

我国药物经济学研究面临五个关键挑战

● 胡善联



胡善联

近期,国际药物经济学与结果研究学会(ISPOR)在成立30周年之际,提出了2030年战略目标——“推动构建一个所有人都能获得的有效、高效且可负担的医疗保健体系”。

这一愿景强调“整体健康”理念,即医疗保健的产出不应仅限于传统健康相关生命质量(HR-QoL)的改善,或药物经济学中质量调整生命年(QALY)的单一维度。

事实上,除医疗系统,其他社会部门的投入同样对健康及更广泛的社会结果产生深远影响。因此,整体健康框架要求多学科协同,在健康经济与结果研究(HEOR)中纳入更广泛的社会效益指标、患者偏好价值,并评估跨部门政策干预的综合影响。

因此,我们在药物政策研究方面应当突破单一创新视角,转向以人民健康为中心的整体性考量。同时以患者需求为导向,通过系统性的政策研究、创新与优化,推动医药卫生事业高质量发展。

统计数据显示,近年来我国学者在国际期刊发表的药物经济学论文数量呈现持续增长的良好态势。2024年我国学者发表的论文数量超过了600篇,创历史新高,这使我国在全球药物经济学研究领域稳居第二,仅次于美国,但依然在研究偏倚、论文质量、评估体系、创新药公平定价机制以及人工智能技术应用等方面存在改进的空间。

挑战1: 研究文献存在一定偏倚

当前,在药物经济学评价研究领域,国内多数文献存在一定偏倚。

第一,从研究资助主体来看,大部分药物经济学研究由制药企业或咨询公司提供资金支持,这种资助模式本身易导致研究偏倚的产生。第二,在研究设计层面,现阶段多数创新药物的临床试验采用单臂试验方式,缺乏药物间头对头的比较研

究。以我国诸多创新药物出海为例,开展头对头比较研究对于阐明国产新药的优势具有重要意义。第三,从研究结果的发表情况分析,现有文献中大部分报道呈现阳性结果,而阴性结果的研究发表难度较大。第四,在专业人员教育方面,卫生保健领域专业人员解读经济学证据能力仍有待提升。第五,随着数智技术的发展,药物经济学研究方法的复杂性显著增加,研究成果的传播途径也从传统的刊物发表逐渐向公开网络平台或社交媒体发表转变。

挑战2: 研究质量应对标国际标准

回顾我国研究质量发展历程,2016年发表在Systematic Review and Meta-Analysis上的一项研究具有重要参考价值。

该研究基于国际公认的评价工具CHEERS标准,系统分析了2003—2014年间四个主要数据库收录的1046篇中国药物经济学文献,结果显示仅有32篇(约3%)完全符合合作者文献遴选标准。虽然研究期间论文质量总分呈逐年上升趋势,但在成本测算和效果评估等核心指标方面仍存在显著的不确定性。

值得注意的是,这项具有里程碑意义的质量评估研究距今已有8年,嗣后尚未有学者对2014年后我国药物经济学研究质量进行系统回顾。从现有数据来看,虽然早期研究显示质量持续改进,但在关键方法学环节仍需重点突破,特别是在成本效果分析的精确性和可靠性方面,我国研究者仍有较大的提升空间。这一现状反映出我国的药物经济学研究在方法论规范性和研究严谨性方面与国际标准存在明显差距。

挑战3: 须将整体健康纳入价值评估

当前,“基于价值的定价”已成为国际通行的定价方法,其评估维

度从最初的ICER阈值逐步扩展到更广泛的社会价值评估。

近年,美国发展出多个创新性评估框架,包括ISPOR的价值之花(即药品的12个价值维度)、广义风险调整成本效益(GRACE)评估法以及广义成本效果评估(GCEA)。这些新方法引入了“堆叠队列”、专利到期后价值评估等创新概念,强调决策背景的重要性,并将价值维度从12个扩展到15个,更全面地反映患者价值和社会价值。

与以往侧重效率指标(如QALY)的评估体系相比,现代框架更加关注卫生系统动态净成本、患者非医疗成本、家庭照护负担等更广泛的价值维度。

未来,我国药物经济学发展方向包括:基于GRACE方法将疾病严重程度纳入价值评估体系、运用GCEA指导药品定价决策,以及在价值评估中更加强调公平性和有效性等核心要素。这些创新方法的应用将为建立更加科学、全面的药品价值评估体系提供重要支撑。

挑战4: 研究制定新药的最高公平价格

建立科学合理的创新药定价机制是当前医药政策研究的重点课题。以美国为例,其药品定价流程具有以下特征:首先按销售总金额排序、专利年限,然后确定最高公平价格(MFP)上限,根据平均净成本、平均制造商价格的40%~75%,两个指标中最高的一个,最后通过协商(通常设置三次协商机会)综合考虑研发投入、生产成本、

政府支持、专利布局、市场预期和临床替代方案等多维度因素。

我国创新药定价机制的优化需要立足本土实际,重点考量3个层面的平衡:一是创新激励与可及性的平衡,既要保证药企获得合理回报以持续投入研发,又要将价格控制在医保基金和患者承受范围内;二是国内市场需求与国际定价策略的协调,特别是对“出海”创新药需要建立差异化的定价策略;三是政策刚性与市场灵活性的结合,在设定价格上限的同时保留适当的谈判空间。

挑战5: 推动AI在药物经济学研究的应用

生成式人工智能(GenAI)技术的快速发展正在为健康经济与结果研究(HEOR)领域带来革命性变革。

在HEOR领域,GenAI的应用主要聚焦于四个关键方向:首先,在系统性文献综述环节,可实现检索策略优化、文献自动筛选、数据提取以及荟萃分析代码生成等功能;其次,在卫生经济模型构建方面,能够辅助完成模型概念化、验证、参数化及跨国适应性调整等工作;第三,在真实世界证据研究中,可高效处理临床记录、医学影像等非结构化数据;第四,在研究档案开发阶段,可协助完成研究提纲拟定和报告起草等工作。

然而,GenAI在HEOR领域的应用仍面临多重挑战,包括数据隐私保护、系统安全性、算法透明度以及研究伦理等问题。未来发展方向在于实现技术创新与专家智慧的有机结合:一方面充分发挥AI在数据处理和模型构建方面的效率优势,另一方面依靠领域专家的专业判断确保研究质量,共同推动药物经济学研究的智能化转型。

因此,若想推动我国药物经济学研究水平整体提升,为医药卫生决策提供更科学依据,必须多方协同突破上述瓶颈,构建具有中国特色的研究体系。

(作者系复旦大学公共卫生学院卫生经济学教授)