

药品医保综合价值评估框架域外经验及对我国的启示[△]

刘翊珺^{1*}, 李丹¹, 张余¹, 江滨^{1,2#} (1. 北京大学药学院, 北京 100191; 2. 北京大学公共政策研究中心, 北京 100871)

中图分类号 R95 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2026)04-0413-07

DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2026.04.01



摘要 **目的** 系统比较11个典型国家/地区药品综合价值评价的成熟经验,为我国构建科学规范的医保药品综合价值评价体系提供决策参考。**方法** 采用文献分析法,系统梳理英国、加拿大、意大利、澳大利亚、德国、法国、韩国、日本、美国,以及中国台湾、中国香港共11个典型国家/地区的药品综合价值评价框架,从评价主体、价值维度、结果应用3个层面进行比较。**结果与结论** 多数国家/地区的药品价值评价体系设立有独立的技术评价机构,并纳入多方利益相关者参与(英国、加拿大等);主流药品价值评价框架已普遍超越传统的安全性、有效性和经济性等核心维度,呈现出评价维度不断延展和证据要求更加严格两大趋势;评价结果与支付政策衔接紧密,包括为决策提供技术性建议(意大利、法国等)或直接决定报销资格(英国、德国等)。建议我国可建立多方参与、评价与决策职能分离的评价机制;构建融合临床、经济、患者及社会价值的综合评价框架,并注重指标的量化探索及真实世界证据应用;推动价值分级结果与医保支付、准入谈判直接联动,以平衡患者获益、基金可持续与产业创新。

关键词 药品综合价值评价; 医保决策; 药品价值; 价值框架

Drug comprehensive value assessment frameworks for medical insurance: overseas experiences and implications for China

LIU Yijun¹, LI Dan¹, ZHANG Yu¹, JIANG Bin^{1,2} (1. School of Pharmaceutical Sciences, Peking University, Beijing 100191, China; 2. Center for Public Policy Research, Peking University, Beijing 100871, China)

ABSTRACT **OBJECTIVE** To systematically compare mature experiences of comprehensive drug value assessment in typical countries/regions and to provide decision-making references for China to establish a scientific and standardized comprehensive drug value assessment system for medical-insured drugs. **METHODS** The literature analysis was used to systematically review drug value assessment frameworks in 11 representative countries/regions, namely the UK, Canada, Italy, Australia, Germany, France, South Korea, Japan, the United States, as well as Taiwan (China) and Hong Kong (China). Comparisons were made across three dimensions: assessment entities, value dimension, and application of results. **RESULTS & CONCLUSIONS** In most countries/regions, independent technical assessment institutions have been established as part of the drug value evaluation system, with the involvement of multiple stakeholders (e.g., the UK, Canada). The mainstream drug value assessment frameworks have generally transcended the traditional core dimensions of safety, efficacy, and cost-effectiveness, exhibiting two major trends: the continuous expansion of assessment dimensions and stricter evidence requirements. Assessment outcomes are closely integrated with payment policies, ranging from providing technical advice for decision-making (e.g., Italy, France) to directly determining reimbursement eligibility (e.g., the UK, Germany). The following recommendations are proposed for China: first, establish an evaluation mechanism featuring multi-stakeholder participation and separation of evaluation from decision-making. Second, develop a comprehensive evaluation framework integrating clinical, economic, patient, and societal value, emphasizing quantitative indicator exploration and real-world evidence application. Third, promote direct linkage between value-based tiering outcomes and medical insurance reimbursement decisions or access negotiations to balance patient benefits, fund sustainability, and industrial innovation.

KEYWORDS comprehensive drug value assessment; medical insurance decision-making; drug value; value framework

药品价值是临床合理用药与医保战略性购买的核心依据。传统的药品价值评价在关注安全性、有效性的

基础上,已逐步引入药物经济学,构建起“成本-效益”分析框架^[1]。为推动药品回归临床价值,《国家卫生健康委关于开展药品使用监测和临床综合评价工作的通知》等一系列政策文件相继出台,构建了涵盖安全性、有效性、经济性、创新性、适宜性与可及性的药品临床综合评价框架^[2-3],并由国家层面主导,推动该项工作在儿童用药、肿瘤用药等领域的具体实践^[4]。该框架主要从临床

△ 基金项目 国家自然科学基金项目(No.72274008)

* 第一作者 博士研究生。研究方向:医药政策决策与效果评价。

E-mail: liuyijunh@163.com

通信作者 研究员,博士生导师。研究方向:医药政策决策与效果评价、药物经济学。E-mail: binjiang@bjmu.edu.cn

视角出发,旨在规范用药行为、保障临床基本用药供应,其核心在于引导医疗服务提供方“用好药”。然而,作为购买方的医保部门,其核心职能是在确保在基金可持续性的前提下实现战略性购买,即解决“买好药”及其“性价比”这一根本问题。面对创新药加速获批上市、疾病谱日趋复杂、患者需求多元化以及医保基金压力持续增大等多重挑战,医保部门迫切需要统筹患者获益、基金使用效率与产业创新激励之间的多元平衡,构建一套服务于医保决策的药品综合价值评价体系。

2025年,国家医保部门正式启动药品综合价值评价体系建设工作,通过开展座谈、公开遴选及发布试点通知等举措快速推进:9月,《国家医疗保障局办公室关于开展真实世界医保综合价值评价试点工作的通知》发布,明确提出从临床有效、安全、经济、公平、可及、创新、患者体验等多维度,对全生命周期医药产品的综合价值进行评价,并在部分地区率先开展试点工作;11月,《药品真实世界医保综合价值评价管理指南(征求意见稿)》发布。这一系列举措与政策文件层层递进,充分体现了我国构建支撑医保决策的药品综合价值评价体系的紧迫性与重要性。

多数发达国家已构建起较为成熟的药品价值评价体系,尽管国内学者已在药品临床综合价值评价^[5]、方法学应用^[6]及国际经验总结^[7]等方面开展了研究,但多局限于少数国家或地区,且主要从临床视角切入,从医保体制视角系统梳理并比较医保药品综合价值评价框架的研究尚属空白。为此,本研究旨在通过比较11个典型国家/地区的评价框架,从评价主体、价值维度、结果应用等层面,为我国构建科学规范的医保药品综合价值评价体系提供参考。

1 研究方法与样本选择

为梳理对比不同医保体制下的药品综合价值评价体系,本研究在PubMed、Web of Science、中国知网、万方数据等数据库以及相关国家/地区官方机构网站中检索中英文文献,检索时限为各数据库建库至2025年9月30日。检索词包括“药品价值评价”“卫生技术评估”“value evaluation”“framework”“health technology assessment”“reimbursement”等。文献筛选标准如下:(1)研究对象为国家或地区层面的药品价值评价框架、指标体系或决策流程;(2)文献类型为研究论文、综述或官方文件;(3)排除无法获取全文、重复发表及关联性过低的文献。

在文献分析的基础上,为确保比较样本能覆盖全民医疗保险、社会基本医疗保险、商业医疗保险、全民健康保险、公私营双轨制医疗保险等主流医保模式,本研究最终选定英国、加拿大、意大利、澳大利亚、德国、法国、韩国、日本、美国,以及中国台湾、中国香港共11个国家/地区作为分析对象,以保障研究的代表性与全面性。

2 基于医保体制的药品综合价值评价体系概述

2.1 全民医疗保险模式

2.1.1 英国

英国国家卫生和临床技术优化研究院(National Institute for Health and Care Excellence, NICE)于1999年成立,是国际上最早开展药品价值评价的机构之一,其主要职责是为英国国家卫生服务体系(National Health Service, NHS)提供决策依据。NICE的技术评价委员会由临床专家、经济学家、患者及产业界代表组成,药品价值评价流程包括范围界定、药企提交证据、专家委员会评价、征集公众意见、发布评价结果,评价遵循透明性、严谨性、包容性、独立性、时效性等原则^[8]。

NICE对药品价值的评价主要包括科学价值和社会价值两个维度。科学价值评价包括临床效益评价与成本-效果分析:临床效益评价以随机对照试验(randomized controlled trial, RCT)作为最高等级证据,并谨慎考虑观察性研究等非RCT证据;成本-效果分析主要使用增量成本-效果比进行量化,该指标用于衡量新疗法每获得1个质量调整生命年(quality-adjusted life year, QALY)所支付的额外成本,最新阈值已调整为每QALY 25 000~35 000英镑,NICE会根据疾病负担情况,适当提高罕见病等特定疾病的成本-效果阈值^[9]。社会价值评价则系统性地纳入健康公平性、社会偏好及伦理原则,通过权重分配机制体现对特殊人群的优先关注^[10]。

综合上述评价结果,NICE会形成“推荐”“附条件推荐”“仅用于癌症药物基金会”“仅用于试验”“不推荐”5级药品推荐意见,该结论对NHS具有法定约束力,获得“推荐”的药品,NHS必须予以报销^[11]。

2.1.2 加拿大

加拿大的药品价值评价、药品定价以及价格监管工作由3个独立机构负责,分别是加拿大卫生技术评价局(Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health, CADTH)、加拿大专利药价格审评委员会(Patented Medicine Prices Review Board, PMPRB)以及泛加拿大制药联盟(Pan-Canadian Pharmaceutical Alliance, pCPA)。CADTH首先会对企业提交的申报材料进行创新药资格审查,随后综合药企、患者及医生等多个利益相关方的意见,撰写临床报告递交专家委员会^[12]。PMPRB会将药品按照改善程度划分为“突破性”“实质性”“中度”“轻微/无改善”4个等级,结合药物经济学评价和国际参考价格,对药品实行差异化价格监管^[13]。pCPA则以CADTH的评价报告和PMPRB设定的价格上限为谈判筹码,代表各省与药企进行价格谈判与定价^[14]。

CADTH下设加拿大肿瘤药物审查专家委员会和加拿大药物专家委员会,分别负责对抗肿瘤药与其他创新药的评价,尽管二者的评价框架存在差异,但评价维度均围绕疗效与安全性、疾病严重程度与未满足的临床需求,以及对患者生活质量的考量这几大关键价值要素展开^[14-15]。只有当药品具有附加临床效益时,才会进一步评价其经济性,否则直接列入“不报销”名单^[16]。

CADTH最终向各省卫生部门提供“报销”“附条件报销”“附期限报销”“不报销”4级建议,各省参考该建议并结合本地医保基金状况与临床需求,自主确定药品报销范围^[14]。

2.1.3 意大利

意大利药品管理局(Italian Medicines Agency, AIFA)负责意大利药品的上市许可、卫生技术评估以及定价报销决策。2024年1月,AIFA下属的药物科学经济委员会(Scientific and Economic Committee for Medicines, CSE)承担并整合了此前分配给技术科学委员会和定价报销委员会的职能,负责意大利药品临床价值和经济性评价等工作,并制定谈判协议草案,以供AIFA在进行药品定价与报销决策时参考^[17]。

CSE对药品价值的评价基于3个核心维度:未满足的临床需求、治疗附加价值以及证据质量。其中,“未满足的临床需求”用以表明新疗法在满足患者临床需求方面的必要程度,即针对该适应证是否存在治疗选择;“治疗附加价值”用于评价新药相比现有疗法的临床获益程度,重点评价死亡率、发病率、生活质量等临床相关结局的改善程度;“证据质量”则依据国际证据质量分级指南进行评价^[18]。

所有申请纳入意大利国家报销目录的药品都必须接受AIFA的定价与报销综合价值评价,AIFA会根据上述3个维度的评价结果,将药品划分为“创新”“有条件创新”“非创新”3级,分级结果将决定药品能否获得创新药专项基金支持、是否豁免强制折扣等差异化报销政策,进而间接影响药品定价和市场准入路径^[17]。

2.1.4 澳大利亚

澳大利亚药品福利咨询委员会(Pharmaceutical Benefits Advisory Committee, PBAC)和医疗服务咨询委员会分别负责药品以及医疗服务和医疗器械的卫生技术评价工作,为政府决策提供依据^[19]。在澳大利亚,药品必须经PBAC评审通过后方可纳入全民药品福利计划(Pharmaceutical Benefits Scheme, PBS)。

PBAC基于药品的临床疗效、成本-效益、预算影响及社会价值等维度对药品进行综合评价,评价结果分为“建议列入PBS报销目录”“有条件列入PBS报销目录”“不建议列入PBS报销目录”“延迟推荐”4级,部分有争议的药品还需公开征求公众意见^[20]。对于“建议列入PBS报销目录”的药品,由药品福利定价管理局进行价格谈判,最终由澳大利亚卫生部决定是否将其纳入PBS报销目录和确定谈判价格^[21]。

2.2 社会基本医疗保险模式

2.2.1 德国

德国联邦联合委员会(Federal Joint Committee, G-BA)作为德国的医保决策机构,负责临床证据评价和新药分级^[22]。该委员会委托独立研究机构——卫生保健质量与效益研究所(Institute for Quality and Efficiency in Healthcare, IQWiG)负责药品的附加价值评价,为G-BA

的决策提供参考依据。德国药品价值评价流程包括:药企向G-BA提交临床效益评价档案、G-BA委托IQWiG开展评价、IQWiG出具评价报告、G-BA举行听证会并对附加效益作出最终裁定^[23]。

IQWiG主要采用临床附加效益评价框架进行药品价值评价,该框架包括定性和定量两个维度。其中,定性评价主要关注证据的可靠性,根据证据质量将结论划分为“证据”“指示”“暗示”“其他”4级,RCT为证据质量的金标准。当定性评级至少达到“暗示”时才会启动定量评价,定量评价指标包括死亡率、疾病症状、不良反应、生存质量等^[24]。

G-BA根据IQWiG报告所确定的药品附加效益等级(包括“重大附加效益”“显著附加效益”“微小附加效益”“不可量化效益”“无附加效益”“小于对照药”6级)直接决定药企与医保基金联合会进行价格谈判的空间:被评为“重大附加效益”或“显著附加效益”的药品,可进行溢价谈判;而被评为“无附加效益”或“小于对照药”的药品,则实行参考定价,即按同类药品或疗法确定报销价格^[25]。

2.2.2 法国

法国国家健康评估认证局(National Authority for Health, HAS)负责法国上市新药的价值评价工作,其下设的透明委员会(Transparency Committee, CT)和经济与公共卫生评价委员会(Economic and Public Health Evaluation Committee, CEESP)分别负责对药品的临床效益和经济效益进行评价,这两项评价并行开展且相互独立;在此基础上,药品和健康产品经济委员会与卫生部开展定价谈判并作出报销决策^[25-26]。

法国的药品价值评价流程包括药企向HAS提交申请资料、CT评价、CEESP评价、定价谈判和每5年一次的再评价等环节。CT主要从两个方面进行评价:一是实际临床价值(actual clinical value, SMR),基于疗效、安全性、疾病严重程度、治疗定位、对公共健康影响等指标分为5个等级(包括“重大临床疗效”“中等临床疗效”“低等临床疗效”“极低临床疗效”“临床疗效不足”),决定药品的报销资格与比例;二是临床附加价值(improvement in actual benefit, ASMR),该评价聚焦于药品相较于现有疗法在临床获益方面的改善程度,关注疗效提升、安全性优化、给药便利性、疾病负担减轻等维度,分为I~V级(分别代表其临床疗效改善程度重大、重要、适当、较小、无明显改善),作为定价谈判的依据。CT高度重视证据质量,缺乏双盲RCT的药品往往被评价为ASMR V级,此类药品需价格低于参考药才可被纳入报销^[25]。此外,CEESP仅对ASMR I~III级且可能对预算产生重大影响(商业化后第二年销售额超2 000万欧元)的高值药品进行评价^[26]。

2.2.3 韩国

韩国健康保险审查和评价服务局(Health Insurance Review and Assessment Service, HIRA)和国民健康保险公司分别承担卫生技术评价和医保基金运营的职能^[27]。

药品价值评价的核心环节包括资料审查和专家委员会评价,专家委员会由医学、药学、经济学专家及患者等多方利益相关者组成。HIRA从临床价值和经济性双维度对药品开展综合评价:临床价值评价主要考察药品相对于现有疗法在疗效提升、安全性改善及治疗创新性方面的表现;经济性评价则以药物经济学和医保基金影响分析为依据^[27-28]。只有被HIRA评价认可具有经济性优势的药品才会进入医保谈判,HIRA的评价结果是后续报销与价格谈判的核心依据,以此确保医保基金被用于“性价比”最高的治疗选择^[27]。

2.2.4 日本

日本政府对药品价格实行直接管控,其价值评价内嵌于定价流程中,由厚生劳动省(Ministry of Health, Labour and Welfare, MHLW)下属的医政局经济科负责草案制定,最终由中央社会保险医疗协议会(Central Social Insurance Medical Council, Chuikyo)负责审议和定价^[29]。

药品价值评价的核心流程包括定价计算、国际价格调整及成本-效果评价。制药企业提交新药定价申请后,MHLW会根据是否存在可比的类似药品来选用不同的方法定价:若有类似药品,则采用类似药效比较法,从临床价值、适用范围、创新程度等方面给予加成,其中,突破性药品(具有全新机制或显著疗效)可享受70%~120%的价格加成,实用性药品(在安全性或有效性上有改良)加成比例最高可达60%;若不存在类似药品,则采用成本计算法核算成本和利润。所有初步定价均需与美国、英国、德国、法国4国同品种药价的均值进行强制性比较,若超出该均值的1.25倍,则将价格下调至1.25倍以内,且每2年调整一次,以确保药价与国际主要市场接轨^[30]。此外,自2019年起,日本正式实施药品的成本-效果评价,企业需提交以增量成本-效果比和QALY为核心的经济学证据用于价格调整^[29]。拟定价格需提交至Chuikyo进行审议,Chuikyo由支付方、医疗服务提供方和公众代表组成,通过多利益相关方质询以确保程序公正,进而确定医保支付价格与准入资格^[31]。

2.3 其他

2.3.1 美国的商业医疗保险模式

美国临床和经济评价研究所(Institute for Clinical and Economic Review, ICER)是一家成立于2006年的独立非营利性研究机构,该机构基于循证视角,系统评价药品及其他医疗干预措施的价值,其评价流程包括确定主题、证据审查、成本-效果分析、草案公示与评议、召开专家委员会会议、发布报告等^[32]。

ICER主要从长期性价比和短期可负担性两个维度对药品价值进行评价,长期性价比包括临床效果比较、增量成本-效果分析、潜在效益与风险等;短期可负担性主要指预算影响分析。其中,临床效果比较是基于现有证据进行定量或定性评价,并采用证据评级矩阵对药物效益与风险进行评级,以此指导用药和药品遴选^[33]。增

量成本-效果分析则综合考虑临床获益与经济成本,采用QALY和等值生命年增益来评价健康产出的经济效益。价值评价的最终结果可为医保机构、医院、支付方等提供决策参考,进而影响市场准入和谈判^[34]。

ICER的价值评价框架自2015年正式发布以来,每2年更新一次,并持续扩展评价维度。例如,2020年版纳入照护者负担、生产力损失、疾病严重程度、未满足需求等社会价值要素^[35];2023年版进一步强调公平定价、公平准入和创新,重视真实世界证据(real-world evidence, RWE),增加了临床试验多样性评价,并引入健康改善分布指数以量化对弱势群体的影响^[36]。在方法学层面,该框架采用医疗系统视角和社会视角双视角报告成本-效益结果,探索风险调整成本-效益模型;在程序设计上,其增设了对疾病严重程度、未满足需求的定性投票,并强化了多方利益相关者的参与和反馈机制^[37]。尽管ICER建立了严谨的证据评级矩阵,但其评价结果并不产生行政化的准入分级,ICER报告主要作为商业医疗保险公司在药品准入与价格谈判中的参考依据。

2.3.2 中国台湾的全民健康保险模式

中国台湾地区全民健康保险主管机构(National Health Insurance Administration, NHIA)是该地区药品价值的核心机构,药品价值评价主要体现在医保药品的定价与报销决策过程中,评价主要流程包括专家咨询会议和药物共拟会议审议。药企向NHIA提交报销申请后,先由专家咨询会议进行技术初审,随后从疗效、安全性、成本-效益及伦理法律4个维度进行科学评价,并向药物共拟会议提出建议^[38]。药物共拟会议由多方利益相关者组成,通过讨论和投票决定新药是否纳入全民健康保险报销范畴,最终形成“同意纳入”“有条件纳入”和“交由卫生事务主管部门核定”3种结论,评价结果是药品能否纳入全民健康保险报销目录的核心依据^[39]。

药物共拟会议作出准入决策后,NHIA直接依据该决策进行分类定价。具体而言,药品会依据创新程度、临床疗效及药品质量等因素实施分类定价:突破性创新药按照10国(美国、加拿大、英国、德国、法国、日本、澳大利亚、比利时、瑞士、瑞典)药价的中位数来定价;临床价值有中度改善或相近的跟进性新药,根据10国最低价、原产国价格、疗程比例法、国际药价比例法、复方制剂折价5种方式确定价格;延展性新药(指新剂型、新规格、新给药途径或新复方等)则采用剂量比例或国际价格比例法进行定价。

2.3.3 中国香港的公私营双轨制医疗保险模式

中国香港的药品综合价值评价由香港医院管理局(Hospital Authority, HA)主导,通过其下属的药物咨询委员会(Drug Advisory Committee, DAC)和药物名册委员会(Drug Formulary Committee, DFC)共同完成。其中,DAC是HA的核心专家顾问机构,由临床医生、药剂师、卫生经济学等多学科专家组成。药企向HA提交申请后,经初步筛选和临床评审,由DAC从临床效益与需

求、成本-效果以及预算影响这3个维度对药品价值进行评价;DFC则从资源分配与管理的角度对DAC结果进行审议,并提出是否纳入用药名册的建议^[40]。最终,HA综合DAC和DFC的评审意见,从公立医疗系统整体资源管理的角度,将药品划分为通用药物、专用药物、自费药物3个类别,并制定相应的使用限制和补贴标准。评价结果是药品能否纳入公立医疗体系的核心依据^[41]。

3 典型国家/地区药品价值评价框架比较

通过对上述11个国家/地区药品综合价值评价体系的核心特征与运行逻辑进行分析可知,各地的评价主体与流程机制存在差异,核心评价维度大多以临床价值与经济性为基础,部分国家/地区进一步纳入社会价值与疾病负担等维度,评价结果的分级标准与实践应用亦呈现差异化特征。11个国家/地区药品综合价值评价维度及结果分级比较总结见表1。

药品综合价值评价体系的构建,与各地医疗保障制度、政策目标及经济发展水平密切相关。下文从评价主体、价值维度、结果应用3个方面对上述国家/地区的药品综合价值评价框架展开比较,以期为我国相关体系建设提供多维度、精细化的参考借鉴。

3.1 评价主体的独立性与多元参与

为确保药品价值评价与医保决策的科学、公正与透明,部分发达国家将技术评价与支付决策等职能严格分离,交由独立的专业机构负责。例如,在加拿大,PMPRB负责药品价格管理,而价值评价由独立于政府的第三方机构CADTH进行,其给出的报销建议是后续pCPA价格谈判与决策的重要依据;在德国,IQWiG和G-BA分别负责药品附加效益评价和相关决策工作;在法国,HAS内部也实现了职能分离,CT和CEESP负责价值评价,其结果供其他机构用于定价报销谈判;澳大利亚同样采用了此类技术评价与决策分离机制,保证了价值评价的专业性和决策的独立性,最大限度避免了医保基金经济性考量对药品价值判断的干扰。

与此同时,多个国家/地区已建立起多元利益相关方共同参与的评价机制。例如,英国NICE的技术评价委

员会纳入了临床专家、经济学家、患者和产业界代表;加拿大CADTH在评价过程中会综合药企、患者和医生等多方意见;我国台湾地区通过药物共拟会议制度,将支付方、提供方、患者与公众代表纳入决策过程。这些多元化参与机制提升了评价过程透明度与结果的社会认可度,推动了不同价值视角的整合。

3.2 评价维度的拓展

主流药品价值评价框架已普遍超越传统的安全性、有效性和经济性等核心维度,呈现出评价维度不断延展和证据要求更加严格两大趋势。

除安全性、有效性和经济性等核心维度外,加拿大CADTH高度重视药品附加效益,若无法证明药品具有附加效益,便不再进行经济学评价,而是直接列为“不报销”。韩国HIRA、美国ICER以及我国的台湾、香港地区,在常规维度的基础上,还系统评价了药品对医保基金支出的影响,以优化资源配置。近年来,社会价值与公平性等更广泛的综合价值维度也日益受到重视:英国NICE将社会价值量化并纳入决策考量范畴;美国ICER在其最新的评价框架中纳入了卫生公平、患者生活质量、照顾者负担和疾病严重程度等因素,创新性地关注到了药品对弱势群体的潜在影响;日本对儿科用药等给予定价加成;我国台湾地区也在评价中增加了公平性、可及性及对特殊人群社会价值的考量。这也揭示了当前价值评价框架正在向多维度转变,凸显了社会价值、公平性等维度的重要性,但在实际应用中需根据疾病特点和适用人群灵活选择评价维度。

此外,证据质量是上述所有维度评价得以科学进行的基石。意大利CSE在评价中纳入证据质量和未满足的临床需求;法国CT通过SMR和ASMR体系评定药品价值,其中双盲RCT等高质量证据是获得较高级别的重要前提;德国IQWiG采用定量与定性相结合的评价模式,在定量评价临床附加效益的同时,也注重以证据质量为核心的定性分析,有效提高了评价的准确性和完整性;澳大利亚、韩国和美国等也在评价中纳入了证据质量相关的指标。

表1 11个国家/地区药品综合价值评价维度及结果分级比较

医保模式	国家/地区	评价主体机构	安全性	有效性	经济性	公平性	可及性	创新性	评价结果分级
全民医疗保险模式	英国	NICE	√	√	√	√	√	√	5级:推荐、附条件推荐、仅用于癌症药物基金会、仅用于试验、不推荐
	加拿大	CADTH	√	√	√	√	-	√	4级:报销、附条件报销、附期限报销、不报销
	意大利	CSE	√	√	√	√	√	√	3级:创新、有条件创新、非创新
	澳大利亚	PBAC	√	√	√	√	-	-	4级:建议列入PBS报销目录、有条件列入PBS报销目录、不建议列入PBS报销目录、延迟推荐
社会基本医疗保险模式	德国	IQWiG	√	√	√	-	√	√	6级:重大附加效益、显著附加效益、微小附加效益、不可量化效益、无附加效益、小于对照药
	法国	CT,CEESP	√	√	√	√	√	√	SMR-5级:重大临床疗效、中等临床疗效、低等临床疗效、极低临床疗效、临床疗效不足; ASMR-5级: I~V级,分别代表其临床疗效改善程度重大、重要、适当、较小、无明显改善
	韩国	HIRA	√	√	√	-	-	√	3级:积极推荐、拒绝推荐、限制适应证
	日本	MHLW	√	√	√	-	-	√	类似药效比较中的差异化加成定价包括突破性、实用性2级
商业医疗保险模式	美国	ICER	√	√	√	√	√	√	提供价值评价报告,无强制性分级
全民健康保险模式	中国台湾	NHIA	√	√	√	√	-	√	3级:同意纳入、有条件纳入、交由卫生事务主管部门核定
公私营双轨制医疗保险模式	中国香港	DAC,DFC	√	√	√	√	√	-	纳入用药名册(通用药物-收取标准费用,专用药物-特定情况下收取标准费用,自费药物-无补贴);不纳入用药名册

√:纳入考虑的维度;-:未查询到相关资料。

3.3 结果应用的模式差异与决策转化

在评价结果应用方面,各地实践主要呈现两种模式:一种是评价与定价/报销决策“完全分离”,即价值评价机构仅提供技术性建议而不直接参与决策;二是“一体化”模式,即评价结果直接决定报销资格与支付标准。

在“完全分离”模式下,大多数地区的药品综合评价结果会形成分级建议,作为后续决策的重要参考。例如,加拿大CADTH将药品分为“报销”“附条件报销”“附期限报销”“不报销”4级;意大利CSE将新药划分为“创新”“有条件创新”“非创新”3级,并将该结果作为药品能否进入报销目录的核心依据,最终由AIFA作出关于报销资格与定价权限的判断;澳大利亚PBAC则将评价结果分为“建议列入PBS报销目录”“有条件列入PBS报销目录”“不建议列入PBS报销目录”“延迟推荐”4级,该结果是药品能否进入PBS报销目录的依据;法国明确区分报销与定价依据,SMR决定报销资格及比例,ASMR指导定价谈判;韩国HIRA的评价结果则作为药品进入医保谈判的经济性门槛。

在“一体化”模式下,技术评价结果对报销决策起着决定性作用。英国NICE将评价结果分为5级,评价为“推荐”的药品可被NHS直接纳入报销;德国IQWiG的评价结果更为精细,其将药品划分为6级,其结果直接作为G-BA定价报销的法定决策依据;我国台湾地区则将药品分为“同意纳入”“有条件纳入”“交由卫生事务主管部门核定”3级,直接决定药品是否可被纳入全民健康保险目录报销。

4 构建我国医保药品综合价值评价体系的对策建议

构建科学、透明的药品综合价值评价体系,对优化医药资源配置、激励产业创新以及保障医保基金可持续运行,具有重要的战略意义。本研究基于11个典型国家/地区的成熟经验,立足实际,提出如下建议:

首先,建立职能分离、多方参与的评价机制。为确保评价的独立、科学与公正,可设立独立的技术评价机构,并与支付决策职能相分离。同时,需建设专业化的评价人才库,吸纳多学科专家和技术人员,并建立常态化的多方参与机制,特别是在评审中纳入患者代表,以便更好地平衡科学证据与社会价值。

其次,构建融合多维度价值与RWE的综合评价框架。当前体系在RWE方面尚有不足,且各评价维度的操作化定义及量化标准也有待进一步明确和规范,尤其是在公平性、可及性、创新性领域。未来,可着力构建一个融合临床、经济、患者及社会价值的综合评价框架,并重点推进RWE的规范应用:一是聚焦临床价值,利用RWE补充长期疗效与安全性数据;二是考量经济价值,评价真实世界成本-效果与预算影响;三是关注社会价值,通过患者报告结局等证据量化健康获益与患者感受,并关注对特殊群体的影响。

最后,推动价值分级结果与医保支付实现实质性联

动,并建立动态评价闭环。可借鉴境外成熟的“多级价值判定”经验,建立本土化药品价值分级制度,并将评价结果与报销政策、支付标准相衔接。在此基础上,需确立证据分级原则,并建立基于RWE的动态再评价机制,从而形成“证据生成-价值评价-医保决策-效果验证”的管理闭环,为目录调整与支付管理提供持续支持。

整体而言,我国医保药品综合价值评价体系的构建,可通过健全常态化多方参与及职能分离机制、构建融合RWE的多维度评价框架、强化价值评价与医保支付的联动以及建立动态闭环等举措,最终实现患者获益、基金可持续与医药创新激励这三重政策目标的平衡。

参考文献

- [1] ANGELIS A, LANGE A, KANAVOS P. Using health technology assessment to assess the value of new medicines: results of a systematic review and expert consultation across eight European countries[J]. Eur J Health Econ, 2018, 19(1):123-152.
- [2] 国家卫生健康委员会. 国家卫生健康委关于开展药品使用监测和临床综合评价工作的通知[EB/OL]. [2025-08-20]. <https://www.nhc.gov.cn/yaozs/c100097/201904/6bc8-f273684845d3ab76fed841eb42d2.shtml>.
- [3] 国家卫生健康委员会. 国家卫生健康委办公厅关于规范开展药品临床综合评价工作的通知[EB/OL]. [2025-08-20]. <https://www.nhc.gov.cn/yaozs/c100097/202107/d2a4-5e6ae041423f950b3865e43f5ef6.shtml>.
- [4] 国家卫生健康委卫生发展研究中心. 国家药物和卫生技术综合评价中心关于发布心血管病、抗肿瘤、儿童药品临床综合评价技术指南的通知[EB/OL]. [2025-08-20]. <http://www.nhei.cn/nhei/znfb/202206/c01d87a290664b0-1bf42a9dad769d69f.shtml>.
- [5] 林思思,陈丽萍,江绮云,等. 抗肿瘤药品临床综合评价指标体系的构建及实证研究[J]. 中国药房, 2023, 34(11):1313-1319.
- [6] 胡善联. 多准则决策分析在卫生决策领域中的应用价值[J]. 中国卫生资源, 2020, 23(4):325.
- [7] 戴泽琦,景城阳,吴雪,等. 国内外药品临床综合评价指标体系研究的系统评价[J]. 中国循证医学杂志, 2023, 23(7):776-782.
- [8] National Institute for Health and Care Excellence. NICE guidance[EB/OL]. [2025-08-20]. <https://www.NICE.org.uk/guidance>.
- [9] Department of Health & Social Care. Changes to NICE regulations: cost-effectiveness threshold-consultation document[EB/OL]. [2026-01-02]. <https://www.gov.uk/government/consultations/changes-to-NICE-regulations-cost-effectiveness-threshold/>.
- [10] 杨玉涵,丛佳林,杨晓晖,等. 英国NICE药品价值评估框架分析与启示[J]. 药物流行病学杂志, 2021, 30(7):435-440.
- [11] National Institute for Health and Care Excellence. Types of technology appraisal recommendation[EB/OL]. [2025-

- 08-20]. <https://www.NICE.org.uk/about/what-we-do/our-programmes/NICE-guidance/NICE-technology-appraisal-guidance/types-of-recommendation>.
- [12] Government of Canada. PMPRB guidelines[EB/OL]. [2025-08-20]. <https://www.canada.ca/en/patented-medicine-prices-review/services/legislation/about-guidelines/guidelines.html>.
- [13] Patented Medicine Prices Review Board. Guidelines for patentees: price review process[EB/OL]. [2025-08-20]. <https://www.PMPRB-cepmb.gc.ca/en/guidelines/guidelines-for-patentees>.
- [14] 盛天翊,蒋蓉,邵蓉.加拿大创新药医保准入临床价值评估研究[J].中国药房,2024,35(24):2972-2976.
- [15] Canadian Drug Expert Committee. Canadian drug expert committee[EB/OL]. [2025-08-20]. <https://www.cda-amc.ca/canadian-drug-expert-committee-cdec>.
- [16] 孔繁翠.创新药价值评估的国际经验比较及启示[J].中国卫生政策研究,2022,15(6):17-23.
- [17] XOXI E, DI BIDINO R, LEONE S, et al. Value assessment of medicinal products by the Italian Medicines Agency (AIFA) and French National Authority for Health (HAS): similarities and discrepancies[J]. Front Med Technol, 2022, 4: 917151.
- [18] Italian Medicines Agency. Innovative medicinal products [EB/OL]. [2025-08-20]. <https://www.AIFA.gov.it/en/farmacii-innovativi>.
- [19] 陶田甜,黄秋雨,侯立丽,等.加拿大、澳大利亚专利药谈判模式对我国的启示[J].中国卫生资源,2019,22(5):391-396.
- [20] Australia TGA. PBAC approval: what is the PBAC[EB/OL]. [2025-08-20]. <https://drugdevelopment.web.unc.edu/australia-tga-pbac-approval-%e2%86%92-what-is-the-pbac/>.
- [21] 茅艺伟,陈英耀,唐檬,等.澳大利亚卫生技术评估的应用[J].中国卫生资源,2014(6):484-486.
- [22] Gemeinsamer Bundesausschuss. Ergebnisse der nutzenbewertung-kategorien des zusatznutzens[EB/OL]. [2025-08-20]. <https://www.G-BA.de/themen/arsneimittel/arsneimittel-richtlinie-anlagen/nutzenbewertung-35a/zusatznutzen/>.
- [23] 姚东宁,邵蓉.德国创新药定价模式分析及其启示[J].中国物价,2015(6):36-39.
- [24] 丛佳林,杨晓晖,苏鹏丽,等.德国IQWiG药品价值评估框架的简介与启示[J].药物流行病学杂志,2021,30(7):447-451.
- [25] Haute Autorité De santé. Assessment of medicinal products[EB/OL]. [2025-08-20]. https://www.HAS-sante.fr/jcms/c_2035649/en/assessment-of-medicinal-products.
- [26] TOUMI M, MOTRUNICH A, MILLIER A, et al. Analysis of health economics assessment reports for pharmaceuticals in France-understanding the underlying philosophy of CEESP assessment[J]. J Mark Access Health Policy, 2017, 5(1): 1344088.
- [27] BAI Y K, YOU M Y. New drug listing process and reimbursement standard management[J]. J Dig Cancer Res, 2023, 11(2): 104-107.
- [28] 伍琳,陈永法.韩国和德国专利药价格谈判模式比较研究及启示[J].中国卫生政策研究,2015,8(10):62-67.
- [29] HASEGAWA M, KOMOTO S, SHIROIWA T, et al. Formal implementation of cost-effectiveness evaluations in Japan: a unique health technology assessment system[J]. Value Health, 2020, 23(1): 43-51.
- [30] 厚生労働省.薬価制度の抜本改革について(その2)③外国平均価格調整の在り方について[EB/OL]. [2025-08-20]. <https://www.MHLW.go.jp>.
- [31] TIESSEN J H, KATO K. Japanese healthcare: fostering competition and controlling costs[J]. Health Manage Forum, 2017, 30(4): 175-180.
- [32] Institute for Clinical and Economic Review. Who we are [EB/OL]. [2025-08-20]. <https://ICER.org/who-we-are/>.
- [33] 马玉芳,李雯霞,杨晓晖,等.美国ICER药品价值评估框架分析及思考[J].药物流行病学杂志,2021,30(7):441-447.
- [34] GOSS SAWHNEY T, THAKUR N. Drug cost-effectiveness assessments require standards for rigor and inclusion[J]. J Health Econ Outcomes Res, 2023, 10(1): 28-30.
- [35] Institute for Clinical and Economic Review. Value assessment framework[EB/OL]. [2025-08-20]. <https://icer.org/our-approach/methods-process/value-assessment-framework/>.
- [36] AGBOOLA F, WRIGHT A C, HERRON-SMITH S, et al. Evaluation of diversity of clinical trials informing health technology assessments in the United States: a 5-year analysis of institute for clinical and economic review assessments[J]. Value Health, 2023, 26(9): 1345-1352.
- [37] ANGELIS A, KANAVOS P, PHILLIPS L D. ICER value framework 2020 update: recommendations on the aggregation of benefits and contextual considerations[J]. Value Health, 2020, 23(8): 1040-1048.
- [38] 吕兰婷,傅金澜.我国台湾地区药品价格管理及其医保支付的经验与启示[J].中华医院管理杂志,2020,36(12):1011-1015.
- [39] 王美凤,王海银,丛鹏萱,等.台湾地区创新药医保支付方式经验及启示研究[J].世界临床药物,2021,42(3):223-228.
- [40] WONG C K H, WU O, CHEUNG B M Y. Towards a transparent, credible, evidence-based decision-making process of new drug listing on the Hong Kong hospital authority drug formulary: challenges and suggestions[J]. Appl Health Econ Health Policy, 2018, 16(1): 5-14.
- [41] WONG C, WU O, CHEUNG B. OP30 health technology assessment and the decision-making process of new drug listing in Hong Kong[J]. Int J Technol Assess Health Care, 2017, 33(S1): 14.

(收稿日期:2025-09-29 修回日期:2026-02-06)

(编辑:孙冰)