健康为核心，贯穿整个生命过程，涵盖各种健康相关因素，满足居民自我保健和健康管理、健康决策需要的系统化信息资源。

3.4.9

公共监测数据 public monitoring data

是指通过对特定人群或人群样本的健康状况的定期观察或不定期调查及普查而获得的数据。

3.4.10

患者自报结局 patient-reported outcome (PRO)

是一种来自患者自身测量与评价疾病结局的指标，包括症状、生理、心理、医疗服务满意度等。其记录有纸质和电子两种方式，后者称为电子患者自报结局（ePRO）。

3.4.11

移动设备产生的数据 mobile device-generated data

通过移动设备测量和监测产生的健康数据。

3.5 数据质量评价

3.5.1

相关性 relevance

指的是数据是否可充分回答与研究目的相关的临床问题，包括数据是否涵盖研究人群数据，是否能形成相对统一或标化的干预/暴露，是否可设置可比的对照，是否包含研究所需的结局变量及测量结果，是否可获得混杂因素的相关数据。

3.5.2

可靠性 reliability

指的是数据采集的准确性，包括采集前确定采集范围、采集变量，制定数据词典、规定采集方法、采集数据的流转方式、储存介质格式等，充分保障数据的真实性和完整性等。

3.5.3

代表性 representative

数据所包含的人群是否涵盖研究的目标人群。

3.5.4

完整性 completeness

数据被收集和获取的程度，即相对于研究目的，数据是否完整，如研究变量的缺失是否影响研究结局的评估，样本量及随访时间是否足以回答研究问题等。

3.5.5

准确性 accuracy

数据对患者健康状况、诊疗及保健反映的准确程度，如患者年龄、使用器械、手术类型是否准确。

3.5.6

真实性 *attributive*

医疗器械可被唯一标识以及唯一标识被记录的程度，以识别和分析该器械的全部使用过程。

3.5.7

一致性 *consistent*

数据采集遵循相同的过程和程序的程度，包括统一的数据定义和稳定的病例报告表或版本受控的其他数据收集表。

3.5.8

可重复性 *repeatable*

变量可重复的程度。例如，对同一患者，结局变量测量和分类的一致性。

3.5.9

可获得性 *available when needed*

数据是公开的或可以共享的。

3.6

真实世界研究设计

3.6.1

试验性研究 *interventional study*

是指按照研究方案，将受试者分配到一种或多种干预措施中，以评估这些干预措施对结果的影响的研究。

3.6.2

观察性研究 *observational study*

根据特定研究问题，不施加主动干预的、以自然人群或临床人群为对象的、探索暴露/治疗与结局因果关系的研究。

3.6.3

传统临床试验 *traditional clinical investigation*

是指在专门的研究机构、对特定人群开展的试验。往往采用可控制变异性并确保数据质量的各种措施，例如：详尽的入排标准、详细的病例报告表（不同于普通的医疗记录）、强化监查和稽查（以确保严格遵守研究规程）以及严格精准的数据采集。通常还投入了大量的精力来确保治疗依从性，并避免采用可对随机治疗有效性造成影响的伴随治疗。

3.6.4

实用性临床试验 *pragmatic clinical investigation*

实用性临床试验是在常规或接近常规的临床实践中开展的临床试验。

3.6.5

实效性随机对照试验 *pragmatic randomized controlled trial (pRCT)*

是实用性临床试验的一种重要类型，其在真实或接近真实医疗环境下，采用随机、对照的设计比较临床实践中不同干预措施的治疗结果的研究，其主要目的是评估干预措施在常规临床实践中的效果。

3.6.6

回顾性研究 *retrospective study*

通过历史数据（即研究启动之前生成的数据）定义人群并确定暴露/治疗的研究。在研究启动时，就已经确定相关变量和结局。

3.6.7

前瞻性研究 *prospective study*

在研究开始时确定相关人群，并于该时间点以后收集暴露/治疗和结局数据的研究。

3.6.8

回顾前瞻性研究 *retrospective and prospective study*

在研究开始时确定目标人群，在研究开始前确定将要收集的暴露/治疗和结果数据，并据此根据历史数据（研究开始前生成的数据）和前瞻性收集的数据开展的研究。

3.7 统计分析术语

3.7.1

原始数据集 original data set

相同主题下多个变量的集合，这些变量的观测值共同形成该原始数据集。

3.7.2

分析数据集 analysis data set

具有相同主题的数据或信息的集合，用于分析和报告的最终数据集。

3.7.3

原始数据库 original database

常包含从病例报告表和外部文件中直接收集的原始数据，通常由多个不同的原始数据集组成。

3.7.4

分析数据库 analysis database

为便于统计分析使用原始数据集形成的数据库，用于产生临床试验报告中的统计结果。

3.7.5

意向性分析原则 intention to treat (ITT)

是指主要分析应包括所有随机化的受试者，基于所有随机化受试者的分析集通常被称为ITT分析集。

3.7.6

偏倚 bias

是指研究及其数据的设计、实施、分析、解读、发表或审查过程中的任何系统误差，这种误差会导致研究结果与真实情况出现偏差。系统误差可能由以下各项中的缺陷所致：选择受试者的方法、数据收集规定、结果的统计分析和公布。

3.7.7

混杂 confounding

混杂与研究中的干预措施和结局均相关。由于混杂因子的存在，会影响干预措施与结局之间产生非因果关系的情况。

3.7.8

分层分析 stratified analysis

分层分析是指将数据按可能的混杂因素分为多层，每层的内部数据有较好的同质性，是常用的识别和控制混杂造成的偏倚的方法之一。

3.7.9

倾向性评分 propensity score

用一个分值来替代多个协变量，均衡不同处理组间协变量的分布。对非随机化研究中的混杂因素进行类似随机化的均衡处理，减少选择偏倚。

参 考 文 献

- [1] IMDRF MDCE WG/N55 FINAL:2019, Clinical Evidence—Key Definitions and Concepts (formerly GHTF/SG5/N1R8:2007)
- [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），国家药监局2020年第77号通告
- [3] 医疗器械真实世界研究设计和统计分析注册审查指导原则，国家药监局器审中心2024年第3号通告
-

《医疗器械真实世界数据 术语和定义》 标准编制说明

一、工作简况

（一）任务来源

根据药监综械注〔2024〕27号文《国家药监局综合司关于印发2024年医疗器械行业标准制修订计划项目的通知》的要求，由全国医疗器械临床评价标准化技术归口单位归口（以下简称“归口单位”）负责制定本标准。本标准计划项目号为G2024022-T-qs，本标准为推荐性行业标准，标准起草单位为国家药品监督管理局医疗器械技术审评中心。

（二）工作过程

2023年9月，由归口单位提交立项申请。

2024年4月，公开征集标准制定项目参与单位，确定起草小组成员，进行工作职责分工。

2024年6月，完成标准草案，并在小组内进行讨论，形成了标准工作组讨论稿。

2024年7月，通过线上方式就标准草案邀请准制定项目参与单位和归口单位专家组成员31人参加讨论。讨论会上，专家就标准中的具体内容提出了修改建议。会后，起草小组根据充分讨论结果，采纳部分意见，对草案进行了进一步完善，形成了征求意见稿。

二、标准编制原则和确定标准主要内容的论据

（一）标准制定的意义、原则

真实世界数据可以用于医疗器械临床评价标，而术语和定义是真实世界数据用于医疗器械临床评价的基础，本标准的制定有利于提升医疗器械临床评价相关工作的规范性。本标准不涉及具体的产品。

（二）本标准性能指标制定依据，对于有争议指标中的处理及验证

本标准按照 GB/T1.1-2020 的起草规则编写。

本标准规定了范围、术语和定义。对于有争议的内容，采取起草小组内充分论证，结合专家意见，进行标准制定。

三、主要实验（或验证）的分析、综述报告、技术经济论证、预期的经济效果

本标准不涉及实验或验证。

四、采用国际标准和国外先进标准的程度，以及与国际、国外同类标准水平的对比情况，或与测试的国外样品、样机的有关数据对比情况

目前尚无国际标准和国外先进标准。

五、与有关的现行法律、法规和强制性标准的关系

本标准与有关的现行法律、法规和强制性标准不冲突。

六、重大分歧意见的处理经过和依据

无重大分歧。

七、行业标准作为强制性行业标准或推荐性行业标准的建议

建议本标准为推荐性标准。

八、贯彻行业标准要求和措施建议（包括组织措施、技术措施、过渡办法等内容）

建议在本行业标准发布后实施前进行标准宣贯，宣贯对象是企业、医疗机构、各级医疗器械监管部门。

建议标准发布后 12 个月实施。

九、废止现行有关标准的建议

无。

十、其他应予说明的事项

无。

标准起草小组

2024 年 8 月 8 日