

中国患者登记研究开展现状分析



易洪彬^{1, 2, 3}, 聂智峰^{1, 2, 3}, 韩 晟^{1, 2, 3}, 史录文^{1, 2, 3}

1. 海南省真实世界数据研究院 (海南琼海 571437)
2. 北京大学医药管理国际研究中心 (北京 100191)
3. 北京大学药学院 (北京 100191)

【摘要】目的 分析我国患者登记研究开展现状, 为提高我国患者登记研究水平提供参考依据。**方法** 检索在临床试验注册库 ClinicalTrials.gov 中注册的我国患者登记研究, 检索时限为建库至 2024 年 6 月, 并对我国患者登记研究申办方、资助方、研究进行状态、开展规模以及主要疾病领域等进行描述性分析。**结果** 共纳入 1 565 项在 ClinicalTrials.gov 中注册的我国患者登记研究。我国患者登记研究申办方主要是医院、高校等事业单位, 其中, 北京协和医院的申办数量最多 (64 项, 4.09%); 共有 1 441 项患者登记研究的资助方为“其他”, 占比 92.08%; 大部分患者登记研究状态处于招募中 (565 项, 36.10%); 多数患者登记研究的注册病例数量为 100~999 人 (713 项, 45.56%); 涉及的主要疾病领域包括癌症 (186 项, 11.88%)、卒中 (81 项, 5.18%)、心脏病 (53 项, 3.39%) 等。**结论** 我国患者登记研究发展势头良好, 数量逐渐增多, 覆盖疾病领域广泛, 医院和高校等机构积极参与, 但存在管理和透明度不足、研究规模有限、资金来源单一等问题和挑战。

【关键词】 患者登记研究; 注册登记研究; 现状分析

【中图分类号】 R 95 **【文献标识码】** A

Analysis of the current status of patient registry studies in China

YI Hongbin^{1,2,3}, NIE Zhifeng^{1,2,3}, HAN Sheng^{1,2,3}, SHI Luwen^{1,2,3}

1. Hainan Institute of Real World Data, Qionghai 571437, Hainan Province, China

2. International Research Center for Medicinal Administration, Peking University, Beijing 100191, China

3. School of Pharmaceutical Sciences, Peking University, Beijing 100191, China

Corresponding author: HAN Sheng, Email: hansheng@bjmu.edu.cn

【Abstract】Objective To analyze the current status of patient registry studies conducted in China, and to provide reference basis for improvement of patient registry studies. **Methods** Patient registry studies in China were searched in ClinicalTrials.gov, and the time limit for searching was from the establishment of the database to June 2024. The descriptive analyses was carried out to evaluate the situation, the scale, the main disease of the sponsors and funders of patient registry studies in China. **Results** As of June 2024, there were a total of 1,565 patient registry studies in China registered on ClinicalTrials.gov. The results showed that the sponsors of patient registry studies in China were mainly hospitals, universities and other institutions, of which the Peking Union Medical College Hospital had the largest number of sponsors (64, 4.09%). A total of 1,441

DOI: 10.12173/j.issn.1004-5511.202412151

基金项目: 国家自然科学基金面上项目 (82273899)

通信作者: 韩晟, 博士, 研究员, Email: hansheng@bjmu.edu.cn

patient registry studies in China were funded by "other", accounting for 92.08%. Most of the patient registry studies were under the process of recruitment (565, 36.10%). Most of the patient registry studies had 100~999 enrolled cases (713, 45.56%). The main disease area involved were cancer (186, 11.88%), stroke (81, 5.18%) and heart disease (53, 3.39%). **Conclusion** Patient registry studies in China are developing well, gradually increasing in number, covering a wide range of disease areas, with active participation of hospitals and universities. However, there are still problems and challenges such as insufficient management and transparency, limited scale of research, and single source of funding.

【Keywords】 Patient registry study; Registry study; Status analysis

我国真实世界数据 (real world data, RWD) 的来源按功能类型主要可分为医院信息系统数据、医保支付数据、患者登记研究数据、药品安全性主动监测、自然人群队列数据等^[1]。患者登记也称病例注册登记,作为一种重要的 RWD 来源,日益受到国内外临床医生和卫生管理决策者的重视^[2-5]。通过预先的设计,在多种质量控制措施下主动收集数据建立患者登记数据库,可在药械评价和疾病管理中发挥重要作用,尤其是在新药上市、药械上市后监测、医疗器械监管以及慢性病和罕见病管理等多个研究领域^[6-9]。我国拥有庞大的人口基数和丰富的病例资源,为患者登记研究提供了得天独厚的人群基础。在我国,患者登记研究主要依托医疗机构和临床协作网络进行,其设计并不复杂,临床医生在纳入病例和开展随访工作时所需投入的时间相对较少,因此,在我国实施患者登记具有较高的可行性^[10]。

国际上患者登记研究的起步较早,其主要应用于流行病学领域,包括对传染病、重大疾病及罕见病的发病率与死亡率进行深入调查,以及对这些疾病患者的观察和随访研究^[11-13]。1905 年,丹麦启动了全球首个针对癌症的患者登记研究,规定医生必须报告所有诊断出的癌症病例,到 1942 年,丹麦已逐步发展并完善了全国性的癌症患者登记研究数据库^[14]。1965 年,欧洲启动了全球首个癌症患者登记研究数据库,旨在搜集全球范围内的癌症发病率、癌症类型等关键数据^[15]。此前的一项回顾性研究,我国患者登记研究尚处于起步阶段,申办数量远远落后于欧美发达国家^[16]。本研究旨在对我国患者登记研究申办方、资助方、研究进行状态、开展规模以及主要疾病领域的分布情况进行描述性分析,为提高我国患者登记研究水平提供参考依据。

1 资料与方法

1.1 资料来源

本研究数据来源于目前全球最大的临床试验注册库 ClinicalTrials.gov (<https://classic.clinicaltrials.gov/>)。ClinicalTrials.gov 是一个由美国国立卫生研究院 (National Institutes of Health, NIH) 下属的国家医学图书馆 (National Library of Medicine, NLM) 维护的公共数据库,于 2000 年创建。ClinicalTrials.gov 的创建源于美国食品药品监督管理局 (Food and Drug Administration, FDA) 在 1997 年颁布的一项法案,该法案要求 NIH 创建一个临床试验数据库,包括一些研究性新药 (investigational new drug, IND) 申请上市许可的数据,尤其是针对严重或危及生命的疾病的研究药物^[17]。此后, ClinicalTrials.gov 根据其他法律、法规和政策进行了扩展,以包括更多类型的研究 (如患者登记研究、队列研究等) 及其相关信息。本研究通过 ClinicalTrials.gov 数据库筛选出“观察性研究”类别下的“患者登记研究”,将检索时间范围设定为数据库建立至 2024 年 6 月,并对符合条件的研究结果进行了下载。纳入标准:①在中国境内开展的患者登记研究;②具有明确的适应证。排除标准:①非中国境内开展的患者登记研究;②注册信息数据存在缺失,影响研究的完整性和可靠性。

1.2 统计学分析

本研究使用 Microsoft Excel 2019 软件作为数据处理的主要工具,对从 ClinicalTrials.gov 数据库中下载的原始数据进行系统的纳入、排除和标准化处理,对计数资料采用频数和百分率 ($n, %$) 的形式来进行描述性分析。

2 结果

检索结果显示,从建库至 2024 年 6 月,我

国共有 1 565 项患者登记研究在 ClinicalTrials.gov 上进行注册。

2.1 我国患者登记研究申办方现状

我国患者登记研究申办方主要是医院、高校等事业单位，其次是学会、协会等研究机构或社会组织；此外，也有一部分申办方为医药企业或个人。从我国患者登记研究申办单位 TOP20 的情况来看，北京协和医院的申办数量最多，达到 64 项，占我国患者登记研究的 4.09%；其次是北京大学第三医院和浙江大学医学院附属第二医院，二者均申办了 42 项患者登记研究，各占比 2.68%，详见表 1。

2.2 我国患者登记研究资助方现状

我国共有 1 441 项患者登记研究的资助方为“其他”，占比 92.08%，其次为医药企业（71 项，4.54%）和政府（50 项，3.19%），详见表 2。

2.3 我国患者登记研究进行状态现状

在 ClinicalTrials.gov 数据库中，患者登记研究进行状态分为招募中、未知、完成、尚未招募、试验进行中，但目前不招募、指定招募、招募中止、招募取消、招募暂停等 9 种状态。目

表1 我国患者登记研究申办单位TOP20

Table 1. TOP20 sponsor institutions for patient registry studies in China

申办方	数量 (项)	占比 (%)
北京协和医院	64	4.09
北京大学第三医院	42	2.68
浙江大学医学院附属第二医院	42	2.68
中山大学	39	2.49
复旦大学	25	1.60
首都医科大学附属北京天坛医院	23	1.47
复旦大学附属中山医院	23	1.47
中国人民解放军总医院	22	1.41
西京医院	22	1.41
四川大学华西医院	21	1.34
首都医科大学宣武医院	21	1.34
国家心血管病中心	20	1.28
中国医学科学院阜外医院	19	1.21
北京大学人民医院	19	1.21
首都医科大学附属北京友谊医院	18	1.15
南方医科大学南方医院	18	1.15
上海交通大学医学院附属瑞金医院	18	1.15
中日友好医院	16	1.02
东南大学	16	1.02
西安交通大学第一附属医院	15	0.96

前，我国大部分患者登记研究处于招募中，共有 565 项，占有所有项目的 36.10%；值得注意的是，有 526 项患者登记研究处于“未知”状态，占比 33.61%；此外，我国已完成 288 项患者登记研究，占比 18.40%，详见表 3。

2.4 我国患者登记研究开展规模现状

我国大部分患者登记研究的注册病例数量为 100~999 人（713 项，45.56%），其次是 1 000~9 999 人（419 项，26.77%），但也有 289 项患者登记研究规模较小，注册病例数 < 100 人，占比 18.47%，详见表 4。

2.5 我国患者登记研究主要疾病领域现状

从我国患者登记研究涉及的主要疾病领域分布情况来看，癌症领域相关患者登记研究最多，共有 186 项（11.88%），其次是卒中（81 项，5.18%）、心脏病（53 项，3.39%），疾病领域分布情况详见图 1。

表2 我国患者登记研究资助方情况

Table 2. The funders for patient registry studies in China

资助方	数量 (项)	占比 (%)
其他	1 441	92.08
医药企业	71	4.54
政府	50	3.19
未知	2	0.13
个人	1	0.06

表3 我国患者登记研究进行状态情况

Table 3. The status of patient registry studies in China

进行状态	数量 (项)	占比 (%)
招募中	565	36.10
未知	526	33.61
完成	288	18.40
尚未招募	76	4.86
试验进行中，但目前不招募	63	4.03
指定招募	26	1.66
招募中止	10	0.64
招募取消	9	0.58
招募暂停	2	0.13

表4 我国患者登记研究开展规模

Table 4. The scale of the patient registry study in China

注册人数 (人)	数量 (项)	占比 (%)
<100	289	18.47
100~999	713	45.56
1 000~9 999	419	26.77
≥10 000	137	8.75
未知	7	0.45

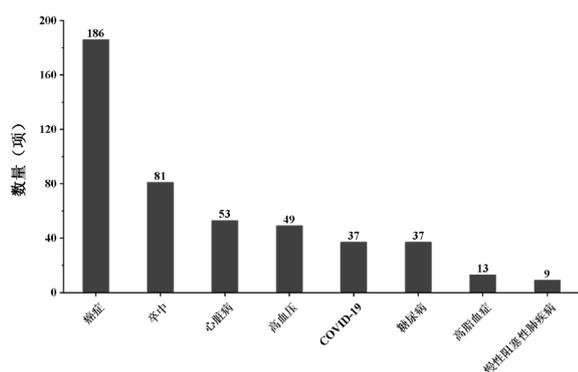


图1 我国患者登记研究主要疾病领域分布情况

Figure 1. The distribution of major disease areas in patient registry studies in China

3 讨论

我国医药产业正处于新发展阶段，患者登记研究等新型安全性监测工具的引入，将推动上市后监管的科学化进程，为监管决策提供新思路。患者登记研究凭借其长期性和纵向性，能够持续监测药品安全性，发现罕见不良事件，并评估随机对照试验难以获取的长期疗效和罕见临床终点，从而提升监管效率和药品安全性。从现状来看，我国患者登记研究的开展表现出积极的发展势头。首先，我国患者登记研究的数量近年有所增长，表明对该领域的重视程度正逐渐增加。其次，我国患者登记研究类型多样，涉及的疾病领域较为广泛，包括癌症、卒中、心血管疾病、糖尿病等，这些疾病都是当前我国乃至全球面临的重大公共卫生问题^[18-21]。患者登记研究的应用范围不断扩大，不仅有助于更全面地了解疾病的流行病学特征，也为疾病预防和治疗策略的制定提供了科学依据。此外，医院和高校等单位参与度较高，为患者登记研究的开展提供了重要支撑，这些机构不仅拥有丰富的临床资源和科研能力，还能够通过多学科合作，提高研究的水平和效率。医院作为患者登记研究的主要实施场所，其积极参与对于确保研究数据的真实性和可靠性至关重要。未来，随着研究体系的不断完善、研究方法的不断创新，以及政策支持的进一步加强，我国患者登记研究有望在疾病防控、健康促进等方面发挥更大的作用。

但我国患者登记研究在实际推进过程中也暴露出一些不容忽视的问题和挑战。第一，部分患者登记研究的进行状态未知，反映了我国患者登

记研究在管理和信息透明度方面可能存在一定的问题。这些未知状态的研究可能由于缺乏有效的监管和跟踪机制，导致研究进度、成果和质量无法得到保证，进而影响了整个研究领域的发展。为此，建立健全的患者登记研究管理体系和信息公开制度显得尤为重要。第二，大部分患者登记研究的开展规模较小，可能限制了研究的深度和广度。小规模研究难以涵盖广泛的病种和人群，导致研究结果的适用性和推广性受限，为了提高研究的影响力，有必要鼓励和支持大规模、多中心的患者登记研究，以增强研究结果的代表性和指导意义。第三，资金来源主要依靠“其他”途径，表明我国患者登记研究的资金支持体系尚不完善，资金来源单一化问题突出。缺乏多元化的资金支持体系可能导致研究经费不稳定，难以满足研究长期、持续的需求。为了促进患者登记研究的可持续发展，需要构建多元化的资金支持体系，包括政府资助、企业合作、社会捐赠等多渠道筹措研究经费。

本研究与杨星月等^[16]的研究均围绕患者登记研究的现状与应用展开，然而，在研究重点和内容上存在差异。共通之处主要体现在以下三个方面：首先，均以患者登记研究为研究对象；其次，研究数据均源自 ClinicalTrials.gov 数据库；最后，两篇论文都认为患者登记研究具有重要的应用价值，并对未来发展方向提出了展望。差异主要体现在：一是研究的时间跨度不同，本研究的时间截至 2024 年 6 月，而杨星月等^[16]研究则截至 2016 年 6 月；二是研究内容的侧重点不同，既往研究主要介绍了患者登记的定义、分类、发展历程，并对 ClinicalTrials.gov 数据库中注册的患者登记研究进行了分析，包括应用地区、应用范围、涉及病种、研究数量等；本研究则更侧重于分析我国患者登记研究的现状，包括申办方、资助方、研究进行状态、开展规模以及主要疾病领域等。

本研究也存在一定局限性。首先，本研究仅针对在 ClinicalTrials.gov 上注册的患者登记研究进行了描述性分析，这一样本范围无法全面覆盖我国开展的所有患者登记研究，因此本研究的结论并不能完全代表国内患者登记研究的整体情况。其次，由于 ClinicalTrials.gov 公开的患者登记研究信息具有一定的局限性，导致本研究在数据来源上存在不足。公开的信息仅涉及部分患者登记研

究项目的基本情况,而对于研究质量、实施过程、成果转化等方面的详细信息掌握不够充分,使得本研究在分析我国患者登记研究现状时难以做到全面和深入。再者,本研究仅对当前我国患者登记研究的现状进行了初步描述,缺乏对历史发展、政策背景、地区差异等方面的分析。为了更全面地了解我国患者登记研究的实际情况,需要通过实地调研和专家访谈等方式对我国患者登记研究的开展现状进行深入研究和分析。

综上所述,我国患者登记研究在数量和疾病覆盖领域方面取得了显著进展,尤其是北京协和医院等医疗机构在推动患者登记研究方面发挥了积极作用。然而,研究过程中存在的部分患者登记研究进行状态未知、研究规模普遍偏小以及资金来源透明度不足等问题和挑战同样不容忽视。未来建议进一步提升我国患者登记研究的信息透明度和资金来源的多元化,并扩大研究规模,以保证患者登记研究的统计效力和临床指导价值。

伦理声明: 不适用

作者贡献: 数据分析和论文撰写: 易洪彬; 研究实施、数据采集和分析: 易洪彬、聂智峰; 研究设计、选题及研究指导、论文修改和资金支持: 韩晟、史录文

数据获取: 本研究中使用和(或)分析的数据可联系通信作者获取

利益冲突声明: 无

致谢: 不适用

参考文献

- 1 袁妮, 吕子萱, 黄祖彤, 等. 医保真实世界数据研究面临的挑战[J]. 中国医疗保险, 2024, (10): 15–23. [Yuan N, Lyu ZX, Huang ZT, et al. Challenges of real-world data research on medical insurance[J]. China Health Insurance, 2024, (10): 15–23.] DOI: 10.19546/j.issn.1674-3830.2024.10.003.
- 2 Inker LA, Ferrè S, Baliker M, et al. A national registry for people with all stages of kidney disease: the national kidney foundation (NKF) patient network[J]. Am J Kidney Dis, 2023, 81(2): 210–221. e1. DOI: 10.1053/j.ajkd.2022.07.016.
- 3 Encina G, Castillo-Laborde C, Lecaros JA, et al. Rare diseases in Chile: challenges and recommendations in universal health coverage context[J]. Orphanet J Rare Dis, 2019, 14(1): 289. DOI: 10.1186/s13023-019-1261-8.
- 4 Jonker CJ, Bakker E, Kurz X, et al. Contribution of patient registries to regulatory decision making on rare diseases medicinal

- products in Europe[J]. Front Pharmacol, 2022, 13: 924648. DOI: 10.3389/fphar.2022.924648.
- 5 de Groot S, van der Linden N, Franken MG, et al. Balancing the optimal and the feasible: a practical guide for setting up patient registries for the collection of real-world data for health care decision making based on Dutch experiences[J]. Value Health, 2017, 20(4): 627–636. DOI: 10.1016/j.jval.2016.02.007.
- 6 Jonker CJ, van den Berg HM, Kwa MSG, et al. Registries supporting new drug applications[J]. Pharmacoepidemiol Drug Saf, 2017, 26(12): 1451–1457. DOI: 10.1002/pds.4332.
- 7 Bouvy JC, Blake K, Slattery J, et al. Registries in European post-marketing surveillance: a retrospective analysis of centrally approved products, 2005–2013[J]. Pharmacoepidemiol Drug Saf, 2017, 26(12): 1442–1450. DOI: 10.1002/pds.4196.
- 8 Zhang S, Gaiser S, Kolominsky-Rabas PL. Cardiac implant registries 2006–2016: a systematic review and summary of global experiences[J]. BMJ Open, 2018, 8(4): e19039. DOI: 10.1136/bmjopen-2017-019039.
- 9 Resnic FS, Majithia A, Marinac-Dabic D, et al. Registry-based prospective, active surveillance of medical-device safety[J]. N Engl J Med, 2017, 376(6): 526–535. DOI: 10.1056/NEJMoa1516333.
- 10 裴正存, 詹思延. 病例注册登记的行动计划[J]. 药物流行病学杂志, 2016, 25(9): 583–585. [Pei ZC, Zhan SY. Initiative for patient registries[J]. Chinese Journal of Pharmacoepidemiology, 2016, 25(9): 583–585.] DOI: 10.19960/j.cnki.issn1005-0698.2016.09.012.
- 11 Bodilsen J, Duerlund LS, Mariager T, et al. Clinical features and prognostic factors in adults with brain abscess[J]. Brain, 2023, 146(4): 1637–1647. DOI: 10.1093/brain/awac312.
- 12 Gilsean A, Harris D, Reynolds M, et al. Long-term cancer surveillance: results from the forteo patient registry surveillance study[J]. Osteoporos Int, 2021, 32(4): 645–651. DOI: 10.1007/s00198-020-05718-0.
- 13 Beck M, Ramaswami U, Hernberg-Ståhl E, et al. Twenty years of the fabry outcome survey (FOS): insights, achievements, and lessons learned from a global patient registry[J]. Orphanet J Rare Dis, 2022, 17(1): 238. DOI: 10.1186/s13023-022-02392-9.
- 14 Brooke Eileen M, World Health Organization. The current and future use of registers in health information systems[M]. Geneva: World Health Organization, 1974.
- 15 Zanetti R, Sacchetto L, Coebergh JW, et al. To accelerate cancer prevention in Europe: Challenges for cancer registries[J]. Eur J Cancer, 2018, 104: 151–159. DOI: 10.1016/j.ejca.2018.09.001.
- 16 杨星月, 刘佳, 何丽云, 等. 病例注册登记研究的应用进展[J]. 中国循证医学杂志, 2016, 16(12): 1481–1484. [Yang XY, Liu J, He LY, et al. Advances about application of patient registry[J]. Chinese Journal of Evidence-Based Medicine, 2016, 16(12): 1481–1484.] DOI: 10.7507/1672-2531.20160222.
- 17 ClinicalTrials.gov. About ClinicalTrials.gov[EB/OL]. (2024-06-07) [2024-09-11]. <https://clinicaltrials.gov/about-site/about-ctg>
- 18 Qiu HB, Cao SM, Xu RH. Cancer incidence, mortality, and burden

- in China: a time-trend analysis and comparison with the United States and United Kingdom based on the global epidemiological data released in 2020[J]. *Cancer Commun (Lond)*, 2021, 41(10): 1037-1048. DOI: [10.1002/cac2.12197](https://doi.org/10.1002/cac2.12197).
- 19 Feigin VL, Owolabi MO, World Stroke Organization-Lancet Neurology Commission Stroke Collaboration Group. Pragmatic solutions to reduce the global burden of stroke: a world stroke organization-lancet neurology commission[J]. *Lancet Neurol*, 2023, 22(12): 1160-1206. DOI: [10.1016/S1474-4422\(23\)00277-6](https://doi.org/10.1016/S1474-4422(23)00277-6).
- 20 Townsend N, Kazakiewicz D, Lucy Wright F, et al. Epidemiology of cardiovascular disease in Europe[J]. *Nat Rev Cardiol*, 2022, 19(2): 133-143. DOI: [10.1038/s41569-021-00607-3](https://doi.org/10.1038/s41569-021-00607-3).
- 21 Liu J, Liu M, Chai Z, et al. Projected rapid growth in diabetes disease burden and economic burden in China: a spatio-temporal study from 2020 to 2030[J]. *Lancet Reg Health West Pac*, 2023, 33: 100700. DOI: [10.1016/j.lanwpc.2023.100700](https://doi.org/10.1016/j.lanwpc.2023.100700).

收稿日期: 2024 年 12 月 27 日 修回日期: 2025 年 02 月 14 日

本文编辑: 李绪辉 曹越

引用本文: 易洪彬, 聂智峰, 韩晟, 等. 中国患者登记研究开展现状分析[J]. 医学新知, 2025, 35(5): 491-496. DOI: [10.12173/j.issn.1004-5511.202412151](https://doi.org/10.12173/j.issn.1004-5511.202412151).

Yi HB, Nie ZF, Han S, et al. Analysis of the current status of patient registry studies in China[J]. *Yixue Xinzhi Zazhi*, 2025, 35(5): 491-496. DOI: [10.12173/j.issn.1004-5511.202412151](https://doi.org/10.12173/j.issn.1004-5511.202412151).