

药物经济学高质量发展要有协同机制

● 刘国恩



刘国恩

药物经济学作为融合药学、经济学、统计学等多学科的交叉学科,自20世纪90年代引入国内以来,已成为支持医疗卫生资源优化配置的核心工具。

当前,随着生物医药产业革新和“健康中国2030”战略不断推进,药物经济学也面临从“国际方法引进”向“中国发展创新”的转型升级,人才培养与科学规范的实践至关重要。

药物经济学的高质量发展离不开梯队化、层次化的人才培养体系。

2023年11月,教育部批准设立

“药物经济学与管理”本科专业,为药物经济学实现本硕博贯通式培养提供了体系保障。目前,全国已有多所高校开设该本科专业,并构建“金字塔型”培养链条。

构建梯队化人才培养体系,需要在本科阶段夯实专业基础,搭建好知识框架;在硕博阶段则聚焦药物经济学前沿理论研究与高端实践创新,在药品价值评估、医药政策评估、医疗大数据分析等细分领域培养高精尖专业人才。

培养人才梯队可以有效填补药物经济学领域从基础岗位到高端研发岗位的各层次需求缺口,同时凭借学历层次间的有机衔接,形成可持续的人才储备机制,为药物经济学领域的长远发展提供坚实的人才支撑。

作为交叉学科,药物经济学需进一步发挥跨学科整合优势。

当前,生物医药产业的高速发展为药物经济学应用带来诸多方法学挑

战,如细胞基因疗法等高值创新疗法的价值评估缺乏标准框架,抗肿瘤药单臂试验无法提供证据等级效果的相对疗效证据,复杂卫生政策实施效果的因果推断存在技术瓶颈等,这些问题仅依靠单一学科知识难以解决。

为此,我们亟须构建“多学科协同创新”的发展路径,通过深化与生物统计、经济学、流行病学及计算机科学等领域的交叉合作,将机器学习、大数据分析等人工智能技术融入药物经济学评价体系,优化传统研究方法。

为了深化多学科交叉融合,我们要积极追踪国际前沿理论动态,结合中国医疗体系实际,探索本土化解决方案,形成具有自主知识产权的方法学体系。

药物经济学与国家医疗卫生实践紧密交织、协同发展。药物经济学紧扣决策中的实际场景,依靠价值评估框架等核心理论,为中国医疗卫生事业提供科学的决策依据。然而实践场景

才是药物经济学理论创新的“试金石”与“孵化器”。

高值药品价值评估、药品临床综合评价、医保支付方式改革等,持续倒逼药物经济学方法论革新。这种理论与实践的双向反哺,既让药物经济学对医保药品目录调整、医保支付标准制定等决策的支撑精度显著提升,也形成了不断促进方法学创新的澎湃生命力。

药物经济学的发展依托“人才筑基—创新赋能—实践检验”的协同机制。梯度化人才培养体系为学科夯实根基,多学科交叉融合驱动方法创新,理论与实践的双向互动校准发展方向,三者共同支撑医疗卫生资源优化配置,助力“健康中国2030”战略实施,并为全球药物经济学学科发展贡献更多中国智慧。

(作者系北京大学全球健康发展研究院院长、中国药学会药物经济学专业委员会名誉主任委员)

创新药综合价值评估有三个关键点

● 吴晶



吴晶

目前,我国创新药价值评估实践工作已经取得一定成绩,但仍存在疗效证据等级不足、缺乏中国人群基础数据、缺乏对创新价值元素定量考量等挑战。有效性、经济性、公平性是未来提升我国创新药综合价值评估的三大关键着力点。

在创新药加速审评审批的背景下,许多药品通过与安慰剂或传统标准治疗的对照试验验证疗效,一些癌症药品、罕见病药品等仅以单臂试验证据获批上市,为相对疗效评估(价值评估)带来挑战。

直接比较不同临床试验间的药品

疗效,很容易忽略不同试验中患者特征的差异,可能引发严重的疗效评估偏倚。

近年来,间接比较方法学蓬勃发展,为突破这一困境提供了路径。匹配调整间接比较(MAIC)、模拟治疗比较(STC)等技术,通过引入个体患者数据(IPD)平衡人群异质性,提升间接证据可信度,为打破这一证据壁垒提供了路径,但也面临模型假设强、数据共享难等挑战。未来,在疗效间接比较中,我们需建立标准化的研究设计与结果报告机制,推动研究科学透明化,以精准反映创新药的临床价值。

药物经济学评价通过量化健康收益与成本,评估创新药的“性价比”,是经济性评估的核心工具。当前我国开展高质量药物经济学研究的核心挑战在于,缺乏符合中国诊疗实践的医疗资源使用数据,以及反映中国人群健康偏好的健康相关生命质量数据,影响“中国价值”的准确呈现。临床试验

阶段加载药物经济学评价,正成为破解这一难题的关键抓手。

2024年10月,中国药学会药物经济学专业委员会发布《临床试验中加载药物经济学研究专家共识》,明确建议在临床试验中同步设计并收集成本、健康相关生命质量等核心参数,并提出涵盖研究设计、数据收集与管理、数据分析、结果报告的全流程推荐意见。

该共识的发布标志着我国创新药评估体系由“上市后价值评估”向“全周期过程嵌入”转型,为前瞻性评估药物全生命周期价值、提升医保决策科学性提供了更具时效性的证据链。

公平性是一个重要的价值评估维度。当前国家医保药品目录谈判中对罕见病治疗药品、纳入鼓励仿制药品目录或鼓励研发申报儿童药品清单等药品取消近五年内上市或新增适应证的申报条件,在测算药品价格时对罕见病药品考虑更高的意愿支付阈值,均体现了对公平性的考量。然而,传统

价值评估中对公平性的考量多为定性考量,缺乏系统、定量考量。近年来,国内外学者积极开发公平加权法(EBW)、分布式成本-效果分析(DCEA)等引入公平信息的经济学评价方法,不仅考量健康产出的最大化,还考量总健康产出在富人与穷人、常见病与罕见病群体、儿童与老人等不同群体之间的分配情况,旨在平衡“效率优先”与“公平可及”,已成为未来创新药综合价值评估的重要研究方向。

多维价值评估正推动创新医药评估范式从“核心维度评估”迈向“系统价值评估”。唯有在临床有效性上破除“证据壁垒”,在经济性上夯实本土数据支撑,在公平性上实现定量权衡,方能构建具有中国特色的价值评估体系,助力创新药实现科学准入与持续保障的双重目标。

(作者系天津大学医学部药物科学与技术学院教授、中国药学会药物经济学专业委员会主任委员)