

儿童口服中成药综合评价体系的构建与应用^Δ

闫思超^{1*}, 陈井太², 曾蔚欣³, 杨涛¹, 李建良⁴, 陈颖⁵, 潘国凤^{1#} (1. 首都医科大学附属北京世纪坛医院, 北京 100038; 2. 北京四方中药饮片有限公司, 北京 102502; 3. 中国中医科学院眼科医院, 北京 100040; 4. 四川省中医药科学院, 成都 610041; 5. 中国中医科学院中药研究所, 北京 100073)

中图分类号 R286;R95 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2026)18-2357-06
DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2026.18.02



摘要 **目的** 构建适配儿童生理特征与中医药特色的儿童口服中成药临床综合评价体系,为儿童口服中成药的遴选、药事管理、医保采购提供依据。**方法** 依据《药品临床综合评价管理指南(2021年版试行)》及相关政策文件、文献,确定安全性、有效性、适宜性、经济性、可及性、创新性6项一级指标;通过文献检索与政策文本分析、专家半结构化访谈构建初始指标池;采用Likert 5级评分进行预调研,确定初级指标清单;开展两轮德尔菲专家咨询,结合层次分析法(AHP)确定各级指标权重及得分,并进行问卷质量评价与信度检验。以5种儿童呼吸系统口服中成药为例开展实证评价,采用双人独立盲法评分并计算Kappa值以评价评分者间的一致性。**结果** 两轮德尔菲咨询专家均为21位,专家积极系数均为100%,专家权威系数均为0.89;第1、2轮德尔菲专家咨询的肯德尔和谐系数分别为0.812、0.856($P<0.01$);全部AHP判断矩阵一致性比率为0.032~0.087;Cronbach's α 为0.847。最终确立了包含6项一级指标、25项二级指标、78项三级指标的儿童口服中成药综合评价体系,其中一级指标(安全性、有效性、适宜性、经济性、可及性、创新性)的权重分别为0.32、0.24、0.16、0.13、0.10、0.05。实证评价显示,小儿豉翘清热颗粒综合得分最高(90.8分),其次为小儿肺热咳喘口服液(86.3分)、儿童清肺口服液(82.8分)、小儿消积止咳口服液(82.0分)、金振口服液(81.5分);评价者间一致性Kappa值为0.91。**结论** 本研究构建的儿童口服中成药综合评价体系,特别设立12项儿科专属三级评价指标,融合了中西医评价要点,一致性和信度检验良好,具备较好的可操作性与可复现性。**关键词** 儿童;口服中成药;临床综合评价;评价体系;用药安全;合理用药

Construction and application of a comprehensive evaluation system for oral Chinese patent medicines in children

YAN Sichao¹, CHEN Jingtai², ZENG Weixin³, YANG Tao¹, LI Jianliang⁴, CHEN Ying⁵, PAN Guofeng¹ (1. Beijing Shijitan Hospital, Capital Medical University, Beijing 100038, China; 2. Beijing Sifang Traditional Chinese Medicine Yinpian Co., Ltd., Beijing 102502, China; 3. Eye Hospital, China Academy of Chinese Medical Sciences, Beijing 100040, China; 4. Sichuan Academy of Chinese Medicine Sciences, Chengdu 610041, China; 5. Institute of Chinese Materia Medica, China Academy of Chinese Medical Sciences, Beijing 100073, China)

ABSTRACT **OBJECTIVE** To construct a comprehensive evaluation system for oral Chinese patent medicines in children that is compatible with pediatric physiological characteristics and the features of traditional Chinese medicine (TCM), and provide a basis for the selection, pharmaceutical management, and medical insurance procurement of oral Chinese patent medicines in children. **METHODS** According to the *Guidelines for the Management of Comprehensive Clinical Evaluation of Drugs (2021 Trial Edition)* and related policy documents and literatures, six first-level indicators were determined: safety, efficacy, suitability, economy, accessibility, and innovation. An initial indicator pool was constructed through literature retrieval, policy text analysis, and semi-structured expert interviews. A preliminary survey using a 5-point Likert scale was conducted to determine the primary indicator list. Two rounds of Delphi expert consultation were carried out. The analytic hierarchy process (AHP) was used to determine the weights and scores of indicators at all levels, and the methodological quality of the questionnaire and reliability were evaluated. Five oral Chinese patent medicines for pediatric respiratory diseases were selected for empirical evaluation. Two independent blinded reviewers scored the medicines, and the Kappa value was calculated to evaluate inter-rater consistency. **RESULTS** Both rounds of Delphi consulting had 21 experts, with a positive coefficient of 100% and an authoritative coefficient of 0.89. The Kendall's W

Δ 基金项目 国家自然科学基金青年科学基金项目(No.825051-93);北京市属医院科研培育计划中医项目(No.PZ2023007);北京市中医药科技发展资金资助项目(No.BJZYQN-2025-19);国家铁路集团有限公司科技研究开发计划(No.J2025Z605);中国中医科学院眼科医院高水平中医医院课题(No.GSP5-86)

*** 第一作者** 主管药师,主治医师,博士。研究方向:中医基础理论、中药临床药学。E-mail: yansichao@bjsjth.cn

通信作者 主任医师,教授,硕士生导师,博士。研究方向:中医肿瘤及经方。E-mail: pan.gf1218@163.com

coefficients of concordance for the first and second rounds of Delphi expert consultation were 0.812 and 0.856, respectively ($P<0.01$). The consistency ratios of all AHP judgment matrices ranged from 0.032 to 0.087 (all <0.10). The Cronbach's α coefficient was 0.847. A comprehensive evaluation system for oral Chinese patent medicines in children was established, comprising 6 first-level indicators, 25 second-level indicators, and 78 third-level indicators. The weights of the first-level indicators were 0.32, 0.24, 0.16, 0.13, 0.10 and

0.05, respectively, for safety, effectiveness, suitability, economy, accessibility and innovation. The empirical evaluation showed that Xiao'er chiqiao qingre granules obtained the highest comprehensive score (90.8 points), followed by Xiao'er feire kechuan oral liquid (86.3 points), Ertong qingfei oral liquid (82.8 points), Xiao'er xiaoji zhike oral liquid (82.0 points), and Jinzhen oral liquid (81.5 points). The inter-rater consistency Kappa value was 0.91. **CONCLUSIONS** The comprehensive evaluation system for oral Chinese patent medicines in children constructed in this study, includes 12 pediatric-specific third-level indicators and integrates key evaluation points of both traditional Chinese and Western medicine. It demonstrates good consistency and reliability, with good operability and reproducibility.

KEYWORDS children; oral Chinese patent medicines; comprehensive clinical evaluation; evaluation system; medication safety; rational drug use

儿童用药安全与临床合理用药是妇幼健康保障工作的重要内容。中成药药性平和,注重辨证施治,在儿童呼吸系统、消化系统常见病中应用广泛。随着儿科诊疗技术的发展,儿童中成药的获益与风险日益受到关注,国家多部门已出台政策,要求建立适配儿童生理特征的中成药综合评价体系^[1-4]。

当前国内外现有药品综合评价体系在儿童适配方面仍存在明显不足。国外以国际人用药品注册技术协调会(International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ICH)发布的ICH E11A《儿科外推》指南为代表^[5],但其侧重化学药品儿科安全性外推验证,缺乏中医药辨证诊疗特色,以及剂型、依从性等场景化评价维度。国内现有的儿童中成药评价工具普遍存在指标体系零散、权重分配同质化、儿童专属指标缺乏、中医辨证评价维度缺失、数理论证不规范等问题^[6-8],尚未形成标准化、专属化的儿童中成药评价方法论,难以满足临床用药遴选、医院药事管理、医保精准采购的实际需求。本研究从儿童用药视角出发,采用文献检索、政策文本分析、专家半结构化访谈、德尔菲法等方法,构建适配儿童生理特征与中医药特色的儿童口服中成药临床综合评价体系,并以儿童呼吸系统口服中成药为例进行实证检验,以期儿童口服中成药的遴选、药事管理、医保采购提供依据。

1 儿童口服中成药综合评价体系的构建

1.1 一级指标的确定

本研究依据国家卫生健康委发布的《药品临床综合评价管理指南(2021年版试行)》^[9]以及相关政策文件、文献^[10-14],确定安全性、有效性、适宜性、经济性、可及性、创新性六大维度作为一级评价指标。

1.2 初始指标池的构建

以一级指标为框架,系统检索中成药综合评价、儿科中成药用药评价等相关文献^[15-17],同时开展专家半结构化访谈,构建具备完整“一级→二级→三级”层级关系的初始指标池。其中,访谈专家共6人,涵盖儿科临床1人、中医儿科2人、临床中药学1人、药事管理1人、药品评审1人;均具有高级职称、硕士及以上学历,且从事本领域一线工作≥5年;专家来自北京市、上海市、辽宁省、四川省4个省(直辖市)。访谈采用面对面形式,内容涉及儿童口服中成药临床应用中的痛点、现有评价体系的不足、核心评价维度的设置建议,以及用药依从性等特色指标的设置思路。

初始指标池构建后开展预调研,从上述半结构化访谈专家中抽取3名专家(抽取比例为50%),对初步汇总得到的指标条目进行删减、合并、归类,采用Likert 5级评分,对同时满足“重要性均值>3.5、变异系数<0.25、满分率>20%”3项条件的指标予以保留^[18],完成指标池初筛,形成可供德尔菲专家咨询使用的初级指标清单。

1.3 德尔菲法专家咨询的实施

1.3.1 专家组成

遴选多学科专家共21人(与前期半结构化访谈专家无重叠),专业涵盖儿科临床8人、中医儿科4人、临床中药学5人、药事管理2人、药品评审2人;全部具有高级职称、硕士及以上学历,从事本领域一线工作时间≥5年;专家来自北京市、上海市、广东省、辽宁省、湖北省、河南省、四川省、陕西省共8个省(直辖市)。

1.3.2 第1轮德尔菲专家咨询

通过问卷星在线问卷调查平台,向专家发送初级指标清单问卷。问卷采用Likert 5级评分对二级、三级指标进行重要性评判^[18],并设置开放式栏目,允许专家对指标提出删除、合并、增加,或补充其他文字修改意见(一级指标固定不变)。回收问卷后统计各指标的重要性均值、变异系数、满分率^[17],结合专家文字意见,删除重复指标6项,新增“年龄分层用药安全性”“特殊体弱人群用药风险”“口味依从性”等儿科专属指标12项,整理形成修订后的指标清单;将本轮统计结果与修订条目反馈给专家进行第2轮咨询。

1.3.3 第2轮德尔菲专家咨询

向专家发送第1轮德尔菲专家咨询统计结果和修订后的指标清单,问卷采用Likert 5级评分对一、二、三级指标开展重要性评判和实践可行性评判^[18-19];问卷同步附加层次分析法(analytic hierarchy process, AHP)九级标度两两比较模块^[20],由专家对同层级指标开展相对重要程度评分,以提供AHP权重计算所需要的原始数据。回收问卷后,结合重要性得分与实践可行性得分的变异系数,以及专家文字建议,合并内容重叠的同质化二级、三级指标3项。

1.3.4 德尔菲专家咨询质量评价与信效度检验

两轮问卷均发放21份,均回收有效问卷21份,专家积极系数均为100%。采用SPSS 20.0软件进行数据分析,以肯德尔和谐系数(Kendall's *W*)、专家权威系数评价问卷的质量,以Cronbach's α 评价问卷的信度。结果

显示,第1轮德尔菲专家咨询 Kendall's *W* 为 0.812,第2轮德尔菲专家咨询 Kendall's *W* 为 0.856。两轮 Kendall's *W* 均处于较高水平,表明专家打分存在显著的协同一致性^[16];且第2轮较第1轮进一步升高($\chi^2=431.4, P<0.01$),提示经过第1轮结果反馈与指标修订后,专家意见趋于收敛^[19]。两轮专家权威系数均为 0.89(≥ 0.7 为合格),表明专家权威性良好^[19]。第2轮德尔菲专家咨询结束后进行信度检验,结果显示,Cronbach's α 为 0.847(以 Cronbach's $\alpha>0.7$ 作为合格标准),提示问卷内部一致性信度良好。

两轮咨询后专家意见趋于收敛,不再开展下一轮专家咨询,最终确立了包含 6 项一级指标、25 项二级指标、78 项三级指标的儿童口服中成药综合评价体系。

1.4 各指标权重分布及具体分值的确定

以第2轮德尔菲专家咨询最终确定的层级指标搭建 AHP 层次模型:目标层为儿童口服中成药综合评价;准则层为一级指标;子准则层为各一级指标下属的二级指标。根据第2轮问卷采集的 AHP 九级标度两两比较评分结果,取专家评分均值,分别构建一级指标判断矩阵及各一级指标下属的二级指标子判断矩阵;计算一致性比率(consistency ratio, CR), $CR = \text{一致性指标}(\text{consistency index, CI}) / \text{随机一致性指标}(\text{random index, RI})$ 。其中, $CI = (\lambda_{\max} - n) / (n - 1)$, $\lambda_{\max}$ 为判断矩阵最大特征根, n 为矩阵阶数;RI 为查 AHP 通用表得到的固定参考

值。 $CR<0.1$ 表明专家两两比较评判逻辑协调,无明显内部矛盾,权重结果可信; $CR\geq 0.1$ 表明评判存在逻辑冲突,需重新征询专家意见^[20]。结果显示,全部 AHP 判断矩阵 CR 在 0.032~0.087 之间,CR 均小于 0.1,表明一致性检验通过;求取矩阵最大特征根对应的特征向量,作归一化处理得到各指标权重系数;再将权重乘以 100 换算得到百分制得分。指标得分计算如下:综合总分= Σ (一级指标权重 $\times$ 一级指标得分);一级指标得分= Σ (二级指标权重 $\times$ 二级指标得分);二级指标得分= Σ (三级指标单项得分);三级指标采用互斥分级计分规则^[21],仅选择最贴合药品实际情况的单一等级计分,禁止多项条件同时叠加,避免二级指标得分超过满分上限。各三级指标评分细则的评价依据涵盖药品说明书、国家药品标准(药典)及质量检验资料、临床指南与循证文献、价格与医保集采政策、市场供应与专利注册信息等公开资料,评价时逐项核对相应信息来源后按细则赋分。药品费用可负担性以疗程总费用占当地居民月人均可支配收入的比例判定,其中 $\leq 2\%$ 为负担低, $>2\%\sim 5\%$ 为可负担, $>5\%\sim 10\%$ 为偏高, $>10\%$ 为负担重。

结果显示,一级指标安全性、有效性、适宜性、经济性、可及性、创新性的权重分别为 0.32、0.24、0.16、0.13、0.10、0.05,得分分别为 32、24、16、13、10、5 分,合计 100 分。各级指标权重及得分见表 1。

表 1 儿童口服中成药综合评价体系各级指标权重及得分

一级指标(权重及得分)	二级指标(权重及得分)	三级指标(得分)	三级指标评分细则(得分区间)
安全性(0.32,32分)	不良反应严重程度(0.216,6.91分)	严重程度分级(1.73分)	无不良反应报道或仅极轻微个案(1.38~1.73分);偶见轻微不良反应,无严重不良事件(0.86~1.37分);有一定不良反应报道,无黑框警告(0.35~0.85分);有严重不良反应,召回或通报(0~0.34分)
		儿科人群不良反应特异性(1.73分)	说明书不良反应专门收录儿科特有不良反应,区分成人与儿童不良反应表现(1.38~1.73分);包含部分儿童不良反应个案报道(0.86~1.37分);不良反应描述照搬成人,无儿科专属内容(0.35~0.85分);儿童不良反应数据缺失(0~0.34分)
		不良反应发生率(1.73分)	发生率极低且无严重事件(1.38~1.73分);偶有发生,可控(0.86~1.37分);发生频率较高(0.35~0.85分);发生率数据缺失(0~0.34分)
		不良反应结局与转归(1.72分)	多自限性,预后良好(1.38~1.72分);须停药或对症处理(0.86~1.37分);少数需住院干预(0.34~0.85分);有严重后遗症报道(0~0.33分)
		儿童年龄分层安全性(0.273,8.74分)	覆盖新生儿到青少年全年龄段,用法用量明确(2.33~2.91分);覆盖婴幼儿及以上(1.46~2.32分);仅适用于学龄期儿童(0.58~1.45分);无明确儿童年龄分层(0~0.57分)
		儿童各年龄段禁忌信息完整性(2.91分)	各年龄段禁忌完整明确(2.33~2.91分);主要年龄段有禁忌(1.46~2.30分);仅笼统提示(0.58~1.43分);无年龄相关禁忌(0~0.55分)
	特殊人群安全用药限定(0.160,5.12分)	新生儿/婴幼儿用药数据充分性(2.92分)	有新生儿/婴幼儿专用数据(2.34~2.92分);有婴幼儿数据,无新生儿数据(1.46~2.33分);仅有学龄儿童数据(0.58~1.45分);无低龄儿童数据(0~0.57分)
		特殊人群限定(1.02分)	对早产儿、肝肾功能不全、过敏体质均有明确警示(0.82~1.02分);对部分特殊人群有说明(0.51~0.81分);仅简单提及慎用(0.20~0.50分);无特殊人群说明(0~0.19分)
		特殊体弱人群用药风险(1.02分)	针对营养不良、免疫低下、早产体弱患儿有专门风险提示与剂量建议(0.82~1.02分);提及体弱儿童需医师评估后使用(0.51~0.81分);仅笼统标注慎用(0.20~0.50分);无体弱儿童相关用药提示(0~0.19分)
		儿童肝肾功能发育相关用药风险(1.02分)	充分结合儿童肝肾功能发育特点,标注发育分期风险与剂量调整方案(0.82~1.02分);提及儿童肝肾发育不成熟,建议监测(0.51~0.81分);仅标注成人肝肾损伤慎用,未考虑儿童发育特点(0.20~0.50分);无儿童肝肾发育相关安全提示(0~0.19分)
		过敏体质儿童用药监护(1.02分)	有明确过敏体质用药流程与监护建议(0.82~1.02分);提及须谨慎观察(0.51~0.81分);仅标注过敏者禁用(0.20~0.50分);无过敏相关说明(0~0.19分)
		特殊人群用药监护要求(1.04分)	明确监护项目与随访要求(0.83~1.04分);部分说明(0.52~0.82分);笼统提及(0.21~0.51分);未提及(0~0.20分)
药品质量控制(0.132,4.22分)	药品质量标准符合性(0.84分)	药品质量标准符合性(0.84分)	药典标准、指纹图谱、溯源体系完整(0.67~0.84分);符合药典,有一定质控研究(0.42~0.66分);仅符合最低药典标准(0.17~0.41分);质控资料缺失(0~0.16分)
		药材基原与道地性(0.84分)	基原明确、道地产区可溯(0.67~0.84分);基原明确(0.42~0.66分);部分药材来源不清晰(0.17~0.41分);来源不明(0~0.16分)
		批间一致性与稳定性(0.84分)	稳定性考察完整,批间差异小(0.67~0.84分);有稳定性数据(0.42~0.66分);数据有限(0.17~0.41分);无数据(0~0.16分)
		重金属及有害元素限量(0.84分)	重金属及有害元素限量检测完整合规(0.67~0.84分);符合限量标准(0.42~0.66分);部分检测(0.17~0.41分);无检测数据(0~0.16分)
	微生物限度与防腐剂使用(0.86分)	微生物限度符合度要求,防腐剂使用合规且对儿童安全(0.69~0.86分);符合限度要求(0.43~0.68分);限度数据有限(0.17~0.42分);无微生物限度数据(0~0.16分)	
		不良反应、禁忌、注意事项完整规范,儿科用药信息齐全(0.66~0.82分);较完整,儿科相关信息少量缺失(0.41~0.65分);儿科相关信息简略(0.17~0.40分);儿科用药信息严重缺失(0~0.16分)	
	说明书安全用药信息完整程度(0.103,3.30分)	说明书儿科信息完整性(0.82分)	

a: 新增的12项儿科专属指标。

续表 1

一级指标(权重及得分)	二级指标(权重及得分)	三级指标(得分)	三级指标评分细则(得分区间)
有效性(0.24,24分)	药品组方安全性(0.056,1.79分)	儿童用药误服风险*(0.82分)	包装具备儿童防开启设计,说明书有明确误服警示(0.66~0.82分);说明书标注误服风险,但无防误服包装(0.41~0.65分);仅简单提示妥善保管放置(0.17~0.40分);无任何误服风险提示(0~0.16分)
		儿童用法用量标注完整性(0.82分)	按年龄、体重分段标注完整(0.66~0.82分);分段较完整(0.41~0.65分);仅成人剂量+儿童酌减(0.17~0.40分);无儿童用法用量(0~0.16分)
		储存与有效期提示(0.84分)	储存条件与有效期提示完整清晰(0.67~0.84分);较完整(0.42~0.66分);简略(0.17~0.41分);缺失(0~0.16分)
		组方配伍安全性(0.45分)	无毒性药材,配伍平和(0.37~0.45分);含少量温和药材,无毒性(0.23~0.36分);含小毒药材,但标注明确(0.10~0.22分);含毒性药材,且标注不清(0~0.09分)
		儿童药用辅料安全性*(0.45分)	辅料无儿童高风险成分,明确辅料儿科安全性评价(0.36~0.45分);辅料基本安全,无儿科专项评估(0.23~0.36分);含蔗糖、香精等需注意的辅料,提示不足(0.09~0.22分);含儿童禁忌类辅料(0~0.09分)
		毒性药味炮制与限量(0.45分)	毒性药味炮制规范,限量明确(0.37~0.45分);炮制规范(0.23~0.36分);限量不明确(0.10~0.22分);含毒性药味无炮制规范(0~0.09分)
		中西药联用禁忌标注(0.44分)	中西药联用禁忌完整标注(0.35~0.44分);常见联用有提示(0.22~0.35分);未标注联用信息(0.09~0.22分);无相关内容(0~0.08分)
		与儿童常用西药的相互作用提示(0.64分)	常见儿童西药相互作用提示完整(0.52~0.64分);部分提示(0.32~0.51分);仅笼统警示(0.13~0.31分);无(0~0.12分)
		与食物、牛奶的相互作用提示(0.64分)	明确进食或牛奶对吸收的影响及服用建议(0.52~0.64分);部分说明(0.32~0.51分);未涉及(0.13~0.31分);无(0~0.12分)
		联合用药监护建议(0.64分)	联用方案与监测项目具体(0.52~0.64分);一般性建议(0.32~0.51分);仅笼统提示(0.13~0.31分);无(0~0.12分)
	儿童疾病临床应用推荐程度(0.378,9.07分)	儿童临床推荐级别(2.27分)	有国家级指南或有专家共识Ⅰ级推荐、证据等级高(1.82~2.27分);行业指南推荐,有较多临床研究(1.14~1.81分);专家经验推荐,少量研究(0.45~1.13分);无明确推荐(0~0.44分)
		儿童长期用药对生长发育的影响*(2.27分)	长期用药无生长发育相关不良影响证据(1.82~2.27分);现有研究未见明确生长发育损害(1.14~1.81分);长期用药对生长发育研究不足(0.45~1.13分);存在潜在生长发育抑制风险(0~0.44分)
		儿科专科指南覆盖度(2.27分)	纳入多部儿科专科指南或共识(1.82~2.27分);纳入部分儿科专科指南或共识(1.14~1.81分);仅成人指南间接支持(0.45~1.13分);无指南覆盖(0~0.44分)
		儿科临床用药经验(2.26分)	在儿科临床广泛使用,经验成熟(1.81~2.26分);有较多儿科使用经验(1.13~1.80分);儿科使用经验有限(0.45~1.12分);儿科使用经验缺乏(0~0.44分)
		药品处方经典程度(0.225,5.40分)	经典名方或儿科名方,传承应用广泛(2.16~2.70分);经典方化裁,临床应用久(1.35~2.15分);现代经验方(0.54~1.34分);无明显传承依据(0~0.53分)
		出处与文献可考性(2.70分)	出处明确,古籍文献可考(2.16~2.70分);出处较明确(1.35~2.15分);文献记载零散(0.54~1.34分);无明确出处(0~0.53分)
		儿童药物代谢动力学研究(0.153,3.67分)	有儿童专属药物代谢动力学研究(1.46~1.83分);有成人外推数据,无儿童研究(0.92~1.45分);仅有理论说明(0.37~0.90分);无相关数据(0~0.35分)
		儿童群体药物代谢动力学模型(1.84分)	有儿童群体药物代谢动力学模型研究(1.47~1.84分);有成人模型外推(0.92~1.46分);无模型研究(0.37~0.91分);无数据(0~0.36分)
		儿童适应证证明(0.144,3.46分)	中西医结合适应证清晰,儿童专属(1.38~1.73分);适应证较明确(0.86~1.37分);表述笼统(0.35~0.85分);适应证模糊(0~0.34分)
		适应证与中医证型对应清晰度(1.73分)	适应证与中医证型,分期对应清晰(1.38~1.73分);较清晰(0.86~1.37分);笼统(0.35~0.85分);不对应(0~0.34分)
适宜性(0.16,16分)	儿童用药依从性(0.380,6.08分)	儿科人群药物临床试验(1.20分)	有儿童人群 RCT 或 multicenter 试验(0.96~1.20分);有儿童观察性研究(0.60~0.95分);仅有成人试验外推(0.24~0.59分);无儿童试验(0~0.23分)
		循证证据级别(1.20分)	系统评价/Meta 分析(0.96~1.20分);随机对照试验(0.60~0.95分);队列、病例对照(0.24~0.59分);病例报告或专家意见(0~0.23分)
		口味依从性*(1.52分)	口味好,次数少,易服用(1.22~1.52分);一般,可接受(0.76~1.21分);口味差,服药麻烦(0.30~0.75分);依从性差(0~0.29分)
		儿童给药便捷性*(1.52分)	给药操作简单,配套给药器具,适合家长居家操作(1.22~1.52分);操作简单,无配套量具(0.76~1.21分);给药步骤繁琐(0.30~0.75分);给药操作复杂,儿童难以配合(0~0.29分)
		服药频次与疗程时长(1.52分)	频次少、疗程短,易于坚持(1.22~1.52分);频次适中(0.76~1.21分);频次多或疗程长(0.30~0.75分);极难坚持(0~0.29分)
		家长操作便利性(1.52分)	操作直观,家长易掌握(1.22~1.52分);需简单学习(0.76~1.21分);操作复杂(0.30~0.75分);需专业操作(0~0.29分)
		剂型适宜性(0.250,4.00分)	儿童专用剂型(颗粒、口服液)(1.60~2.00分);剂型适宜但非专属(1.00~1.59分);剂型偏大或偏硬(0.40~0.99分);不适宜儿童(0~0.39分)
		剂型稳定性与儿童接受度(2.00分)	口感良好、稳定性高(1.60~2.00分);可接受(1.00~1.59分);口感差或稳定性差(0.40~0.99分);难以接受(0~0.39分)
		剂量准确性(0.190,3.04分)	配量具、年龄体重分层清晰(0.81~1.01分);剂量较清晰(0.51~0.80分);剂量粗略(0.20~0.50分);无明确剂量(0~0.19分)
		最小包装与单次剂量匹配(1.01分)	完全匹配,无需掰分(0.81~1.01分);基本匹配(0.51~0.80分);需自行分剂量(0.20~0.50分);不匹配易浪费或误服(0~0.19分)
经济性(0.13,13分)	药品贮藏条件(0.180,2.88分)	个体化剂量调整工具(1.02分)	提供年龄、体重剂量速查表或计算工具(0.82~1.02分);有简易调整表(0.51~0.81分);无工具,需自行换算(0.20~0.50分);无调整方案(0~0.19分)
		药品贮藏条件(0.180,2.88分)	常温保存,方便家庭贮藏(1.15~1.44分);阴凉处贮藏即可(0.72~1.14分);需冷藏或严格避光(0.29~0.71分);贮藏条件苛刻(0~0.28分)
		开盖后使用期限与家庭保存(1.44分)	期限明确,家庭保存方便(1.15~1.44分);有提示(0.72~1.14分);提示模糊(0.29~0.71分);无提示(0~0.28分)
		药品日均费用水平(1.24分)	日均费用低,负担小(低于同类平均水平较多)(0.99~1.24分);中等(与同类平均水平相当)(0.62~0.98分);偏高(高于同类平均水平)(0.25~0.61分);昂贵(显著高于同类平均水平)(0~0.24分)
		日均费用与同类儿童用药比较(1.24分)	低于同类平均水平(0.99~1.24分);与同类相当(0.62~0.98分);高于同类(0.25~0.61分);显著高于同类(0~0.24分)
		疗程总费用(1.24分)	完整疗程总费用低(0.99~1.24分);中等(0.62~0.98分);偏高(0.25~0.61分);高(0~0.24分)
		日治疗费用稳定性(1.22分)	费用长期稳定(0.98~1.22分);基本稳定(0.61~0.97分);有波动(0.24~0.60分);波动大(0~0.23分)
		是否为国家集中采购或谈判药品(0.310,4.03分)	是,已纳入国家集采或医保谈判,价格大幅下降(1.62~2.02分);否,但价格水平合理稳定(1.01~1.61分);否,价格水平偏高(0.40~1.00分);否,价格显著高于同类且缺乏调控(0~0.39分)
		挂网价格稳定性(2.01分)	价格长期稳定(1.61~2.01分);偶有波动(1.00~1.60分);波动较大(0.40~0.99分);频繁调价(0~0.39分)
		医保目录收录层级(0.310,4.03分)	医保甲类,无限制(1.62~2.02分);医保乙类,限制少(1.01~1.61分);医保限制严格(0.40~1.00分);非医保(0~0.39分)
可及性(0.10,10分)	处方中药材资源风险评估(0.320,3.20分)	医保支付限定对儿童的影响(2.01分)	无儿童相关支付限制(1.61~2.01分);限制少(1.00~1.60分);限制多(0.40~0.99分);儿童用药受限严重(0~0.39分)
		药材资源保障风险评估(1.07分)	无濒危药材,供应稳定(0.86~1.07分);基本稳定(0.54~0.85分);部分药材市场供应偏紧(0.21~0.53分);含稀缺或濒危药材(0~0.20分)
		重点药材来源与储备(1.07分)	主产明确、储备充足(0.86~1.07分);来源较稳定(0.54~0.85分);部分依赖进口或野生(0.21~0.52分);来源紧张(0~0.20分)

续表 1

一级指标(权重及得分)	二级指标(权重及得分)	三级指标(得分)	三级指标评分细则(得分区间)
创新性(0.05,5分)	药品可获得性(0.240,2.40分)	药材可持续认证(1.06分)	有中药材规范化种植(GAP)基地或可持续认证(0.85~1.06分);部分药材有(0.53~0.84分);无认证(0.21~0.53分);无认证且依赖野生濒危资源(0~0.20分)
		药品市场可获得性(0.80分)	市级医院覆盖(0.64~0.80分);省级以上医院常见(0.40~0.63分);仅国家卫生健康委员会直属医院有售(0.16~0.39分);市级以上医院购买不便(0~0.15分)
		基层医疗机构配备率(0.80分)	基层医疗机构广泛配备(0.64~0.80分);二级以上医疗机构配备为主(0.40~0.63分);仅三级医疗机构配备(0.16~0.39分);基层医疗机构不配备(0~0.15分)
		电商、零售渠道可及性(0.80分)	线上线下多渠道可购(0.64~0.80分);部分渠道可购(0.40~0.63分);仅医院渠道可购(0.16~0.39分);购买渠道受限(0~0.15分)
		药品价格费用可负担性(0.240,2.40分)	药品费用可负担性(0.60分)
	药品供应保障与短缺预警(0.200,2.00分)	家庭自付比例(0.60分)	自付比例低(0.48~0.60分);适中(0.30~0.47分);较高(0.12~0.29分);自付比例高(0~0.11分)
		报销后自付水平(0.60分)	报销后自付低(0.48~0.60分);可接受(0.30~0.47分);偏高(0.12~0.29分);报销后自付高(0~0.11分)
		低收入家庭可负担性(0.60分)	低收入家庭亦可负担(0.48~0.60分);可负担(0.30~0.47分);负担偏重(0.12~0.29分);负担重(0~0.11分)
		短缺药品预警与替代方案(1.00分)	纳入短缺预警体系,有明确替代方案(0.80~1.00分);有预警机制(0.50~0.79分);无预警机制,但当前供应正常(0.20~0.49分);无预警机制,存在短缺风险或缺乏替代方案(0~0.19分)
		生产企业供应能力(1.00分)	产能充足,供应网络完善(0.80~1.00分);产能正常(0.50~0.79分);产能受限(0.20~0.49分);产能不足,有断供风险(0~0.19分)
应用创新(0.400,2.00分)	科技创新(0.600,3.00分)	科技创新水平(1.00分)	独家品种+多项专利(0.80~1.00分);有专利或新药证书(0.50~0.79分);有相关临床或药理学基础研究(论文、课题)支撑,但无专利或新药证书(0.20~0.49分);无创新(0~0.19分)
		儿童用药相关专利布局(1.00分)	核心专利覆盖儿童剂型或工艺(0.80~1.00分);有多项相关专利(0.50~0.79分);专利较少(0.20~0.49分);无专利(0~0.19分)
		新药证书、临床批件(1.00分)	有儿童适应症新药证书或临床批件(0.80~1.00分);有改良型新药证书(0.50~0.79分);仅仿制经典方(0.20~0.49分);无(0~0.19分)
		应用创新水平(0.50分)	儿童专用规格、口味、剂型(0.41~0.50分);有一定改良(0.25~0.40分);轻微改进(0.11~0.24分);无应用创新(0~0.10分)
		儿童友好包装与给药器具创新(0.50分)	防误服包装、专属给药器具齐备(0.41~0.50分);部分创新(0.25~0.40分);创新较少(0.11~0.24分);无(0~0.10分)
		儿童剂量创新(0.50分)	专属儿童规格、浓度设计(0.41~0.50分);有改进(0.25~0.40分);改进少(0.11~0.24分);无(0~0.10分)
		剂型创新(0.50分)	儿童专属新剂型(泡腾、口崩、混悬等)(0.41~0.50分);剂型改良(0.25~0.40分);常规剂型(0.11~0.24分);无(0~0.10分)

1.5 指标体系特色解析

本体系基于安全性、有效性、适宜性、经济性、可及性、创新性六大维度,针对儿科场景进行了3处针对性优化——(1)权重倾斜创新:安全性权重最高(0.32),同时提高适宜性权重(0.16),以匹配儿童用药风险高、依从性差的生理特征;(2)儿童专属指标创新:新增“年龄分层用药安全”“特殊体弱人群用药风险”“口味依从性”等12项儿科专属指标,弥补了通用评价对儿童生理特点考虑不足的问题,并充分考虑了儿童口服给药在剂型、口感、分剂量方面的现实难点^[22];(3)中西医融合创新:同时纳入经典方剂溯源、组方毒性评价与儿童药物代谢动力学、循证证据,兼顾中医药特色与现代药理学评价要求。

2 儿童呼吸系统口服中成药综合评价体系的应用

本研究以儿童呼吸系统口服中成药为例,对上述指标体系进行实证检验。

2.1 口服中成药的纳入与排除标准

药品的纳入标准为:(1)临床广泛应用于儿童呼吸系统常见病的一线口服中成药;(2)上市时间不少于3年且市场供应稳定;(3)药品说明书、不良反应、集采医保等公开数据完整;(4)无国家药监局重大质量通报或召回记录。排除标准为:(1)停产退市品种;(2)缺少儿童适应证与用法用量;(3)存在官方通报限制儿科使用的情形。

结果,共纳入小儿肺热咳喘口服液等5种儿童呼吸系统口服中成药,药品基础信息见表2。

2.2 实证评价

选取上述5种儿童呼吸系统口服中成药开展实证研究,采用双人独立盲法评分,由2名中级及以上职称药学人员分别打分并交叉核对;如遇分歧,由另一副高级及以上职称药学专家仲裁;计算组内Kappa值以评价评分

表2 5种儿童呼吸系统口服中成药基础信息

药品名称	生产厂家	规格/盒	价格/(元/盒)	是否为国家集采或谈判药品
小儿肺热咳喘口服液	葵花药业集团股份有限公司	10 mL×6支	28.50	是
小儿豉翘清热颗粒	湖北济川药业股份有限公司	2 g×9袋	59.80	是
金振口服液	江苏康缘药业股份有限公司	10 mL×10支	45.00	否
小儿消积止咳口服液	鲁南制药集团股份有限公司	10 mL×10支	38.60	否
儿童清肺口服液	同仁堂科技发展股份有限公司	10 mL×10支	35.20	是

者间的一致性。结果显示,小儿豉翘清热颗粒综合得分最高,在安全性、有效性、适宜性、可及性、创新性5个维度上表现均衡且优势明显;儿童清肺口服液经济性得分较高,但适宜性得分偏低;金振口服液创新性维度得分较高,但受特殊人群用药数据不足影响,安全性得分偏低;小儿消积止咳口服液针对食积咳嗽适应证明确,但有效性维度得分偏低,循证证据相对薄弱。本次评分Kappa值为0.91,表明评价者间的一致性良好。5种儿童呼吸系统口服中成药一级指标得分见表3,二、三级指标评分可扫描本文首页二维码查看“增强出版”板块中的附表1和附表2。

表3 5种儿童呼吸系统口服中成药一级指标得分(分)

评价维度	安全性 (32分)	有效性 (24分)	适宜性 (16分)	经济性 (13分)	可及性 (10分)	创新性 (5分)	综合得分 (100分)
小儿肺热咳喘口服液	29.8	20.0	14.0	11.0	8.5	3.0	86.3
小儿豉翘清热颗粒	30.8	22.0	15.0	10.0	9.0	4.0	90.8
金振口服液	28.5	19.0	13.5	9.0	8.0	3.5	81.5
小儿消积止咳口服液	29.0	18.0	14.0	10.0	8.5	2.5	82.0
儿童清肺口服液	29.3	19.5	13.0	11.0	8.0	2.0	82.8

3 讨论

本研究构建儿童口服中成药评价体系的整套研究流程具备可复现性。德尔菲专家咨询中,两轮问卷专家积极系数均为100%,表明专家积极性高;专家权威系数

均为0.89,Kendall's W 分别为0.812、0.856($P<0.01$),表明专家意见经反馈修订后逐步收敛;全部AHP判断矩阵CR均小于0.1,表明一致性检验合格;Cronbach's $\alpha>0.7$,表明信度检验达标。权重分配以安全性最高(0.32)、有效性次之(0.24),适宜性亦得到兼顾(0.16),体现儿科“安全优先、疗效为本、兼顾适宜”的临床决策导向。

当前国内多数中成药评价体系缺乏儿科分层评价指标;国外ICH E11A指南主要针对化学药的儿童用药外推研究,缺少中医辨证及剂型、口味依从性等中医药特色评价条目。与之相比,本研究通过权重倾斜、增设12项儿科专属三级评价指标,融合中西医评价要点,形成了适配儿童口服中成药的专项评价工具。实证评价结果显示,2名评价者独立评分Kappa值为0.91,评价者间的一致性高,提示本评价工具区分度较好,可应用于医疗机构儿科中成药目录遴选、院内药品动态评估,也可作为药品医保准入、集采提供参考依据。同时,评价结果能够反向引导药品生产企业完善儿童用药说明书,从而优化药品剂型与口味,改善儿童用药依从性。

本研究仍存在一定局限性:受研究周期与专家资源限制,未实施结构效度及重测信度检验;AHP法具有主观性,虽经两轮德尔菲专家咨询降低了评判偏差,但仍无法完全消除主观偏倚。后续需扩大专家咨询规模,拓展实证评价的药品品种与地域范围,开展多中心实证研究,进一步完善量表效度,持续优化评价指标体系。

利益冲突 本文所有作者声明不存在利益冲突

参考文献

- [1] 国家卫生健康委、工业和信息化部、金融监管总局,等. 关于改革完善儿童用药供应保障机制的实施意见[EB/OL]. (2026-04-22)[2026-06-13]. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202605/content_7068031.htm.
- [2] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《小儿便秘中药新药临床研发技术指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2024-03-13)[2026-06-13]. <https://www.ccfdie.org/cn/yjxx/yphzp/webinfo/2024/03/1708468029359954.htm>.
- [3] 国家药品监督管理局药品审评中心. 真实世界研究支持儿童药物研发与审评的技术指导原则[EB/OL]. (2020-08-27)[2026-06-13]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/ggtg/ypggtg/ypqgtgtg/20200901104448101.html>.
- [4] 国家中医药管理局. 国家中医药管理局关于印发《中医药标准化行动计划(2024—2026年)》的通知[EB/OL]. (2024-07-31)[2026-06-13]. <http://www.natcm.gov.cn/fajiansi/zhengcewenjian/2024-07-30/34574.html>.
- [5] The International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use. ICH E11A: pediatric extrapolation[M/OL]. Geneva, Switzerland: ICH, 2024, 1-8. <https://www.gov.uk/guidance/international-council-for-harmonisation-of-technical-requirements-for-pharmaceuticals-for-human-use-guidelines>.
- [6] 戴泽琦,景城阳,吴雪,等. 基于EVIDEM框架的中成药

临床综合评价指标体系构建及解读[J]. 中国实验方剂学杂志,2024,30(6):134-143.

- [7] 胡思源,马融,李梅芳,等. 多维度多准则儿童中成药临床综合评价指标框架的构建[J]. 中草药,2024,55(5):1427-1435.
- [8] 吴雪,戴泽琦,李苗苗,等. 治疗儿童呼吸系统疾病中成药的临床研究证据的概况性综述[J]. 中国实验方剂学杂志,2023,29(6):147-156.
- [9] 国家卫生健康委. 药品临床综合评价管理指南:2021年版试行[EB/OL]. (2021-07-28)[2026-06-13]. <https://www.nhc.gov.cn/yaozs/c100097/202107/d2a45e6ac041423f950-b3865e43f5ef6.s>.
- [10] 李正翔,段蓉,史录文,等. 药品临床综合评价工作流程指南[J]. 中国药房,2025,36(19):2353-2365.
- [11] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《基于人用经验的中药复方制剂新药临床研发指导原则(试行)》《基于“三结合”注册审评证据体系下的沟通交流指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2022-05-05)[2026-06-13]. <https://www.nmpa.gov.cn/directory/web/nmpa/xxgk/ggtg/ypggtg/ypqgtgtg/202205050920041-49.html>.
- [12] 门鹏,杨毅恒,翟所迪,等. 基于药品临床综合评价的医疗机构药品遴选方法研究[J]. 中国药理学杂志,2023,58(21):1983-1987.
- [13] 胡思源. 儿科疾病中药真实世界研究设计指南[J]. 药物评价研究,2023,46(4):743-751.
- [14] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《儿童药物临床试验安全信息评估与报告技术指导原则(试行)》的通告[EB/OL]. (2025-05-23)[2026-06-13]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/d3762909c55ef21c7fc533d8ba826d40>.
- [15] 郭圣璇. 小儿急性上呼吸道感染中药临床试验设计与评价技术指南的制定及其相关研究[D]. 天津:天津中医药大学,2021:35-49.
- [16] 王巍力. 中成药临床综合评价指标体系优化研究[D]. 北京:中国中医科学院,2024:73-75.
- [17] 谷福根. 儿童口服用药特点及新剂型研究进展[J]. 中国药房,2026,37(8):1099-1104.
- [18] 潘婕,朱文涛. 中成药临床综合评价指标体系及评价路径[J]. 药物评价研究,2024,47(2):221-229.
- [19] 李静,周驰,梁楚西,等. 中西医协同创伤救治服务能力评价指标体系的构建研究:基于德尔菲法和层次分析法[J]. 中国卫生政策研究,2025,18(9):23-30.
- [20] 吴玥,沈秉正,张帆,等. 直接口服抗凝药用于肿瘤相关静脉血栓预防的临床综合评价体系研究[J]. 中国药房,2025,36(11):1384-1388.
- [21] 廖星,戴泽琦,吴雪,等. 采用EVIDEM框架开展中成药临床综合评价[J]. 中国中药杂志,2022,47(10):2833-2840.
- [22] 张海力,焦丽雯,梁宁,等. 多维度多准则优势中成药综合评价体系构建研究[J]. 中国中医基础医学杂志,2021,27(3):403-406.

(收稿日期:2026-06-15 修回日期:2026-09-08)

(本文责编:舒安琴)