

公共决策视野下药品临床综合价值的界定、测量与评价^Δ

孔凡心^{1*}, 马爱霞^{1,2}, 李洪超^{1,2}, 唐文熙^{1,2#}(1.中国药科大学国际医药商学院, 南京 211198; 2.中国药科大学药物经济学评价研究中心, 南京 211198)

中图分类号 R956 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2020)05-0539-06

DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2020.05.07

摘要 目的:为我国公共决策视野下评估及应用药品临床综合价值进行科学决策提供依据。方法:结合相关文件和文献、其他国家或地区药品临床综合价值指标,确定我国药品临床综合价值评价的核心指标,对各指标概念及评价方法进行梳理和分析,并提出相关建议。结果与结论:笔者建议我国药品临床综合价值评价的核心指标为安全性与有效性、经济性与可支付性、可及性与公平性、依从性、适宜性。其中安全性、有效性、经济性、可支付性和依从性的概念界定清晰,评价方法系统,数据来源充分,研究设计国际间存在共识。可及性尚未有统一定义,包含可获得性、可供应性、可利用性、可负担性和用药及时性。公平性概念界定清晰,评价方法系统,但数据来源不够充分。适宜性通过药品适宜性指数进行评价但缺乏清晰的概念界定。以有效性为例,有效性包括中间指标、结果指标和生命质量指标,常采用流行病学研究、系统评价与专家共识确认。笔者建议在选取或制订药品临床综合价值指标时尽可能采用真实世界的研究数据,借助多准则决策分析,由专业评估机构提供技术支持,配合专家和研究人员对上述指标赋权,形成不同公共决策部门对于一项药品的临床综合价值判断,从而决定是否采购、临床使用和纳入医保。

关键词 公共决策视野;药品临床综合价值;测量;评价;决策

Definition, Measurement and Evaluation of Drug Clinical Comprehensive Value from a Perspective of the Public Decision-making

KONG Fanxin¹, MA Aixia^{1,2}, LI Hongchao^{1,2}, TANG Wenxi^{1,2}(1.School of International Pharmaceutical Business, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China; 2.Center for Pharmacoeconomics Evaluation and Research, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China)

整应对策略,适当改变原有工作模式,在有限的条件下,做好药学服务,以便在提高全院医疗救治能力的过程中发挥重要作用。

参考文献

- [1] The International Committee on Taxonomy of Viruses. "Novel coronavirus" referred to as "SARS-CoV-2" [EB/OL]. [2020-02-21]. <https://tech.sina.com.cn/roll/2020-02-12/doc-iimxxstf0872120.shtml>.
- [2] National Health Commission of the People's Republic of China. "Novel coronavirus pneumonia" referred to as "COVID-19" [EB/OL]. [2020-02-21]. http://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/2020-02/22/content_5482019.htm.
- [3] National Health Commission Office of the People's Republic of China. Notice of the national health commission office of the people's republic of China (No.1.2020) [EB/OL]. [2020-01-20]. <http://www.gov.cn/xinwen/2020-01/21/content5471158.htm>.

^Δ 基金项目:国家自然科学基金资助项目(No.71603278);中国药科大学教改课题项目(No.2017XJQN32);2019年度江苏省社科应用研究精品工程课题(No.19SYC-097)

* 本科。研究方向:卫生政策。E-mail: kongfanxin@stu.cpu.edu.cn

通信作者:副教授,博士。研究方向:卫生政策。E-mail: tokammy@cpcu.edu.cn

[4] *The sixth trial edition for the diagnosis and treatment plan for 2019-nCoV acute respiratory disease* [EB/OL]. [2020-02-18]. <http://www.nhc.gov.cn/yzygj/s7653p/202002/833-4a8326dd94d329df351d7da8aefc2.shtml>.

[5] National Health Commission Office of the People's Republic of China. *Disinfection guidelines* [EB/OL]. [2020-02-18]. <http://www.nhc.gov.cn/zhjcsj/s9141/202002/b989-1e8c86d141a08ec45c6a18e21dc2.shtml>.

[6] LIU S, HE GF, GONG ZC, et al. Pharmaceutical emergency guarantee difficulties and countermeasures for the prevention and control of outbreak of novel coronavirus pneumonia [J]. *Chin J Hosp Pharm*, 2020, 40(3): 243-249.

[7] CDC of National Health Commission of the People's Republic of China. *Pneumonia guidelines for emergency psychological crisis intervention of New Coronary Virus Infection in Pneumonia Epidemic* [EB/OL]. [2020-02-06]. <http://www.nhc.gov.cn/jkj/s3577/202001/6adc08b96659-4253b2b791be5c3b9467.shtml>.

(收稿日期:2020-03-02 修回日期:2020-03-06)

(编辑:唐晓莲)

ABSTRACT OBJECTIVE: To provide reference for scientific decision-making of evaluation and application of clinical comprehensive value of drugs from the perspective of the public decision-making in China. METHODS: Based on relevant documents and literatures, drug clinical comprehensive value in other countries and areas, the core indicators of drug clinical comprehensive value evaluation in China were confirmed. The concept and evaluation methods of each indicator were evaluated, and relevant suggestions were put forward. RESULTS & CONCLUSIONS: It's suggested that the core indicators of China's drug clinical comprehensive value evaluation are safety and efficacy, economy and affordability, accessibility and fairness adherence, suitability. The concepts of safety, efficacy, economy, affordability and adherence indexes are clearly defined, evaluation methods are systematic, data sources are sufficient, and international consensus exists in research design. There is no uniform definition of accessibility which composed of availability, deliverability, availability, affordability and timeliness. The concept of equity is clearly defined and the evaluation method is systematic, but the data source is insufficient. Appropriateness is evaluated by drug suitability index but there is no clear definition. Taking efficacy as an example, efficacy includes intermediate indicators, outcome indicators and quality of life indicators, which are often confirmed by epidemiological research, systematic evaluation and expert consensus. It's suggested that the Real World Study data should be used as much as possible when selecting or formulating the clinical comprehensive value indicators of drugs. With the help of multi-criteria decision-making analysis, technical support should be provided by professional evaluation institutions, and with the support of experts and researchers, the above indicators should be empowered to form the clinical comprehensive value judgment of a drug by different public decision-making departments, so as to decide whether to purchase, use clinically, or incorporate medical insurance reimbursement.

KEYWORDS Perspective of the public decision-making; Drug clinical comprehensive value; Measurement; Assessment; Decision-making

我国药品价值评价工作开始于2005年前后,以基于价值的药品定价研究、药物的临床价值、上市后药品价值研究为主^[1]。2018年,国家卫生健康委员会药政司出台《国家药品临床综合评价总体工作方案》^[2](以下简称《方案》),明确提出“建立以基本药物为重点的临床综合评价体系”。2019年4月,国家卫生健康委员会发布《国家卫生健康委关于开展药品使用监测和临床综合评价工作的通知》^[3],提出:“要以药品临床价值为导向,推动有关证据用于国家基本药物目录、鼓励仿制药品目录、鼓励研发申报儿童药品清单的遴选和动态调整,提高合理用药水平”。然而在公共资金支付能力有限的情况下,对于国家卫生健康委员会、国家医疗保障局、省市级卫生行政部门、各级医疗卫生机构等公共决策部门如何界定、测量药品临床综合价值以及根据评价结果进行决策,仍是一个需要综合不同利益相关方意见的过程。因此,笔者在本文中系统梳理药品临床综合价值的评价指标、测量与评价方法,为我国公共决策视野下评估及应用药品临床综合价值进行科学决策提供依据。

1 概念界定

“价值”是一个复杂的概念^[4],随卫生经济学家对其认知的不断提升而发生演变。卫生经济学家在微观经济学的基础上将“价值”定义为个人(或代表个人行使权利的支付方)为了获得卫生服务或健康产品,愿意付出的代价(Willingness-to-pay)^[5]。

2018年,国际药物经济学与结果研究组织(International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research, ISPOR)的特别工作组(Special task force, STF)从

经济学角度对“价值”进行定义:“总价值”是一个人愿意为获得经济利益或接受某种干预措施而付出的代价。“净价值”是从中减去为获得这项“总价值”而产生的机会成本,即价值是消费者为了避免失去服务或商品而愿意支付的代价^[6]。

2019年,胡善联^[7]提出:“‘价值’是指在医疗卫生服务过程中投入的成本与获得的健康结果的比值。对患者而言,短期治疗费用的投入可以立即看到治疗的效果,如症状改善、病情好转、痊愈、生活质量改善抑或死亡。有的疾病或健康可能需要全生命周期的投入”。

Neumann PJ等^[8]提到,面对不断抬升的药品价格,转向基于价值的以药品为代表的治疗方案的评估框架是一项积极的举措。价值评价可以激励企业开发和生产更多人们想要的能够改善健康的产品。目前70%的药品临床价值框架源自欧洲和美国,并集中在以肿瘤为代表的治疗领域^[9-10]。国际机构的药品临床综合价值指标见表1。

《国家卫生健康委关于开展药品使用监测和临床综合评价工作的通知》中提到药品临床价值评价需要考虑安全性、有效性、经济性等指标^[3]。《“健康中国2030”规划纲要》中的“共建共享,全民健康”^[11]提示,临床综合价值的评价中需要关注药品的可及性、公平性和适宜性。结合国际公认指标及我国政策要求,笔者建议临床综合价值评价核心指标为安全性与有效性、经济性与可支付性、可及性与公平性、依从性、适宜性。

2 评价指标与方法

2.1 安全性与有效性

安全性(Safety)和有效性(Efficacy)是选择某种药

表1 国际机构的药品临床综合价值指标

Tab 1 Indicators of drug clinical comprehensive value from international agencies

国家/地区	开发者	指标
欧洲	欧洲肿瘤内科学会(European Society for Medical Oncology, ESMO) ^[5]	·总生存期(Overall survival, OS)和生活质量(Quality of life, QoL) ·无病生存期(Disease free survival, DFS)、无复发生存期(Recurrence-free survival, RFS)、无事件生存期(Event-free survival, EFS)、无远处转移生存期(Distant disease free survival, DDFS)、无复发时间(Time to recurrence, TTR)可作为OS和QoL 2项指标的替代指标
美国	美国医学研究所(The Institute of Medicine, IOM) ^[6] 美国临床肿瘤学会(American Society of Clinical Oncology, ASCO) ^[8] 美国国家综合癌症网络(National Comprehensive Cancer Networ, NCCN) ^[9]	·安全性、有效性、以患者为中心(Patient centeredness)、及时性(Timeliness)、效率性(Efficiency)和公平性 ·毒性(安全性)、临床受益(Clinical benefit, 也即有效性)和成本(效率性)
	Darius N等 ^[10]	·E——治疗药物或方案的有效性(Efficacy of regimen/agent) ·S——治疗药物或方案的安全性(Safety of regimen/agent) ·Q——证据的质量(Quality of evidence) ·C——证据的一致性(Consistency of evidence) ·A——治疗药物或方案的可支付性(Affordability of regimen/agent) ·核心指标包括净成本(Net costs)和质量调整生命年(Quality-adjusted life years, QALYs) ·常见但纳入情况不一致的指标包括生产率(Productivity)和依从性 ·通常没有被纳入的新价值指标包括健康结果的不确定性、担心被传染的恐惧(传染风险)、保险价值(Insurance value)、疾病的严重程度、希望的价值(Value of hope)、实物期权价值(Real option value)、公平性以及科技的溢出效应(Scientific spillovers)

品的首要考虑因素。安全性代表了各利益相关方对药品风险可接受程度的价值判断^[12]。安全性指标通常以健康效果指标以外的在服用药品的患者中发生的健康危害事件数来描述。安全性信息包括药品的上市前及上市后安全性信息两部分。药品上市前安全性信息来源于药品说明书;上市前临床研究以及接受治疗的人数证据来自企业资料或文献;上市后出现的不良事件及不良反应、与同类药物的安全性比较等信息来自PubMed、中国知网和万方数据库等国内外数据库文献,以及美国FDA、我国国家药品监督管理局(National Medical Products Administration, NMPA)网站和药源性疾病信息网等^[13]。

有效性根据实施环境和结果的不同可以分为功效和效果,包括中间指标、结果指标和生命质量指标。中间指标一般指实验室或仪器检查的结果,可以直接、快速地反映药品的效果,但中间指标的改善并不等于患者健康结果的好转。结果指标能直接反映患者的健康结局,如心血管事件发生率、5年生存率等,又可以根据观察时间的长短分为长期结果指标(如发病率、死亡率、期望寿命等)和短期结果指标(如评价某种疾病的干预措施时,该病并发症的绝对风险降低率、相对风险降低率、相对危险度等)。生命质量指标是对个体或群体所感受到躯体、心理、社会各方面良好适应状态的综合测量指标。

有效性评价需要确定临床终点,认为人群的平均反应比个体反应更重要,强调反应变量分布位置的变化;安全性评价不需要事先制定临床终点,更加关注个体的异常值,重视极端值的分布。

安全性和有效性的评价往往同时进行,常采用以下方法:(1)流行病学研究,例如对照试验、队列研究和病例对照研究等^[14]。(2)系统评价,即通过系统、全面地收

集全世界所有已发表和未发表的临床研究文献,筛选出符合质量标准的文献,得出综合可靠的结论^[15]。(3)专家共识^[16]。

2.2 经济性与可支付性

经济性(Economy)指备选方案之间的成本和产出的比较^[17]。公共决策视野下应从全社会角度考虑药品的全成本即药品使用过程中所消耗的所有资源的货币价值。除了患者角度发生的或医疗机构提供服务过程中涉及的药品、检查、化验、诊疗、护理费用等直接医疗成本,还包括患者为使用药品或接受治疗方案所增加的非直接医疗成本(如交通、特殊营养费用等),以及患者在接受治疗过程中产生的间接成本[如因休工休学所造成的劳动生产率(Productivity)损失]。经济学评价常用产出指标可分为效果(Effectiveness)、效用(Utility)和效益(Benefits)。与疾病相关的自然客观指标,如理化指标(Physicochemical indicators)、临床疗效指标(Clinical indicators)、生命年(Life years)都可作为效果指标。结合QoL考察的健康指标就是经济性评价的效用指标,常见的如QALYs或失能调整生命年(Disability-adjusted life)。通过特定的经济学方法将结果转换为货币价值就是经济性评价的效益指标。经济性评价注重药品的效果,最常采用效果指标来测量药品使用所产生的结果,主要以成本-效果分析(Cost-effectiveness analysis, CEA)为评价方法。证据大多来自临床评估结果,并对其适当的解释,如相关性和潜在偏差的评估,然后进行适当综合^[17]。

可支付性(Affordability)反映了付费方或整个社会是否有能力和意愿维持药物或其他服务,一般采用预算影响分析(Budget impact analysis, BIA),评价当某种药品或医疗技术进入市场以后,会对其他药品的市场占有率和费用造成多大的影响,公共决策部门预计需要提

供多少额外的资金才能支付得起这项新药品或新医疗技术^[18]。CEA联合BIA的证据,也是目前我国药品在医保准入评审时主要依据的经济证据。此外,还可以采用以下方法:(1)扩展成本-效果分析(Extended cost-effectiveness analysis, ECEA),即在CEA的基础上扩充了传统CEA衡量健康效果的指标,从健康收益、财务风险保护和社会成本3个维度描述医疗干预手段和政策的价值。ECEA可以帮助不同利益相关方收集信息进行评估,保证了收益和支出之间的公平分配,也反映了扩大不公平分配所造成的损失^[19]。(2)增广成本-效果分析(Augmented cost-effectiveness analysis, ACEA),即在ECEA的基础上,又添加了更多测量价值的指标,如实物风险保护的价值、科技的溢出效应、因新诊断引起的健康结果不确定性降低的价值、期权价值等^[19]。

2.3 可及性与公平性

药品的可及性(Accessibility)反映了系统促进药品从物质状态转化为健康价值的过程,目前尚未有统一定义。可及性常用的评价指标有可获得性(Availability)、可供应性、可利用性、可负担性(Affordability)和用药及时性^[20]。其中,药品的可获得性用于界定患者获得药品潜在机会的大小。系统反应性从时间维度来间接反映医药卫生系统的可供应性。可利用性代表患者能有效使用获得药品的程度。可负担性从经济维度评价患者用药的经济负担的程度。

公平性(Equity)是指人们希望在富人和穷人群体之间,或者在健康和生病的群体之间取得更平等的结果^[10]。常用评价方法如下:(1)公平性影响分析(Equity impact analysis),即选取与公平相关的变量,如社会经济地位、种族、位置、性别、年龄和疾病严重程度,量化整个人口的成本和影响分布,通过假设得出谁会成为最大的获益者^[21]。(2)公平性约束分析(Equity constraint analysis),即将公平性视为一种追求健康最大化的道德约束,选择更公平的方案带来的健康损失表明决策者对这个公平性约束的重视程度^[21]。(3)公平性加权分析(Equity weighting analysis),即将所有成本和影响集合为一个可以应用权重的公共指标,例如年度死亡率风险、生命年、QALYs等,通过量化对减少健康不公平与改善总体健康的关注程度,帮助决策者在改善公平性但成本-效果较低的药品与损害公平性但成本效果较高的药品之中进行选择^[21]。

2.4 依从性

药品依从性(Adherence)是指患者按照规定的时间间隔、用药剂量和给药方案服用药品的程度。前瞻性研究的药物依从性可以表示为观察期间服用的剂量与总剂量之比;回顾性研究的药物依从性可以通过服用天数

与治疗总天数之比来表示。如果新药比现有药品有着更简化的给药途径,这在一定程度上会影响患者对治疗的依从性和健康结果,也会影响到对临床综合价值的评估。依从性会对药品产出和成本产生综合影响,因此需要整合到经济性评价中^[10]。但已发表的CEA研究中,依从性并没有作为常规指标被纳入,主要原因在于缺乏上市后的真实世界研究数据,所以一般假定患者完全具有依从性或者实际依从性等于临床试验依从性^[22]。

真实世界研究中,依从性评价可以使用以下方法:(1)多准则决策分析(Multicriteria decision analysis, MC-DA)。可以用价值树(Value tree)的分支来表示不同级别的依从性,如完全依从、部分依从和不依从^[23]。(2)离散事件模拟(Discrete event simulation, DES),即将患者指定为对象并将中断治疗指定为事件,允许分析人员给患者分配属性,这些属性可能会随着治疗的中断而改变。这种观察基于时间或动态行为的建模方法非常适合分析依从性对药物的价值影响^[24]。(3)马尔可夫模型(Markov model)。适用于存在不依从问题的慢性病。对于模型中的每个周期,停止治疗的患者的比继续治疗的患者有更高的疾病进展风险^[24]。

2.5 适宜性

药品适宜性指数(Medication appropriateness index, MAI)可用于审核处方适宜性,其包含10个问题:是否满足药品的适应证、该药品是否有治疗效果、剂量是否正确、用药指导是否正确、用药指导是否实用、临床上是否存在药物-药物的相互作用、临床上是否存在药物-疾病的相互作用、与其他药品是否有不必要的重复、费用与同等效用的药品相比偏高还是偏低以及疗程长短是否可以接受。每个问题后包含正向、中立和负向3种态度的答案以供选择,分别对应1、2、3级。如果有至少1个项目的评级为3,则整体评价该药物不具有适宜性,否则认为药品总体是具有适宜性的,具体等级差异用Kappa加权计算^[25]。

患者有可能同时患有多种疾病,但每一项处方是基于单病种开具的,所以患者服用的多种药品之间是否存在临床适宜性、是否会出现不良反应,都会影响到药品的价值。Burt J等^[26]以“隐式”(Implicit)和“显式”(Explicit)对评价复方用药适宜性的通用指标进行分类(隐式指标是基于判断的指标,关注患者的整体健康;显式指标是基于标准的指标,用于根据指南或专家意见制定的特定标准来评估特定的处方或药品),然后采用两阶段的兰佳公司/美国加利福尼亚大学洛杉矶分校(RAND/UCLA)共识法,使专家对于评价复方用药适宜性的指标产生共识。最终得出以下12项指标:(1)病历上记有用药说明;(2)没有有效的非药物替代方案;(3)

药品遴选符合既定的临床事实;(4)临床无明显的药物-药物相互作用(包括重复治疗);(5)如果这种药有用药禁忌,开处方的医师能给出开具该药的正当理由;(6)对于此种适应证,该药对患者有效;(7)药物处方应当是根据患者的年龄、肝肾功能开具的,应有适宜的剂型、给药途径和给药周期,但不能低于临床剂量或可能产生毒性;(8)药物疗法不能简化;(9)患者/护理人员了解该药物疗法;(10)患者按时服药;(11)合适的临床医师每年至少1次或者更频繁地复查该药物疗法;(12)如果发生药物不良反应,病历本上会记录详细的反应和未来的监测建议。

3 讨论与建议

3.1 采用多准则决策

有效、安全、经济的药品不一定在可支付性和可及性上表现优越,反而在有限的公共资金资源下,价格高、效果优的药品极有可能会给可支付性带来压力。例如著名的“索菲布尔悖论”^[18],即使药品索菲布尔从长期看具有良好的经济性,但它在短期内对卫生系统有限的公共预算的冲击还是使得很多国家的丙肝患者与该药无缘。在这种情况下,若将可支付性、可及性等指标作为重要程度次一级的指标不符合临床综合评价本身的初衷,因此建议采用多准则评价框架和方法,让不同利益相关决策者在明确证据的基础上根据对不同指标的重视程度各取所需。

多准则决策分析通过建立模型和选择标准构建出一个通用的“价值模型树”,价值树可以将决策者的不同关注点组合在一起,临床效果、创新性、便利性或者其他广泛的社会利益都是其中重要的考虑因素。如采购部门更看重药品的经济性、可支付性和可及性;临床使用中,医师则更看重药品的安全性、有效性、依从性和适宜性;医保目录调整时,医保部门则更看重药品的经济性、可支付性和公平性;上市后监测则更需要药品的安全性、有效性和适宜性证据。

构建多准则模型的3个基本步骤分别是:(1)构造出一个标有决策者目标和关注点的价值树;(2)赋权给价值树上的目标;(3)选择决策方案。多准则决策分析模型的关键在于决策者提供的价值权重和每个干预方案的绩效指标,权重在不同的利益相关方之间也会有很大的不同。根据各决策部门对指标重视程度的不同,对相应的评价指标赋予权重,以权重的大小体现重视程度的高低。在决策过程中,根据需要实现的不同目标的程度多准则决策分析可以排列出一组备选方案。权重一旦确定,在短时期内不允许修改。

在建立评估体系时,公共决策部门首先需要借助以往工作经验或是专门调查获得的数据资料,量化、确认

本部门所认可的8项指标对于一种以药品为代表的医疗技术临床综合价值的贡献值,以百分比(%)表示,该权重原则上不予变动;其次,根据药企提交的资料等证据,横向评价每项指标。负面结果以-1分表示,表示不具有安全性和有效性、可支付性差等;中性结果以0分表示,表示新方案的经济性与旧方案相同;正面结果以1分表示,表示新方案的依从性比旧方案具有优势。如果有至少1个指标的评分为负,则直接拒绝该药品。最后,药品临床综合价值的评分结果即为各指标权重乘以该指标评分的总和。评分结果越接近1分,该药品的临床综合价值也就越高,也就越有可能被采购、临床使用或纳入医保。

3.2 尽可能采用真实世界研究数据

不管是从指标内涵还是《方案》要求出发,药品的临床综合价值应该是基于患者真实用药产出的,故临床综合评价中应尽可能采用真实世界研究数据。根据2019年5月国家药品监督管理局药品审评中心发布的《真实世界证据支持药物研发的基本考虑(征求意见稿)》,数据的潜在来源包括但不限于电子病历(Electronic medical record, EMR)、电子健康档案(Electronic health record, EHR)、医药公司的数据库、公共健康监测系统、卫生信息系统、医保系统、疾病登记系统、前瞻性研究设计中主动收集的反映患者用药及健康状况的数据等^[27]。

3.3 由专业评价机构提供技术支持

对于药品临床综合价值评估,我国尚处于起步阶段,亟需加强一线专家人员的培育、发展和储备,需要专业的价值评价机构提供技术支持。从国际经验来看,独立的第三方药品价值评价机构和以官方资助为主的非营利性机构是较为常见的组织形式。建议通过了解国外价值评价流程的专家提供理论支持,了解国内医保管理、药品采购、药品使用监测等的专家提供数据支撑,共同建立起标准规范的药品临床综合价值评估体系和审核流程。

临床综合价值评价以基本药物为重点,评价维度广。对于儿童用药、抗肿瘤药、罕见病用药等相对特殊的药品更需要综合看待其临床综合价值,提高可支付性、依从性以及公平性等指标的权重,在指标评分上有所倾斜或设置更加细化的分数等级,降低其上市所需价值的阈值。对于首次应用于临床、技术突破较大、成本费用较高的新药或新医疗技术,可以委托相关专业机构或组织开展临床综合价值评价。必要时可以设立退出机制,对目录中药品重新进行临床综合价值评价,提高临床综合价值证据在医保准入中的地位,鼓励更多临床综合价值高的药品进入国家医保目录谈判。由上而下,以药带病,既尽力而为,又量力而行,持续不断地吸纳高

价值的药品、剔除低价值的药品,从而保持医保目录的动态性和活力。

参考文献

- [1] 陆瑜.药品的价值构成及交换价值研究[J].中国药房,2011,22(16):1459-1462.
- [2] 健康网新闻频道.卫健委将构建国家药品临床综合评价体系[EB/OL].(2018-10-20)[2019-07-23].<https://www.jianke.com/xwpd/5565457.html>.
- [3] 国家卫生健康委员会.国家卫生健康委关于开展药品使用监测和临床综合评价工作的通知[EB/OL].(2019-04-03)[2019-04-09].<http://www.nhc.gov.cn/yaozs/pqt/2019-04/31149bb1845e4c019a04f30c0d69c2c9.shtml?from=timeline&isappinstalled=0#10006-weixin-1-52626-6b3bff-d01fdde4900130bc5a2751b6d1>.
- [4] 刘炳林,薛斐然.药物临床价值评估的主要考虑因素及问题[J].中国新药杂志,2017,26(5):504-508.
- [5] NEUMANN PJ, WILLKE RJ, GARRISON LP JR. A health economics approach to US value assessment frameworks-introduction: an ISPOR special task force report[J]. *Value Health*, 2018, 21(2): 119-123.
- [6] GARRISON LP JR, PAULY MV, WILLKE RJ, et al. An overview of value, perspective, and decision context: a health economics approach: an ISPOR special task force report[J]. *Value Health*, 2018, 21(2): 124-130.
- [7] 胡善联.购买有价值的医疗卫生服务[J].卫生经济研究,2019,36(2):3-6.
- [8] NEUMANN PJ, COHEN JT. Measuring the value of prescription drugs[J]. *N Engl J Med*, 2015, 373(27): 2595-2597.
- [9] LACH K, KLOC K, CHOUAID C, et al. Trends in emerging non-HTA drug value assessment frameworks[J]. *Value Health*, 2017. DOI: 10.1016/j.jval.2017.08.1551.
- [10] LAKDAWALLA DN, DOSHI JA, GARRISON LP JR, et al. Defining elements of value in health care: a health economics approach: an ISPOR special task force report[J]. *Value Health*, 2018, 21(2): 131-139.
- [11] 中国政府网.中共中央 国务院印发《“健康中国2030”规划纲要》[EB/OL].(2016-10-25)[2019-07-26].http://www.gov.cn/zhengce/2016-10/25/content_5124174.htm.
- [12] 和雯婷.基于社区的孕产妇保健集体干预模式的技术评估[D].上海:复旦大学,2012.
- [13] 徐小微.中国药品综合评价指南参考大纲:第二版:第一章:药品安全性评价指南[J].药品评价,2015,12(8):7.
- [14] 刘芳,翟所迪.中国药品综合评价指南参考大纲:第二版:第二章:药品有效性评价指南[J].药品评价,2015,12(8):8-11.
- [15] AKL E, ALTMAN D, ALUKO P, et al. *Cochrane handbook for systematic reviews of interventions*[M]. York: John Wiley & Sons, 2019: 526-527.
- [16] CASSAR FA, MARSHALL S, CORDINA M. Use of the Delphi technique to determine safety features to be included in a neonatal and paediatric prescription chart[J]. *Int J Clin Pharm*, 2014, 36(6): 1179-1189.
- [17] DRUMMOND MF, SCULPHER MJ, CLAXTON K, et al. *Methods for the economic evaluation of care programmes* [M]. 4th edition. Oxford: Oxford University Press, 2015: 16-19.
- [18] PEARSON SD. The ICER value framework: integrating cost effectiveness and affordability in the assessment of health care value[J]. *Value Health*, 2018, 21(3): 258-265.
- [19] PHELPS CE, LAKDAWALLA DN, BASU A, et al. Approaches to aggregation and decision making: health economics approach: an ISPOR special task force report[J]. *Value Health*, 2018, 21(2): 146-154.
- [20] 龚时薇,许焱,张亮.药品可及性评价指标体系研究[J].中国卫生经济,2011,30(5):72-74.
- [21] ANDREW CR, AANDREW M, MIQDAD A, et al. *Fairer decisions, better health for all: health equity and cost-effectiveness analysis*[M]. Centre for Health Economics, University of York, 2016: 27-32.
- [22] HEIN AW, FREDERIQUE E, CEES N, et al. Participation in a clinical trial enhances adherence and persistence to treatment: a retrospective cohort study[J]. *Hypertension*, 2011, 58(4): 573-578.
- [23] ANGELIS A, KANAVOS P. Multiple criteria decision analysis (MCDA) for evaluating new medicines in health technology assessment and beyond: the advance value framework[J]. *Soc Sci Med*, 2017. DOI: 10.1016/j.socscimed.2017.06.024.
- [24] HUGHES D, COWELL W, KONCZ T, et al. Methods for integrating medication compliance and persistence in pharmacoeconomic evaluations[J]. *Value Health*, 2007, 10(6): 498-509.
- [25] HANLON JT, SCHMADER KE, SAMSA GP, et al. A method for assessing drug therapy appropriateness[J]. *J Clin Epidemiol*, 1992, 45(10): 1045-1051.
- [26] BURT J, ELMORE N, CAMPBELL SM, et al. Developing a measure of polypharmacy appropriateness in primary care: systematic review and expert consensus study[J]. *BMC Med*, 2018. DOI: 10.1186/s12946-018-1078-7.
- [27] 国家药品监督管理局药品审评中心.真实世界证据支持药物研发的基本考虑:征求意见稿[EB/OL].(2019-05-29)[2019-07-03].<http://www.cde.org.cn/news.do?method=largeInfo&id=314865>.

(收稿日期:2019-10-08 修回日期:2019-11-11)

(编辑:刘明伟)