

美国超说明书用药医保支付管理研究及对我国的启示^Δ

曹柯瑶^{1*}, 李 伟^{1,2#}(1. 中国药科大学国际医药商学院, 南京 211198; 2. 中国药科大学医药市场准入政策研究中心, 南京 211198)

中图分类号 R95 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2026)12-1535-06

DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2026.12.03



摘要 **目的** 为完善我国超说明书用药的医保支付管理政策提供参考。**方法** 系统梳理美国公共医保中超说明书用药医保支付的制度框架与核心机制,总结经验并提出对我国超说明书用药医保支付的优化建议。**结果与结论** 美国已建立药品监管与医保支付分工明确的制度框架;美国FDA负责上市审批和推广行为监管,医保和医疗补助服务中心(CMS)负责制定报销政策,将“药品能否使用”与“药品能否支付”相区分。支付管理以动态更新的权威药物数据库为主要依据,以已发表的医学文献为辅助依据,构建循证决策基础。CMS通过年度公开申请和评估程序,对权威药物数据库名单进行动态调整;同时,通过事前授权机制,对高费用、高风险的超说明书用药进行前置审核,控制医保基金风险。建议我国在临床需求突出的疾病领域开展基于循证的医保支付试点,依托真实世界研究证据,选择已有一定循证证据支持的药品探索超说明书用药支付路径;同时引入事前授权机制,结合医保信息平台实现标准化审核,在保障合理用药的同时增强医保基金支出可控性,维护患者健康权益。

关键词 超说明书用药;医保基金;事前授权;医保支付;循证决策

Health insurance reimbursement management of off-label drug use in the United States and its implications for China

CAO Keyao¹, LI Wei^{1,2}(1. School International of Pharmaceutical Business, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China; 2. Pharmaceutical Market Access Policy Research Center, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China)

ABSTRACT **OBJECTIVE** To provide reference for improving relevant policies of health insurance reimbursement management for off-label drug use in China. **METHODS** The institutional framework and core mechanisms of public health insurance reimbursement for off-label drug use in the United States were systematically reviewed. Experiences were summarized and optimization suggestions for health insurance reimbursement of off-label drug use in China were proposed. **RESULTS & CONCLUSIONS** The United States has established a clearly defined institutional framework with division of responsibilities between drug regulation and health insurance reimbursement: FDA is responsible for marketing approval and promotional regulation, while the Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) is responsible for formulating reimbursement policies, distinguishing between “whether a drug can be used” and “whether a drug can be reimbursed”. Reimbursement management is built on an evidence-based decision-making foundation, primarily relying on dynamically updated authoritative drug compendia, supplemented by published medical literature. CMS dynamically updates the list of authoritative drug compendia through an annual public application and evaluation process. Additionally, prior authorization mechanisms are employed to conduct prospective reviews of high-cost, high-risk off-label drug uses, thereby controlling the risk to health insurance funds. It is recommended that China pilot evidence-based reimbursement for off-label drug use in disease areas with prominent clinical needs, relying on real-world research evidence and selecting drugs with certain evidence-based support to explore reimbursement pathways for off-label drug use. Meanwhile, prior authorization mechanisms should be introduced, combined with health insurance information platforms to achieve standardized reviews, so as to enhance the controllability of health insurance fund expenditures while ensuring rational

drug use and safeguarding patients' health rights and interests.

KEYWORDS off-label drug use; health insurance fund; prior authorization; health insurance reimbursement; evidence-based decision-making

Δ 基金项目 国家自然科学基金项目(No.72404281)

* 第一作者 硕士研究生。研究方向:医药政策与法规。E-mail: caokeyao1005@163.com

通信作者 副教授,硕士生导师,博士。研究方向:药物政策评估、医疗保障与药物经济学评价。E-mail:cpuliwei@163.com

超说明书用药,又称“药品说明书外用法”“药品未注册用法”“药品拓展性临床应用”等,是指药品使用的适应证、剂量、疗程、途径或人群等超出药品监督管理部门批准的药品说明书记载范围的用法^[1-2]。美国食品药品监督管理局(Food and Drug Administration, FDA)将该类用法定义为“已批准药物的未经批准使用(unapproved use of an approved drug)”,包括超适应证用药、改变给药方式用药以及超剂量用药^[3]。超说明书用药在全球临床实践中普遍存在,尤其在治疗选择相对有限或治疗策略快速演进的儿科、肿瘤等领域^[4]。2024年一项基于真实世界数据的研究对美国14种常见癌症的165 912例患者展开分析,结果显示,18.6%的患者在治疗过程中曾接受至少1种癌症药物的超说明书使用^[5]。在一定程度上,此类用药实践弥补了现有获批治疗方案的不足,满足了部分未被满足的临床需求。

我国《医师法》第二十九条明确规定,“在尚无有效或者更好治疗手段等特殊情况下,医师取得患者明确知情同意后,可以采用药品说明书中未明确但具有循证医学证据的药品用法实施治疗”,为我国超说明书用药提供了法律依据^[6]。然而,现行《国家基本医保、工伤保险和生育保险药品目录》的医保支付标准严格遵循《基本医保用药管理暂行办法》要求,仅对诊断、治疗与病情相符,且符合药品说明书适应证及医保限定支付范围的用药予以支付^[7]。由此,部分疾病领域的超说明书用药面临难以报销的现实困境。

相比之下,美国在超说明书用药的管理与支付方面形成了相对成熟的制度框架。美国的医保体系由公共医保和商业医保构成。公共医保包括面向65岁及以上老年人及特定残疾人群的医保(Medicare)、为低收入群体提供的医疗补助、儿童健康保险计划,以及退伍军人医疗保障;商业医保则分为团体保险和个人保险。美国的公共医保体系在坚持循证医学原则的基础上,对部分超说明书用药给予有条件报销。基于此,本文通过梳理美国医保和医疗补助服务中心(Centers for Medicare & Medicaid Services, CMS)、FDA官网的相关文件,并结合中国知网、万方数据、Web of Science等中英文数据库及搜索引擎中的文献资料,对美国公共医保超说明书用药医保支付实践情况展开分析,以期为我国完善超说明书用药医保支付政策提供参考。

1 美国超说明书用药医保支付管理的制度框架

1.1 法律依据

美国《联邦食品、药品和化妆品法案》充分尊重医师的处方权,并未禁止医师开具超说明书用药处方^[8]。因此,医师可以不受药品说明书适应证的严格限制,基于科学合理的医学证据开具处方。然而,已上市药品处方并不一定能获得医保支付方的报销。在美国,最大的医保支付方是CMS,负责管理两项重要的联邦公共医保计

划——医保和医疗补助^[9]。医保分为住院保险(Part A)、补充性医保(Part B)、医保优势计划(Part C)、处方药计划(Part D)四部分。其中,Part A和Part B被称为传统医保,其支付管理由经CMS委托的私人保险公司医保行政承包商(medicare administrative contractor, MAC)负责;Part D的支付由提供Part D的私人保险公司决定。鉴于Part C由私人保险公司提供,涵盖Part A、Part B的保障内容,并在部分计划中包含Part D处方药福利^[10],其支付规则较为复杂,本文未展开分析。Part A、Part B、Part D的医保支付法律依据、范围及特点见表1。

表1 Part A、Part B、Part D的医保支付法律依据、范围及特点

医保	法律依据	支付范围	特点
Part A、Part B	《社会保障法》第1862(a)(1)(A)条:禁止报销“不合理且不必要”(not reasonable and necessary)的医疗项目或服务	CMS制定的NCD或MAC制定的LCD	在无NCD的情况下,由MAC通过LCD进行支付管理,地区差异较大
Part D	《社会保障法》第1860D-4(b)(3)条:Part D可通过其自主制定的处方集实施药品支付管理	Part D制定的处方集	不同Part D之间的报销范围存在差异

NCD:全国承保决定;LCD:地方承保决定;《社会保障法》:美国 Social Security Act。

肿瘤领域的超说明书用药现象十分普遍,美国国家癌症研究所指出,许多超说明书用药事实上已成为特定癌种的标准治疗方案,医保拒付将直接导致患者无法获得临床医师认为最有效的治疗选择^[11]。为保障患者获得高质量的癌症治疗,美国《社会保障法》规定,若抗癌药物用于“医学上可接受的药物适应证”,则医保可予以支付。根据其《社会保障法》第1861(t)(2)条,Part A和Part B的“医学上可接受的药品适应证”须满足两个条件:一是该药品已获批上市,二是其超说明书用法获得以下1个或多个药物数据库的引证支持——《美国医学会药物评价》《美国医院处方集服务处:药物信息》《美国药典药物信息》以及卫生与公众服务部部长指定的其他数据库;或相关保险机构根据部长的指导,结合部长指定的已发表医学文献中的支持性临床证据,认定该用药在“医学上可接受”。此外,根据该法第1860D-2(e)(4)条,Part D对“医学上可接受的药物适应证”的认定原则与Part A和Part B基本一致,但额外将DrugDex数据库纳入可参考的药物数据库,并将适用范围由抗癌药物扩展至全部处方药。

1.2 支付管理政策

美国除《社会保障法》对医保支付有相关规定外,CMS还编写了《医保福利政策手册》(针对Part A和Part B)及《医保处方药福利政策手册》(针对Part D),系统阐释医保支付政策。其中,《医保福利政策手册》第15章和《医保处方药福利政策手册》第6章对超说明书用药的医保支付进行了专门说明。《医保福利政策手册》指出,已获FDA批准但用于超说明书适应证的药物,若MAC参

考权威药物数据库、权威医学文献和临床实践标准,认定该用法在“医学上可接受”,则可获得医保支付^[12]。同样,《医保处方药福利政策手册》指出,Part D可报销已上市药品用于医学认可的适应证,前提是超说明书适应证获得《美国医院处方集服务处:药物信息》或DrugDex数据库的用法支持^[13]。

1.3 支付管理框架

美国在超说明书用药的医保支付管理中,明确了药品上市监管与医保支付管理的职能边界,将“药品能否使用”与“药品能否支付”区分开来。FDA主要负责药品上市审批及相关推广行为的合规监管,而CMS则负责制定具体的报销政策,并监督其授权机构的报销决策过程。两者在各自法定职责范围内发挥作用,共同构成了超说明书用药支付管理的基本框架。

FDA以安全性和有效性为核心标准开展药品上市监管,药品获批适应证通常建立在充分证据支持的基础上。然而,FDA并不干预医师的超说明书处方行为,其主要通过规范企业营销推广行为、防止未经充分循证支持的超说明书用途被不合理推广或使用^[14]。在广告监管方面,依据《联邦食品、药品和化妆品法案》,面向消费者的药品广告必须严格限定于FDA批准的适应证范围。FDA可将企业宣传药品未获批准用途的任何行为认定为“标签不当”,并据此将该药品界定为“未经批准的新药”,一旦出现此类情况,制药企业可能面临禁制令、罚款、产品扣押乃至刑事责任等法律后果^[15]。在医师推广监管方面,FDA于2025年1月发布了《企业如何与医疗服务提供者就已上市医疗产品未经批准用途的科学信息进行沟通常见问答》^[16],对相关信息沟通提出了明确的合规要求。例如,制药企业主动就药品的超说明书用途与医师进行的任何沟通,均应科学严谨,并以特定形式进行,如提供已发表的科学或医学期刊论文、临床实践指南、权威参考书籍或数字化临床实践资源。

在FDA开展药品上市审批并对超说明书用药推广行为实施监管的基础上,MAC和Part D保险提供商在CMS的监督和指导下,依托CMS认证的权威药物数据库和事前授权制度,分别处理医保各部分的超说明书用药报销,形成了如图1所示的超说明书用药医保支付管理框架。

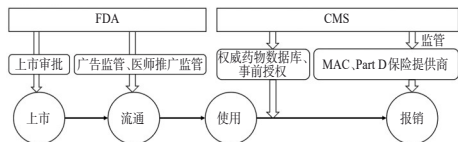


图1 美国超说明书用药医保支付管理框架示意图

2 美国超说明书用药医保支付管理的核心机制

美国相对成熟的超说明书用药医保支付管理机制不仅依赖FDA和CMS清晰的职责分工,其有效运行更依赖于一系列具体的支付管理机制。整体来看,循证决

策机制、权威药物数据库的动态调整机制以及事前授权机制,共同构成了美国医保超说明书用药支付管理的重要内容。

2.1 循证决策机制

循证决策机制是美国超说明书用药医保支付管理的重要支撑,其核心在于将支付决策建立在系统化、可核查的医学证据基础之上,而非单纯依据药品说明书的适应证。在医保支付实践中,CMS及其授权管理机构将权威药物数据库和已发表的医学文献作为主要证据来源,在尊重临床用药需求的同时,降低支付决策的主观性和随意性。《医保福利政策手册》第15章第50.4.5节和《医保处方药福利政策手册》第6章第10.6节对抗癌药物超说明书用药支付的循证依据规定较为明确^[12-13],故下文以抗癌药物为例,阐释美国超说明书用药医保支付的循证决策机制。

2.1.1 基于权威药物数据库获取循证依据

根据政策手册规定,若表2中任一权威药物数据库明确支持某抗癌药物的超说明书用法,且该用法未被表2中任何一个药物数据库标注为“不支持”“不适用”“不推荐”或其他等效否定性术语,则医保支付方不得仅以该用法未获FDA批准为由拒绝报销。

表2 美国医保认可的超说明书用药权威药物数据库报销认定依据

权威药物数据库	可报销	不可报销
《美国医院处方集服务处:药物信息》	内容表述支持该用法	内容表述不支持该用法
《美国国家综合癌症网络药品和生物制剂汇编》	I或2A类	3类
DrugDex数据库	I、IIa、IIb类	III类
临床药理学数据库	内容表述支持该用法	内容表述不支持该用法
Lexi-Drugs数据库	标注“超说明书使用”且证据等级为A	标注“不支持使用”

值得一提的是,上述用于支持超说明书用药支付决策的权威药物数据库并非由政府直接设立或运营,而是主要由专业学术组织或商业性药物信息服务机构开发和维护。其中,《美国医院处方集服务处:药物信息》由非营利性的美国卫生系统药师协会发布;《美国国家综合癌症网络药品和生物制剂汇编》由美国国家综合癌症网络编制;其余数据库则主要由商业机构开发并维护,包括Gold Standard公司发布的临床药理学数据库、Merative公司Micromedex体系提供的DrugDex数据库,以及Wolters Kluwer公司发布的Lexi-Drugs数据库。这些由非政府主体主导、专业机构参与构建的数据库,构成了超说明书用药医保支付循证决策的重要信息基础。

2.1.2 基于已发表的医学文献补充循证依据

医保支付方在判断抗癌药物是否能报销时还可参考已发表的医学文献。CMS的政策手册中列出了可供参考的26本权威医学期刊文献,包括American Journal of Medicine、Annals of Internal Medicine、Annals of Oncology等。在评估这些文献时,可考虑(包括但不限于)以下方面:(1)文献中的患者群体是否与保险受益人相似,包括病情、癌症类型等;(2)文献中的化疗方案是否

与保险受益人实际使用的方案相符;(3)文献的研究结果是否能够反映患者的真实获益,如生存期延长或症状改善;(4)文献的研究设计是否合理,比如非随机对照试验是否具有足够的样本量等。

总的来说,若抗癌药物的超说明书用法得到1个或多个权威药物数据库或已发表医学文献的支持,则可被认定为“医学上可接受”,予以医保支付。如果某种药品未获得FDA的上市批准或不在医保的报销范围内,或该药品的超说明书用法被1个或多个权威药物数据库认定为“不适用”,或已发表的医学文献认为该用法不具备安全性和有效性,则相应药品的超说明书用药不予报销。例如,某案例中,医师为1例肝内胆管癌患者使用伊立替康联合吉西他滨化疗,并申请Part B医保报销,MAC在审查中认为,该用法属于超说明书用药,既未获得FDA批准,也未被医保认可的权威药物数据库收录,且医疗机构提交的医学文献亦未达到医保规定的证据标准,因此该治疗不属于“医学上可接受”的治疗,相关药品费用被拒绝报销^[17]。

2.2 权威药物数据库的动态调整机制

动态调整机制指CMS并非一次性固定超说明书用药的权威药物数据库名单,而是通过持续评估与定期审查,对纳入医保支付管理体系的药物循证参考来源进行动态更新与优化。

2.2.1 调整标准

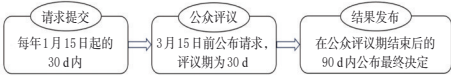
为提高权威药物数据库名单调整的科学性与透明度,CMS公开了权威药物数据库的十大理想特征(表3)^[18],并以此作为数据库动态调整的重要依据。

表3 美国超说明书用药权威药物数据库的理想特征

序号	特征	具体内容
1	收录范围广泛	覆盖尽可能多的药物与适应症条目
2	更新机制快速	从适应证录入申请到列入数据库应具备较短的处理周期
3	列出每条推荐的证据	对每项收录适应证提供清晰的证据说明与来源
4	预先公布评价标准	证据等级、评价流程有统一标准且公开透明
5	固定、公开的推荐流程	推荐依据及过程可公开查验,具有一致性与可重复性
6	明确“不推荐”	当有证据反对使用时必须明确指出
7	明确的序贯联合治疗建议	涉及序贯联合治疗的适应证应明确标注
8	明确“证据不定”	当证据不足或不确定时需给出明确“证据不定”标签
9	公示利益冲突	披露编写机构、评审者及委员会成员的潜在利益冲突
10	明确的利益冲突管理机制	建立健全识别、管理及处理利益冲突的程序

2.2.2 调整程序

CMS每年自1月15日起设立为期30 d的公开申请期,接受社会公众就权威药物数据库名单的新增或删除事项提出申请。符合标准的申请将于当年3月15日前在CMS官方网站公布,并进入为期30 d的公众意见征集期。公众意见征集期结束后,CMS将在90 d内通过官方网站公布最终结果。除上述年度常规调整程序之外,如涉及保护医保参保人利益等特殊情况,CMS亦可随时启动对权威药物数据库名单的调整程序(图2)。



注:此流程为年度周期,但CMS保留随时启动特别审查的权利。

图2 美国超说明书用药权威药物数据库名单年度调整流程

多年来,医保权威药物数据库名单保持相对稳定,表4列出了历年来数据库名单的重要变化^[12]。尽管这些药物数据库并非由政府直接设立或管理,但其专业性与权威性使其在药物临床应用评估及医保报销决策中具有重要参考价值。

表4 美国超说明书用药权威药物数据库的重要变化

数据库名称	1993年	2008年	2015年至今
美国医学会药物评价	√		
美国医院处方集服务处:药物信息	√	√	√
美国药典药物信息	√		
美国国家综合癌症网络药品和生物制剂汇编		√	√
DrugDex		√	√
临床药理学		√	√
Lexi-Drugs			√

2.3 事前授权机制

事前授权是指在患者接受医疗服务或配药前,需要获得医保的批准,以便保险能够报销该服务或处方药^[19]。该机制适用于多类医疗服务和处方药的支付管理,并可作为规范超说明书用药医保支付的重要工具。

2.3.1 适用范围

在医保支付实践中,事前授权并非强制性要求。一般来说,Part A和Part B不需要事前授权,Part D可能将事前授权作为辅助医保支付管理的手段之一。根据《社会保障法》第1860D-4(b)(3)(G)条,对于应纳入处方集的特定药品类别(即限制用药可能造成严重或危及生命的后果,且患者在同一治疗领域内需保留多种药物选择的药品),Part D可在有充分科学依据并在程序公开的前提下,通过包括事前授权在内的用药管理措施,对药品实施例外支付。《医保处方药福利政策手册》进一步指出,Part D可使用经CMS批准的事前授权制度以判断该处方药的使用是否符合医保支付标准。

为保障药物的合理使用并控制医保支出,越来越多的Part D要求在药品报销前通过事前授权来审核处方,尤其是生产成本低、流通要求高且用于治疗癌症或罕见病的特药^[20]。据统计,2007—2019年,美国Part D中需要事前授权的药品比例从8%增至约24%^[21]。

2.3.2 运行流程

当某处方药需要事前授权时,医疗服务提供者会向患者所参加的医保计划提交申请,并提供包括患者基本信息、既往病史、当前医疗需求等材料^[22]。医保支付方在收到材料后,将根据其覆盖标准,决定是否批准该药品的报销。对于涉及超说明书用药的事前授权申请,医

保支付方可能要求医疗服务提供者额外提供支持该超说明书用法的证据,或指派药师进行医学文献检索,查找支持该适应证的证据。随后,药师审核该超说明书用法的合理性,判断是否给予报销^[23]。一般来说,如果超说明书用法得到如《美国医院处方集服务处:药物信息》、Lexi-Drugs 等权威药物数据库的支持,则事前授权可能被批准。如果超说明书用法得到已发表的医学文献、公认的治疗标准或国家标准治疗指南的推荐,也可考虑认可该药品的超说明书用法^[24]。处方药事前授权流程见图3。

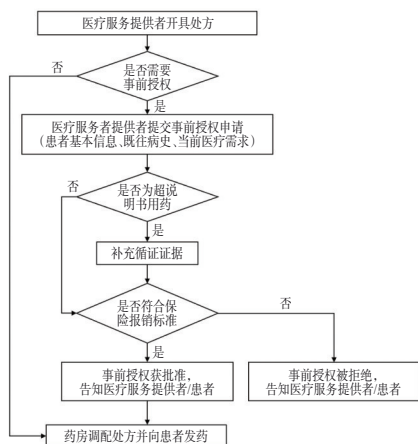


图3 处方药事前授权流程

综上,事前授权并非限制临床合理用药,而是在保障患者治疗权益的前提下,引导临床优先选择安全性和有效性更明确的治疗方案。对高费用、高风险或证据不足的用药场景实施事前授权,医保支付方既能降低不恰当用药导致的支付风险,也能提升医保基金的资源配置效率,为患者提供更具价值导向的医疗保障。

3 美国管理经验对我国的启示

3.1 完善政策框架,保障超说明书用药患者的健康权

美国较早通过立法及配套政策对超说明书用药的医保支付加以规范,逐步形成了多部门分工协作的监管框架。我国现行法律法规未明确将超说明书用药纳入医保支付范畴^[25]。在完善医保支付制度的过程中,我国需要关注部分疾病领域超说明书用药在临床实践中的广泛应用,尤其在肿瘤、儿科疾病等领域,部分超说明书用药已在循证基础上形成了相对稳定的临床应用模式。2025年,来自我国2家三级医院的研究数据显示,抗癌药物及儿科用药领域的门诊超说明书用药发生率分别为33.55%和31.52%^[26-27]。在“十五五”规划明确提出实施健康优先发展战略的总体背景下,我国可探索在《医疗保障法》的立法框架下,进一步通过医保领域的部门规章或规范性文件,明确超说明书用药纳入医保支付所应满足的循证证据等级及审评审批程序,将保障患者健康权的理念更为具体地落实到医保支付与政策实践之中。

3.2 以真实世界研究为决策依据,选择部分药品试点支付

尽管我国超说明书用药尚未获得医保支付的支持,部分地区已开展初步探索,发布了区域性超说明书用药专家共识或目录。例如,广东省药学会和山东省药学会均牵头编制了本省的超药品说明书用药目录或专家共识^[28-29],为临床实践提供参考。然而,这些区域性成果主要用于规范临床用药行为,尚未与医保支付制度建立有效衔接。美国医保支付对超说明书用药采取“证据导向”原则,即是否纳入报销的关键不在于该用法是否获得FDA批准,而在于其是否被认定为“医学上可接受”。相较之下,我国尚未形成全国统一的超说明书用药高级别循证证据体系^[30]。

我国医保管理部门可结合药品真实世界医保综合评价评价工作的推进,考虑选择超说明书用药较为普遍、已有一定循证证据支持的疾病领域,探索基于真实世界评价证据的超说明书用药支付试点工作。在试点工作中,首先,纳入试点的药品应开展由医保部门指导的真实世界评价,确定超说明书用药的合理性;其次,将获得真实世界评价支持的药品纳入医保支付范围,对医保目录的“备注”进行调整;最后,可以考虑将超说明书药品纳入医保协议管理,参照谈判药品的续约管理机制,对医保基金支付风险进行管理。

3.3 增加事前授权机制,有效控制基金风险

在美国医保支付实践中,事前授权机制并非管理超说明书用药的必要环节,主要针对医保中的Part D,重点考虑价格高昂、治疗罕见病或严重疾病的特药在使用中的临床风险和基金风险。就我国而言,超说明书用药纳入医保支付后可能带来的费用增量与基金压力,目前尚缺乏精确的定量评估。在基金影响存在不确定性的情况下,建议在试点初期将事前授权机制作为超说明书用药支付管理的必要环节。考虑到我国有多达100.5万家的定点医药服务机构^[31],监管难度较大,事前授权可借助医保信息管理系统等既有信息化平台,实现对标准化申请的自动校验与快速响应,既能有效降低医保基金在超说明书用药支付中的风险,也可积累医保对合理用药开展前置审核的相关经验。

4 结语

本文系统梳理了美国公共医保体系中超说明书用药的支付实践,发现其通过立法及配套政策,将循证医学作为医保报销决策的核心依据,并借助事前授权机制强化支付风险管控,实现了超说明书用药的规范化医保支付。相较而言,我国临床实践中仍存在合理超说明书用药报销困难的问题。为更好地维护患者的健康权益,建议我国借鉴国际经验,结合自身医疗和医保体系特点,以真实世界研究为决策依据,优先在部分临床需求突出的疾病领域开展循证支付试点;同时,引入事前授权机制并结合既有信息化平台,对医保支付过程进行精细化管理,以保障医保基金可控。

参考文献

- [1] 张镭,谭玲,陆进.超说明书用药专家共识[J].药物不良反应杂志,2015,17(2):101-103.
- [2] 左玮,刘容吉,孙雅佳,等.《中国超药品说明书用药管理指南(2021)》推荐意见及要点解读[J].协和医学杂志,2023,14(1):86-93.
- [3] U.S. Food and Drug Administration. Understanding unapproved use of approved drugs “off-label”[EB/OL]. (2018-02-05)[2026-01-21]. <https://www.FDA.gov/patients/learn-about-expanded-access-and-other-treatment-options/understanding-unapproved-use-approved-drugs-label>.
- [4] KATEEL R, HEGDE S, HOLLA S. Mapping the therapeutic versatility of WHO essential medicines: a systematic analysis of off-label indications[J]. Ther Adv Drug Saf, 2025, 16:20420986251386215.
- [5] LIU R S, WANG L S, RIZZO S, et al. Systematic analysis of off-label and off-guideline cancer therapy usage in a real-world cohort of 165 912 US patients[J]. Cell Rep Med, 2024, 5(3):101444.
- [6] 全国人民代表大会常务委员会. 中华人民共和国医师法[EB/OL]. (2021-08-20)[2026-01-21]. http://www.npc.gov.cn/npc/c2/c30834/202108/t20210820_313104.html.
- [7] 国家医疗保障局. 基本医疗保险用药管理暂行办法[EB/OL]. (2020-07-30)[2026-06-12]. <https://www.nhsa.gov.cn/attach/0/bab0c20ab5604f69ab84ae22ab520274.pdf>.
- [8] 王卫国,鄢思佳,古津贤.美国超说明书用药对我国启示的伦理思考[J].中国医学伦理学,2018,31(7):886-889.
- [9] SHAW D L, DHRUVA S S, ROSS J S. Coverage of novel therapeutic agents by Medicare prescription drug plans following FDA approval[J]. J Manag Care Spec Pharm, 2018, 24(12):1230-1238.
- [10] Medicare. Parts of Medicare[EB/OL]. [2026-01-21]. <https://www.Medicare.gov/basics/get-started-with-Medicare/Medicare-basics/parts-of-Medicare>.
- [11] FEBRUARY R. Reimbursement for cancer treatment: coverage of off-label drug indications[J]. J Clin Oncol, 2006, 24(19):3206-3208.
- [12] Centers for Medicare & Medicaid Services. Medicare benefit policy manual, Chapter 15: covered medical and other health services[EB/OL]. (2025-04-11)[2026-01-21]. <https://www.CMS.gov/regulations-and-guidance/guidance/manuals/downloads/bp102c15.pdf>.
- [13] Centers for Medicare & Medicaid Services. Medicare prescription drug benefit manual, Chapter 6 Part D: drugs and formulary requirements[EB/OL]. (2016-01-15)[2026-01-21]. <https://www.CMS.gov/Medicare/Prescription-Drug-Coverage/PrescriptionDrugCovContra/Downloads/Part-D-Benefits-Manual-Chapter-6.pdf>.
- [14] STAFFORD R S. Regulating off-label drug use: rethinking the role of the FDA[J]. N Engl J Med, 2008, 358(14):1427-1429.
- [15] 付洁,王岳.美国面向消费者处方药广告的监管机制研究[J].中国药房,2025,36(22):2760-2765.
- [16] U. S. Food and Drug Administration. Communications from firms to health care providers regarding scientific information on unapproved uses of approved/cleared medical products: questions and answers[EB/OL]. [2026-01-21]. <https://www.FDA.gov/media/184871/download>.
- [17] Departmental Appeals Board. Order of Medicare appeals council remanding case to administrative law judge[EB/OL]. (2009-10-21)[2026-03-11]. https://www.hhs.gov/sites/default/files/static/dab/decisions/couNCIL-decisions/texas_oncology.pdf.
- [18] Centers for Medicare & Medicaid Services. Compendia 1861 (t) (2) -anti-cancer[EB/OL]. (2024-09-10)[2026-01-21]. <https://www.CMS.gov/Medicare/coverage/determination-process/basics/compendia-1861-t2-anti-cancer>.
- [19] Healthcare. Prior authorization[EB/OL]. [2026-01-21]. <https://www.healthcare.gov/glossary/prior-authorization/>.
- [20] ISMAIL W W, WITRY M J, URMIE J M. The association between cost sharing, prior authorization, and specialty drug utilization: a systematic review[J]. J Manag Care Spec Pharm, 2023, 29(5):449-463.
- [21] RESNECK J S Jr. Refocusing medication prior authorization on its intended purpose[J]. JAMA, 2020, 323(8):703.
- [22] National Association of Insurance Commissioners. What is prior authorization[EB/OL]. (2024-11-05)[2026-01-21]. <https://content.naic.org/article/what-prior-authorization>.
- [23] Academy of Managed Care Pharmacy. Prior authorization[EB/OL]. [2026-01-21]. <https://www.amcp.org/concepts-managed-care-pharmacy/prior-authorization>.
- [24] FORRESTER C. Benefits of prior authorizations[J]. J Manag Care Spec Pharm, 2020, 26(7):820-822.
- [25] 罗博文,虞晓晴,马韶青.浅析超说明书用药医疗保险支付的实施路径[J].中国食品药品监管,2024(11):134-141.
- [26] 南婷婷,蔡瑞娜,吴小红,等.某三级医院门诊抗癌药物超说明书用药的现状分析与循证评价[J].海峡药学,2025,37(11):72-76.
- [27] 赵丹,程军,郭星.基于循证医学的儿科门诊超说明书用药评估及分级管理策略[J].实用药物与临床,2025,28(9):715-720.
- [28] 广东省药学会.关于发布《超药品说明书用药目录(2025年版)》的通知[EB/OL]. (2025-08-13)[2026-03-08]. <http://www.sinopharmacy.com.cn/notification/3364.html>.
- [29] 唐琳,李碧,武海艳,等.山东省超药品说明书用药专家共识(2022版)系列:儿科超药品说明书用药专家共识[J].中国合理用药探索,2022,19(11):33-45.
- [30] 钱亚芳.超说明书用药的理论证成及规制修正[J].中国医院管理,2024,44(10):87-90.
- [31] 国家医疗保障局.中国医疗保障统计年鉴:2024[M].北京:中国统计出版社,2024:89.

(收稿日期:2026-02-02 修回日期:2026-06-13)

(本文责编:舒安琴)