

• 临床护理 •

肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标体系构建*

占晨晨¹, 占婷婷^{2△}, 郝文杰², 王媛欣¹, 彭程¹

(安徽中医药大学护理学院, 安徽 合肥 230022; 安徽中医药大学第一附属医院, 安徽 合肥 230031)

[摘要] **目的** 构建肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标体系, 为了解肝豆状核变性患者自我管理行为水平提供评价工具。**方法** 通过文献回顾分析法、小组讨论构建肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标, 采用德尔菲法对专家进行 2 轮函询, 依据专家函询结果及权重分析确定评价指标体系。**结果** 2 轮专家函询问卷回收率均为 100.00%, 专家函询的权威系数分别为 0.874 和 0.864。第 2 轮专家函询条目重要性均分为 4.1~5.0 分, 满分比均大于 0.381, 总体变异系数为 0~0.217, 肯德尔协调系数为 0.156 ($P < 0.001$)。最终形成的肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标体系包括 7 个一级指标、35 个二级指标。**结论** 构建的肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标体系具有较好的科学性、针对性和实用性, 有助于提升肝豆状核变性患者自我管理行为水平。

[关键词] 肝豆状核变性; 自我管理行为; 德尔菲法; 评价指标体系

DOI: 10.3969/j.issn.1009-5519.2026.01.036

中图法分类号: R741

文章编号: 1009-5519(2026)01-0193-04

文献标识码: A

Construction of an evaluation index system for self-management behaviors in patients with wilson's disease*

ZHAN Chenchen¹, ZHAN Tingting^{2△}, HAO Wenjie², WANG Yuanxin¹, PENG Cheng¹

(1. School of Nursing, Anhui University of Chinese Medicine, Hefei, Anhui 230022, China; 2. The First Affiliated Hospital of Anhui University of Chinese Medicine, Hefei, Anhui 230031, China)

[Abstract] **Objective** To establish an evaluation index system for self-management behaviors of patients with hepatolenticular degeneration, and to provide an evaluation tool for understanding the level of self-management behaviors of patients with hepatolenticular degeneration. **Methods** The evaluation index of self-management behavior in patients with hepatolenticular degeneration was constructed through literature review and group discussion. The Delphi method was used to conduct two rounds of inquiries with experts. The evaluation index system was determined based on the results of expert inquiries and weight analysis. **Results** The recovery rates of the two rounds of expert inquiry questionnaires were both 100.00%, and the authority coefficients of the expert inquiries were 0.874 and 0.864 respectively. The average importance score of the items in the second round of expert inquiry ranged from 4.1 to 5.0 points, with the full score ratio all > 0.381 . The overall coefficient of variation ranged from 0 to 0.217, and the Kendall's coefficient of coordination was 0.156 ($P < 0.001$). The final evaluation index system for self-management behaviors of patients with hepatolenticular degeneration includes 7 first-level indicators and 35 second-level indicators. **Conclusion** The constructed evaluation index system for self-management behaviors of patients with hepatolenticular degeneration has good scientificity, pertinence and practicality, and is helpful to improve the self-management level of patients with hepatolenticular degeneration.

[Key words] Hepatolenticular degeneration; Self-management behavior; Delphi method; Evaluation index system

肝豆状核变性是一种常染色体隐性遗传病, 由 ATP7B 基因突变引起, 导致铜积聚, 主要影响肝脏和大脑^[1]。肝豆状核变性可能表现出多种临床特征, 包括肝病、眼科表现、神经系统疾病、神经精神症状、骨关节炎、肾小管功能障碍和心脏病等^[2]。自我管理被定义为“个体管理慢性病患者固有的症状、治疗、生理

和社会心理后果以及生活方式改变的能力”^[3]。目前, 罕见病患者及其家属、医务人员和公众等对罕见病防控和诊疗的知识储备不足, 通过传统路径获取的罕见病知识非常有限^[4]。鉴于肝豆状核变性疾病的罕见性与特异性, 不适宜用普适性的自我管理评估工具进行临床测评, 故本研究通过构建肝豆状核变性患

* 基金项目: 2024 年度安徽省自然科学基金项目(2408085QH283); 安徽省高等学校科学研究项目(人文社会科学类)(2024AH052735)。

△ 通信作者, E-mail: 1924113259@qq.com。

者自我管理行为评价指标体系,为评估肝豆状核变性患者自我管理行为现状提供评估工具。

1 资料与方法

1.1 研究对象 邀请安徽、贵州等五省市(华东、华中和西南地区)的 21 位咨询专家。专家遴选标准:(1)临床神经病学、护理系统管理及护理教育学领域从业年限≥10 年;(2)高等教育背景达到学士学位或更高层次;(3)持有副高级或以上专业技术职务资格认证;(4)自愿参与本研究。

1.2 方法

1.2.1 形成评价指标 初始评价指标以自我管理理论^[5]为基础,结合文献回顾、小组讨论等,初步构建肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标,包括 7 个一级指标,39 个二级指标。

1.2.2 专家函询问卷的编制 专家函询表包括自我管理行为指标咨询、专家基本情况、专家的权威程度 3 个部分。基于五级李克特评分法(5 分=非常重要,1 分=非常不重要,分值梯度递减)对指标评分并提出建议。

1.2.3 专家函询的实施 使用电子邮件、现场发放的形式。第 1 轮专家函询完成后,整理分析专家意见,形成第 2 轮专家函询问卷。指标纳入标准为重要性均分>4.00 分、变异系数<0.20^[6]。2 轮专家函询专家意见趋向一致,结束函询。

1.2.4 平均权重法 计算专家对各指标权重评分的平均值作为指标的权重;组合权重则定义为累计各级权重的乘积,即某级指标综合权重=本级指标权重×上一级指标综合权重(本研究中,二级指标综合权重=一级指标权重×二级指标权重)^[7]。

1.3 统计学处理 应用 SPSS27.0 和 Excel2019 软件进行数据统计和分析。计量资料以 $\bar{x} \pm s$ 表示,采用 t 检验,计数资料以率表示,采用 χ^2 检验。 $P < 0.05$ 为差异有统计学意义。

2 结 果

2.1 专家基本资料 涵盖安徽、贵州等五省市(华东、华中和西南地区)的 21 位咨询专家,平均年龄(41.0±5.3)岁;工作≥20 年占比 38.10%(8/21);教育背景:博士研究生 19.00%(4/21)、硕士研究生 33.30%(7/21)、本科 47.62%(10/21);职称分布:正高级 19.0%(4/21)、副高级 52.4%(11/21)、中级 28.6%(6/21)。

2.2 专家积极程度 2 轮专家函询均发放 21 份问卷,回收 21 份问卷,回收率均为 100.00%。且 2 轮函

询中有 38.10%(8/21)的专家提出了修改意见。

2.3 专家权威程度 专家权威程度采用专家权威系数(Cr)表示^[8], $Cr = (Cs + Ca) / 2$ 。本研究 2 轮专家函询的判断依据系数分别为 0.929 和 0.938,熟悉程度系数分别为 0.819 和 0.790,专家权威程度系数分别为 0.874 和 0.864,本研究的专家权威程度较高。

2.4 专家意见协调程度 2 轮专家函询结束后,条目的肯德尔协调系数从 0.337 提高至 0.356($\chi^2 = 49.560, P < 0.01$),总量表的肯德尔协调系数从 0.142 提高至 0.156($\chi^2 = 113.353, P < 0.01$),总体变异系数(CV)为 0~0.217。

2.5 专家函询结果 第 1 轮函询后指标调整如下:指标 2“在治疗初期,我会避免使用铜管道、铜配件及铜餐具”修改为“在治疗初期,我会避免使用铜制品(如铜制餐具,铜制水壶、水杯等)”;指标 7“我会关注药物的不良反应和用药注意事项”修改为“我知晓并关注药物的不良反应和用药注意事项”;指标 11“如果出现了神经系统表现(如震颤、肢体僵硬、肌张力增高),我能采取措施缓解(如热敷关节、热水浸泡等)”修改为“如果感到肢体僵硬或者抖动,我能采取措施缓解(如热敷关节、热水浸泡等)”;指标 12“如果有肝损害表现(如转氨酶升高、黄疸和肝区不适等),我能识别并在医师的指导下给予保肝治疗”修改为“如果出现肝区不适、肢体黄染,我能识别并在医师的指导下给予保肝治疗”;指标 13“如果有肾脏、骨关节损害等其他器官损害(如血尿、肾结石、骨质疏松等),我能在医师的指导下采取措施缓解(增加饮水量、适度活动保持良好的饮食习惯等)”修改为“如果有血尿、肾结石、骨质疏松等,我能在医师的指导下采取措施缓解(增加饮水量、适度活动保持良好的饮食习惯等)”;指标 17“我会听从医生的意见定期去复诊”删除;指标 22“我会通过各种途径去了解疾病相关知识”删除;指标 24“我会关注化验结果来了解营养状况(如白蛋白、血红蛋白、维生素和微量元素等)”修改为“我会通过营养风险筛查来了解营养状况(如白蛋白、血红蛋白、维生素和微量元素等)”;指标 28“我不抽烟”与指标 29“我不喝酒”合并为一个条目“我不抽烟,我不喝酒”。指标 32“就医时,我会积极配合医护人员的工作”删除;指标 34“我能得到家人、朋友乃至社会的支持”删除。第 2 轮函询后,专家意见趋向一致,最终形成包含 7 个一级指标,35 个二级指标的肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标体系,见表 1。

表 1 肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标体系

一级指标	指标权重	二级指标	重要性 ($\bar{x} \pm s$, 分)	变异 系数	满分比 (%)	指标 权重	综合 权重
饮食管理	0.152	1. 在治疗初期,我会避免选择含铜量高的食物(如贝类、坚果、巧克力、蘑菇和内脏等)	5.00±0.00	0.000	100.0	0.031	0.005
		2. 在治疗初期,我会避免使用铜制品(如铜制餐具,铜制水壶、水杯等)	4.90±0.30	0.061	90.5	0.030	0.005
		3. 在每日铜摄入量不超标的情况下,我能兼顾饮食的多样化	4.81±0.51	0.106	85.7	0.030	0.005

续表 1 肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标体系							
一级指标	指标权重	二级指标	重要性 ($\bar{x}\pm s$,分)	变异系数	满分比 (%)	指标权重	综合权重
药物管理	0.152	4. 我会主动了解饮食管理相关知识	4.86±0.36	0.074	85.7	0.030	0.005
		5. 我知道如何具体量化实施低铜饮食	4.76±0.70	0.147	85.7	0.029	0.004
		6. 我会遵医嘱按时按量服用药物	5.00±0.00	0.000	100.0	0.031	0.005
		7. 我知晓并关注药物的不良反应和用药注意事项	4.81±0.40	0.084	81.0	0.030	0.005
		8. 当出现药物不良反应时,我能及时就医	4.86±0.36	0.074	85.7	0.030	0.005
症状管理	0.148	9. 当疾病症状好转或者加重时,我不会随意地增减药量而是去咨询医生	4.81±0.51	0.106	85.7	0.030	0.005
		10. 在服用排铜药或者减少铜吸收的药物期间,我会关注症状、体征、血常规和尿常规、肝肾功能、24 h 尿铜的变化	4.62±0.59	0.128	66.7	0.029	0.004
		11. 如果感到肢体僵硬或者抖动,我能采取措施缓解(如热敷关节、热水浸泡等)	4.43±0.68	0.153	52.4	0.027	0.004
		12. 如果出现肝区不适、肢体黄染,我能识别并在医师的指导下给予保肝治疗	4.48±0.68	0.152	57.1	0.028	0.004
		13. 如果有血尿、肾结石、骨质疏松等,我能在医师的指导下采取措施缓解(增加饮水量、适度活动保持良好的饮食习惯等)	4.48±0.81	0.182	66.7	0.028	0.004
运动管理	0.136	14. 如果有言语障碍,我会在医护人员的指导下进行康复治疗(如言语训练、神经电刺激、传统医学等)	4.67±0.58	0.124	71.4	0.029	0.004
		15. 如果有吞咽障碍,我会在医护人员的指导下进行康复治疗(如吞咽训练、中医疗疗等)	4.71±0.56	0.119	76.2	0.029	0.004
		16. 我会主动向医护人员了解自身病情变化情况	4.57±0.75	0.163	71.4	0.028	0.004
		17. 我能根据自身情况,选择合适的方式进行运动	4.52±0.68	0.150	61.9	0.028	0.004
		18. 我每周都会运动 2~3 次	4.14±0.79	0.192	38.1	0.026	0.004
生活管理	0.142	19. 我每次运动时间持续 30 min 以上	4.10±0.89	0.217	42.9	0.025	0.003
		20. 我会根据身体情况调整运动量或暂停运动	4.43±0.75	0.168	57.1	0.027	0.004
		21. 我会关注何时进行产前筛查及基因检测,我会保证每日饮水量及保持大小便通畅	4.52±0.68	0.150	61.9	0.028	0.004
		22. 我会采取措施预防跌倒(如保持地面干燥,着合身的衣鞋,进行康复训练等)	4.90±0.30	0.061	90.5	0.030	0.004
		23. 我会通过营养风险筛查来了解营养状况(如白蛋白、血红蛋白、维生素和微量元素等)	4.29±0.72	0.167	42.9	0.027	0.004
角色管理	0.126	24. 我会控制自己的体重在正常范围内[身体质量指数(BMI):18.5~23.9 kg/m ²]	4.24±0.83	0.196	47.6	0.026	0.004
		25. 我知道自己的腹围,并控制腹围在正常范围内(男 85 cm,女 80 cm)	4.33±0.73	0.169	47.6	0.027	0.004
		26. 我会保持规律的作息,保证充足的睡眠和休息	4.81±0.40	0.084	81.0	0.030	0.004
		27. 我不抽烟,我不喝酒	4.52±0.75	0.166	61.9	0.028	0.004
		28 我会根据自身情况,去完成力所能及的学习任务或者工作任务	4.67±0.48	0.103	66.7	0.029	0.004
情绪管理	0.143	29. 我会和朋友保持联络,积极参加社会活动,维持良好的社会关系	4.57±0.75	0.163	66.7	0.028	0.004
		30. 我能与医务人员进行良好的沟通交流(与医疗服务提供者形成合作关系)	4.71±0.56	0.119	76.2	0.029	0.004
		31. 当我情绪低落时,我会向家人、朋友或者医护人员倾诉	4.67±0.58	0.124	71.4	0.029	0.004
		32. 我会通过一些方式(如:运动、看书、唱歌等)来缓解焦虑抑郁情绪	4.52±0.68	0.150	61.9	0.028	0.004
		33. 我会乐观地面对疾病带给生活的不便	4.62±0.59	0.128	66.7	0.029	0.004
		34. 我能接受疾病带来的外表改变	4.57±0.51	0.111	57.1	0.028	0.004
		35. 我有信心去保持良好的心态	4.57±0.81	0.177	71.4	0.028	0.004

注: * 微信小程序“呵护铜娃娃”由本课题组自行设计研发并已经申请专利。

3 讨 论

3.1 肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标体系构建的意义 自我管理可以帮助慢性病患者调整自己的行为、学习解决问题的技能,以及明确实现有效的疾病管理目标的方法,主要包括认知和行为两方面。自我管理的认知部分包括自我效能、应对、希望、健康信念等,自我管理行为是目标和结果^[9]。对于常见的慢性疾病自我管理量表,国内研究主要有由NGAI等^[10]编制慢性病自我管理量表(CISM),包括健康维护效能、治疗依从性、自我病耻感、应对病耻感4个维度,23个条目。但是对肝豆状核变性这一罕见病种缺乏针对性,为改善肝豆状核变性患者预后,应根据客观量表定期密切监测神经系统症状,并进行铜代谢评估和体格检查,以早期发现神经系统恶化和症状持续存在^[11]。而肝豆状核变性患者自我管理现状不理想,还有待进一步提高^[12]。大多数研究发现,疾病自我管理有可能带来适度但具有临床意义的改善,包括患者的自我效能、健康行为、健康状况和生活质量;此外,还有研究报道不必要的医疗保健利用、住院率和医疗保健成本也有所降低^[13]。国外鲜见关于肝豆状核变性患者自我管理行为的研究,但阐述了肝豆状核变性患者生活质量的相关因素:病程、疾病严重程度、抑郁等。一项文献系统评价显示,肝豆状核变性患者的生活质量比一般人群差,尤其是神经系统疾病患者^[14]。综上所述,本研究构建的肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标体系,有助于找出自我管理过程中的薄弱环节,提升患者自我管理能力。

3.2 肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标体系构建的科学性和可靠性 目前,临床缺乏针对肝豆状核变性患者自我管理行为的评估工具,本研究基于自我管理理论,通过文献回顾、小组讨论等拟订形成肝豆状核变性患者自我管理行为评价指标。本研究选择我国21名在神经内科、护理教育、护理管理领域的专家进行函询,专家在本领域的工作经验丰富,工作年限≥20年8人,学历均为本科及以上学历,职称为中级及以上,其中正高级职称4人。本研究2轮专家函询的问卷回收率均为100.00%,专家积极性较高。2轮函询专家的权威系数>0.8,专家权威程度较高。肯德尔协调系数显著性检验均 $P<0.01$,指标变异系数均<0.25,表明专家意见趋于一致。

总之,本研究还存在一定局限性,德尔菲专家函询结果存在一定的主观性,且参考多数专家的意见为修订依据,可能会忽视个别专家的建议^[15]。今后需在肝豆状核变性患者中进行临床验证,使得指标体系更加完整,便于临床使用。

参考文献

[1] ZHENG Z, XU M, FAN L, et al. Renal impairment in

Wilson's disease[J]. *Kidney Int Rep*, 2025, 10(7): 2453-2456.

[2] SCHEIBER I F, BRÜHA R, DUŠEK P. Pathogenesis of Wilson disease[J]. *Handb Clin Neurol*, 2017, 142: 43-55.

[3] TOWN R, HAYES D, MARCH A, et al. Self-management, self-care, and self-help in adolescents with emotional problems: a scoping review[J]. *Eur Child Adolesc Psychiatry*, 2024, 33(9): 2929-2956.

[4] 雷行云, 戴国琳, 陈荃, 等. 罕见病知识库和模型库的设计[J]. *中国全科医学*, 2021, 24(28): 3634-3637.

[5] LORIG K R, HOLMAN H. Self-management education: history, definition, outcomes, and mechanisms [J]. *Ann Behav Med*, 2003, 26(1): 1-7.

[6] 焦晖, 郭晓琴, 章娟, 等. 基于德尔非法构建育龄女性乳腺癌一级预防自护能力评估量表[J]. *护理研究*, 2022, 36(21): 3879-3883.

[7] 陆婧婷, 周恒益, 高晶蓉, 等. 城市社区老年居民健康自我管理评价指标体系构建[J]. *中国健康教育*, 2023, 39(7): 586-590.

[8] 胡琳莉, 王秋琴, 宋玉磊, 等. 基于德尔非法构建中医护理人才分层评价指标体系[J]. *护理研究*, 2021, 35(01): 7-14.

[9] 苟玲. 原发性骨质疏松症高危人群自我管理行为量表的初步研制[D]. 兰州: 兰州大学, 2021.

[10] NGAI S S, CHEUNG C, NG Y, et al. Development and validation of the chronic illness self-management (CISM) scale: Data from a young patient sample in Hong Kong [J]. *Children Youth Serv Rev*, 2020, 114: 105077.

[11] LITWIN T, DUSEK P, ANTOS A, et al. Tackling the neurological manifestations in Wilson's disease - currently available treatment options[J]. *Expert Rev Neurother*, 2023, 23(12): 1249-1259.

[12] 王燕, 占婷婷, 孙彩杰, 等. 肝豆状核变性患者社会支持、心理一致感与自我管理的相关性[J]. *济宁医学院学报*, 2022, 45(05): 376-380.

[13] ALLEGRANTE J P, WELLS M T, PETERSON J C. Interventions to support behavioral self-management of chronic diseases[J]. *Annu Rev Public Health*, 2019, 40: 127-146.

[14] BALIJEPALLI C, YAN K, GULLAPALLI L, et al. Quality of life in Wilson's disease: a systematic literature review[J]. *J Health Econ Outcomes Res*, 2021, 8(2): 105-113.

[15] OGLETREE A M, MANGRUM R, HARRIS Y, et al. Omissions of care in nursing home settings: a narrative review[J]. *J Am Med Dir Assoc*, 2020, 21(5): 604-614.

(收稿日期: 2025-04-27 修回日期: 2025-09-11)