

重塑药物价值证据设计,优化新药投资与研发策略

●李洪超



李洪超

中国医药产业正面临结构性调整,学术研究也需要突破“象牙塔”思维,将科学研究与产业政策环境相结合,切实服务于产业发展实践。在新药研发与投资全过程中,系统设计和开发创新药物价值证据,既能为政府部门制定政策提供依据,又能帮助企业优化投资与研发策略。

多因素制约创新药价格

创新药物研发具有显著的“三高”特征,即高投入、高风险和长周期。根据美国 Tufts Medical Center 数据,单个新药上市的平均研发成本(含资本成本)在美国约为 26 亿美元。因此,创新药物企业总是希望在有限的专利独占期内维持较高定价,以回收研发成本。

然而,一个创新药物是否能够获得较高的价格并不取决于企业的意愿,很大程度上取决于市场竞争环境、药品本身的创新价值以及相关政策对药品价值的判断逻辑。

例如,中国部分创新药领域已出现过度竞争问题。2011年,PD-1/PD-L1 抑制剂相关临床试验仅占肿瘤领域临床试验的 1%,而 2018 年时占比高达 40%。据不完全统计,目前国内已上市 PD-1/PD-L1 抑制剂达 18 种,还不包括 PD-1/VEGF 和 PD-1/CTLA-4 双抗药物。已纳入医保的 6 款 PD-1/PD-L1 抑制剂年治疗费用降至 3 万元~4.5 万元,明显低于医保目录中其他抗肿瘤创新药物的费用水平。

这一结果毫无疑问与同领域的同质化竞争有关。因此,在新药研发平均长达 10~15 年的过程中,市场竞争环境、相关政策对药品价值的判断逻辑、药品价值信息都在不断发生变化,这就需要进行多次阶段性评估与研发决策,而非盲目推进项目。价值医疗的理念与创新药物价值证据在这一过程中可发挥重要作用。

医保部门趋向“循证决策”

创新药物的最终需求方是患者,

但患者消费药品通常离不开临床医生、医保支付方,因此可以将上述三者看成是创新药物的整体需求决策方。在中国当前以社会基本医疗保险为主要支付方的体系下,医保部门作为战略性购买方的角色日益凸显。

当前,中国卫生总费用中个人现金支出占比仍处于较高水平(按 OECD 即经合组织国家统计口径 35%),显著高于 OECD 国家平均水平(18%)。因此,在中国未来的医疗保障事业建设中,基本医疗保险将持续发挥主导作用。

立足经济增速放缓以及人口老龄化等因素的共同作用,基本医保基金收支压力持续加大,为此,医保部门积极推进系统化改革,包括实施 DRG/DIP 支付方式、开展带量采购和医保准入谈判等改革,取得了显著成效。

当前,医保部门越来越注重以创新药物科学价值证据为基础的评估原则,确保在有限基金约束下提高医保基金的使用效率,实现创新药物可及性与医保可持续性的动态平衡。这就必然要求创新药物研发机构重视药物价值证据的开发,并且基于价值证据,制定合理预期新药价格。

临床疗效与价格呈正相关

创新药物价值证据和价值评估框架的理论基础源自价值医疗理念。2006 年,哈佛学者将“价值(value)”定义为患者健康获益与获得此获益所需付出成本的比值,该概念框架本身就体现了经济效率的核心逻辑。

在该概念框架下,相关学者开发出了各种疾病治疗领域的价值评估框架,用于评估创新医疗技术的价值,如心血管领域的 ACC/AHA 框架,抗肿瘤治疗领域的 ASCO 框架、NCCN 框架等,罕见病治疗领域的 EVIDEM 框架,抗菌药物领域的 STEDI 全面价值框架,美国 ICER 框架,ISPOR 的价值之花(药品的 12 个价值维度)等。

然而,目前应用最广泛的实际上就是药物经济学评价的框架。药物经济学不仅仅可以作为一个效率评估

工具,比较不同干预方案的经济性高低,同时在给定阈值水平上,通过阈值分析,还可以帮助确定创新药物的均价,从而成为目前最常用的基于价值定价的工具。

在我国医保谈判实践中,作为创新药物价值证据的药物经济学评价报告、预算影响分析报告等证据在价格测算过程中发挥着重要作用。基于价值定价的底层逻辑,为真正具有临床价值的创新药物保留合理利润空间,通常情况下临床疗效越好的药物价格越高。

企业生存之路

在价值医疗导向的创新药物医保准入政策下,制药企业需建立系统化的评估体系,重视创新药物价值的设计和科学价值证据的开发。

第一,需要针对候选适应证开展差异化调研,对目标疾病治疗领域未满足的临床需求进行精准识别。例如,当某新药具备多个适应证开发潜力时,需分别评估各疾病领域临床的关键痛点,并明确该药需解决的具体维度。

第二,在明确临床价值定位后,需同步开展竞争格局的多维度分析。这包括对已上市药品、已纳入医保目录药品的多维度价值分析,也包括识别和判断同类在研产品的研发进展和潜在价值,评估各治疗领域的价格竞争强度。

第三,需要分析当前实际政策规则下,创新药物价值判断标准。特别需要关注政策环境对价值评估的影响因素,例如儿童用药的价值判断标准、依从性改善的价值是否能得到认可,等等。对政策环境的扫描有助于对研发药物的潜在价值的判断,以及

新药价值维度的选择,以指导最具价值潜力的开发路径。

第四,基于价值证据的药物开发设计。创新药物的价值主张需要通过科学方法进行框架性设计,并且在研发过程中有针对性地融入临床研究设计中,以产生必要的价值证据。从临床试验设计阶段就应注重价值证据的生成策略,包括结局指标、对照选择、剂量选择、联用策略、治疗周期甚至说明书撰写等关键要素的优化。国外学者提出的“药物价值设计”理念强调,通过前瞻性的证据生成计划,可以系统性地提升产品的价值定位。这种理念与创新研发各阶段均紧密相关。

基于此,我们团队对各创新医药企业提出以下战略建议:

第一,在价值医疗背景下,创新药物研发企业需要建立系统化的战略思维。企业管理层和决策者必须深入理解价值医疗的核心内涵及政策导向的底层逻辑,这一认知不应局限于准入部门,而应当成为整个组织战略决策的基础。只有真正把握政策背后的价值评估标准,才能在新药研发和商业化过程中做出更精准的判断。

第二,从新药投资和研发项目立项之初,企业就应将价值医疗理念融入整体评估体系。这包括对政策契合度、竞争格局、管线拥挤程度以及目标市场价格水平等环境因素的全面分析,也包括本产品价值设计以及价值证据的开发,涉及项目可行性评估、优先开发适应证定位、临床试验设计优化、价格策略等微观策略,确保能够生成支撑产品长期价值主张的完整证据链。

第三,为有效实施这一战略,企业应当建立跨部门协同机制。在投资和研发早期阶段就引入准入团队或外部专家参与决策,确保对政策细节的精准把握。通过系统规划价值证据的生成策略,为后续市场准入奠定坚实基础。这种贯穿药物全生命周期的价值设计思维,将显著提升创新药物的研发效率和商业成功率。

(作者系中国药科大学国际医药商学院卫生经济学教研室主任)