

# 膀胱癌特异性患者报告结局测量工具的研究进展

刘玉芹,杨明莹,李丹娜,耿艺,邓秋,杨锐  
(昆明医科大学第二附属医院 护理部,云南 昆明 650101)

膀胱癌是泌尿系统常见恶性肿瘤,全球每年约 15 万人死于膀胱癌,而我国膀胱癌的发病率和死亡率也呈逐年上升趋势<sup>[1-2]</sup>。膀胱癌相关治疗给患者身心造成了巨大的影响,大部分患者术后生活质量低并伴有焦虑、抑郁等负性情绪<sup>[3]</sup>。随着现代医学模式的发展,从患者角度看待疾病和治疗结果的软指标,已得到越来越多临床工作者和决策者的认可<sup>[4]</sup>,评估来自患者报告的临床结局成为近几年癌症研究的热点。患者报告结局(patient-reported outcome,PRO)作为目前重要的临床结局指标之一<sup>[5]</sup>,它是指没有经过医护人员或其他人的解释,直接由患者表述有关其身心症状方面的信息<sup>[6]</sup>。PRO 一般通过自我报告问卷或量表来评估,因此,选择合适的患者报告结局测量工具(patient reported outcome measures,PROMs)显得尤为重要。PROMs 是以患者为中心对患者的健康结局进行测量的工具<sup>[4]</sup>,主要内容包括健康相关生存质量(health-related quality of life,HRQOL)、功能状态、症状、心理健康状况、治疗的满意度和依从性等方面<sup>[6-7]</sup>。目前,国内鲜有膀胱癌患者报告结局测量工具的相关研究报道,现对国际上膀胱癌患者适用的 PROMs 进行综述,以期完善我国膀胱癌临床结局的评估并研制适合我国的膀胱癌患者报告结局工具提供参考和借鉴。

## 1 美国癌症治疗功能评价系统(functional assessment of cancer therapy,FACT)相关量表

FACT 由 Bonomi 等<sup>[8]</sup>研究得出,该系统由测量癌症患者生命质量的共性模块(the functional assessment of cancer therapy general,FACT-G)和一些癌症的特异性模板构成<sup>[9]</sup>。FACT-G 目前最常用的是第 4 版,共有 27 个条目,分为躯体状况、社会家庭状况、情感状况和功能状况等 4 个领域。各条目均采用 Likert 5 级评分法,在评分时正向条目直接计 0~4 分,逆向条目则反向计分,总分 108 分,特异性模块则因测量目的不同其内容和总分也各异。FACT-G 中文版由美国西北大学严格按照量表翻译

程序形成,2006 年经万崇华等<sup>[10]</sup>检验其有非常好的信效度。

### 1.1 癌症治疗功能评估之膀胱癌 (function assessment of cancer therapy-bladder cancer form,FACT-BL)

FACT-BL 由 FACT-G 和膀胱癌特异性模块(bladder cancer specific questions,BICS)两部分组成,分为身体健康(physical well-being,PWB)、社会/家庭健康(social/family well-being,SWB)、情感健康(emotional well-being,EWB)、功能健康(functional well-being,FWB)、膀胱癌特异性模块(bladder cancer specific questions,BICS)等维度。BICS 由美国西北大学开发的慢性病治疗功能评估(the functional assessment of chronic illness therapy,FACIT)测量系统发展而来<sup>[11]</sup>,共有 12 个条目,包括排尿、控尿、性功能、躯体外观等与尿流改道术相关的方面,同样采用 Likert 5 级评分法计分,BICS 的分数与 FACT-G 的分数相加得出 FACT-BL 量表总分,总分为 156 分,分数越高代表生活质量越高。FACT-BL 量表作为最早的膀胱癌特异性量表,其优点在于比一般量表更能反映出疾病及手术对患者生活质量造成的影响,被广泛应用于膀胱癌患者的生活质量评估,朱锐<sup>[12]</sup>使用 FACT-BL 量表评估膀胱全切原位尿流改道术后患者的生活质量,发现原位新膀胱术明显地提高患者的术后生活质量。Degboe 等<sup>[13]</sup>还单独验证了 FACT-BL 在晚期尿路上皮癌患者中的信效度,结果显示其 Cronbach's  $\alpha$  系数范围是 0.66~0.85,重测信度 ICC>0.70,表明其具有良好的信效度,该量表也可应用于晚期尿路上皮癌患者中。但相较于完整的 PROMs,FACT-BL 缺乏患者的治疗满意度和症状体验等方面的评估,研究者可根据研究目的搭配相应量表使用。目前,FACT-BL 已被翻译为 30 多种语言<sup>[14-15]</sup>,中文版 FACT-BL 是美国结局研究与教育中心(Center on Outcomes Research and Evaluation,CORE)研制、翻译的,现被广泛应用于临床,但国内除万崇华等<sup>[10]</sup>验证了中文版 FACT-G 信效度后,暂无相关研究验证中文版 FACT-BL 的信效度。

### 1.2 癌症治疗功能评估之范德比尔特膀胱切除指数(the functional assessment of cancer therapy-vanderbilt cystectomy index,FACT-VCI) FACT-VCI 是由

【收稿日期】 2020-10-09 【修回日期】 2021-04-09  
【作者简介】 刘玉芹,硕士在读,护士,从事慢性病管理及延续护理工作  
【通信作者】 杨明莹,电话:0871-63402303

Cookson 及其团队<sup>[16]</sup>于 2003 年为接受根治性膀胱切除(radical cystectomy, RC)和尿流改道术(urinary diversion, UD)的患者设计的问卷。FACT-VCI 是在 FACT-G 基础上新增 17 个条目形成的,共有 5 个维度、45 个条目,分别为身体、社会/家庭、情感和功能健康以及 17 个根治性膀胱切除术的相关问题。添加的根治性膀胱切除术相关条目包括 4 个关于膀胱癌的问题、6 个关于结直肠癌的问题以及 7 个关于尿失禁治疗功能评估的问题。FACT-VCI 各条目采用 Likert 5 级评分法,总分 0~68 分,分数越高代表生活质量越好<sup>[17]</sup>。经验证 FACT-VCI 的 Cronbach's  $\alpha$  系数为 0.85,重测信度为 0.891<sup>[17]</sup>,与癌症特异性 FACT-G 分量表中的 3 个领域也密切相关( $r>0.70$ ,  $P<0.001$ ),进一步验证了 FACT-VCI 评估膀胱癌患者 HRQOL 的能力<sup>[16]</sup>。作为目前唯一针对 RC 和 UD 患者而开发和验证的 PROMs,FACT-VCI 在膀胱癌全切术后患者的生活质量测量中得到了研究者的青睐,现已被翻译为韩国<sup>[18]</sup>、瑞典<sup>[19]</sup>等多个语言版本,并经过验证应用于临床,但未见国内 FACT-VCI 汉化信息。

## 2 欧洲癌症研究与治疗组织生命质量相关量表

2.1 欧洲癌症研究与治疗组织生命质量核心问卷-30(European Organization for Research and Treatment of Cancer-quality of life questionnaire core-30, EORTC QLQ-C30) 欧洲癌症治疗研究组织(European Organization for Research and Treatment of Cancer, EORTC)于 1986 年开始系统地开发癌症患者生命质量测定量表体系<sup>[20]</sup>,EORTC QLQ-C30 是其中的核心量表,用于所有癌症患者的生命质量测定(测定其共性部分),在此基础上增加不同癌症的特异性模块即构成不同癌症的特异量表。EORTC QLQ-C30 共有 30 个条目,可分为 15 个领域,分别为 5 个功能领域(躯体、角色、认知、情绪和社会功能)、3 个症状领域(疲劳、疼痛、恶心及呕吐)、1 个健康状况和 6 个单一条目(气促、失眠、食欲缺乏、便秘、腹泻和经济困难)<sup>[21]</sup>。大部分条目采用 Likert 4 级评分法计分,为 1~4 分,1 分为完全没有,4 分为非常多;第 29 题和 30 题得分为 0~7 分。所有分数被线性公式转换为 0~100 分,分数越低生活质量越高。EORTC QLQ-C30 目前已广泛应用于多种癌症研究,并与美国的 FACT-G 并列形成应用最广的两类癌症测定量表。中文版 EORTC QLQ-C30 由万崇华等<sup>[22]</sup>从 1997 年开始研制,完成了第 2 版、第 3 版的翻译汉化,并验证了其信效度。

2.2 肌层浸润性膀胱癌生命质量特异模块(European Organization for Research and Treatment of Cancer-

quality of life questionnaire-muscle invasive bladder cancer-30, EORTC-QLQ-BLM30) EORTC-QLQ-BLM30 是 EORTC 开发的,由 EORTC QLQ-C30 模块化发展而来的膀胱癌特异性量表,与 EORTC QLQ-C30 搭配用于测量肌层浸润性膀胱癌患者的生存质量,包含 30 个条目,由 6 个尿路相关症状领域和 1 个导管相关条目组成<sup>[23]</sup>。条目采用 Likert 4 级评分法计分,为 1~4 分,各领域算出得分后根据线性公式转换为 0~100 分,分数越低生活质量越好。EORTC-QLQ-BLM30 被广泛应用在肌肉浸润性膀胱癌患者中,常用于观察不同治疗方式、不同人群的生存质量<sup>[24]</sup>。国内研究者刘建平<sup>[25]</sup>将该量表进行翻译和修订,中文版 EORTC QLQ-BLM30 量表各领域的 Cronbach's  $\alpha$  系数和分半信度大多数都在 0.8 以上,其效度与反应度也得到了验证,基本能够被接受。

2.3 非肌层浸润性膀胱癌生命质量特异性模块(European Organization for Research and Treatment of Cancer-quality of life questionnaire-Non muscle-invasive bladder cancer-24, EORTC-QLQ-NMIBC24) EORTC-QLQ-NMIBC24 量表同 EORTC-QLQ-BLM30 一样,也是由 EORTC 开发、EORTC QLQ-C30 模块化发展而来的专门用于评估非肌层浸润性膀胱癌生命质量的工具,共有 24 个条目,包括泌尿系统症状、膀胱灌注治疗问题、对未来的期望、发热和感觉不适以及腹胀和肠胃胀气以及涉及性功能不同方面的独立条目<sup>[26]</sup>。所有条目使用 Likert 4 级评分法计分,经线性公式转换后总分为 0~100 分,得分越低,表明其功能更好。在一项前瞻性随机研究中 Blazeby 等<sup>[27]</sup>验证了 EORTC-QLQ-NMIBC24 量表具有较好的信效度,并建议与 EORTC QLQ-C30 一起使用。EORTC-QLQ-NMIBC24 量表是唯一在前瞻性随机试验中检验的非肌层浸润性膀胱癌特异性量表,目前已被翻译成多个语言版本,并在临床中得到应用。2008 年,杨金玲<sup>[28]</sup>验证了中文版 EORTC-QLQ-NMIBC24 量表具有较好的信效度,可用于评价非浸润性膀胱癌的生命质量。Mogensen 等<sup>[29]</sup>运用丹麦翻译版的 EORTC-QLQ-NMIBC24 量表评估非肌肉浸润性膀胱癌电切术后患者的生活质量,发现大部分患者都存在排尿、情绪等方面的问题。

## 3 其他膀胱癌患者报告结局测量工具

3.1 膀胱癌指数(bladder cancer index, BCI) BCI 是由美国密歇根大学研发的一个可广泛应用于膀胱癌患者的评估工具<sup>[30]</sup>。BCI 包含 36 个条目,涵盖尿、肠和性等 3 个领域,每个领域均含功能(function)、烦恼(bother)2 个子领域。所有领域的评分

单独采用 Likert 4 级评分,各领域评分越高表示生活质量越高。经验证,BCI 内部一致性信度和内容信度好,Cronbach's  $\alpha$  为 0.77~0.94,重测相关系数分别为 0.92(尿)、0.87(肠道)和 0.92(性),量表与 FACT-G、FACT-BL 之间都有很好的相关性<sup>[30]</sup>。BCI 可用于评估膀胱癌局部治疗(泌尿、肠道、性)健康结局,被广泛应用于膀胱癌患者中<sup>[31]</sup>。Moncrief 等<sup>[32]</sup>在行根治性膀胱切除术的患者中比较了 FACT-VCI 和 BCI 两种工具,发现两者之间有很好的相关性( $r=0.57, P<0.001$ ),但是 FACT-VCI 由于保留了原始的 FACT-G,对影响膀胱癌患者生活质量的特异性因素敏感性不如 BCI<sup>[33]</sup>,所以研究者在选择 PROMs 时应结合研究目的综合考虑工具的适用人群以及工具本身的特性。

3.2 膀胱效用症状量表(the bladder utility symptom scale, BUSS) BUSS 是以健康相关生存质量概念框架构建的适用于膀胱癌患者的 PROMs,由 Perlis 等<sup>[34]</sup>于 2018 年研制并验证其信效度。该量表共有 10 个与膀胱癌患者密切相关的问题,包含膀胱癌特异性领域(泌尿、性和肠道问题)和一般领域(悲伤、疲劳、疼痛、身体形象、对他人的负担、信任)。经验证 BUSS 具有良好的信效度,与其他已被广泛使用的 PROMs 也有较好的相关性,如:BUSS 与 FACT-BL 全量表的相关性较强( $r=0.82, 95\%CI 0.74\sim0.87, P<0.0001$ ),与 BCI 的性领域也高度相关( $r=-0.71, 95\%CI -0.80\sim-0.60, P<0.0001$ )<sup>[34]</sup>。由于 BUSS 刚开发不久,目前尚未被广泛应用,但其量表具有特异性强、条目少容易在临床工作中应用等优点,可在未来研究工作中将其引入我国并进行汉化使用,以便于评估我国膀胱癌患者 PRO。

3.3 回肠原位新膀胱患者报告结局(the ileal orthotopic neobladder patient-reported outcome, IONB-PRO)

IONB-PRO 是由 Mason 等<sup>[35]</sup>于 2014 年针对膀胱癌行回肠新膀胱尿流改道术后患者研发的特异性 PROMs,包括两个部分,即症状和患者新膀胱自我管理(symptoms and the ileal orthotopic neobladder patient self-management, IONB-S&M)和生活质量问题(Ileal orthotopic neobladder-quality of life, IONB-QOL)<sup>[35]</sup>。该量表可分为 3 个版本,即基本的 23 项 QOL 版本、12 项 QOL 简表版本和 15 项 Rasch QOL (a short-form 15-item Rasch QoL scale)简表版本。经检验,IONB-PRO 具有良好的信效度,3 个版本子量表的条目与 EORTC-QLQ C30 之间的相关性都很高( $r>0.6$ ),是一个针对新膀胱术后患者的可行性工具<sup>[35]</sup>。作为一个新开发的膀胱癌 PROMs,目前国外有关 IONB-PRO 的应

用研究较少,国内暂时无汉化版本以及相关量表使用的研究,这意味着在未来研究过程中引入汉化量表或开发相关量表对评估回肠原位新膀胱患者的 PRO 具有重要临床价值。

#### 4 展望与小结

患者报告结局的临床应用价值已被国内外学者明确,而国际上常用的膀胱癌特异性患者报告结局工具 FACT-BL、BCI、FACT-VCI 等在临床应用也得到了良好的验证,但目前国际上常用的膀胱癌患者报告结局量表大多数为健康相关生活质量工具,对患者心理、社会以及治疗依从性、满意度的关注较少;而目前我国使用的膀胱癌患者报告结局工具大多数由国外引进,国内尚无一个全面、具有特异性、适合本土文化的膀胱癌患者报告结局工具,这使临床工作者对膀胱癌患者报告结局工具的选择与应用存在困难,导致无法运用 PROMs 为患者提供有效、有针对性的干预措施,阻碍膀胱癌患者达到最佳的治疗及护理效果。因此,在未来的科研以及临床工作中研发并验证一个全面、具有特异性且适合我国本土文化的膀胱癌患者报告结局测量工具是很有必要的,同时泌尿外科领域医护人员及科研人员应提高膀胱癌患者报告结局作为治疗结局评估的重视,在工作中进行探索和研究,逐渐建立起适合我国膀胱癌的患者报告结局测量工具。

【关键词】 膀胱癌;患者报告结局;测量工具

doi:10.3969/j.issn.1008-9993.2021.06.016

【中图分类号】 R473.6 【文献标识码】 A

【文章编号】 1008-9993(2021)06-0062-04

#### 【参考文献】

- [1] LI M Y, YANG Y L, LIU L, et al. Effects of social support, hope and resilience on quality of life among Chinese bladder cancer patients: a cross-sectional study[J/OL]. [2020-09-01]. <https://hqlo.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12955-016-0481-z>.
- [2] 陈晓芳, 陈万青, 周薇薇, 等. 2013 年中国膀胱癌发病和死亡流行状况分析[J]. 中国肿瘤, 2018, 27(2): 81-85.
- [3] 马娥, 杨明莹, 王剑松, 等. 膀胱癌尿流改道腹壁造口患者生活质量及影响因素研究进展[J]. 护理学报, 2017, 24(2): 21-23.
- [4] WELDRING T, SMITH S M. Patient-reported outcomes (PROs) and Patient-reported outcome measures (PROMs)[J]. Health Serv Insights, 2013(6): 61-68.
- [5] 刘砚燕, 陈如男, 姚静静, 等. 患者报告结局的国内外研究进展[J]. 现代预防医学, 2013, 40(12): 2268-2271, 2279.
- [6] U. S. Department of Health and Human Services FDA Center for Drug Evaluation and Research, U. S. Department of Health and Human Services FDA Center for Biologics Evaluation and Research, U. S. Department of Health and Human Services FDA Center for Devices and Radiological Health. Guidance for industry: patient-reported outcome measures; use in medical product development to support labeling claims; draft guidance[J/OL]. [2020-09-06]. <https://hqlo.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12955-016-0481-z>.



- tral.com/articles/10.1186/1477-7525-4-79.
- [7] FISCELLA K, RANSOM S, JEAN -PIERRE P, et al. Patient - reported outcome measures suitable to assessment of patient navigation[J]. Cancer, 2011, 117(15 Suppl):3603-3617.
- [8] BONOMI A E, CELLA D F, HAHN E A, et al. Multilingual translation of the functional assessment of cancer therapy (FACT) quality of life measurement system[J]. Qual Life Res, 1996, 5(3):309-320.
- [9] CELLA D F, TULSKY D S, GRAY G, et al. The fmctional assessment of cancer therapy scaler development and validation of the general measure[J]. J Clin Oncol, 1993, 11(3):570-579.
- [10] 万崇华, 孟琼, 汤学良, 等. 癌症患者生命质量测定量表 FACT-G 中文版评介[J]. 实用肿瘤杂志, 2006, 21(1):77-80.
- [11] WEBSTER K, CELLA D, YOST K. The functional assessment of chronic illness therapy (FACIT) Measurement System: properties, applications, and interpretation[J/OL]. [2020-09-10]. <https://hqlo.biomedcentral.com/articles/10.1186/1477-7525-1-79>.
- [12] 朱锐. 膀胱全切原位尿流改道术后并发症分析及生活质量评估[D]. 昆明: 昆明医科大学, 2017.
- [13] DEGBOE A, IVANESCU C, ROHAY J M, et al. Validity and performance of the functional assessment of cancer therapy-bladder (FACT-BL) among advanced urothelial cancer patients[J]. Support Care Cancer, 2019, 27(11):4189-4198.
- [14] ZAHARAN M H, SHEIR K, ZIDAN E M, et al. Validation of the arabic version of the functional assessment of cancer therapy-bladder questionnaire in Egyptian patients with bladder cancer. [J]. Arab J Urol, 2017, 15(2):110-114.
- [15] HINOTSU A, NIIMI M, AKAZA H, MIYANAGA N, et al. Development of Japanese version of QOL questionnaire for bladder and prostate cancer patients using FACT-BL and P: pilot study [J]. Gan To Kagaku Ryoho, 1999, 26(5):657-666.
- [16] COOKSON M S, DUTTA S C, CHANG S S, et al. Health related quality of life in patients treated with radical cystectomy and urinary diversion for urothelial carcinoma of the bladder: development and validation of a new disease specific questionnaire [J]. J Urol, 2003, 170(5):1926-1930.
- [17] ANDERSON C B, FEURER I D, LARGE M C, et al. Psychometric characteristics of a condition-specific, health-related quality-of-life survey: the FACT-vanderbilt cystectomy index[J]. Urology, 2012, 80(1):77-83.
- [18] MYONG K, SEUNG-JUNE O, CHEOL K, et al. Psychometric validation study of the Korean version of the functional assessment of cancer therapy-vanderbilt cystectomy index [J/OL]. [2020-09-10]. <https://journals.plos.org/plosone/article?id=10.1371/journal.pone.0190570>.
- [19] KARIN S, ANNA-KARIN L, JENNY W, et al. Patient-reported outcome after radical cystectomy: translation and psychometric validation of the Swedish version of the functional assessment of cancer therapy scale vanderbilt cystectomy index[J]. Scand J Urol, 2016, 50(5):374-379.
- [20] AARONSON N K, AHMEDZAI S, BERGMAN B, et al. The European Organization for Research and Treatment of Cancer QLQ-C30: a quality-of-life instrument for use in international clinical trials in oncology[J]. J Natl Cancer Inst, 1993, 85(5):365-376.
- [21] 杨铮, 宣辉, 万崇华, 等. 膀胱癌患者生命质量影响因素的多重回归分析: QLQ-C30 与 QLQ-BLM30 量表应用[J]. 实用肿瘤杂志, 2015, 30(1):29-32.
- [22] 万崇华, 陈明清, 张灿珍, 等. 癌症患者生命质量测定量表 EORTC QLQ-C30 中文版评介[J]. 实用肿瘤杂志, 2005, 20(4):353-355.
- [23] BOTTEMAN M F, PASHOS C L, HAUSERR S, et al. Quality of life aspects of bladder cancer: a review of the literature[J]. Qual Life Res. 2003, 12(6):675-688.
- [24] NORMANN C O, OPHEIM R, ANDREASSEN B K, et al. Health-related quality-of-life after radical cystectomy among Norwegian men and women compared to the general population [J]. Scand J Urol, 2020, 54(3):181-187.
- [25] 刘建平. 膀胱癌患者生命质量量表的研制与考评[D]. 昆明: 昆明医学院, 2010.
- [26] PARK J S, SHIN D W, KIM T H, et al. Development and validation of the Korean Version of the European Organization for research and treatment of cancer quality of life questionnaire for patients with non-muscle invasive bladder cancer: EORTC QLQ-NMIBC24 [J]. Cancer Res Treat, 2018, 50(1):40-49.
- [27] BLAZEBY J M, HALL E, AARONSON N K, et al. Validation and reliability testing of the EORTC QLQ-NMIBC24 questionnaire module to assess patient-reported outcomes in non-muscle-invasive bladder cancer [J]. Eur Urol, 2014, 66(6):1148-1156.
- [28] 杨金玲. EORTC QLQ 量表在浅表性膀胱癌患者生存质量研究中的应用[D]. 济南: 山东大学, 2008.
- [29] MOGENSEN K, CHRISTENSEN K B, VRANG M L, et al. Hospitalization for transurethral bladder resection reduces quality of life in Danish patients with non-muscle-invasive bladder tumour[J]. Scand J Urol, 2016, 50(3):170-174.
- [30] GILBERT S M, DUNN R L, HOLLENBECK B K, et al. Development and validation of the bladder cancer index: a comprehensive, disease specific measure of health related quality of life in patients with localized bladder cancer[J]. J Urol, 2010, 183(5):1764-1769.
- [31] GILBERT S M, WOOD D P, DUNN R L, et al. Measuring health-related quality of life outcomes in bladder cancer patients using the bladder cancer index (BCI)[J]. Cancer, 2010, 109(9):1756-1762.
- [32] MONCRIEF T J, BALAJI P, LINDGREN B B, et al. Comparative evaluation of bladder-specific health-related quality of life instruments for bladder cancer[J]. Urology, 2017(108):76-81.
- [33] SIRACUSANO S, NIERO M, LONARDI C, et al. Development of a questionnaire specifically for patients with ileal orthotopic neobladder (IONB) [J/OL]. [2020-09-05]. <https://hqlo.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12955-014-0135-y>.
- [34] PERLIS N, KRAHN M D, BOEHME K E, et al. The bladder utility symptom scale: a novel patient reported outcome instrument for bladder cancer[J]. J Urol, 2018, 200(2):283-291.
- [35] MASON S J, CATTO J W, DOWNING A, et al. Evaluating patient-reported outcome measures (PROMs) for bladder cancer: a systematic review using the consensus-based standards for the selection of health measurement instruments (COSMIN) checklist[J]. BJU Int, 2018, 122(5):760-773.