

药物价值证据助力实现价值导向的医保战略性购买

●马爱霞

过去,我国医保目录调整周期长,导致新药进入目录往往需要等待数年。自2017年起,医保目录调整趋于常态化,医保谈判加速推进,更多新药被及时纳入医保目录。

经过2017年—2024年的八次医保目录准入谈判,600多个目录外药物成功被纳入。这些药物中有相当大比例是当年上市的创新药物,有力促进了创新药物的发展。

通过国家医保部门的持续努力,医保目录谈判流程与规则不断优化,透明度逐步提高,最近几年谈判成功率均维持在80%左右。这些创新药既填补了临床空白,提高患者用药可及性并改善其健康获益,又兼顾了医保基金的支付能力。在国家药品目录调整背后,发挥关键作用的药物价值证据,也逐渐走入了公众的视野。

多维度关键科学证据共同作用

药物价值证据是指在“价值医疗”的概念框架下,用来评估一个药物干预方案价值高低的各个维度的科学证据。

基于该概念框架,要评估一个创新药物干预方案的价值,需要对药物的安全性、有效性和资源消耗多维度数据进行科学分析,形成关于该干预方案经济效率的系统性评估结论。在此基础上,基于价值定价的理论成为了创新药物价格形成的核心机制之一,该机制在很多国家和卫生体系中成为了药品医保准入、定价及合理使用的关键科学依据。

在实践中,基于价值医疗的基本概念框架,不同研究组织在不同疾病领域构建多种药物价值评估框架。其中,最具有通用性且目前应用最广的就是药物经济学的分析框架,即通过创新药物方案与传统药物方案干预下患者健康获益和成本之间的比较,判断创新药物的价值。

最常用的评价方法就是成本效用分析,该方法以患者生存时间和生存质量获益为基础构建的生存质量调整年(QALY)作为健康产出衡量指标。而药物经济学评价的方法

和过程又是相当复杂的,研究者通常需要根据疾病及干预方案的具体特点构建模型,将有关药物安全性、有效性、患者健康相关生存质量、药物及其他资源的单价和消耗量等多方面的参数在系统检索和质量评估的前提下纳入模型分析。这些关键参数又有多种不同来源,包括随机对照试验(RCT)、真实世界研究(RWS)以及专家意见访谈等。不同类型、不同来源和不同性质的数据的收集和分析,必然用到各种不同的理论和技术方法。

激发医药卫生领域革新

2017年,国家医保部门首次开展的医保药品目录准入谈判已经开始关注基于价值定价的理念,但是药物经济学证据还没有得到系统的应用。随着医保准入政策的逐步成熟,药物经济学证据被系统应用于创新药物医保谈判测算中,明显提高了对创新药物价值判断的科学性。

政策应用反过来促进了药物经济学研究领域的蓬勃发展。一方面,国内药物经济学研究团队的能力快速进步,基本与国际水平接轨;另一方面,政策规则的变化,也逐渐催生了基于药物价值证据的医药企业科学决策。越来越多的创新医药企业,开始自觉应用药物经济学证据或方法框架来指导新药研发决策、定价与准入策略制定等,避免了一些低效率或高风险研发项目的开展,提高了决策的成功率。

除了国家医保部门和制药企业中的应用,近年来药物价值证据也在医疗机构得到了越来越广泛的应用。2019年,国家卫生健康委员会药政司启动了药品临床综合评价工作,各地医疗机构相继开展药品临床综合评价的试点工作,并逐步在医院药物准入、药物临床管理等方面应用临床综合评价结果。

药品临床综合评价本身也是药物价值证据形成的一种形式,主要评估药物在疾病治疗过程中的安全性、有效性、经济性、创新性、适宜性和可



马爱霞

及性等。药品临床综合评价所产生的证据将有利于提高医疗机构药物管理相关政策的科学性,目前仍在积极探索中。

那么,我国药物价值证据发展情况如何?首先,在学科建设方面,药物经济学研究逐步体系化。国内已经有多所高校在药物经济学学科建设和人才培养上付出了长期的努力。其中,中国药科大学是国内最早将药物经济学纳入学科体系的“双一流”院校之一,设立了独立的药物经济学硕士/博士点。其致力于药物经济学领域专业人才的培养与药物经济学研究方法的优化。在此基础上,学校也承担了相关决策部门决策咨询智库的角色,为创新药物的医保准入和药品临床综合评价等工作提供了专家力量。

其次,在医保支付方式改革的背景下,医疗机构急需兼具临床与经济学知识的复合型人才,促进医疗机构的医保管理优化,并推动创新药在控费框架下的合理使用。目前,北京协和医院等已试点设立涵盖药物经济学评估的相关岗位,并初具成效。

最后,成立研究共同体为推动政策转化与落地。今年中国人体健康科技促进会拟成立药物政策研究工作委员会,以期通过系统引入药物经济学评价方法,着力推动医保支付标准制定、创新药价值评估等关键领域政策设计的科学化与精细化。

应用场景有待继续深挖

当前,我国药物价值证据的应用仍

处于起步阶段,但潜力巨大。那么,我们将在哪些应用场景继续挖掘其最大价值?

第一,医药投资研发决策优化。随着价值医疗理念和证据越来越多融入医疗和医保政策,亟须引导医药企业在创新药研发等相关投资策略中系统应用价值医疗证据,从而平衡企业回报与医保支付压力。随着药物经济学进一步发展,有必要建立标准化价值评估体系,推动药品市场从“价格竞争”转向“价值竞争”,促进医药产业高质量发展。

第二,辅助现代医院科学管理。药物价值证据可辅助优化医院药品管理全流程。在采购环节,结合药物经济学评价和预算影响分析,医院可优先采购性价比高的品种,避免低效药品挤占医疗资源;在药品遴选方面,基于真实世界证据(RWE)评估药品的临床实际疗效和安全性,可以辅助药事会制定更为科学的用药目录,减少主观决策偏差;在医保管理中,通过分析药品价值证据,医院可配合医保部门优化报销政策,对高值创新药设定阶梯支付标准或疗效挂钩付费机制。

第三,辅助完善多层次医疗保障体系。传统医保的单一支付方式难以覆盖创新药全周期治疗。根据药物价值证据结合疾病风险预测模型,可设计差异化商保目录,并参考国际“按疗效付费”模式设置分段支付条款。同时,通过整合慢性病患者的全生命周期治疗成本数据,拓展“捆绑支付”商业保险产品,将预防、治疗与康复费用打包承保,既降低患者自付压力,又提升医疗资源整体配置效率。

药物经济学需深度嵌入国家药品治理体系,以价值为导向重构医保支付机制。当前亟须完善RWE平台,支撑药品全生命周期追踪;通过风险共担协议引导药企聚焦临床需求。唯有将经济学证据转化为多层次资源配置政策,方能实现以国家价值为导向的医保战略性购买,为“健康中国”注入可持续发展动能。

(作者系中国药科大学教授)