

医药创新全链条须有药物经济性评价

● 孙利华



孙利华

药品是维护人类繁衍、改善人类生命健康水平、实现救死扶伤和治病救人的重要物质基础。疾病谱的改变及临床未满足的需求等,客观上需要永续不断地进行医药创新,这样才能与时俱进地实现上述预期。因此,医药创新备受多国重视,我们国家提出全链条支持医药创新更加证明了这点。

但医药创新面临的问题与突出卡点及其对成功创新的影响程度并不相同,因此在重视全链条支持创新

的基础上,注重上述关键问题和关键卡点更为重要。发现问题是解决问题的切入点和突破口,找准问题并深究其原因,对因施治方能从根本上解决问题。

我国目前阻碍医药创新的最大堵点可能在于,未获医保准入的创新药,没有进医院以及被医患自由选择和使用的均等机会。这从根本上阻碍了企业实现自主定价,导致创新药通常选择及早进行医保谈判,而不得不接受比预期低得多的价格,使得新药研发“三高—长”的客观要求——高回报难以实现。由此可能会降低医药创新的动力,影响其良性发展。

截至目前,无论企业还是相关管理部门,都高度聚焦于创新药如何实现医保准入并能拥有更高价格,也即高价格医保准入。

一方面,这可能是不现实的,毕竟

我国的基本医保重在保基本,虽“基本”的水准与时俱进,但也不可能将有限的医保基金转变为创新药激励基金。庞大的参保人员的基本医疗需求,对于医保基金长久、可持续支付的基石级要求不容撼动和疏忽,否则后果难以想象。同时,医保的价值购买预期会遭遇挑战。此外,决策的科学性也可能受到不应有的行政、舆情等的干扰。

另一方面,这个导向尚不能真正支持和激励医药创新。党的十八大早已明确指出,把能交还市场的交还市场,且于2015年就已经取消国家发展改革委员会对药品统一定价(少数特殊药品除外),实施企业自主定价。目前产生不进医保就难进医院的现象,主要原因可能是相关政策不协同。

全链条中,不同环节对创新药的内涵和衡量标准不同,进而对同一创新药所给出的价值判定结果也不同,

甚至存在很大差异。加之创新药的安全性、有效性证据欠充分等原因,以及即使谈判降价,其费用依然令较低收入人群难以承受等原因,医生和患者并不一定都愿意尝试使用。

因此,基于三医协同视角,科学合理地判定创新药,并从审批上市的源头把好关,同时探求医保支付方式改革,可能是比关注价格本身更为有效的路径。而这也正是国务院赋予国家医保局的主要任务之一,只是在医保局的实践中一直更注重谈判药品的价格而非医保支付方式改革。

只有实行医保支付方式改革,才能低成本、高效率地实现多层次医疗保障,使医保基金可控、创新药更好发展、临床多样化需求得到更好满足。

(作者系沈阳药科大学工商管理学院教授、中国药学会药物经济学专业委员会副主任委员)

从证据生成到决策支持的跨越

● 蒋杰



蒋杰

药物经济学作为优化医疗资源配置的核心工具,近年来在我国医保战略购买与医院精细化管理中发挥了不可替代的作用。

然而,传统药物经济学方法正面临严峻挑战。其一,随机对照试验(RCT)的局限性难以满足全生命周期评价需求,其高成本、严格入排标准导致结果外推性不足,尤其对罕见病药和肿瘤创新疗法的长期经济性评估存在盲区。其二,数据整合与混杂控制能力薄弱,传统回归模型难以处理真实

世界数据(RWD)中的高维混杂变量。其三,静态模型滞后于动态决策,医保支付改革(如DRG)和疾病谱变化要求实时动态预测,而传统马尔可夫模型更新周期长、参数僵化。

前沿研究的共识聚焦于人工智能(AI)与因果推断方法的融合,正重塑药物经济学研究范式。

在数据整合层面,深度学习技术突破传统结构化数据限制。自然语言处理(NLP)可提取电子病历中的非结构化文本(如医生病程记录、患者主诉),构建疗效-成本关联网络。

在因果推断层面,强化学习(RL)与目标试验模拟(TTE)破解混杂偏倚难题。TTE方法将观察性数据转化为“拟随机试验”,通过精准定义治疗组/对照组准入时点、加权调整时间依赖性混杂变量,使回顾性数据逼近RCT证据等级。

如“中国急性缺血性脑卒中患者健康结局”研究采用TTE方法,证明

新型溶栓药虽单价高,但因减少康复护理成本,其5年总费用低于传统方案;概率加权与高维倾向得分匹配(PSM)提升异质人群比较的可靠性。

前沿方法的应用使真实世界证据(RWE)逐步成为医保全链条决策的支柱。

医保准入与动态调整:RWE支持创新药“先准入后补充”的快速通道。例如某CAR-T疗法通过RWE模拟预算影响,设计“分期付款+疗效对赌”协议,患者缓解率达标后医保支付尾款,企业自担疗效风险。

医院用药管理智能化:基于强化学习的DRG成本控制系统在多家三甲医院试点,动态推荐最优治疗方案。

患者报告结局(PRO)的价值量化:保险公司视角研究证实,将PRO纳入医保报销标准可改善长期健康产出。

尽管技术突破显著,药物经济学仍需应对深层次挑战。

数据治理标准化滞后:目前OMOP通用数据模型仅覆盖37%的医疗机构,真实世界研究亟须建立本土化数据治理框架(如临床术语映射、缺失数据插补规则)。算法透明性与伦理风险:AI模型的“黑箱”特性可能导致决策偏差,需建立算法审计机制,例如公开强化学习模型的奖励函数设计逻辑,避免将成本控制权重过度放大而损害疗效。跨学科协作机制缺位:医保部门、医院信息科、数据科学家存在“语言鸿沟”。

药物经济学的未来在于真实世界数据、人工智能、患者价值主张的三元融合。让每一份证据都服务于患者获益,让每一次创新都导向价值医疗——这正是药物经济学赋能健康中国终级使命。

(作者系暨南大学药学院教授、中国药学会药物经济学专业委员会副主任委员)