

“融合”与“加载”应贯穿新药研发全生命周期

● 吴斌



吴斌

近年来,药物经济学被推向台前,传统上市后回顾性卫生技术评估(HTA)的“串联”模式,已难以适应“时间窗口”急剧缩短的现状。我们亟须探索如何将经济学评价深度融入新药研发全生命周期。

当下,我们正处于范式转换的关键节点,从被动的“临床试验加载经济学评价”迈向主动的“以价值为导向的研发与评估一体化融合”。

“加载”体现出经济学评价的被动性与附加性,而“融合”则强调二

者在药物研发早期就紧密结合,共同致力于实现“患者可及”与“价值实现”。这一转变与国际兴起的“早期卫生技术评估”(eHTA)理念相符。eHTA通过早期、迭代评估,识别创新方向,优化研发路径,提升创新生态系统效率。这要求药物经济学专家拓展价值评估思维,贯穿新药研发全程。

实现深度“融合”面临两大核心挑战:“证据协同”的鸿沟与“评估工具”的精度问题。

其一,跨越“证据协同”的鸿沟,需以终为始重塑试验设计。

临床试验为“注册上市”和“医保准入”服务的双重目标,导致证据需求存在差异。药监部门认可的以安慰剂为对照、替代终点为基础的“有效性”证明,与医保决策关注的“头对头”比较、“硬终点”和生命质量改善要求不同,这种“证据差”是创新药准

入难的原因之一。

因此,在临床试验设计阶段,应前瞻性嵌入医保决策的价值要素,研发团队与卫生经济学家需紧密协作。在关键性Ⅲ期临床中,设立更具现实意义的对照组,将总生存期(OS)或高质量的生命质量(HRQoL)指标作为主要或关键次要终点,并预设亚组分析,为药物价值定价和创新支付提供依据。澳大利亚药品注册与医保准入的并行审评程序,为我们提供了协同机制的借鉴。

其二,打磨“评估工具”的精度,才能洞见真实价值。

当HRQoL成为衡量价值的核心标尺,对其测量工具的应用需与时俱进。EQ-5D量表虽为全球应用广泛的效用测量“金标准”,但存在局限性。在某些疾病领域,标准版EQ-5D反应性和敏感性不足,国际前沿探索的“附加维度”提供了新思路,通过增加

特定维度,可提升量表捕捉健康问题的能力,且已被国际HTA机构采纳。此外,调整EQ-5D的回忆期,能更准确反映患者真实健康体验。

同时,数据收集过程中的细节,如患者自评或他人代答、访谈员培训、量表位置等,都会影响效用值,因此保证数据源头高质量至关重要。

临床试验与卫生技术评估的融合是一场理念和实践革命。药物经济学专家需从“计算者”转变为“价值架构师”。未来,应在体系层面建立高效协同的审评与准入机制,在方法层面追求评估工具的精细化与科学性,在实践层面将eHTA理念融入研发决策。通过努力,将HTA从临床试验的“乘客”转变为“领航员”,为医保基金管理提供坚实证据,助力中国医药创新行稳致远。

(作者系上海交通大学医学院附属胸科医院药剂科主任、中国药学会药物经济学专业委员会副主任委员)

药物经济学为医疗服务贡献药学智慧

● 刘茂柏



刘茂柏

作为医院合理用药管理的核心部门,医院药学部始终以药物经济学与循证药学为核心方法论,构建起贯穿药品全生命周期的合理用药管理体系。

笔者结合团队多年来的实践经验,谈谈循证药学与药物经济学如何促进医院药学发展的个人感悟。

首先,基于药物经济学与循证药学,实现临床治疗决策的系统性优化。

针对恶性肿瘤、慢性疾病等复杂治疗领域,团队通过全病程成本-收益模型的构建,为临床治疗方案选择

提供了客观量化的决策依据,特别是在高值抗肿瘤药物评估中,构建了医院视角下的药品价值评估框架,从多维度构建量化模型,为医院药品准入和临床精准用药提供科学支撑。

这种基于证据的价值医疗理念,既保障了治疗效果的最优化,也为医院药品目录的动态调整提供了科学依据。

其次,将科学决策延伸至管理实践,以药学版临床路径建设作为三医协同的重要突破口。

团队将药物经济学评价嵌入临床路径设计,对慢病、肿瘤及感染性疾病等多个病种的用药方案进行细化,建立起“路径优化-成本控制-标准迭代”的闭环管理体系,使医疗行为的规范性与经济性的实现有机统一。

再次,随着药学服务转型和医院药学高质量发展的不断完善,药学服务的价值创造功能日益凸显。

团队将药物经济学评价体系引入药学服务价值评估,通过成本-效果

分析,系统化药师提供的住院药费监护、药学门诊、治疗药物监测和药物代谢基因检测等项目的临床价值与经济贡献,为药学服务项目定价、医保补偿机制设计提供了关键证据支撑,推动福建省在全国率先将药学服务纳入医保收费目录。

这种“价值显化-服务定价-政策落地”的评估转化路径,不仅加速了药学部门从成本中心向价值产出的转型升级,更重塑了药师在医疗团队中的专业定位,体现药师的价值,促进药师的职能转型。

面向高质量发展目标,我们正在构建更加立体的管理体系:在药品准入端深化价值评估模型应用,确保新药遴选的科学性;在临床使用端强化药学路径与支付方式改革的协同,实现医疗质量与成本控制的动态平衡;在患者服务端拓展互联网+药学服务场景,构建覆盖诊前、诊中、诊后的全程化个体化健康管理网络。这三个维

度的深度融合,将推动医院药学从成本控制向价值创造的深水区迈进。

最后,在医院药学的临床教学科研中,团队初步形成临床药物经济学的应用体系,结合教学改革方法,在医学院校药学教育中设立《药物经济学》课程,培养未来医院药师的药物经济学理念;在医院药师中设立临床药物经济学实践继续教育培训班,提高在职药师的药物经济学理论与实践水平,以及药物经济学应用水平。在此基础上,探索开展药物经济学研究,并取得一定成效。

作为合理用药的守门人,我们深知使命在肩。未来,医院药学可以循证药学为决策之锚,以药物经济学为价值之尺,在药品全生命周期管理中践行“疗效可及、费用可控、健康可续”的核心价值,为构建更安全、更高效的医疗服务体系持续贡献药学智慧。

(作者系福建医科大学附属协和医院主任药师、中国药学会药物经济学专业委员会副主任委员)