·新药述评与论坛·

支持医保知证决策的肺癌新药多维价值评估框架

潘　晨[1],李逸天[1],许钦雯[1,2],孟静怡[1],王国华[3],耿劲松[1*]
(1 南通大学医学院,南通 226001;2 南通市第一人民医院,南通 226001;3 首都医科大学宣武医院,北京 100053)

[摘要] **目的:**构建肺癌新药的多维价值评估框架,以支持医保报销的知证决策。**方法:**检索并获取评估肺癌新药价值的相关文献,通过文献分析和专题小组讨论初步构建框架。采用德尔菲法确定准则、子准则及权重以及价值评估方法。通过3种肺癌新药的价值评估验证框架的可行性。**结果:**构建的肺癌新药多维价值评估框架由5个核心准则、2个情境化准则以及20个子准则组成。核心准则包含相对有效性、相对安全性、可负担性、经济性和证据质量,其中相对有效性具有最高的权重。在核心准则的子准则中,总生存期和无进展生存期具有最高的权重。情境化准则包括创新性和公平性。**结论:**结构化的多维价值评估框架为医保决策者提供了决策支持工具,有助于提升决策的科学性和透明度。

[关键词] 肺癌新药;医保;知证决策;价值评估框架;多准则决策分析
[中图分类号] R95　[文献标志码] A　[文章编号] 1003-3734(2026)19-2061-06

Multidimensional value assessment framework for new anti-lung cancer drugs to support evidence-informed medical insurance decision-making

PAN Chen[1], LI Yi-tian[1], XU Qin-wen[1,2], MENG Jing-yi[1], WANG Guo-hua[3], GENG Jin-song[1*]
(1 *Medical School of Nantong University*, *Nantong* 226001, *China*; 2 *Nantong First People's Hospital*, *Nantong* 226001, *China*; 3 *Xuanwu Hospital Capital Medical University*, *Beijing* 100053, *China*)

[**Abstract**] **Objective**: To construct a multidimensional value assessment framework for novel drugs for lung cancer, thereby supporting evidence-informed decision-making for medical insurance reimbursement. **Methods**: First, literature on the value assessment of novel drugs for lung cancer was searched and reviewed. Based on a literature review and a focus group discussion, the framework was preliminarily constructed. Then, the Delphi method was used to determine the criteria, sub-criteria, weights, and value assessment methods. Finally, the feasibility of framework was verified through the value assessment of three novel drugs for lung cancer. **Results**: The constructed multidimensional value assessment framework for novel drugs for lung cancer consists of five core criteria, two contextualized criteria, and 20 sub-criteria. The core criteria include comparative effectiveness, comparative safety, affordability, economic value, and evidence quality, with comparative effectiveness having the highest weight. Among the sub-criteria of the core criteria, overall survival and progression-free survival have the highest weights. The contextual criteria are innovation and equity. **Conclusion**: The structured multidimensional value assessment framework provides a decision-support tool for medical insurance policymakers and helps to improve the scientific rigor and transparency of decision-making.

[基金项目] 国家自然科学基金面上资助项目(72374113)
[作者简介] 潘晨,女,硕士研究生,主要从事卫生技术评估研究。E-mail: pc1549268095@163.com。
[通讯作者] *耿劲松,女,教授,博士生导师,主要从事卫生技术评估研究。联系电话:(0513)85051891,E-mail: gjs@ntu.edu.cn。
[DOI]10.20251/j.cnki.1003-3734.2026.19.006

[**Key words**] new anti-lung cancer drugs; medical insurance; evidence-informed decision-making; value assessment framework; multi-criteria decision analysis

肺癌是我国发病率和死亡率最高的恶性肿瘤,给社会与患者家庭带来了沉重的疾病与经济负担[1]。随着创新药的不断涌现,肺癌的药物治疗策略持续革新,但高昂的药价也加剧了医疗支出压力与医保基金可持续性挑战。在此背景下,如何科学评估肺癌新药的多维度综合价值,成为医保药品目录动态调整与知证决策(evidence-informed decision-making)的关键问题。

目前,肿瘤领域的新药价值评估框架多服务于临床治疗决策,以临床价值为导向[2-4]。国际上已形成一系列卫生技术评估与多准则决策分析(multi-criteria decision analysis,MCDA)相结合的新技术价值评估框架,如美国临床肿瘤学会价值框架(ASCO Value Framework)、欧洲肿瘤内科学会临床获益量表(ESMO Magnitude of Clinical Benefit Scale)、美国国立综合癌症网络证据组合(NCCN Evidence Blocks)等。此外,"证据与价值对决策的影响"框架(evidence and value:impact on decision-making,EVIDEM)被广泛应用于证据与价值偏好和整合[5-6]。然而,研究发现现有框架聚焦临床实践,在评估肿瘤药品的可负担性方面存在局限性[7],对不同类型肿瘤的临床结局和患者报告结果缺乏特异性评估[8]。同时,上述框架尚未充分契合我国医保"保基本"原则与肺癌诊疗路径的特点。课题组前期基于 EVIDEM 构建了新技术的医保报销循证决策框架[9]。该框架虽然具有普适性,可用于新技术的价值评估,但缺乏对肺癌新药的价值考量。本研究结合我国医保决策实际,基于 MCDA 的方法论构建了一个符合我国国情的肺癌新药多维价值评估框架,以支持肺癌新药的医保知证决策与高效资源配置。

资料与方法

1 文献检索与资料分析

评估的目标药品指 2018—2022 年纳入国家基本医保药品目录(含协议期内谈判药品部分)的肺癌新药,以及同时期已在我国上市但尚未纳入医保药品目录的创新药,主要包括化学药品和生物制品。检索的文献数据库主要包括 PubMed、Embase、Cochrane Library、中国知网、万方数据知识服务平台和维普中文科技期刊全文数据库,检索截至 2023 年 10 月 31 日。文献类型包括临床实践指南、卫生技术评估报告、系统评价/Meta 分析、临床随机对照试验、真实世界研究、成本-效果分析和成本-效用分析。药品价格信息来自药智网、中国医学信息查询平台以及医疗机构的药品价格查询平台。提取肺癌新药医保报销决策的关键考量因素,以及肺癌新药的价值维度。为确保对照的科学性,顺应真实决策场景中的评估需要,本研究将"常规治疗"定义为与目标新药作用于相同分期与分型的肺癌患者,在新药上市前已在我国临床实践中普遍采用的标准治疗方案。结合研究目的,常规治疗方案涵盖化疗、放疗、靶向治疗或免疫治疗等。

2 专题小组讨论

成立由 2 名课题组成员、1 名卫生技术评估研究者、1 名肿瘤科医生以及 1 名省级医保部门管理者组成的专题小组,对文献中提取的价值评估准则和方法进行分析,初步形成评估框架。

3 专家咨询

采用德尔菲法进行专家咨询,根据研究目的邀请 17 名专家组成咨询小组。专家遴选标准包括具有开展卫生技术评估、肺癌临床诊疗、药物经济学测算、医保药品管理或药品市场准入的工作经历;至少具有 5 年的相关专业经验;具备硕士及以上学历。专家咨询以问卷形式开展,专家充分知情同意并签署利益冲突声明。采用 Likert 7 级评分法(1 = 非常不重要,7 = 非常重要)对准则及子准则的重要性进行量化评价,并对评估方法和要点提出建议。专家咨询分 2 轮进行,每轮结束后,课题组对存在分歧或信息不明确的条目,通过一对一访谈的形式进行确认。采用专家权威系数评估咨询结果的可靠性,Cr ≥0.7 被认为咨询意见具有较高可信度[10];意见的协调程度采用变异系数反映。

4 框架的实证应用

结合实证应用验证框架的可行性。分别以 3 种肺癌新药为例,获取各维度的研究证据。2 名研究者结合框架对新药进行背对背评估并交叉核对评估结果。药物选择遵循代表性、决策相关性与证据可得性原则,旨在检验各子准则的区分度与可行性。研究者首先依据预设检索策略获取研究证据,独立提取证据中的关键信息并形成结构化的证据概要。

然后基于框架和证据概要对3种药物进行价值评估。采用组内相关系数(intraclass correlation coefficient, ICC)对研究者间的评估结果进行一致性分析。

结　果

1　咨询专家的基本情况

合计15位专家参与咨询。专家的文化程度以博士研究生为主(86.7%),从事的学科领域包括卫生技术评估(4位)、肿瘤临床治疗(3位)、新药市场准入(3位)、医疗保障(2位)、药物经济学(2位)和药事管理(1位)。13人具有高级职称(86.7%),多数专家具有11年及以上的工作经验(80.0%)。所有专家都曾参与过医保决策或临床新技术引入决策工作,其中5位有参与国家基本医保药品目录调整经验,另外4位曾参与省级医保政策制定。2轮咨询的专家权威系数分别为0.85和0.89。第2轮咨询的变异系数为0.16(0.09~0.23),各专家的评价意见较为集中,无专家提出需新增或删减准则及子准则,专家意见达到饱和。

2　肺癌新药多维价值评估框架的解析与应用

最终形成包括核心准则和情境化准则的肺癌新药多维价值综合评估框架。

2.1　核心准则的解析　核心准则包括相对有效性(6.49)、相对安全性(5.83)、可负担性(5.93)、经济性(5.87)和证据质量(5.99),见表1。相对有效性被视作最重要的评估维度。相对有效性是指与常规治疗方案相比,新药能为患者带来的额外临床获益,其中总生存期(10.35%)和无进展生存期(9.44%)具有最高的权重。关于健康相关生活质量,借鉴欧洲肿瘤内科学会对该指标的界定以及我国学者对抗肿瘤药研究证据的系统分析[11-12],将显著改善定义为总体健康状况的显著改善;部分改善定义为关键症状领域(如疼痛、呼吸困难)观察到有明确临床意义的改善;略有改善定义为仅具统计学意义但改善幅度微小,或仅表现为描述性的改善趋势。相对安全性则关注与常规治疗相比,新药的严重不良反应发生率改变情况,强调其在保障患者安全方面的相对优势。相对安全性的评估可基于临床试验和真实世界研究的安全性证据,以及药品上市后的安全性报告,同时可参考药品说明书,重点关注3级以上不良事件发生率、导致治疗终止的不良事件以及器官毒性。相对有效性和相对安全性数据首选来自我国的高质量证据,次选来自其他亚洲国家的证据。

表1　肺癌新药多维价值评估框架的核心准则

准则	子准则	标化权重/%	参考评分	纳入理由与评估说明
相对有效性	总生存期	10.35	0:与常规治疗相比无显著差异 1:较常规治疗延长<4个月 3:较常规治疗延长达6个月 5:较常规治疗延长≥9个月	评价抗肿瘤药生存获益的金标准;优选能显著延长患者总生存期的药品
	无进展生存期	9.44	0:与常规治疗相比无显著差异 1:较常规治疗延长<4个月 3:较常规治疗延长达6个月 5:较常规治疗延长≥10个月	反映药品对疾病进展的控制能力;优选能显著延长患者无进展生存期的药品
	客观缓解率	8.17	0:与常规治疗相比无显著差异 1:与常规治疗相比增加<10% 3:较常规治疗增加达20% 5:较常规治疗增加≥30%	反映药品的肿瘤缩小能力;优选能显著提高患者客观缓解率的药品
	健康相关生活质量	8.75	0:未能改善 1:略有改善 3:仅在关键维度显著改善 5:总体而言有显著改善	患者的核心关切;优选有效控制症状且显著改善健康相关生活质量的药品
相对安全性	严重不良反应发生率	9.09	-5:较常规治疗增加≥30% -3:较常规治疗增加达20% -1:较常规治疗增加<10% 0:与常规治疗相比无显著差异 1:较常规治疗降低<10% 3:较常规治疗降低达20% 5:较常规治疗降低≥30%	直接影响治疗依从性和患者安全;优选安全性更优、显著降低严重不良反应发生率的药品;负分可精确反映药品的安全风险

续表 1

准则	子准则	标化权重/%	参考评分	纳入理由与评估说明
可负担性	患者的可负担性	9.37	0:>40% 1:35% ~40% 3:25% ~30% 5:<20%	从患者视角评估可负担性;优选年自付费用占家庭可支配收入比重较低的药品
	医保预算影响	9.09	-5:增加超过 10 亿元 -3:增加达 7.5 亿元 -1:增加 <5 亿元 0:无显著影响 1:节省 <5 亿元 3:节省达 7.5 亿元 5:节省超过 10 亿元	从支付方视角评估可负担性;优选未来 3 年内减少医保基金支出的药品;对基金造成压力的药品将获负分
经济性	增量成本-效果比	9.37	0:>1.5 倍人均 GDP 1:1.0 倍人均 GDP 3:0.5 倍人均 GDP 5:具有绝对优势	基于增量成本-效果比评估经济性;优选更具成本-效果的药品
证据质量	临床指南或诊疗规范的质量	9.31	0:未被指南或共识推荐 1:弱推荐 3:基于低质量或中等质量证据的强推荐 5:基于高质量证据的强推荐	临床指南和诊疗规范的推荐强度越高,决策的不确定性相对越低;优选推荐强度高的药品
	临床研究证据的质量	9.01	0:缺乏可信的临床研究证据 1:有支持临床疗效的低质量真实世界研究或临床随机对照试验 3:有支持临床疗效的中等质量真实世界研究或临床随机对照试验 5:有支持临床疗效的高质量真实世界研究、临床随机对照试验、系统评价或 Meta 分析	方法学严谨的证据更能证实药品的获益和风险;优选有高质量临床研究证据的药品
	经济学评价的质量	8.05	0:缺乏经济学评价 1:低质量的经济学评价 3:中等质量的经济学评价 5:高质量的经济学评价	经济学评价是评估经济性的依据;优选符合我国国情的高质量经济学评价推荐的药品

可负担性评估患者年自付药品费用占家庭可支配收入的比例,以及新药纳入后对医保基金的预算影响。证据来源于医保药品谈判价格数据、医保基金预算影响分析和肺癌患者经济负担研究。经济性评价以成本-效果分析和成本-效用分析为主要证据类型,以增量成本-效果比为主要评价指标,首选在我国开展的药物经济学评价。证据质量则涵盖循证临床指南以及诊疗规范的证据推荐等级,以及临床研究和经济学评价的质量。

决策者可结合决策情境和评估的目标药品,进一步细化中间分值的评定。将严重不良反应发生率与医保预算影响设置为可负分的子准则,以客观评估新药的相对健康获益能否抵消其相对安全风险与医保基金消耗。决策者基于证据对新药的价值进行量化评估后,可采用线性加权的原理为目标药品赋值,见式(1)。V 代表目标药品的综合价值得分,S_k 为药品在第 k 个子准则上的评分,W_k 为子准则的标化权重。决策者可借助敏感性分析,检验当新药的各项分值在合理范围内变动时,其总体价值的评估结论是否稳健。

$$V = 100 \times \sum_{k=1}^{n} \left(\frac{S_k}{5} \times W_k \right) \quad \text{式(1)}$$

2.2 情境化准则的解析 情境化准则聚焦新药在真实场景中的价值与政策适配性(见表 2)。框架通过创新性与公平性两大核心准则,系统评估新药对医学进步、政策目标实现及社会公平促进的价值。创新性准则旨在全面评估药品在研发、审批与应用全链条中的突破性价值。公平性准则评估药品在促进医疗资源合理分配、缩小健康差距方面的潜力,分别从系统层面和实施层面进行评估。系统层面关注药品对缓解整体肺癌疾病负担的贡献,及其对医保目录结构短板的弥补作用;实施层面则聚焦临床管理难度和医疗机构的可配备性。

表 2 肺癌新药多维价值评估框架的情境化准则

准则	子准则	评估要点
创新性	机制创新	评估药品是否采用全新的作用靶点或作用机制,突破传统治疗范式
	制剂与给药途径创新	评估药品是否通过创新剂型或给药途径,以提高患者依从性、便利性及降低治疗成本
	专利价值	评估核心专利的剩余保护期、保护范围及市场独占潜力
	适应证创新	评估是否为国内该适应证的首个获批药物,或填补国内特定肺癌亚型的治疗空白
	政策支持度	评估是否获得国家“重大新药创制”专项支持,或通过国家药品监督管理局的优先审评、突破性治疗药物等通道加速获批
公平性	社会整体疾病负担的缓解程度	评估药品对降低社会整体疾病负担的潜在贡献
	医保目录结构性弥补	评估药品是否能够弥补当前医保目录在特定病理类型、疾病分期或治疗线数上的空白
	临床管理难度	评估药品的使用是否简化治疗流程,降低对高水平医疗机构的依赖
	医疗机构可配备性	评估药品在各级医疗机构的储存、配置和给药条件要求

3 框架的实证应用

基于框架的肺癌新药核心价值评估结果表明,针对药物在各子准则的量化价值,研究者间的平均测量 ICC 为 0.988(95% CI: 0.977 ~ 0.994);针对药物的总体量化价值,研究者间的平均测量 ICC 为 0.997(95% CI: 0.902 ~ 1.000),说明具有很好的一致性。A 药在患者个人可负担性方面具有优势;C 药在相对有效性方面表现突出,尤其体现在无进展生存期和客观缓解率;B 药在相对安全性和经济性方面的优势较为显著。各药品在证据质量方面均表现良好。最终得出总分排序为:B 药 41.0 分、C 药 39.5 分、A 药 36.4 分。

关于情境性准则的评估结果,各药品均在创新性方面表现出色。A 药和 B 药获得了政策支持,而 C 药虽在政策支持方面相对较弱,但在特定治疗领域具有重要的临床价值。各药品均在不同程度上有助于缓解社会整体疾病负担,并可在医保目录的结构性弥补方面发挥作用。A 药和 C 药因其口服给药方式,在临床管理难度和医疗机构可配备性方面具有一定的优势;B 药虽需要静脉注射,但其临床应用的技术门槛适中。同时,B 药在核心价值评估中得分最高,且在创新性方面具有优势。鉴于 C 药已纳入国家基本医疗保险药品谈判目录,建议政策制定者考虑将 B 药纳入报销范围,以提高患者对创新药的可及性。

讨 论

1 从证据到决策:基于多准则决策分析的肺癌新药价值评估

传统的药品价值评估往往聚焦于成本-效果的单一经济性维度,难以全面捕捉创新药为患者、医疗系统及社会带来的综合价值。本研究旨在弥补这一局限,构建一个符合我国国情的肺癌新药多维价值评估框架,将分散的证据转化为结构化的决策支持工具。MCDA 理论允许决策者在多个决策准则之间对卫生技术进行权衡,从而选择最优的备选方案[13-14]。MCDA 理论的应用使决策者能够全面权衡药品的多个关键价值维度,更准确地遴选出既能为患者带来显著健康改善,又具有成本-效果优势、创新价值和社会公平性的新药[13-14]。这将有助于医保基金能够用于报销最具价值的治疗药物,从而实现资源的最优分配。

2 多维价值评估框架融合了核心准则与情境化准则

肺癌新药多维价值评估框架的特色在于核心准则与情境化准则的有机结合,形成了一个系统化的评估体系,不仅确保了评估过程的全面性,还增强了评估结果的适用性。核心准则与情境化准则并非简单的准则叠加,而是基于肺癌患者疾病治疗需求与医保决策需求形成的评估体系。无论何种肺癌新药,均需经过核心准则的评估,以确保纳入医保的药品满足临床必需、安全有效、费用适宜、经济合理的基本要求。创新性准则充分考虑到肺癌新药研发迭代快、靶点多样性的特点。公平性准则满足了均衡医疗资源与完善医保目录的需求。

3 多维价值评估框架可成为支持医保知证决策的工具

本研究制定的肺癌新药多维价值评估框架,通过融合 EVIDEM 框架与我国医保决策的实际情况,形成了一套实用的价值评估工具,为平衡患者利益、基金安全和医药创新提供决策支持。该框架通过评估药品的多维价值属性,为医保决策者提供了一个全面的评估视角,有助于在复杂的决策情境中遴选

更具价值的药品。框架能够提升肺癌新药价值评估过程的透明度和可操作性,减少评估者主观判断的影响,使不同评估者得出的结果更加一致。框架还强调证据质量的重要性,确保评估结果基于最新的临床研究和经济学证据,从而提升决策的科学性。

4 展望

我国的医保决策正从经验主导转向证据主导,从单一价值考量转向多维价值衡量。本研究构建的肺癌新药多维价值评估框架,充分考虑到我国医保决策的实际情况,有助于遴选出兼具临床价值、患者价值、经济价值和社会价值的肺癌新药。随着医疗技术的进步和医保改革的推进,决策者可以根据新的研究证据和政策变化对框架进行动态调整,实现以价值导向的知证决策。

[参 考 文 献]

[1] YANG KH, HUA SS, WEI WT, *et al*. Economic burden of advanced lung cancer patients treated by gefitinib alone and combined with chemotherapy in two regions of China[J]. *J Med Econ*, 2023, 26(1): 1424 – 1431.

[2] CHERNY NI, OOSTING SF, DAFNI U, *et al*. ESMO-Magnitude of Clinical Benefit Scale version 2.0 (ESMO-MCBS v2.0)[J]. *Ann Oncol*, 2025, 36(8): 866 – 908.

[3] 吴宏辉, 温雅璐, 张力, 等. 美国临床肿瘤学会价值评估框架简介及评价[J]. 药物流行病学杂志, 2021, 30(7): 452 – 456.

[4] LEE M, LAROSE H, GRÄBELDINGER M, *et al*. The evolving value assessment of cancer therapies: Results from a modified Delphi study[J]. *Health Policy OPEN*, 2024, 6: 100116.

[5] 戴泽琦, 徐思敏, 吴雪, 等. EVIDEM 框架介绍及其在卫生决策中的应用[J]. 中国实验方剂学杂志, 2022, 28(4): 212 – 218.

[6] 耿劲松, 鲍海妮, 余小兰, 等. "证据与价值对决策的影响"框架在知证决策中应用的方法学[J]. 中国卫生资源, 2020, 23(4): 342 – 347.

[7] MITCHELL AP, DEY P, OHN JA, *et al*. The accuracy and usefulness of the national comprehensive cancer network evidence blocks affordability rating[J]. *PharmacoEconomics*, 2020, 38(7): 737 – 745.

[8] HA H, KANG JH, KIM DY, *et al*. The value measurement of emerging therapeutics in renal cell carcinoma: ASCO value framework and ESMO-MCBS[J]. *BMC Health Serv Res*, 2022, 22(1): 900.

[9] 耿劲松, 陈晓炜, 余小兰, 等. 基于 EVIDEM 的新技术医保报销循证决策框架探析[J]. 中国卫生政策研究, 2018, 11(4): 50 – 54.

[10] ZHAI XD, WANG CX, MA YJ, *et al*. Using the modified Delphi method to research the influencing factors of long-term health-related quality of life in patients with unruptured intracranial aneurysms after endovascular treatment[J]. *Chin Neurosurg J*, 2020, 6(1): 7.

[11] OOSTING SF, BARRIUSO J, BOTTOMLEY A, *et al*. Methodological and reporting standards for quality-of-life data eligible for European Society for Medical Oncology-Magnitude of Clinical Benefit Scale (ESMO-MCBS) credit[J]. *Ann Oncol*, 2023, 34(4): 431 – 439.

[12] ZHANG L, ZHANG YC, LI H, *et al*. Improvements in the health-related quality-of-life benefit of cancer drugs approved in China, 2005 – 2020: an observational study[J]. *Lancet Reg Health West Pac*, 2024, 46: 101077.

[13] 鲍海妮, 余小兰, 耿劲松, 等. 医药卫生领域多准则决策分析的方法学[J]. 中国卫生资源, 2020, 23(4): 337 – 341, 372.

[14] 黄倩倩, 王涛, 康琪, 等. 多准则决策分析在药物效益风险评价领域的应用研究进展[J]. 中国新药杂志, 2021, 30(22): 2069 – 2074.

编辑:蒋欣欣/接受日期:2026 – 02 – 05