

ICS **, ***, **
C**



团体标准

T/CACM ****—20**

中成药上市后经济学评价指南

Guidelines for Post-marketing Economic Evaluation of Chinese Patent

Medicine

(文件类型：公示稿)

(完成时间：2022 年 6 月)

20**--**--**发布

20**--**--**实施

中华中医药学会发布

目次

前 言	I
引 言	II
1 范围	1
2 规范性引用文件.....	1
3 术语和定义.....	1
4 基本原则.....	3
4.1 合规性原则.....	3
4.2 科学性原则.....	3
4.3 伦理性原则.....	3
5 研究选题决策.....	3
5.1 决策应用场景.....	3
5.2 明确研究目的.....	3
5.3 评估研究基础.....	43
5.4 实施分类研究.....	4
5.5 确定研究时限与贴现率.....	4
5.6 探索差异性和不确定性.....	4
5.7 评估公平性及外推性.....	4
5.8 确定证据等级及适用性.....	54
6 研究问题界定.....	5
6.1 研究背景.....	5
6.2 研究目的.....	5
6.3 研究角度.....	5
6.4 目标人群.....	5
6.5 干预与对照措施.....	5
7 研究设计类型选择.....	65
7.1 平行研究.....	6
7.2 实效性临床试验.....	6
7.3 前瞻性观察研究.....	6
7.4 回顾性观察研究.....	6
7.5 混合研究.....	76
7.6 模型研究.....	7
8 成本识别与测量.....	8
8.1 研究角度与成本识别.....	8
8.2 研究时限与成本识别.....	8
8.3 药品不良事件相关成本.....	8
8.4 成本数据代表性.....	8
9 健康产出主要类型.....	8
9.1 疗效/效果.....	8
9.2 效用.....	8

9.3 效益.....	98
10 评价方法.....	9
10.1 成本-效用分析.....	9
10.2 成本-效果分析.....	9
10.3 成本-效益分析.....	9
10.4 最小成本分析.....	9
11 预算影响分析.....	109
附录 A.....	11
A.1 《中共中央国务院关于深化医药卫生体制改革的意见》.....	11
A.2 “健康中国 2030”发展规划”.....	11
A.3 《“十三五”深化医药卫生体制改革规划》.....	11
A.4 《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》.....	12
A.5 《关于建立健全职工基本医疗保险门诊共济保障机制的指导意见》.....	12
参考文献.....	12

前 言

本文件按照GB/T1.1—2020《标准化工作导则 第1部分：标准化文件的结构和起草规则》规定的规则起草。

本文件由北京大学医药管理国际研究中心、中国中医科学院中医临床基础医学研究所提出。

本文件由中华中医药学会归口。

本文件负责起草单位（按拼音排序）：北京大学、北京医药卫生经济研究会、北京中医药大学、广东中医院大学第一附属医院、暨南大学、南京中医药大学、人社部劳动保障研究院、首都医科大学附属北京中医医院、首都医科大学附属天坛医院、四川大学华西医院、天津大学、天津中医院大学第一附属医院、中国药科大学、中国中医科学院广安门医院、中国中医科学院眼科医院。

本文件主要起草人：史录文、谢雁鸣、聂小燕、韩晟、田夏、王志飞。

本文件起草人（按姓氏笔画排序）：马融、刘清泉、孙源源、朱文涛、吴晶、张田甜、李洪超、冼绍祥、官海静、花宝金、胡明、范长生、高云、陶立波、董朝晖。

引 言

药品上市后经济性评价是合理用药评价的重要内容，是药品全生命周期管理的重要组成部分。《“十三五”深化医药卫生体制改革规划》等国家文件强调药物经济学评价在基本卫生制度、全民医保制度、国家基本药物政策中的必要性及重要作用。在药品安全、有效的前提下，药物经济学评价可以从不同的研究角度，为多样化的决策应用场景提供优选方案，最大限度地合理利用、分配现有医疗卫生资源。传统中药是我国重要的药品使用医疗资源，是我国医疗支出的重要组成部分。但中药上市后经济性评价较少，评价质量参差不齐，规范性差，总体水平有待提高，对医药卫生决策的参考意义不足。因此，亟需制定符合中成药有效性和安全性特点的上市后安全性评价指南。

为解决上述问题，国家重点研发计划项目“十种中成药大品种和经典名方上市后治疗重大疾病的循证评价及其效应机制的示范研究（2018YFC1707400）”及子课题“中药上市后临床研究共性技术及方法技术体系研究（2018YFC1707410）”在全国范围内邀请药物经济学、临床医学、药学、流行病学和循证医学等学科的专家参与本文件的研制和起草，旨在为中药上市后经济学评价提供通用的方法学指导，进而提高中成药上市后经济学评价的整体水平，提高经济学评价的规范性和研究结果的科学性。

药物经济学领域，目前我国有两本相关技术指导文件，即《中国药物经济学评价指南（2020版）》和《中成药药物经济学评价技术手册》。在这两本药物经济学指导文件基础上，参考国际药物经济学与结果研究协会药物经济学评价的方法和理念，在我国相关法律法规和技术指导文件的框架下，考虑中成药自身特点以及我国国情，制定本指南。本指南从经济学评价基本原则、研究选题决策、研究问题界定、研究设计类型选择、成本识别与测量、健康产出类型、评价方法等方面，中成药上市后经济学评价中常见的问题和难点，针对性地提出了决策建议和方法学建议，对评价技术细节不予展述。本文件需与其他相关技术指南、规范等配合使用，从而产出高质量的中成药上市后经济学评价证据。希望通过使用本文件，能够有利于中成药经济学评价的科学发展，提高医药卫生资源的配置效率，促进中医药卫生事业的发展。

本文件在国家重点研发计划项目“十种中成药大品种和经典名方上市后治疗重大疾病的循证评价及其效应机制的示范研究（2018YFC1707400）”及课题“中药上市后临床研究共性技术及方法技术体系研究（2018YFC1707410）”资助下完成，所有成员均无利益冲突。

中成药上市后经济学评价指南

1 范围

本文件提出了中成药上市后经济学评价过程中的核心要素和主要方法。

本文件适用于经济学评价相关研究者、决策者、制药企业人员等。拟开展中成药经济学评价的研究者，可参考本指南提高设计、实施、分析和报告质量；中国医疗卫生政策部门的决策者，可参考本指南评估提交的中成药经济学评价报告质量；制药企业中市场部及准入相关的工作人员，可基于本指南开展药品合理定价等相关研究。

2 规范性引用文件

在《中成药上市后临床安全性研究指南》和《中成药上市后临床有效性研究指南》规范性引用文件的基础上，下列文件中的内容通过文中的规范性引用而构成本文件必不可少的条款。其中，注日期的引用文件，仅该日期对应的版本适用于本文件；不注日期的引用文件，其最新版本（包括所有的修改单）适用于本文件。（按发布时间顺序排序）

医保发〔2021〕48号 国家医疗保障局关于印发DRG/DIP支付方式改革三年行动计划的通知

国务院办公厅〔2021〕42号 国务院办公厅关于健全重特大疾病医疗保险和救助制度的意见

国务院办公厅〔2021〕14号 国务院办公厅关于建立健全职工基本医疗保险门诊共济保障机制的指导意见

国卫办医函〔2021〕474号 国家卫生健康委办公厅关于印发国家重点监控合理用药药品目录调整工作规程的通知

国家医疗保障局〔2020〕国家医疗保障局令第1号 基本医疗保险用药管理暂行办法

国务院办公厅〔2018〕88号 国务院办公厅关于完善国家基本药物制度的意见

国卫药政发〔2019〕1号 关于进一步加强公立医疗机构基本药物配备使用管理的通知

国卫药政函〔2019〕80号 关于开展药品使用监测和临床综合评价工作的通知

国务院办公厅〔2017〕55号 国务院办公厅关于进一步深化基本医疗保险支付方式改革的指导意见

3 术语和定义

下列术语和定义适用于本文件。

[来源：1.刘国恩.中国药物经济学评价指南(2020)[M].中国市场出版社, 2020; 2.史录文.中成药药物经济学评价技术手册[M].协和医科大学出版社, 2019]

3.1

药物经济学 Pharmacoeconomics, PE

是一门评价药品或卫生服务技术成本与健康产出关系，研究如何提高医疗卫生资源合理

分配的交叉学科。药物经济学基于经济学基础理论、统计分析方法和技术，同时结合循证医学、临床流行病学、医学统计学等学科方法，系统、科学地评价不同药品的经济性。

3.2

质量调整寿命年 Quality-adjusted life years, QALYs

一种基于生命质量调整的期望寿命，用于评价和比较健康干预。综合考虑了生存时间和生命质量。

3.3

直接医疗成本 Direct medical cost

某种治疗方案所消耗的医疗资源，如挂号费、药费、检验费、诊疗费等。

3.4

直接非医疗成本 Direct non-medical cost

患者因寻求医疗服务而直接消耗的医疗资源以外的资源，如交通费、食宿费、营养食品费等。

3.5

间接成本 Indirect cost

由于疾病、伤残或死亡造成的患者和其家庭的生产力损失，如休学、休工、早亡等造成的患者及家人的工资损失等。

3.6

成本-效果分析 Cost-effectiveness analysis, CEA

分别以货币和临床效果指标作为成本和健康产出指标，对各备选干预方案进行经济学评价以指导决策的方法。

3.7

成本-效用分析 Cost-utility analysis, CUA

分别以货币和质量调整寿命年作为成本和健康产出指标，对各备选干预方案进行经济学评价的方法。

3.8

成本-效益分析 Cost-benefit analysis, CBA

均以货币表示成本和健康产出指标，对各备选干预方案进行经济学评价的方法。

3.9

最小成本分析 Cost-minimization analysis, CMA

指当有证据显示，干预组与对照组的重要临床产出结果相同或差异无统计学意义时，根据成本来比较治疗方案相对经济性的一种药物经济学评价方法。

3.10

预算影响分析 Budget impact analysis, BIA

衡量引入一种新的技术或服务，对政府或卫生机构资金可负担性影响的方法。

3.11

支付意愿 Willingness to pay, WTP

是消费者（患者）对所接受的药品、治疗方案的估价或愿付出的代价。

3.12

增量成本效果比 Incremental cost effectiveness ratio, ICER

即目标方案与对照方案成本之差和效果之差的比值。如果 ICER 值小于阈值，则目标方案相较于对照方案更具有经济性；如果 ICER 值大于阈值，则对照方案相较于目标方案更具有经济性。

3.13

情境分析 Scenario analyses

是药物经济学评价中敏感性分析的一种方法，一般用于分析模型假设的敏感性。是将基于不同模型结构或不同参数取值组合的假设称为不同的“情境”，比较不同情境下评价结果的差异，以支持不同可能情况下的医疗卫生决策。

4 基本原则

4.1 合规性原则

药物经济学指南可用作设计、实施经济学评价，或评估经济学评价结果、报告质量的指南。是引导药物经济学评价工作的规范性、指导性文件。国际药物经济学与结果研究协会（International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research, ISPOR）对目前 44 个国家或地区的发布的药物经济学指南进行了统计和汇总。全球范围内，药物经济学指南大致可分为三类：指南公开发表的推荐性指南、药物经济学官方指南及申请审评的递交资料指南。ISPOR 将指南的执行力度分成“强制使用”“推荐使用”和“自愿使用”三类。我国目前已出版的《中国药物经济学评价指南（2020 版）》属于公开发表的推荐性指南。即由药物经济学专家或相关领域专家撰写的评价准则或建议，可以用于指导卫生部门、企业、科院校等开展药物经济学评价。为非官方指南，并不具备强制性。

此外，中成药上市后经济学评价的开展也应遵循法律和行政法规要求。

4.2 科学性原则

鉴于药物经济学在应用和实践中的重要作用，其科学性将影响最终评价结果的价值。国际上部分机构或学者研发了不同类型的经济学评价质量评估量表。然而，现有针对经济学评价研究结果的质量评估量表适用范围不一致，质量评估标准难以统一。药物经济学评价结果作为药物经济学质量评估的重要产出，国内尚无药物经济学评价报告质量评估标准。因此，评价药物经济学报告的质量时，可参考《The Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards (CHEERS)》，量表包含六个部分，共24个条目，由 ISPOR 的专家小组研发。以及由中华中医药学会正式发布的《药物经济学评价报告质量评估指南》(Guidelines for quality assessment of pharmacoeconomics evaluation report, PEERs)。

4.3 伦理性原则

符合医学伦理学要求，具体可参照《中成药上市后有效性评价指南》和《中成药上市后安全性评价指南》的相关内容。

4.4 时效性原则

中成药上市后经济学评价会受到医药卫生政策变动、支付方式改革、药品价格调整、用药模式变化等因素的影响，因而在设计、实施、评价、报告及结果转化阶段，都应当考虑经济学评价的时效性。

5 研究选题决策

5.1 决策应用场景

确定中成药上市后经济学评价结果的决策应用场景，常见的决策场景有：为医保目录、基药目录、医院备药目录准入提供参考建议；为临床指南、临床路径制定提供证据支持；为药品合理定价提供依据等。决策应用场景影响着后续研究角度的选择，以及成本识别、健康产出选择等诸多内容。

5.2 明确研究目的

中成药上市后经济学评价的目的应兼具科学价值和社会价值。根据决策应用场景及中

成药自身固有特点，选择相应研究角度下覆盖的适应症人群（研究对象）、对照药物、研究时限及评价方法等。

5.3 评估研究基础

在中成药工艺稳定、质量可控、合理使用的基础上，明确中成药针对主要适应症的疗效及其在实际临床应用中的安全性，明确其在应对合并疾病时的疗效及安全性。提出需要研究的经济性问题。评估数据源的可获得性、拟承担项目的团队能力上的可支撑性以及其资源匹配的可行性等。

5.4 实施分类研究

中成药上市后经济学评价应实施分类研究，根据决策应用场景、研究目的、研究可操作性，选择适宜的研究方法。若缺乏相关临床研究，临床疗效、安全性未获得确切评估时，建议首先开展解释性随机对照试验或非随机对照试验以明确其效力，并同步采集中成药诊疗方案涵盖的相应成本，探索其经济性优势；若相关临床研究的资料完备，即已被证实且疗效确切的中成药，如需要开展经济学评价指导合理定价或药品使用时，可采用上市后真实世界研究或基于文献、数据库的模型研究。评价中目标人群、对照药品、健康产出选择及成本识别时，需重点考虑中医“病证结合”的研究模式和中成药的产品特性。

5.5 确定研究时限与贴现率

研究时限是指研究者在一定时间内观察或者模拟中成药治疗某一疾病的成本和健康产出。时限长短与研究疾病种类、治疗目标和预期产出等因素相关，应当合理地反应疾病的自然进程。建议将不同时点采集的成本和健康产出的信息折算到同一时间点进行比较。对于研究时限大于1年的经济学评价，建议同时对成本和健康产出进行贴现，采用每年5%的比例进行贴现。并对贴现后的成本和健康产出进行敏感性分析，贴现率的取值范围可调整为0%-8%。此外，对于国家层面或经济发展相对较慢的地区，建议采用不同的贴现率，或以不同的贴现率进行敏感性分析。

5.6 探索差异性和不确定性

当存在方法学不确定性或模型不确定性时，建议开展情境分析。明确潜在的应用情境，分别带入相应情境所需的研究假设、参数取值及分析方法，比较各情境之间的差异。

当存在参数不确定性时，建议开展敏感性分析。最常用的是单因素敏感性分析和概率敏感性分析。单因素敏感性分析的运用前提是所有参数的变化是相互独立的。参数取值的变化范围可以是基础值的95%可信区间、最大值和最小值，或者同类型研究中参数估计的上下限。概率敏感性分析，建议纳入模型的全部参数，同时充分说明参数的概率分布情况和蒙特卡洛模拟选取的迭代次数的原因及合理性。

5.7 评估公平性及外推性

在药物经济学评价中，公平性主要体现在分析过程（假设、参数选择等）和研究结果应用。建议采用特定亚组分析法、公平性权重法或多属性决策分析法。

从原始研究环境或群体到实际临床环境或群体的外推，主要考虑的是临床试验条件下获得的疗效数据能否反映真实世界条件下能够达到的效果。

从某一国家（地区）或某一医疗体系到其他国家（地区）或其他医疗体系的外推，主要考虑的是效果、成本、经济水平、税收体系、价格体系、治疗方式、间接成本等的差异。

多中心研究数据的处理，主要考虑的是如何将从不同国家或地区同时收集的数据在分析中进行整合。由于不同国家或地区的治疗方案可能存在差异，所以在进行多中心研究数据处理时，不可以简单地标准化处理，还需要考虑数据间的可比性，反映不同国家或地区数据的差异性。不同国家的多中心研究，既不能抹杀国家间可能存在的治疗方案的差异，也不能抹杀国家间数据的差异，关键要做到的是求同存异。

可以采用敏感性分析、数据分解、多变量分析。

5.8 确定证据等级及适用性

研究报告规范应兼顾设计类型和研究质量，建议采用卫生经济学评价报告标准共识 (Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards, CHEERS) 或药物经济学评价报告质量评估指南 (Guidelines for quality assessment of pharmacoeconomics evaluation report, PEERs)。可以从用药人群、用药模式、支付方式等多方面评价证据在拟应用场景的适用性。

6 研究问题界定

经济学评价的第一步是明确界定研究问题，主要包括研究背景、研究目的、研究角度、研究人群、干预与对照措施、研究时限等内容。中成药上市后经济学评价的特殊性主要体现在：（1）有时需要根据证候界定目标患者人群；（2）中成药在干预和对照药物的选择、健康产出指标等方面与化学药品和生物制品存在一定不同。

6.1 研究背景

研究背景是指描述与疾病本身以及干预措施有关的各种因素，包括中成药适应症的疾病分布、疾病负担、经济负担、现有干预措施的疗效及安全性，以及国内外临床指南对诊疗方案的推荐情况。现有干预措施的药物经济学评价结果及存在问题，以及开展中成药上市后经济学评价的价值。

6.2 研究目的

从全社会、卫生体系等角度，比较不同中成药或中成药用药模式的经济性差异；

从医保支付方角度，比较某一中成药纳入医保目录后对医保基金的影响（预算影响分析等）。

6.3 研究角度

研究角度主要包括：全社会角度、卫生体系角度、医疗保险付费方角度、医疗机构角度和患者角度等。研究者可以根据研究目的和结果的应用场景选择合适的研究角度。比较不同中成药的经济性差异，建议采用全社会角度、卫生体系角度。应用于公共卫生决策，如医保目录准入、基药目录准入等提供经济性证据时，建议选择全社会角度。

6.4 目标人群

目标人群选择需要与药品说明书的适应症保持一致。中成药的适应证可能出现单纯中医证型、一证多病、一证一病等情况。建议采用流行病学特征与中医证候特征相结合的方式，描述目标人群的患者类型。如性别、年龄、医保类型、西医病名、中医病名、中医证候、严重程度等。

经济学评价通常在整体目标人群水平上进行。可以将单纯中医证型、一证多病、一证一病的所有患者确定为研究对象。也可以根据需要划分亚组。

6.5 干预与对照措施

干预措施选择需要明确中成药的通用名、商品名、剂型、规格、用法用量、治疗方式、是否存在合并用药等信息。当中成药临床定位为独立治疗药物或主要治疗药物时，对照药物可以选择相同适应症（功效主治）、国家已批准上市的阳性药物或常规药物。以目录替换为应用场景时，建议优先选用医保目录、医院备药目录中纳入、且有指南推荐的西药（化学药品、生物制品）或中成药作为对照药物。单以准入为应用场景时，可考虑医保、基药、医院备药目录外，有指南推荐的西药（化学药品、生物制品）或中成药作为对照药物。

中成药临床定位为协同治疗药物时，建议遵循“同类可比”的原则，在西药基础上联用相同适应症及功效主治的中成药作为对照药物。也可以选择空白对照，比较额外加用中

成药的经济性。

7 研究设计类型选择

研究设计类型的选定是保障中成药上市后经济学评价质量的重要步骤。建议综合考虑研究目的、研究可行性、研究时限及应用场景等方面后，选择合适的研究设计类型。

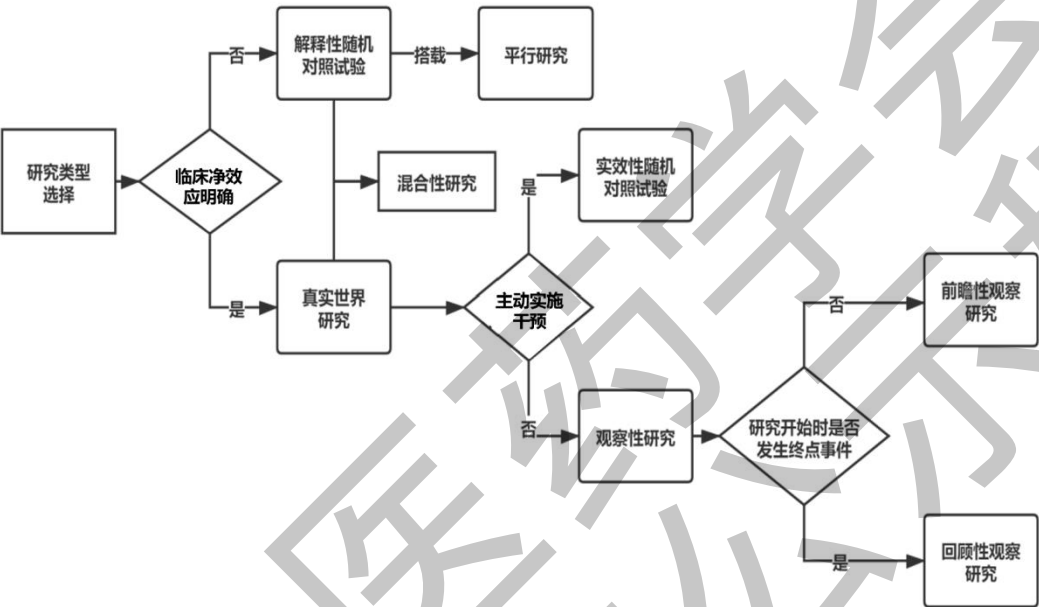


图 7-1 研究类型选择图

7.1 平行研究

平行研究是指搭载在随机对照试验中的药物经济学评价，适用于：（1）尚未确定临床疗效的中成药，以安慰剂作为对照的优效性临床试验；（2）如果该中成药具有突出的安全性或经济性，也可考虑开展非劣效试验设计。并且在随机、双盲、多中心、平行对照临床试验中，搭载经济学评价。

7.2 实效性临床试验

实效性随机对照试验同步加载经济学评价。适用于中成药已具备一定的临床试验基础，希望在更加贴近真实世界的场景中，进一步评价其效果和经济性。如扩大样本人群、纳入复杂病情或特殊人群、设立多个阳性对照组、治疗方案联合应用、药品联合应用、延长随访时间观测远期目标等情况。

7.3 前瞻性观察研究

前瞻性观察研究适用于：（1）适应症人群范围较广，功能主治以某一类中医证候为主的中成药；（2）临床中定位为协同治疗用药，使用时存在多种联合用药方式；（3）预期结局指标是慢性疾病的长期疗效，或者急性疾病转归、预后的长期随访结果；（4）研究经费、时限相对充足，希望研究结果外推性较高、能够真实反映临床的实际应用情况。

7.4 回顾性观察研究

回顾性观察研究适用于：（1）上市日久，具有基于患者个体水平且较高质量的真实世界数据（有效性、安全性、经济性）的中成药；（2）临床应用环境相对复杂，适应症类型某一类中医证候为主；（3）慢性疾病的长期观察，或者预期结局指标是急性疾病预后、二次预防等的长期随访结果；（4）需要在相对较短的研究时限内，对中成药的经济学进行评价。

7.5 混合研究

混合研究适用于，单个数据源的信息难于支撑开展经济学评价，且希望在相对较短的时间内得到经济学评价结果，同时中成药上市日久，可以从不同渠道获取有效性、安全性及经济性相关数据（系统评价、RCT、数据库、专家访谈等）。通常从临床随机对照试验或观察性研究中获取的健康产出数据，并从回顾性研究或横断面调查中收集成本数据。当没有条件自行开展一项前瞻性研究时，可选择混合研究作为替代方案。

7.6 模型研究

采用模型研究适用于：（1）可获取短期的安全性、疗效及成本数据，预推测中成药长期或全生命周期的经济性结果；（2）中成药适应症为单纯中医证候或证病结合，需要对相同证型下多种联合用药模式或对照药品（竞品）比较；（3）中成药适应症转归情况复杂，需要基于多项健康产出指标及其对应的成本综合评价经济性。

根据相关临床事件发生的情况构建模型，用于评估中成药的短期成本及健康产出，可采用简单决策树模型。适用于病程较短的急性疾病或者病情不太复杂的疾病。

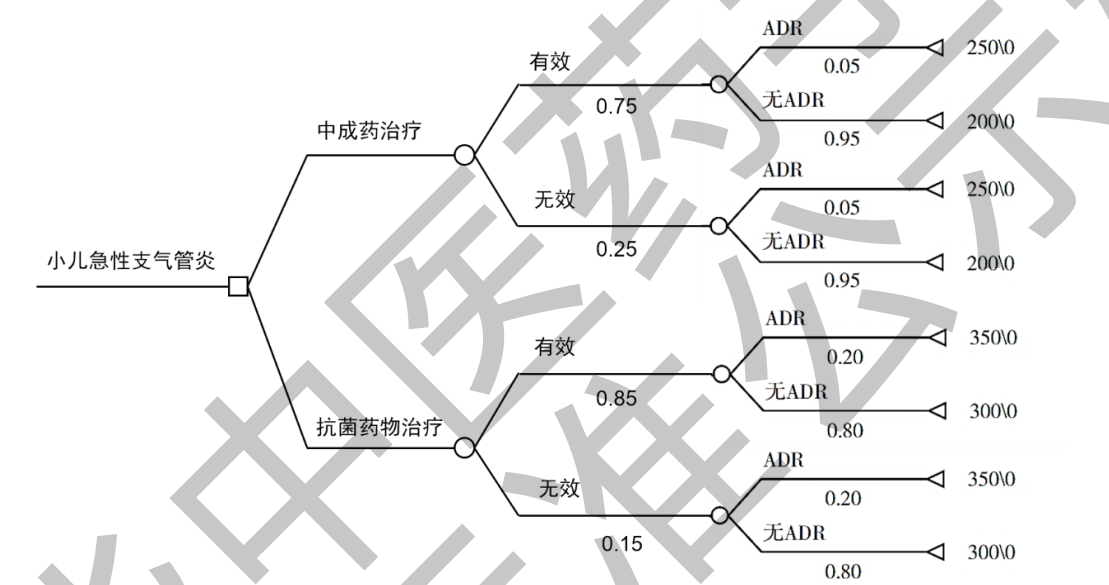


图 7-2 决策树模型示意图

若考虑时间的因素，用于模拟慢性疾病的发生、发展和治疗的过程，可采用 Markov 模型等动态模型。适合用于评价病情延续时间长、反复发作或慢性疾病。

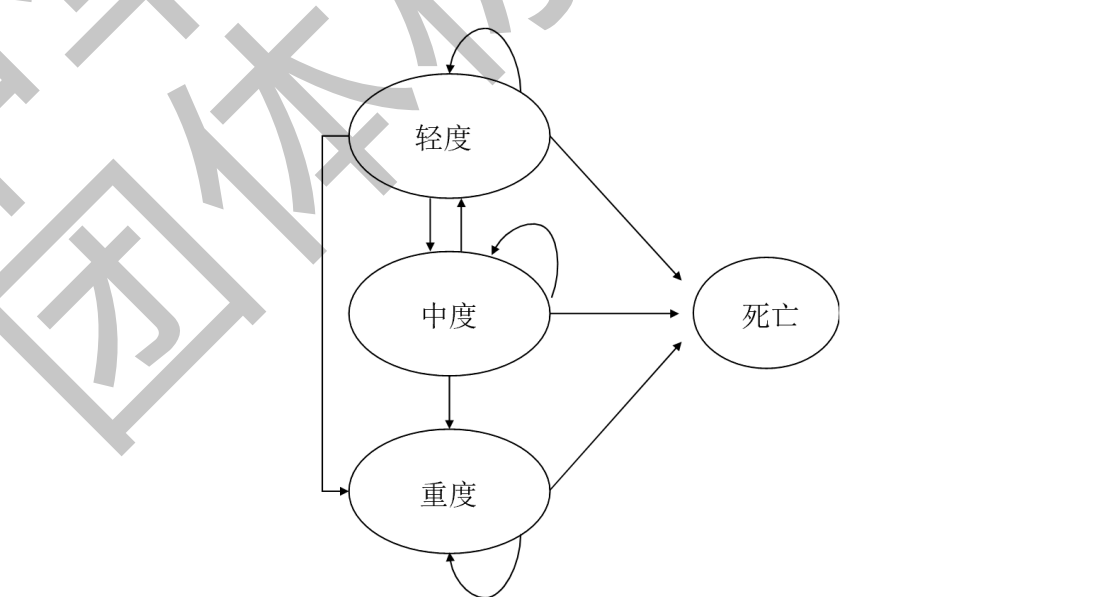


图 7-3 马尔科夫模型示意图

关于模型结构构建、模型参数来源、模型假设、模型验证、模型透明度、模型本土化及模型改变等的相关操作可参考《中国药物经济学评价指南（2020 版）》及《中成药药物经济学评价技术手册》。

8 成本识别与测量

8.1 研究角度与成本识别

全社会角度应涵盖干预措施相关所有直接医疗成本、直接非医疗成本和间接成本。卫生体系角度仅需纳入卫生系统内所有相关的直接医疗成本。医疗保障支付角度包括医保支付范围内所有的直接医疗成本。医疗机构角度需纳入该医疗机构支出的全部直接成本。患者角度需纳入患者诊疗相关直接医疗成本、直接非医疗成本和间接成本。

8.2 研究时限与成本识别

将中成药或中成药诊疗方案的整个过程作为评价对象。需收集研究时限内与评价干预措施相关的成本。若患者因接受治疗延长生命，则延长期内所有与目标疾病及评价干预措施有关的成本亦在收集范围内。

8.3 药品不良事件相关成本

预防、监测、评价及处置药品不良事件产生所消耗资源成本。以及应对严重药品不良事件后遗症所消耗的资源。

8.4 成本数据代表性

成本数据的代表性主要考虑人群和时效的代表性。成本的测量应以基于中国人群的数据为先。若缺乏基于中国人群的数据，在测量时则需要对数据进行校正，使数据本地化。测量需要采集时下最新的价格数据或预期变动的价格。

9 健康产出主要类型

中成药的疗效优势可以体现在辨证论治、缩短疾病病程、抑制慢性疾病的急性加重、延缓疾病进展、改善疾病并发症、减少疾病致残和提高患者的生活质量。

9.1 疗效/效果

疗效/效果指标可以从疾病特性和自然进程、证候表现及中成药药品特性三个层面确定。疗效指标的确定可参考已发表的相关中医药临床试验核心指标集（Core Outcome Sets, COS）。

疾病特性和自然进程：选用影像学、病理、特异性生化指标作为疗效/效果指标（如适应症为糖尿病的中成药，可以选择血糖、糖化血红蛋白等）；同时可以根据疾病的发生、发展、转归、预后特点，选用痊愈（如血管再通、功能恢复、伤口愈合等）、复发、致死、致残作为疗效/效果指标；

证候表现：可以采用中医证候积分量表或基于中医理论的生命质量量表对患者的临床症状、证候、生命质量的变化情况进行评估。

中成药药品特性：从中成药组方、配伍、剂型、制剂工艺、药理、毒理的特性，增加相应的结局指标。

9.2 效用

推荐使用质量调整寿命年作为效用指标。该指标综合考虑了生存时间和生命质量，是患者在某一疾病状态下存活的时间与时间段内健康效用值（Health utility）的乘积。

当普适性量表对目标疾病有较高的信度和效度时，应首选基于中国大陆人群的普适性

效用积分体系，EQ-5D-3L、EQ-5D-5L、SF-6D 量表均有基于中国大陆人群的效用积分体系。中成药上市后经济学评价中，为凸显中医药特色，可以加用中医生生命质量评价量表（Chinese Medicinal Quality of Life scale, CQ-11D）、中医证候评分量表等。当普适性量表难以全面反映目标人群重要疾病特征和症状时，可替换为疾病特异性效用量表。

9.3 效益

直接效益是指实行某项干预措施后所节省的卫生资源。但要避免双重测量，即防止将所改变的卫生资源同时计入成本和健康产出中。

间接效益是指实行某项干预后所增加的患者健康时间或劳动力恢复带来的收益。无形效益是指某项干预措施后减轻或避免的患者精神和心理上的痛苦，以及康复后带来的舒适和愉快等。测量间接效益和无形效益通常采用人力资本法或意愿支付法。

10 评价方法

10.1 成本-效用分析

成本-效用分析是药物经济学评价中应用最为广泛的方法。适用于研究中医“同病异治”、“异病同治”的用药模式。评价慢性非感染性疾病、功能性或退行性病变、原因不明或病因复杂等情况的长期或全生命周期的经济性。

成本-效用分析常用的健康产出指标是 QALYs。QALYs 将不同的健康改善结果统一到一个度量单位，其结果可以用于比较同一适应症下，不同药品的经济性，也可以用于评价所有适应症下，不同药物之间的经济性差异。成本-效用分析结果可通过阈值判断其经济性，中国对于 QALYs 意愿支付阈值尚无统一标准，可以采用 3 倍以下人均 GDP 作为参考阈值，并根据具体的研究角度和决策者需求适当调整。

10.2 成本-效果分析

成本-效果分析适用于比较相同临床健康产出（效果指标）的干预方案，计算中成药或中成药诊疗方案与对照药品会对照品诊疗方案的增量成果-效果比，比较两种方案每多获得一个单位的临床结果所消耗的成本。如果选择的健康产出不同，即使同一证候或功能主治的中成药经济学评价结果，也无法进行横向的比较；方案中同时采用多个健康产出指标时，成果-效果分析仅能基于单个重要健康产出，或将多个健康产出拟合为一个复合指标进行计算，无法全面、多维度地反映健康产出的整体改善。成本-效果分析结果缺乏公认的阈值判断其是否经济，研究者可根据使用情景收集患者支付意愿，制定相应的阈值。

10.3 成本-效益分析

成本-效益分析的结果可直接用于医疗卫生决策。成本-效益分析的特殊性在于具有内生的、判断方案经济性的标准： $\Delta B/\Delta C \geq 1$ ，因此，可以直接用于评价某单一中成药或中成药诊疗方案是否具有经济性。但是，由于难以将健康结果转化为货币，无法确认药品准确的效益值。因此，成本-效益分析的结果并不适用于以优化临床方案或促进合理用药为目的的经济学评价。

10.4 最小成本分析

当现有证据数量及质量显示中成药与对照药品在有效性及安全性差异均无显著性时，可以采用最小成本分析，单纯比较中成药与对照药品间的成本差异。

表 10-1 药物经济学的基本评价方法

分析方法	成本	健康产出	评价指标
成本-效用	货币	质量调整寿命年	$\Delta C/\Delta U$
成本-效果	货币	临床效果	$\Delta C/\Delta E$

成本-效益	货币	货币	$\Delta B/\Delta C$
最小成本	货币	无差异	ΔC

11 预算影响分析

测算单用或联合应用中成药纳入医疗保险补偿后，对医疗保险基金产生的影响，或者进入医院用药目录后，对诊疗费用或路径的影响时，可以采用 BIA。

预算影响分析的实施流程如图 11-1 所示，主体框架包括研究角度、目标人群、市场情景、研究时限、市场份额、成本、计算框架、不确定性和情境分析、验证等。具体操作方法可参考《中国药物经济学评价指南（2020 版）》及《中成药药物经济学评价技术手册》。

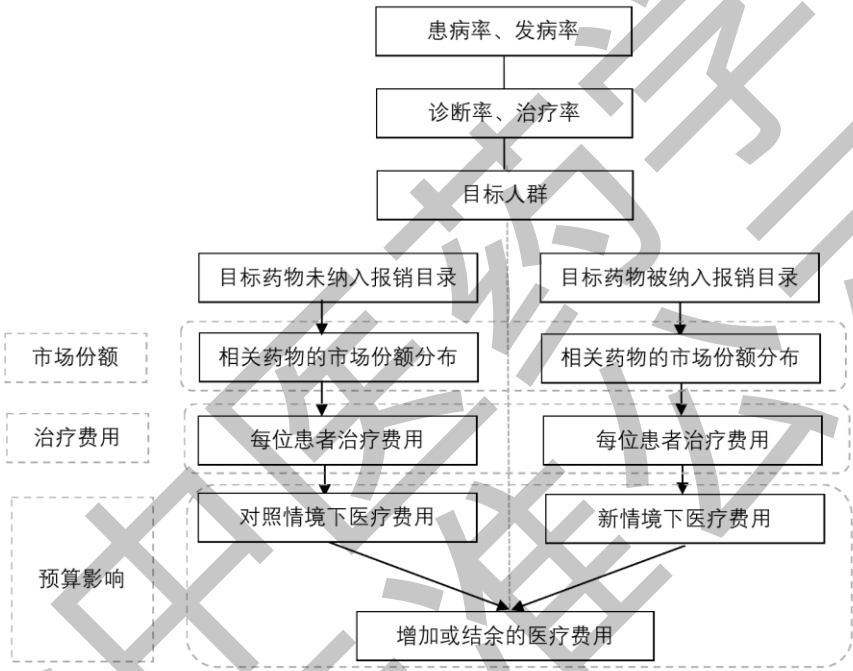


图 11-1 预算影响分析流程图

附录 A
资料性附录
经济学评价相关政策文件

A.1 《中共中央国务院关于深化医药卫生体制改革的意见》

2009 年，国家公布的《中共中央国务院关于深化医药卫生体制改革的意见》提出，医药卫生事业关系亿万人民的健康，关系千家万户的幸福，是重大民生问题。深化医药卫生体制改革，加快医药卫生事业发展，适应人民群众日益增长的医药卫生需求，不断提高人民群众健康素质，是贯彻落实科学发展观、促进经济社会全面协调可持续发展的必然要求，是维护社会公平正义、提高人民生活质量的重要举措，是全面建设小康社会和构建社会主义和谐社会的一项重大任务。改革药品价格形成机制。合理调整政府定价范围，改进定价方法，提高透明度，利用价格杠杆鼓励企业自主创新，促进国家基本药物的生产和使用。对新药和专利药品逐步实行定价前药物经济性评价制度。对仿制药品实行后上市价格从低定价制度，抑制低水平重复建设。严格控制药品流通环节差价率。对医院销售药品开展差别加价、收取药事服务费等试点，引导医院合理用药。加强医用耗材及植（介）入类医疗器械流通和使用环节价格的控制和管理。健全医药价格监测体系，规范企业自主定价行为。积极探索建立医疗保险经办机构与医疗机构、药品供应商的谈判机制，发挥医疗保障对医疗服务和药品费用的制约作用。

A.2 “健康中国 2030”发展规划”

2016 年，中共中央国务院出台“健康中国 2030”发展规划，明确提出建立更好的医学创新激励机制和以应用为导向的成果评价机制，进一步健全科研基地、生物安全、技术评估、医学研究标准与规范、医学伦理与科研诚信、知识产权等保障机制，加强科卫协同、军民融合、省部合作，有效提升基础前沿、关键共性、社会公益和战略高科技的研究水平。推进基本公共卫生服务均等化，继续实施完善国家基本公共卫生服务项目和重大公共卫生服务项目，加强疾病经济负担研究，适时调整项目经费标准，不断丰富和拓展服务内容，提高服务质量，使城乡居民享有均等化的基本公共卫生服务，做好流动人口基本公共卫生计生服务均等化工作。

A.3 《“十三五”深化医药卫生体制改革规划》

《“十三五”深化医药卫生体制改革规划》完善药品和高值医用耗材集中采购制度，完善药品价格谈判机制，建立统分结合、协调联动的国家、省两级药品价格谈判制度。对部分专利药品、独家生产药品进行公开透明、多方参与的价格谈判，逐步增加国家谈判药品品种数量，并做好医保等政策衔接。将加快药品注册审批流程、专利申请、药物经济学评价等作为药品价格谈判的重要内容。对实行备案采购的重点药品，明确采购数量、开具处方的医生，由医疗机构负责人审批后向药品采购部门备案。加强国家药品供应保障综合管理信息平台 and 省级药品集中采购平台规范化建设，提高药品集中采购平台服务和监管能力，健全采购信息采集共享机制。巩固完善基本药物制度。巩固政府办基层医疗卫生机构和村卫生室实施基本药物制度成果，推动基本药物在目录、标识、价格、配送、配备使用等方面实行统一政策。加强儿童、老年人、慢性病人、结核病人、严重精神障碍患者和重度残疾人等特殊人群基本用药保障。探索在基本药物遴选调整中纳入循证医学和药物经济学评价方法。在国家基本药物目录中坚持中西药并重。完善基本药物优先和合理使用制度，坚持基本药物主导地位。完善基本药物供应体系。

A.4 《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》

2019 年，药物政策与基本药物制度司发布的《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》，提出了科学开展药品临床综合评价。实施药品临床综合评价的机构要根据实际需要，充分运用卫生技术评估方法及药品常规监测工具，融合循证医学、流行病学、临床医学、临床药学、循证药学、药物经济学、卫生技术评估等知识体系，综合利用药品上市准入、大规模多中心临床试验结果、不良反应监测、医疗卫生机构药品使用监测、药品临床实践“真实世界”数据以及国内外文献等资料，围绕药品的安全性、有效性、经济性、创新性、适宜性、可及性等进行定性、定量数据整合分析。省级卫生健康行政部门要每年对辖区开展临床综合评价情况进行一次汇总分析，及时掌握辖区内医疗机构和相关技术机构综合评价工作推进和落实情况。在实践中不断积累完善基础数据，加强证据质量分级研究，建立健全药品技术评价与药物政策评估指标体系和多维分析模型，促进评价工作的科学化和规范化。

A.5 《关于建立健全职工基本医疗保险门诊共济保障机制的指导意见》

2021 年的《关于建立健全职工基本医疗保险门诊共济保障机制的指导意见》指出，为进一步健全互助共济、责任共担的职工基本医疗保险（以下简称职工医保）制度，更好解决职工医保参保人员门诊保障问题，切实减轻其医疗费用负担，按照党中央、国务院关于深化医疗保障制度改革任务部署，对基层医疗服务可按人头付费，积极探索将按人头付费与慢性病管理相结合；对日间手术及符合条件的门诊特殊病种，推行按病种或按疾病诊断相关分组付费；对不宜打包付费的门诊费用，可按项目付费。科学合理确定医保药品支付标准，引导医疗机构和患者主动使用疗效确切、价格合理的药品。《关于健全重特大疾病医疗保险和救助制度的意见》也明确了做好重特大疾病医疗保障，是进一步减轻困难群众和大病患者医疗费用负担、防范因病致贫返贫、筑牢民生保障底线的重要举措。聚焦减轻困难群众重特大疾病医疗费用负担，建立健全防范和化解因病致贫返贫长效机制，强化基本医保、大病保险、医疗救助（以下统称三重制度）综合保障，实事求是确定困难群众医疗保障待遇标准，确保困难群众基本医疗有保障，不因罹患重特大疾病影响基本生活，同时避免过度保障。促进三重制度综合保障与慈善救助、商业健康保险等协同发展、有效衔接，构建政府主导、多方参与的多层次医疗保障体系。

按照《中共中央国务院关于深化医疗保障制度改革的意见》提出的“建立管用高效的医保支付机制”的要求，总结推广 2019-2021 年 DRG/DIP 付费国家试点的有效做法，推动医保高质量发展，促进供给侧结构性改革，维护参保人权益，国家医疗保障局制定了《DRG/DIP 支付方式改革三年行动计划》。通过 DRG/DIP 付费改革，建立医保对医疗机构管用高效的支付管理和激励约束机制，是支付方式改革的出发点和落脚点，也是支付方式改革的应有之义。各地在推进改革过程中，应牢牢抓住机制建设这个核心，利用三年左右的时间，突出建立和完善四个机制，不断推进医保支付方式改革内涵式、精细化发展。到 2025 年底，DRG/DIP 支付方式覆盖所有符合条件的开展住院服务的医疗机构，基本实现病种、医保基金全覆盖。完善工作机制，加强基础建设，协同推进医疗机构配套改革，全面完成以 DRG/DIP 为重点的支付方式改革任务，全面建立全国统一、上下联动、内外协同、标准规范、管用高效的医保支付新机制。

参考文献

- [1]Wang SV, Schneeweiss S, Berger ML, et al. Reporting to Improve Reproducibility and Facilitate Validity Assessment for Healthcare Database Studies V1.0[J]. Value in Health. 2017;20(8):1009-1022.
- [2]Guidelines for the economic evaluation of health technologies: Canada[R]. 3rd Edition. Ottawa: Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health, 2006.
- [3]刘国恩.中国药物经济学评价指南及导读(2015版)[M]. 北京: 科学出版社, 2015.
- [4]Edlin R, McCabe C, Hulme C, et al. Cost Effectiveness Modelling for Health Technology Assessment[J]. Springer International Publishing, 2015, 10.1007/978-3-319-15744-3.
- [5]Garrison LP, Neumann PJ, Willke RJ, et al. A Health Economics Approach to US Value Assessment Frameworks—Summary and Recommendations of the ISPOR Special Task Force Report[J]. Value in Health. 2018;21(2):161-165.
- [6]胡善联.药物经济学评价指南[M].上海: 复旦大学出版社, 2017
- [7]吴久鸿.药物经济学[M].北京:高等教育出版社,2017.
- [8]Manuel, Gomes,Richard, et al. Statistical Methods for Cost-Effectiveness Analyses That Use Data from Cluster Randomized Trials[J]. Medical Decision Making, 2011:209-220.
- [9]Fricke FU. Health technology assessment: a Perspective from Germany[J].Value in Health, 2009, 12(2)s20-s27.
- [10]Sullivan SD. Health technology assessment in health-care decisions in the United states[J]. Value in Health, 2009,12(2):39-44.
- [11]胡善联.药物经济学概述[J].卫生经济研究, 1998, 16(11):42-45.
- [12]叶露,胡善联.药品价格及其管理政策的英国经验启示[J].中国药房, 2005.16(9):675-677.
- [13]龚向光,胡善联,龚向光等.澳大利亚经验对我国药品价格管制的启示[J].中国卫生经济, 2002, 21(11):47-50.
- [14]刘国恩,胡善联,吴久鸿.中国药物经济学评价指南(20011版)[J].中国药物经济学, 2011.5(3):8-11.
- [15]马爱霞,曾靓.各国药物经济学评价指南及对我国的启示[J].上海医药, 2006, 27(6):245-248.
- [16]Drummond MF, Sculpher MJ, Torrance GW, et al. Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes[M]. 3rd ed. Oxford: Oxford University Press, 2005.
- [17]Weinstein MC, O'Brien B, Hornberger J, et al. Principles of Good Practice for Decision Analytic Modeling in Health-Care Evaluation: Report of the ISPOR Task Force on Good Research Practices-Modeling Studies[J]. Value In Health, 2003, 6(1):9-17.
- [18]Husereau D, Drummond M, Petrou S, et al. Consolidated health economic evaluation reporting standards (CHEERS)—explanation and elaboration: a report of the ISPOR Health Economic Evaluations Publication Guidelines Good Reporting Practices Task Force[J]. Value Health. 2013;16(2):231-250.
- [19]万崇华,李晓梅,杨静,等.慢性病患者生命质量测评与应用[M].北京:科学出版社, 2015.
- [20]国家药典委员会.中华人民共和国药典临床用药须知:中药成方制剂卷[M].北京: 中国医药科技出版社, 2011.
- [21]Wild D, Grove A, Martin M, et al. Principles of Good Practice for the Translation and Cultural Adaptation Process for Patient-Reported Outcomes (PRO) Measures: report of the ISPOR Task Force for Translation and Cultural Adaptation[J]. Value Health,2010, 8(2):94-104.
- [22]王英,王小艺,冯晓远,等.中医生命质量量表研究现状[J].中华中医药杂志, 2017, 32(7): 3270-3272.

- [23]Coulter ID, Herman PM, Nataraj S, et al. Economic analysis of complementary, alternative, and integrative medicine: considerations raised by an expert panel[J]. BMC Complement Altern Med, 2013, 13: 191.
- [24]Turk DC, Burke DLB, Gershon R, et al. Developing patient-reported outcome measures for pain clinical trials: IMMPACT recommendations[J]. Pain,2006, 125 (3) : 208-215.
- [25]Rothman M, Burke L, Erickson P, et al. Use of existing patient-reported outcome (PRO) instruments and their modification: the ISPOR Good Research Practices for Evaluating and Documenting Content Validity for the Use of Existing Instruments and Their Modification PRO Task Force Report[J]. Value Health, 2009, 12(8):1075-1083.
- [26]李洪超,管欣,田磊,等.疏风解毒胶囊和磷酸奥司他韦胶囊治疗成人流感样症状的药物经济学评价[J].中国新药杂志. 2017, 26(1):14-21.
- [27]祁方家, 卢建龙, 冯莎, 等.药物经济学评价中常见的成本及其测算方法 [J] . 上海医药,2015,36(1):7-9.
- [28]袁强,王莉,成岚,等.国家基本药物目录(2004 年版)33 种中药注射剂不良反应/不良事件文献分析[J].中国循证医学杂志, 2010, 10(2):132-139.
- [29]孙世光,李子峰,谢雁鸣, 等.中药注射剂临床使用合理性与安全性再评价方法学探讨[J].中国中药杂志, 2013, 38(18):2969-2973.
- [30]杨莉,胡善联.药物经济学评价中的成本界定及存在的争议[J].中国药房, 2003, 14(11):670-672.
- [31]孙利华,王长之.药物经济学在中药评价中的应用现状及展望[J].中国药师, 2015 (6): 958-960.
- [32]Sun X, Guo L, Shang H, et al. The cost-effectiveness analysis of JinQi Jiangtang tablets for the treatment on prediabetes: a randomized, double-blind, placebo-controlled,multicenter design[J]. Trials, 2015, 16: 496.
- [33]官海静,韩晟,王雅楠,等.肾炎康复片联合西医常规治疗糖尿病肾病的药物经济学研究[J].中国新药杂志, 2017, 26(20):122-127.