【药物评价】

扩展成本效果分析方法介绍及案例分析

董璠玓[1]，张海军[2]，袁　妮[1]*
（1. 大连医科大学公共卫生学院，辽宁大连 116044；2. 北京大学中国卫生发展研究中心，北京 100871）

摘要：目的 通过简要介绍扩展成本效果分析（extended cost-effectiveness analysis，ECEA）方法和两个扩展成本效果分析案例，阐明其应用流程和应用情况，为 ECEA 在中国的应用提供有益参考。**方法** 利用文献研究法，搜集、鉴别、整理近年来与 ECEA 相关的文献资料进行研究。**结果** 通过 ECEA 案例研究可以发现，大部分健康干预措施实施后，贫困人口获得的健康收益和财务风险保护等各方面的收益最多。**结论** ECEA 可以弥补现有药物经济学评价方法的不足，提高卫生资源配置效率，促进卫生事业朝着更稳定、更公平的方向发展，在中国具有广阔的应用前景。

关键词：药物经济学评价；扩展成本效果分析；成本效果分析；公平性；财务风险保护
中图分类号：R195　　**文献标志码：**A　　**文章编号：**1672-9188(2023)02-0161-07
DOI：10.13683/j.wph.2023.02.010

Introduction to extended cost-effectiveness analysis and case study

DONG Fanyu[1], ZHANG Haijun[2], YUAN Ni[1]*
(*1. School of Public Health, Dalian Medical University, Dalian 116044, Liaoning Province, China;*
2. China Center for Health Development Studies, Beijing 100871, China)

Abstract: ***Objective*** By briefly introducing the extended cost-effectiveness analysis (ECEA) method and two cases, illustrated the application process and situation, and provided a useful reference for the application of ECEA in China. ***Methods*** The literature research method was used to collect, identify and sort out the literature related to ECEA in recent years for research. ***Results*** Through ECEA case studies, it was found that after implementation of most health interventions, the poor people received the most health gains and financial risk protection. ***Conclusion*** ECEA can make up for the shortcomings of existing pharmacoeconomic evaluation methods, improve the efficiency of health resource allocation, and promote the development of health undertakings in a more stable and equitable direction, which has broad application prospects in China.

Key words: pharmacoeconomic evaluation; Extended Cost-Effectiveness Analysis; Cost-Effectiveness Analysis; Equalization; Financial risk protection

近年来，成本-效果分析（cost-effectiveness analysis，CEA）的研究与应用为中国经济和医疗卫生可持续发展提供了许多有价值的信息，在提高医保系统决策的经济性等方面起到了重要作用。然而，医保系统的目标还包括要保证在健康方面经济支出的公平性[1]。目前，高收入人群与低收入人群所能选择和享受的医疗服务仍存在一定差距，在这样的情况下卫生事业无法实现真正的发展和进步。扩展成本效果分析（extended-cost effectiveness analysis，ECEA）除考虑医保政策的成本效果外，还考虑了医保政策实施后财务风险保护（financial risk protection，FRP）以及不同人群间的公平问题[2]。当然，这里的公平绝不是简单的平等和一视同仁地对待，是要根据不同人群的情况加以具体的测算和划分，以满足

收稿日期：2022-08-24
作者简介：董璠玓，硕士研究生，研究方向：药物经济学。
通信作者：袁妮，副教授，研究方向：医疗保障政策、药物经济学、药物政策。

不同层次人群的医疗卫生需求。比如，可以对低收入人群给予更大的医保报销比例，降低个人自付比例，使得医保基金获得更大的经济效益和社会效益。传统的药物经济学评价方法均无法实现对这一问题的测算，ECEA 方法的应用成为了必然。

1 ECEA 方法介绍

1.1 ECEA 概述

ECEA 是由美国哈佛大学的 Verguet 等[3]研究、开发并应用的一种基于传统 CEA 的新型分析方法。通过对措施或政策实施后，健康收益、避免的个人自付费用（out of pocket，OOP）、提供的 FRP 和实施成本四个维度的改变进行量化，从而实现对政策或健康干预措施的评价[4]。世界卫生组织认为，关注 FRP 和分配后果这两个健康收益之外的方面非常重要，它们是卫生系统不断发展和完善的两个重要目标[3]。ECEA 方法的出现，使决策者可以获得有关政策减少的不平等问题和灾难性卫生支出（catastrophic health expenditures，CHEs）的信息，这些信息是传统 CEA 的重要补充[5]。根据目前的社会需求，越来越多的人认为卫生政策的实施应该考虑更多方面的结果，ECEA 作为评估卫生政策的新型工具有其必要性和必然性[3]。

1.2 现有药物经济学评价方法与 ECEA 的优缺点

20 世纪中后期，美国为减轻普通民众的医疗负担，第一次应用了成本 - 效用分析（cost-utility analysis，CUA），自此药物经济学出现在人们的视野中。随着社会的进步和需求的扩展，药物经济学不断发展和壮大，目前最广为人知的是：最小成本分析（cost-minimization analysis，CMA）、CEA、CUA 以及成本 - 效益分析（cost-benefit analysis，CBA）这 4 种药物经济学评价方法[6]。

这 4 种方法各有优势和自身的局限性。CMA 的优势在于操作简单，但大多数情况下分析结果的得出需要借助其他方法才能完成，局限性较多。CUA 是目前应用最为广泛、最被权威机构推荐使用的一种药物经济学评价方法，其优点在于可以对多种不同类型的疾病产出的数据直接进行比较，并且考虑了治疗措施对患者生存时间和生命质量两方面的影响，指标更加完整和全面；其缺点是指标的获取前提过于理想化，导致实际生活中效用值的测算有一定难度。CBA 的优点同样是可以在不同的疾病之间进行比较，适用范围更广；其局限性则在于健康产出的货币化目前还没有统一的方法，除此之外，卫生政策或治疗措施的收益主体也不易划分和确定。CEA 的优点是应用简单方便，所以应用的次数也相对较多；其局限性是不能够在不同的疾病之间直接进行对比分析[7]。《中国药物经济学评价指南（2020）》[8]中也指出，当互相比较的两个方案所选用的健康产出指标不同时，CEA 很难完成二者的对比，并且，在方案有多个健康产出的情况下，此法也很难对情况进行全面完整的反映。

ECEA 是在 CEA 的基础上延伸和发展出的一种药物经济学评价方法。比较而言，ECEA 的进步之处在于可以考虑相关政策或措施对不同的群体产生的不同影响。同样的政策或措施，给不同的人群带来的健康和经济方面的影响可能会有巨大差别，这都可以通过 ECEA 来进行评估和测算分析，也都是 ECEA 关注的重点[3]。目前，该方法主要用来为措施在不同收入水平群体间的收益提供相关数据[9]，使决策者做出更加公平和收益更高的决策。该方法的评价指标与传统药物经济学分析方法类似，通过量化生命年（life years，LYs）、质量调整生命年（quality-adjusted life years，QALYs）、避免死亡和避免伤残调整生命年（disability-adjusted life years，DALYs）来估计健康收益；通过量化由于干预措施的实施而减少的 OOP 来估计经济收益[4]。ECEA 也存在方法上的局限性：ECEA 是一个静态模型，并非动态模型，随着时间的推移导致数据的更新可能会与当下的结果不一致，但目前很多研究组认为这一问题对最终结果的准确性影响不大[10]。个人疾病的医疗费用没有考虑机会成本，大多数 ECEA 将私人疾病的医疗费用限制为 OOP，包括直接医疗费用和

间接医疗费用，但大部分都忽略了在疾病过程中损失的生产力和工资这类机会成本，在之后的分析过程中应加强这一方面的 FRP[3]。

除此之外，5 种药物经济学评价方法的结果和应用范围各有不同，对比如表 1 所示。

表 1　5 种药物经济学评价方法的比较
Table 1　Comparison of five pharmacoeconomic evaluation methods

评价方法	结果	应用范围
CMA	所研究的各项措施结果相同	局限性大，应用范围较小
CEA	临床产出指标	应用广泛
CUA	健康产出指标	范围最广，尤其在慢性病评价中
CBA	货币单位	常用于宏观决策中
ECEA	临床产出指标 健康产出指标 货币单位	范围广，尤其在考虑公平性的情况下

1.3　ECEA 的作用

1.3.1　对医保政策的评估

在工作展开之前，首先要对实施特定政策的特定人群按照特定的问题和评估的需求进行分组。其次，为了预防各组人群的疾病负担和净成本，政策需要有给定覆盖率和给定的有效性[11]。某些医保政策可能在健康方面有益处但在其他非健康方面价值不大或者有负面影响，通过 ECEA 同时考虑健康和非健康两方面的结果，从根本上评估医保政策。

1.3.2　对健康收益的评估

在对健康收益进行评估时，ECEA 使用与传统 CEA 相同的方法和指标，不同之处在于 ECEA 评估了多个人群亚群即根据需求所划分的多个群组中获得的健康收益，而 CEA 只评估了一个群组的健康收益。同一项干预措施在不同收入水平的人群间的健康收益是不同的，例如，在埃塞俄比亚推广接种麻疹疫苗后，如图 1 所示，避免的死亡数由收入水平最低的人群到收入水平最高的人群逐渐降低[12]。

1.3.3　对 OOP 的评估

高昂的自付费用是患者就医过程中主要的障碍

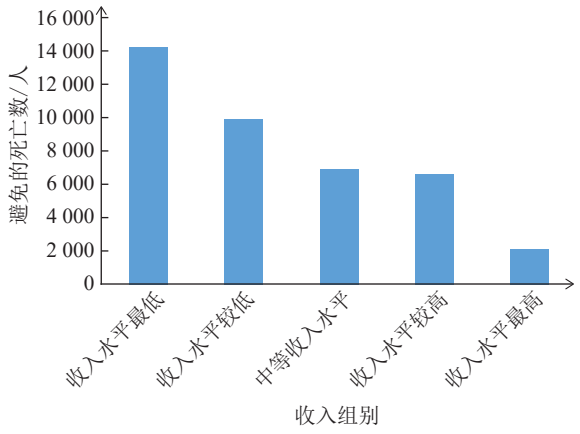


图 1　埃塞俄比亚推广接种麻疹疫苗后避免的死亡数
Figure 1　The number of deaths avoided after measles vaccination in Ethiopia

之一，并且还有可能影响整个家庭的经济情况，导致因病致贫或因病返贫[13]。在中国，不同人群在住院时所享受的医疗保险的报销比例和方式有所差异，此外，高收入人群可能会选择高端私人医疗机构，所以不同人群的 OOP 有很大差异。比如高收入人群与低收入人群之间，城市居民与乡村居民之间。ECEA 精准地分析每一份 OOP，从而使个人支出更加经济，避免不必要的支出[3]。

1.3.4　评估 FRP

一般情况下，可通过避免 CHEs 事件的数量来评估 FRP。当健康支出超过家庭年度支出的 10%，就会被称为 CHEs[14]。ECEA 通过避免的贫困事件、保险在金钱方面的价值、避免的 CHEs 事件三方面指标来评估 FRP[3]。

1.3.5　评估政策的总成本

ECEA 在评估成本时是从政策制定者的角度出发的，比如实施某项政策后政府的总支出。由于政策实施过程中对于不同人群的净成本不同，ECEA 在 CEA 的基础上，评估和测算不同人群所消耗的净成本。

1.4　进行 ECEA 的流程

ECEA 的实施过程分为 6 个步骤，如图 2 所示。

第 1 步，选定需要进行分析评价的政策、治疗方案或干预措施；第 2 步，选择合适的分析模型，如马尔科夫模型、决策树模型等；第 3 步，确定目标人群并根据需要进行分组，可以根据收入水平、地区及受教育水平等，目前开展最多的是根据收入水平由低到高划分为 5 个层次；第 4 步，对产出进行分析和衡量，将选定的政策、方案或措施在不同类型人群的健康收益（避免的死亡、获得的 QALYs 等）、避免的 OOP、提供的 FRP 和实施成本，这 4 方面的产出结果进行统计分析；第 5 步，开展敏感性分析；第 6 步，综合对比分析，提出总结性建议。

1.5 实施 ECEA 意义

在中国全面深化医疗卫生制度改革的背景下，ECEA 可以使得选择性资源分配有更高的效率 [5]。通过 ECEA，也可以确定需要优先治疗或者着重照顾的人群 [14]。另外，ECEA 还能够在一定程度上避免因病致贫和因病返贫，有研究显示，高 OOP 增加了因疾病而贫困的风险 [15]。并且，ECEA 可以在干预措施不同的情况下，寻求其中的共同利益供决策者做出决定。比如某研究组通过腹泻治疗和接种轮状病毒疫苗这 2 种干预措施，来研究未来如何治疗和预防腹泻，即分别测算各干预措施在健康收益、避免的 OOP、政府成本、FRP 四方面的收益情况，最终对比得出最佳方案 [10]。

2 ECEA 的应用案例

2.1 埃塞俄比亚现代避孕问题的 ECEA 案例

新生人口增长率高、孕产妇死亡率高、意外怀孕发生率高一直以来都是中低收入国家所面临的重大公共卫生问题 [16]。埃塞俄比亚是现代避孕普及率较低、生育率较高的非洲国家之一 [17]。为改善这一情况，该国就现代避孕问题开展了 ECEA。

研究组将人群按照收入划分为 5 个层次，在此基础上运用马尔科夫模型计算整个研究过程中的总成本和总产出 [14]。结果显示，在采取现代避孕措施后，

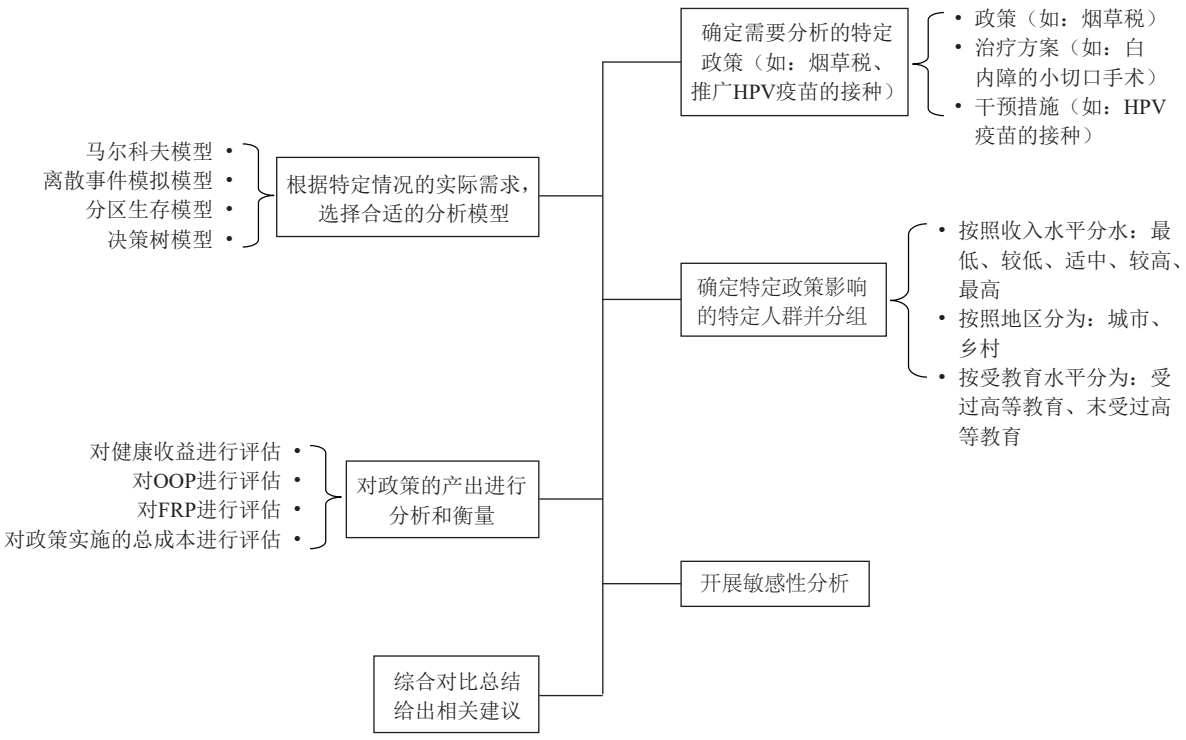


图 2 ECEA 的实施过程

Figure 2 Implementation process of ECEA

收入水平最低的人群因怀孕造成的死亡数降低 2 376 例，而收入水平最高的人群仅降低 1 079 例；收入水平最低的人群发生的 CHEs 事件也由当前情况下的 110 000 例降低至 70 000 例。如表 2 所示，收入水平最低人群的 OOP 占总费用的比例下降 10%，而在收入水平最高的人群中，该比例下降 7%。此外，增加政府卫生资金投入也与目前贫困人群的情况符合程度最高。所以，在埃塞俄比亚推动和促进现代避孕，可以使收入水平最低的人群在各方面获得较收入水平最高的人群更加显著的收益，并使埃塞俄比亚的医疗保健系统更加公平。

埃塞俄比亚关于现代避孕问题所进行的 ECEA，为本国和中低收入国家推广现代避孕措施提供了相关证据。除此之外，该研究也是关于 ECEA 的一次优秀实践。

2.2 中国人乳头瘤病毒（human papilloma virus，HPV）疫苗接种预防女性宫颈癌开展的 ECEA 案例

宫颈癌作为在全球范围内的女性群体中高发的恶性肿瘤之一[18]，对女性身体健康造成极大的威胁，甚至会导致死亡，在发展中国家死亡率较高[19]。此外，有 90% 的宫颈癌由 HPV 引起[20]，在中国宫颈癌患者的 HPV 感染率高达 97.6%，最主要的预防手段就是接种 HPV 疫苗[21]。为研究中国 HPV 疫苗接种的财务风险、健康收益以及公平问题，某研究组进行了相关的 ECEA。

在分析开始前，研究人员先对选定的人群进行分组，按照中国的平均工资，从日收入 3 美元到 30 美元（该研究全部以 2009 年的美元汇率计算），由收入水平最低到最高分为 5 组。分析发现，在 HPV 疫苗接种的费用为每人 46 美元的情况下，收入水平最低的人群避免的死亡数为 2 877 人，收入水平最高的人群避免的死亡数为 2 362 人。并且，在 5 个收入群体中，避免的死亡数随着收入水平的增高而呈现出降低的趋势。由此可见，接种 HPV 疫苗在低收入群体中会获得更大的健康收益。此外，对最贫穷群体的 FRP 能力也最强。

研究组在分析过程中也发现 ECEA 在应用过程中的一些局限性。该研究仅对数据最适合 ECEA 的省份进行了分析，并没有分析其他各省的具体情况。由于能获得的 HPV 的筛查率、发病率、死亡率以及不同收入水平人群的自付费用等相关数据有限。所以 ECEA 模拟出的 HPV 疫苗接种对于不同收入水平人群的各种影响和需要花费的成本可能存在一定的误差。研究组可能高估了某些收入水平最低的女性的收入。有些贫困的女性每天只有不到 2 美元的收入，但这些没有达到最低收入人群收入标准的女性也被纳入到该群组中[5]。

上述研究表明，中国 HPV 疫苗接种是有一定收益的，尤其对于收入水平低的女性。除此之外，该研究还指出了 ECEA 应用过程的局限性，以及相关

表 2 实施现代避孕前后的年度政府费用和自付费用

Table 2 Annual government fees and out-of-pocket expenses before and after the implementation of modern contraception

项目	收入最低	收入较低	收入中等	收入较高	收入最高
当前情况					
总成本/百万美元	1.61	1.89	1.96	1.99	2.07
政府成本/百万美元(%)	1.28(80)	1.51(80)	1.56(80)	1.58(79)	1.59(77)
OOP/百万美元(%)	0.33(20)	0.38(20)	0.40(20)	0.41(21)	0.48(23)
现代避孕后情况					
总成本/百万美元	1.96	2.15	2.18	2.18	2.26
政府成本/百万美元(%)	1.75(90)	1.91(90)	1.92(90)	1.91(87)	1.89(84)
OOP/百万美元(%)	0.20(10)	0.23(11)	0.25(12)	0.28(13)	0.37(16)

的统计数据方面需要进一步完善的问题。同时也为中国进行 ECEA 提供了可参考的案例。

3 结论

ECEA 有助于实现疾病的经济风险的分担，确保筹资公平性，减少因病致贫和因病返贫，为达到卫生系统的目标提供决策依据。从印度通过公共财政治疗相关案例开发出 ECEA[15]，到埃塞俄比亚等国家的多次使用，ECEA 在国际上已经取得出色的成绩，为很多国家的不同卫生问题提供决策依据，虽然仍存在一定的缺陷但值得进一步研究和应用。ECEA 在传统 CEA 的基础上，补足了传统药物经济学评价方法的短板，将人群分类进行评价从而纳入考虑了卫生公平问题。不仅评估干预措施或卫生政策带来的健康收益，还考虑了非健康收益，使得评价更加全面化、多元化、客观化，便于决策者制定出具有更高社会效益和经济效益的决定。中国幅员辽阔、人口众多，考虑卫生服务过程中所产生的公平问题迫在眉睫，ECEA 是中国现代药物经济学评价方法中的一种新的分析方法，价值不仅体现在医疗卫生领域，更公平的医疗卫生环境对推动社会的公平稳定和可持续发展也有着重要作用。

参考文献：

[1] Murray CJ, Frenk J. A framework for assessing the performance of health systems[J]. Bull World Health Organ, 2000, 78(6): 717-731.

[2] Johansson KA, Memirie ST, Pecenka C, *et al*. Health gains and financial protection from pneumococcal vaccination and pneumonia treatment in Ethiopia: results from an extended cost-effectiveness analysis[J]. PLoS One, 2015, 10(12): e0142691.

[3] Verguet S, Kim JJ, Jamison DT. Extended cost-effectiveness analysis for health policy assessment: a tutorial[J]. Pharmacoeconomics, 2016, 34(9): 913-923.

[4] Dasgupta RR, Mao W, Ogbuoji O. Addressing child health inequity through case management of under-five malaria in Nigeria: an extended cost-effectiveness analysis[J]. Malar J, 2022, 21(1): 81.

[5] Levin C, Sharma M, Olson Z, *et al*. An extended cost-effectiveness analysis of publicly financed HPV vaccination to prevent cervical cancer in China[J]. Vaccine, 2015, 33(24): 2830-2841.

[6] 高子晴, 马海英. 药物经济学的分析方法及主要应用[J]. 中国合理用药探索, 2018, 15(10): 77-80.

[7] 阎伟. 药物经济学分析方法综述[J]. 中国药物经济学, 2017, 12(1): 16-17.

[8] 刘国恩, 胡善联, 吴久鸿, 等. 中国药物经济学评价指南(2020)[M]. 2020版. 北京: 中国市场出版社, 2020: 44.

[9] Cookson R, Mirelman AJ, Griffin S, *et al*. Using cost-effectiveness analysis to address health equity concerns[J]. Value Health, 2017, 20(2): 206-212.

[10] Pecenka CJ, Johansson KA, Memirie ST, *et al*. Health gains and financial risk protection: an extended cost-effectiveness analysis of treatment and prevention of diarrhoea in Ethiopia[J]. Br Med J Open, 2015, 5(4): e006402.

[11] Jamison DT, Gelband H, Horton S, *et al*. Health policy analysis: applications of extended cost-effectiveness analysis methodology in disease control priorities, third edition[M]. Washington(DC): The International Bank for Reconstruction and Development, 2017.

[12] Driessen J, Olson ZD, Jamison DT, *et al*. Comparing the health and social protection effects of measles vaccination strategies in Ethiopia: an extended cost-effectiveness analysis[J]. Soc Sci Med, 2015, 139: 115-122.

[13] Essue BM, Jan S, Phuc HT, *et al*. Who benefits most from extending financial protection for cataract surgery in Vietnam? An extended cost-effectiveness analysis of small incision surgery[J]. Health Policy Plan, 2020, 35(4): 399-407.

[14] Enden MR, Tolla MT, Norheim OF. Providing universal access to modern contraceptive methods: an extended cost-effectiveness analysis of meeting the demand for modern contraception in Ethiopia[J]. Soc Sci Med, 2021, 281: 114076.

[15] Verguet S, Laxminarayan R, Jamison DT. Universal public finance of tuberculosis treatment in India: an extended cost-effectiveness analysis[J]. Health Econ, 2015, 24(3): 318-332.

[16] Ebrahim OA, Zeleke EG, Muluneh AG. Geographic variation and associated factors of long-acting contraceptive use among reproductive-age women in Ethiopia: a multi-level and spatial analysis of Ethiopian Demographic and Health Survey 2016 data[J]. Reprod Health, 2021, 18(1): 122.

[17] Fenta SM, Gebremichael SG. Predictors of modern contraceptive usage among sexually active rural women in

Ethiopia: a multi-level analysis[J]. Arch Public Health, 2021, 79(1): 93.

[18] Hu Z, Ma D. The precision prevention and therapy of HPV-related cervical cancer: new concepts and clinical implications[J]. Cancer Med, 2018, 7(10): 5217-5236.

[19] Elakkiya R, Subramaniyaswamy V, Vijayakumar V, *et al*. Cervical cancer diagnostics healthcare system using hybrid object detection adversarial networks[J]. IEEE J Biomed Health Inform, 2022, 26(4): 1464-1471.

[20] Bogdanova A, Andrawos C, Constantinou C. Cervical cancer, geographical inequalities, prevention and barriers in resource depleted countries[J]. Oncol Lett, 2022, 23(4): 113.

[21] 刘文敏, 付振明. 宫颈癌预防与筛查: 致力于消除宫颈癌的有力举措[J/OL]. [2022-06-21]. https://kns.cnki.net/kcms2/article/abstract?v=3uoqIhG8C45S0n9fL2suRadTyEVl2pW9UrhTDCdPD66siKENVrDOT0R5YvJytz09qObWwqaTSjVQwAL-WbVzirOevitCgXKJ&uniplatform=NZKPT&src=copy.

（编辑：刘玲玲）

（上接第148页）

[20] Wang L, Huang QH, Li YX, *et al*. Protective effects of silymarin on triptolide-induced acute hepatotoxicity in rats[J]. Mol Med Rep, 2018, 17(1): 789-800.

[21] Onalan AK, Tuncal S, Kilicoglu S, *et al*. Effect of silymarin on oxidative stress and liver histopathology in experimental obstructive jaundice model[J]. Acta Cir Bras, 2016, 31(12): 801-806.

[22] 胡浩原, 雷威. 荆防颗粒对风寒感冒患儿血清炎性因子水平的影响[J]. 现代医学与健康研究电子杂志(电子版), 2020, 4(14): 125-126.

[23] Na HG, Kim YD, Choi YS, *et al*. Diesel exhaust particles elevate MUC5AC and MUC5B expression via the TLR4-mediated activation of ERK1/2, p38MAPK, and NF-κB signaling pathways in human airway epithelial cells[J]. Biochem Biophys Res Commun, 2019, 512(1): 53-59.

（编辑：沈佳婕）