关于药物经济学评价体系理论研究的思考与建议

王玎[1]，宋书典[1]，王宁[1]，张赛楠[2]，苏萍[1]，张娜[1]，李磊[1*]（1.山东健康医疗大数据管理中心，山东 济南 250002；2.潍坊市第二人民医院，山东 潍坊 261000）

摘要：目的 安全、有效、经济、适当的合理用药成为医疗服务中至关重要的一环，通过总结近年来药物经济学评价体系相关理论研究，旨在提出一套可操作易推广的药物经济学评价路径。**方法** 主要通过文献研究、专家咨询、比较研究等方法，分析药物经济学评价体系存在的问题，提出相关建议。**结果** 目前我国药物经济学评价体系相关理论研究存在评价体系不够系统、评价维度不够丰富、数据存在孤岛问题，需进一步完善评价体系，提高药物经济学评价理论，加强研究结果的推广性。**结论** 提出“政策引导-指标优化-数据驱动”三位一体评价体系的发展路径，旨在丰富完善药物经济学评价体系，提高医药资源配置的整体效率，为深化医药卫生体制改革提供有益参考。

关键词：药物经济学；评价体系；创新应用

中图分类号：R956 **文献标志码：**A **文章编号：**1674-229X（2026）04-0294-05

Doi：10.12048/j.issn.1674-229X.2026.04.008

Thoughts and Suggestions on Theoretical Research of Pharmacoeconomic Evaluation System

WANG Ding[1], SONG Shudian[1], WANG Ning[1], ZHANG Sainan[2], SU Ping[1], ZHANG Na[1], LI Lei[1*] (1. *Shandong Health and Medical Big Data Management Center*, *Jinan*, *Shandong* 250002, *China*; 2. *Weifang Second People's Hospital*, *Weifang*, *Shandong* 261000, *China*)

ABSTRACT: OBJECTIVE Safe, effective, economical and appropriate rational drug use has become a crucial part of medical services. By summarizing the relevant theoretical research on pharmacoeconomic evaluation systems in recent years, this paper aims to propose a set of operable and easily promotable pharmacoeconomic evaluation paths. **METHODS** This study mainly adopts literature research, expert consultation, comparative research and other methods to analyze the problems existing in the pharmacoeconomic evaluation system and put forward relevant suggestions. **RESULTS** Currently, there are issues with the relevant theoretical research on the pharmacoeconomic evaluation system in China, including an insufficiently systematic evaluation system, insufficient evaluation dimensions, and isolated data. It is necessary to further improve the evaluation system, enhance the theory of pharmacoeconomics evaluation, and strengthen the generalizability of research results. **CONCLUSION** This paper proposes a development path of the "policy guidance indicator optimization data-driven" trinity evaluation system, aiming to enrich and improve the pharmacoeconomic evaluation system, enhance the overall efficiency of pharmaceutical resource allocation, and provide useful references for deepening the reform of the medical and health system.

KEYWORDS: pharmacoeconomics; evaluation system; innovative application

药物经济学是一门为解决医药资源配置不合理而产生和发展起来的新兴交叉学科，基于经济学的理论基础，对医药技术的经济成本和综合收益进行系统、科学的比较分析，形成用于决策所需的最优选择方案，以改善医药资源配置，提升医药产品的使用效率[1]。相关研究表明，随着经济发展规模的快速增长及国民收入水平的不断提高，居民消费结构中医疗服务支出增长率最大，居民健康重视程度不断提高。2009年，深化医药卫生体制改革以来，国家又陆续出台了《中国药物经济学评价指南（2020版）》《国家医保药品目录调整申报指南》《关于做好当前医疗服务价格动态调整工作的意见》《关于建立医疗服务价格动态调整机制的实施意见（试行）》等一系列政策文件，确保药物经济学评价的科学性和公正性，旨在控制医药费用负担，保障医疗卫生服务的质量。截至2024年10月

基金项目：潍坊市中央财政支持公立医院改革与高质量发展示范项目（ZFCG-2024-0000505）；委托课题-潍坊市基于数据互通共享的“三医”协同发展与治理研究（2024WF06）

作者简介：王玎，正高级工程师，硕士 ***通信作者：**李磊，硕士，E-mail：nahdyw@shandong.cn

底，我国医保基金为协议期内谈判药品支付累计超过3 500亿元，惠及患者8.3亿人次[2]。本文主要从近年药物经济学评价体系研究现状出发，分析其存在的困难，并提出思考与建议。

1 现阶段研究现状

传统经济学将评价指标分为3大类，即时间性指标、价值性指标和效率性指标。药物经济学旨在将经济学等相关学科的原理与方法应用于药学与医疗卫生领域，以提升医药卫生资源配置的总体效率，实现最大程度的健康结果改善[3]。如果说传统经济学更专注于“性价比”“利润”等因素，那么药物经济学除了“性价比”外，还需要注重药物治疗的效果等健康医疗行业独有的因素。

1.1 评价体系

药物经济学国内现阶段关于药物经济学评价体系的研究，可按照疾病种类进行划分，研究成果较为零散，在糖尿病、精神病、癌症等领域均有涉及，且研究多为单一药物的评价或几种药物的对比。如在糖尿病研究方面，张明等[4]开展关于西格列汀二甲双胍复合制剂治疗2型糖尿病的药物经济学评价研究，俞恬等[5]对胰高血糖素样肽1受体激动剂联合二甲双胍治疗2型糖尿病进行经济学评价。在精神类疾病的研究方面，洪怀章等[6]开展利培酮与阿立哌唑治疗精神分裂症的经济型评价，柳杨等[7]开展锂盐联合喹硫平与氯氮平对于双相躁狂疾病的药物经济型评价。在癌症的研究方面，刘成裕等[8]开展度伐利尤单抗对于肺癌治疗的药物经济学评价，邢玥等[9]开展曲妥珠单抗生物仿制药与原研药治疗乳腺癌的药物经济学对比评价。药物经济学研究在国外起步较早，美英两国率先推出行政法规，规定新药上市前需提交经济学评价报告，法国立法规定药品在纳入国家报销目录前须提交材料，提交材料是由临床与经济评价研究所主导的评价体系。《新英格兰医学杂志》多次刊发药物经济学应用对医疗决策指导意义的专论。药物经济学是英国、法国、德国、加拿大、澳大利亚、韩国等众多发达国家在制定本国药品医保准入与支付决策时的重要工具。国际实践越来越证明，药品价值评估可以更好遴选出综合价值更高的药品纳入医保目录，短期看可以更好兼顾医保基金使用效率和患者公平性，长期看也应该有助于医药产业的研发创新。总之，建立完善的药物经济学评价体系，充分运用药物经济学证据，对于促进创新药品纳入医保目录、提高医保基金管理与运行效率具有重要意义。

1.2 评价方法

由于药物经济学评价方法的科学性与规范性在应用实践中具有重要作用，不同的评价方法可能存在颗粒度差异，导致其研究结果显现出显著差异，从而影响药物经济学评价的可比性、科学性及实践性，最终影响评价结果的适用价值。按照不同评价方法对药物经济性现阶段的研究现状进行分析，可以大致分为成本分析、成本效果分析、成本效用分析等几种类型。成本分析包括药物的研发成本、生产成本、市场推广成本等。通过对这些成本的分析，可以了解药物价格形成的基础和影响因素。药物经济学研究中的成本一般包括直接医疗成本、直接非医疗成本、间接成本、隐性成本（无形成本），具体定义见表1[1]。

但成本分析仅考虑单一因素，具有一定的局限性，因此使用较少，而成本效果分析、成本效用分析等使用较多。成本效果分析中的效果一般指的是药物的使用效果。多数情况下，只能获得试验条件下的临床疗效指标。如吴菲等[10]在开展亚胺培南/西司他丁与美罗培南在中重度肺部感染人群中的成本效果分析时，效果使用炎症指标、临床症状和体征和胸片情况等指标。成本效用分析通常使用健康效用值来衡量，当目标人群为健康人群时，建议使用通用效用值测量量表。当目标人群为患病人群，且有适合该病种的效用值测量量表时，建议使用疾病专用效用值测量量表。如陈子佳等[11]开展安脑丸联合降血压药治疗高血压病的经济学评价时，除了治疗前后收缩压、舒张压水平情况外，还考虑了欧洲眩晕评分量表等进行效用评价。质量调整生命年是目前最常见的效用评价，多用于评价和比较健康干预。它是将一个人的实际生存年数

表1 常见药物经济学成本类型及定义

成本类型	定义
直接医疗成本	某种治疗方案所消耗的医疗成本，如医药费、手术费、检查检验费、护理费等
直接非医疗成本	医疗服务过程中除直接消耗的医疗成本以外的成本，如交通、餐饮、住宿、营养保健等
间接成本	由于疾病、伤残或死亡造成的患者和其家庭的劳动时间及生产率损失，如休学、休工、早亡等所造成的工资损失等
隐性成本（无形成本）	由疾病造成的疼痛、悲伤、精神创伤、紧张等非经济性结果

换算成相当于完全健康的人生存了几年，调整生命年=健康效用值×实际生存时间。武志强等[12]在进行动脉粥样硬化性心血管疾病患者附加使用依洛尤单抗的成本效果分析中使用质量调整生命年作为效用分析。梁平等[13]在进行HER-2阴性转移性乳腺癌的药物经济学评价中使用一线治疗的药物经济学评价的效用分析中使用质量调整生命年作为效用分析。除此之外，健康年当量也是效用分析的一种评价指标，健康年当量=死亡寿命损失年+疾病健康损失年，更倾向于疾病负担分析。因此，建立科学有效的药物经济学评价体系，科学评估并有效配置医药资源是深化医药卫生体制改革的重大议题。

2 现阶段存在问题

从上述分析可以看出，现阶段药物经济学存在下列问题。

2.1 评价体系碎片化，缺乏统一理论框架体系

尽管《中国药物经济学评价指南（2020版）》初步建立了技术标准，但在实际应用中，不同研究机构的研究重点和方法存在较大差异，导致研究结果的可比性和综合性差。如成本边界界定、贴现率取值等核心方法仍存在显著差异。以肿瘤和慢性病领域为例，同类药物的经济学评价常因模型假设不同导致结论不可比，难以支撑普适性卫生决策。此外，在药物经济学研究中，多数是对单一药物或治疗方案的经济评价，而缺乏对多种药物或治疗策略进行比较和评价的研究，对于WHO倡导的“全病程管理成本效益分析”尚未形成系统实践，制约了治疗策略的全局优化。

2.2 评价维度单一化，尚未满足社会多元需求

现阶段药物经济学研究主要采用的方法是经济评价，即通过成本效益分析等方法评估药品在经济、社会和健康方面的效果。忽视多维价值评估框架的应用，对患者偏好、社会伦理、社会价值取向、文化背景等因素量化不足，研究结论对于实际医学决策的指导作用有限。在倡导个人主动健康的时代背景下，单一价值导向难以满足个体化、精准化的医疗决策需求。

2.3 数据融合孤立化，制约研究结果外推性

当前药物经济学研究仍面临数据割裂与高质量数据供给不足等问题，真实世界数据来源分散，各地区、各层级、各机构之间仍存在数据孤岛问题，医疗数据与医保数据尚未完全打通，导致研究结果区域化、片面化。另一方面还存在数据质量较低问题，数据的完整性和准确性标准不统一，仍需专项数据治理，同时前瞻性数据更新相对滞后，也会导致模型预测结果偏离实际临床场景，以上问题严重削弱了研究证据的政策转化效力，制约了研究结果的外部推广性。

3 基于药物经济学的理论研究的思考与建议

针对以上问题，本文设计了一条“政策引导-指标优化-数据驱动”三位一体的发展路径。

3.1 强化顶层设计，构建政策协同机制

结合卫生医疗领域的特色，从政府层面出台相关的政策文件，制定相对统一、科学的药物经济学评价指南和指标体系，明确各类评价方法如成本效果分析、成本效用分析等方法的适用场景和计算规则。影响药物经济学政策制定的因素包括但不限于影响药品研发、生产、定价、报销和使用效率的关键因素，这些因素通常涉及政府、企业、医疗机构、患者等多维主体，因此，在此类政策制定的过程中，不应用线性理论模型过分强调秩序与理论性，更要关注不同因素之间相互影响和其间接存在的非线性关系。郑石明等[14]在《复杂性公共政策：范式变迁、研究框架与展望》中提出，研究复杂性公共政策的框架可以从3个层面来考虑，即宏观层面、中观层面与微观层面。其中，宏观层面可以将影响因素划分为较为稳定的社会因子和相对不稳定的、动态的影响因素。在药物经济学领域稳定的影响因素可以是《中华人民共和国药品管理法》《中华人民共和国价格法》等出台的药物层面、经济层面的法律法规。而较为不稳定的因素可以是当前社会的经济形势，人民群众对健康的理解，药企的舆论环境等等。中观层面强调决策的过程，需要政府层面识别政策问题、社会利益、政治利益等，需要将政策问题概念化。微观层面显示了政策问题的复杂性，强调各利益主体对政策的影响，即医药企业、保险公司、医保部门、患者及家属对于某一项政策的意见建议，并需要寻找各方利益的均衡性。这种复杂的政策设计框架作用在药物经济学见图1。

政府决策部门确定具体要解决的政策问题，综合考虑宏观层面的两类因素和微观层面不同主体的意义需求，提炼出公共政策。并通过征求公众意见，试行政策等形式，更新优化迭代政策，形成动态更新、满足时代发展的药物经济学政策体系。例如，建立激励创新政策和容错机制，激励高校、科研机构等加大对药物经济学的研发投入，综合考虑国

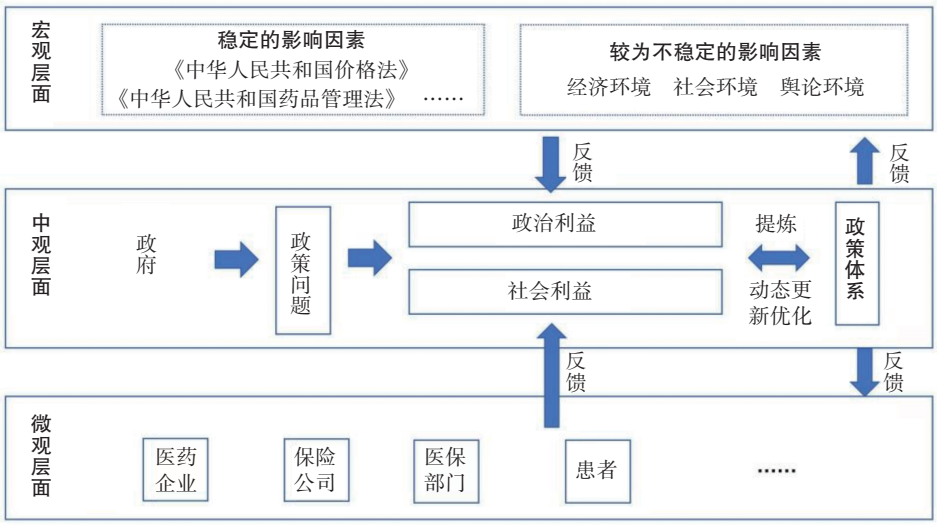


图1 药物经济学复杂政策制定协同流程

家层面对科研支持力度，科研机构、医疗机构的数据需求、财政需求等，建立税收减免、研发补贴、市场独占期等相关政策措施，形成对药物定价、医保定价等的先进建议意见，针对科研提出的政策意见，开展相关试点工作，对于试点成果较好的经验做法，完善政策体系，明确各方责任，从而提升我国药物经济学评价水平，减轻国家医保负担。加强对药品价格、使用情况的监管，严厉打击药品价格欺诈、滥用等行为，维护市场秩序和患者权益。

3.2 优化评价维度，构建多维指标评价体系

在构建药物经济学评价指标体系时，在全面考虑药物的各类成本并紧密结合药物的临床效果、安全性及患者生活质量改善程度等的前提下，以临床价值提升为核心导向，以提升经济效应为重点，同时综合考虑患者价值和创新价值，将健康公平性、患者满意度、社会伦理考量等外部因素纳入指标评价体系，通过三级分层结构实现多维度的科学量化评估。形成一套兼顾效率、全面与人文关怀的药物经济学评价指标，如表2所示。以更好地指导药物资源的合理配置，促进医疗服务的可持续发展，确保患者获得性价比最优的治疗方案。

3.3 推动数据融合，基于真实世界数据开展研究

建立跨机构、跨地区、跨行业的可信数据共享平台，整合电子病历（EMR）、医保结算数据、患者登记系统、药品销售数据等，形成覆盖临床、经济和患者维度的综合数据库，为药物经济学研究提供基于真实世界数据的研究环境，统一的数据访问接口和共享机制，方便研究人员安全高效使用所需医疗数据。相关部门研究制定统一的药物经济学相关的数据标准和规范，鼓励医疗机构和科研单位采用统一的数据标准和规范进行数据采集、存储和分析。推动数据服务企业推出药物经济学分析模块，嵌入成本效果分析（CEA）、预算影响分析（BIA）等标准化工具，提升研究效率，图题情况见图2。鼓励医疗机构、科研单位、高校等之间加强联合攻关，充分利用各方资源和优势，共同解决药物经济学研究中的难题和挑战，形成科研生态，提高研究效率质量。

表2 药物经济学指标构建

一级指标	二级指标	三级指标
临床价值	疗效	症状改善程度
		患者报告结局
	安全性	不良事件发生率
		特殊风险监测
	治疗属性	治疗周期
		给药频率
经济价值	成本参数	直接成本
		间接成本
		隐性成本
	预算	治疗费用
		可支配收入
患者价值	体验感知	治疗满意度
		生活质量改善度
		疾病后期影响度
	公平可及	特殊人群可及性
		地域覆盖性
		伦理公平性
创新价值	临床创新性	需求满足性
		突破性疗法
	技术突破性	治疗模式
		外推性

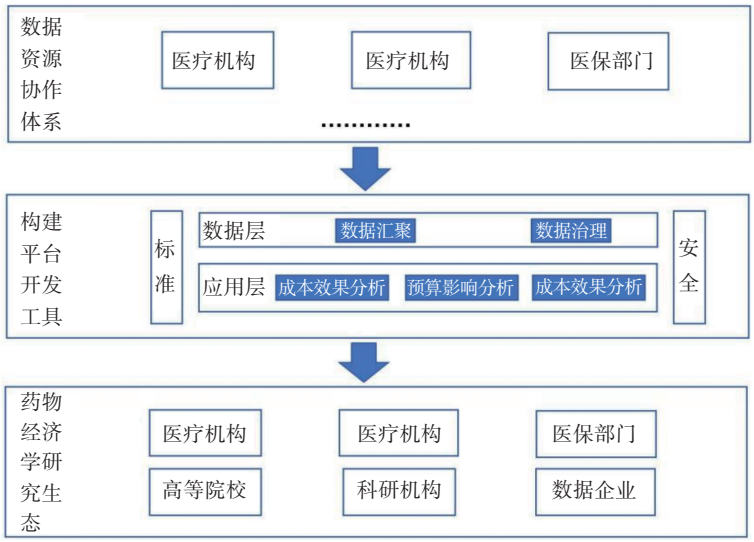


图2　基于数据融合的药物经济学真实世界研究架构

4　结语

在全球医疗费用攀升与人口老龄化加剧的双重挑战下，药物经济学作为优化医药资源配置、实现“价值医疗”的核心工具，其评价体系理论创新与实践应用的重要性日益凸显。本文通过系统梳理我国药物经济学研究现状，揭示了当前存在的三大关键问题，并提出构建“政策引导-指标优化-数据驱动”三位一体的发展路径。首先，需强化顶层设计，建立动态更新的方法学框架，提升评价结果的可比性；其次，应突破传统经济评价的局限，将健康公平性、患者生活质量改善、社会伦理考量等纳入多维价值评估体系，回应“以患者为中心”的医疗改革诉求；最后，亟需借助大数据、区块链等新兴技术整合医疗、医保、医药数据资源，提高数据资源质量，通过真实世界证据与随机对照试验的互补，破解数据割裂与质量参差的困境。

展望未来，药物经济学研究需在政策协同与技术赋能的双重驱动下实现突破，前瞻性布局基因治疗、细胞疗法等高成本创新技术的经济学评估方法研究，为医疗科技可持续发展提供科学依据。唯有通过理论创新与实践迭代的良性互动，方能实现医药资源的精准配置，最终构建兼顾效率、公平与创新的卫生健康服务体系。

参考文献

[1]《中国药物经济学评价指南》课题组，刘国恩，胡善联，等. 中国药物经济学评价指南(2011版)[J]. 中国药物经济学，2011，6(3)：6-9.

[2] 国家医疗保障局. 国家医保局2024年国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录调整新闻发布会实录[EB/OL](2024-11-28) https://www.nhsa.gov.cn/art/2024/11/28/art_14_14889.html

[3] 中国药学会药物经济学专业委员会. 中国药物经济学评价指南2020[S]. 2020.

[4] 张明，张荣迪，刘璐，等. 西格列汀二甲双胍复合制剂治疗2型糖尿病的药物经济学评价[J]. 实用药物与临床，2023，26(12)：1104-1109.

[5] 俞恬，刘少华，魏安华，等. 基于Markov模型的胰高血糖素样肽1受体激动剂联合二甲双胍治疗2型糖尿病药物经济学评价[J]. 药物流行病学杂志，2024，33(4)：388-401.

[6] 洪怀章，朱惠娟，林娟，等. 基于Markov模型的利培酮与阿立哌唑治疗精神分裂症的药物经济学评价[J]. 中国药物经济学，2024，19(2)：5-7.

[7] 柳杨，梁俊，夏清荣，等. 锂盐联合喹硫平与氯氮平应用于双相躁狂发作的药物经济学评价[J]. 药物流行病学杂志，2021，30(9)：611-615.

[8] 刘成裕，覃方，刘卢路，等. 度伐利尤单抗用于广泛期小细胞肺癌一线治疗的药物经济学研究系统评价[J]. 中国医院药学杂志，2024，44(21)：2523-2528.

[9] 邢玥，刘通，滕雪，等. 曲妥珠单抗生物仿制药对比原研药治疗复发或转移性HER-2阳性乳腺癌的药物经济学评价[J]. 中国药房，2024，35(9)：1113-1117.

[10] 吴菲，眭玉霞，魏晓霞，等. 亚胺培南/西司他丁与美罗培南在中重度肺部感染人群中的成本效果分析[J]. 安徽医药，2021，25(6)：1263-1266.

[11] 陈子佳，崔鑫，韩晟，等. 安脑丸联合降血压药治疗原发性高血压病的经济学评价：一项基于决策树模型的研究[J]. 中国中药杂志，2024，49(6)：1683-1689.

[12] 武志强，赵琪蕾，海鑫. 动脉粥样硬化性心血管疾病患者附加使用依洛尤单抗的成本效果分析[J]. 中国药物应用与监测，2021，18(2)：79-83.

[13] 梁平，王玉栋，白靖，等. 贝伐珠单抗联合紫杉醇用于HER-2阴性转移性乳腺癌一线治疗的药物经济学评价[J]. 中国现代应用药学，2021，38(1)：82-86.

[14] 郑石明，李红霞. 复杂性公共政策：范式变迁、研究框架与展望[J]. 政治学研究，2024(2)：180-193.

(收稿日期：2025-06-13；在线出版日期：2026-02-12)