

全国高等医药教材建设研究会 卫生部规划教材
全 国 高 等 学 校 教 材

供药事管理、医药市场营销专业用

药物经济学

主 编 / 陈 洁

副主编 / 刘国恩 高丽敏

 人民卫生出版社
PEOPLE'S MEDICAL PUBLISHING HOUSE

全国高等学校教材

供药事管理、医药市场营销专业用

药 物 经 济 学

主 编 陈 洁

副主编 刘国恩 高丽敏

编 者 (以姓氏笔画为序)

刘国恩 (北京大学)

何志高 (上海同济大学)

杨樟卫 (第二军医大学)

陈 洁 (上海复旦大学)

胡晋红 (第二军医大学)

胡善联 (上海复旦大学)

顾 海 (中国药科大学)

高丽敏 (大连医科大学)

曹 阳 (第二军医大学)

曹建文 (上海交通大学)

人 民 卫 生 出 版 社

图书在版编目(CIP)数据

药物经济学/陈洁主编. —北京:人民卫生出版社,
2006.7

ISBN 7-117-07747-6

I. 药… II. 陈… III. 药理学:卫生经济学-医
学院校-教材 IV. R91

中国版本图书馆 CIP 数据核字(2006)第 065710 号

本书本印次封底贴有防伪标。请注意识别。

药 物 经 济 学

主 编: 陈 洁

出版发行: 人民卫生出版社(中继线 010-67616688)

地 址: 北京市丰台区方庄芳群园 3 区 3 号楼

邮 编: 100078

网 址: <http://www.pmph.com>

E - mail: pmph@pmph.com

购书热线: 010-67605754 010-65264830

印 刷: 北京智力达印刷有限公司

经 销: 新华书店

开 本: 850×1168 1/16 印张: 15.5

字 数: 443 千字

版 次: 2006 年 7 月第 1 版 2006 年 7 月第 1 版第 1 次印刷

标准书号: ISBN 7-117-07747-6/R·7748

定 价: 24.00 元

版权所有,侵权必究,打击盗版举报电话: 010-87613394

(凡属印装质量问题请与本社销售部联系退换)

出版说明

管理学、经济学、药学都有着完善的知识体系,药事管理、医药市场营销学源于这三门学科,但又不能完全归入其中任何一个学科。随着我国高等教育事业的蓬勃发展和培养药事管理、医药市场营销人才的需要,全国高等医药教材建设研究会、卫生部教材办公室邀请各方面专家,组织编写了全国高等学校药事管理、医药市场营销专业规划教材。本套教材在内容编排上始终坚持从医药卫生角度出发,采取差异化战略,突出“药”味,体现了与传统管理学、经济学的不同,写出了其独有的理论结合实际的特色。

这套教材 2004 年 7 月开始调研,2004 年 12 月召开论证会议,2005 年 6 月召开主编人会议。教材编写时严格遵循“五性”(思想性,科学性,先进性,启发性,适用性)原则,把“三基”(基本理论、基本知识、基本技能)内容讲透,“授之渔”,让学生综合素质得到提高,学会利用所学知识独立分析、解决问题的方法。

本套教材供药事管理、医药市场营销专业学校教育和医药企业员工培训等相关继续教育使用,也可作为选修课教材供药学、公共卫生事业管理等专业学生使用。为了紧扣培养目标,以学生为中心,以市场为导向,理论联系实际进行编写。从论证会议开始,在依靠各有关高等学校的基础上,我们邀请了国家食品药品监督管理局执业药师资格认证中心和部分著名医药企业参与了其中的工作,力争使读者通过对药事管理、医药市场营销专业课程的学习有一个客观、整体的认识,最终成为为公众提供良好药学服务的专业人员;同时我们也希望这套教材能够进一步推进我国药事管理、医药市场营销人才培养和医药市场规范化进程,让公众拥有一个更好的用药环境。

全国高等学校药事管理、医药市场营销专业第一轮规划教材共计 6 种,于 2006 年 7 月出版。具体书目如下:

医药市场营销学	主编	顾 海	
	副主编	叶 桦	杨金凤
医院药事管理	主编	杨世民	
	副主编	詹学锋	赖 琪
药物经济学	主编	陈 洁	
	副主编	刘国恩	高丽敏
药物信息应用	主编	周 怡	
	副主编	章新友	
国际医药贸易	主编	马 进	
	副主编	董国俊	江启成
医药消费者行为学	主编	王明旭	
	主审	李兴民	
	副主编	陈 晶	王丽敏

全国高等医药教材建设研究会
卫生部教材办公室
2006 年 3 月 30 日

前 言

药物经济学研究始发于 20 世纪 70 年代后期的美国,经过近 20 多年的发展目前已成为一门比较成熟的学科。

药物经济学产生的根本动因在于药品费用的急剧上涨。药品费用的急剧上涨是一个全球性的问题,在我国,药品费用占卫生费用的比例高达 50% 左右。如何控制药品费用的急剧上涨已成为全球亟需解决的问题,而药物经济学的产生则为解决这一问题提供了全新的概念和方法。目前世界上有一些国家,如澳大利亚和加拿大等国,已将药物经济学的研究结果作为衡量一个药物能否进入医疗保险用药目录的指标之一。

我国的药物经济学研究起步相对较晚,1993 年起才逐渐有关于药物经济学研究的文章发表。经过有关学者多年的宣传,目前药物经济学研究已引起我国卫生决策者和广大医药研究人员的注意和兴趣。为了适应医药形势发展和教学的需要,相继已有许多院校开设药物经济学的课程,但目前尚无统一的统编教材。

为了适应新形势下教学的需要,我们在卫生部教材办公室的领导下,依据陈洁教授主编的《药物经济学》一书为蓝本,结合国内外最新的研究进展,根据教材的要求,组织国内对药物经济学研究具有较高造诣的部分专家编写了这本书。在编写时,力求适合教学的要求,做到既有理论,又有实践,图文并茂,通俗易懂,并适当提供案例和习题。

全书共分十一章,除第一章绪论外,基本上可分成三部分。第一部分为第二章至第四章,介绍经济学和统计学的基本概念和理论;第二部分为第五章至第八章,介绍药物经济学的基本研究方法;第三部分为第九章至第十一章,介绍药物经济学的应用情况。

本教材可供药事管理、医药市场营销两个专业本科生应用,也可作为卫生决策部门、药品生产部门与经营企业、临床医师和药师开展药物经济学研究的一本参考书。使用本书时,各院校可根据教学大纲要求并结合各校具体情况对教材内容作适当取舍。我们希望通过本书的学习,能培养学生进行药物经济学研究的能力,促进药物经济学在我国的健康发展。

作为本书的主编,我要衷心感谢两位副主编刘国恩教授和高丽敏教授以及秘书何志高副主任药师为本书的编写所付出的大量心血,更要感谢全体编委对我的信任、理解与支持,没有大家的齐心协力,不懈努力,要按时保质保量完成编写任务是不可能的。

由于药物经济学尚为一门发展中的新兴学科,加之编写时间仓促,同时限于笔者的知识和能力,本书难免有不尽如人意的地方和错误之处,诚请各院校老师和同学以及广大读者提出宝贵意见,以便再版时修正。

陈 洁

2006 年 4 月于复旦大学

目 录

第一章 绪论	1
第一节 概述	1
一、药物经济学的定义	1
二、药物经济学的产生和发展过程	1
第二节 药物经济学的研究方法和步骤	8
一、研究方法	8
二、研究步骤	8
第三节 药物经济学在控制药品费用上涨中的作用	13
一、药品费用过快增长的原因分析	13
二、药物经济学的作用	14
第四节 我国药物经济学的未来研究方向	15
一、成本效用分析中生命质量指标的研究	15
二、成本效益分析以及意愿支付法的方法学研究	16
三、随机临床试验与药物经济学研究的有机结合	16
四、间接成本(患者和家属的时间成本)的计算	16
五、不确定因素影响的矫正、敏感性研究以及统计学模拟技巧	17
第二章 药品市场的经济学基础	18
第一节 药品需求分析	18
一、药品需求概述	18
二、药品需求的特征	19
三、药品需求的影响因素	20
四、药品需求函数和法则	22
五、药品需求弹性	23
六、我国药品需求趋势分析	25
第二节 药品供给分析	27
一、药品供给概述	27
二、药品供给的特征	28
三、药品供给的影响因素	30
四、药品供给函数和法则	30
五、药品供给弹性	31
六、我国药品生产与供给现状分析	32
第三节 药品价格决定	32
一、一般价格决定理论	32
二、各国政府对药品价格的管制政策	33

三、我国药品价格存在的问题	34
四、定价方法及选择	35
第四节 政府对药品市场的干预	36
一、政府干预的必要性	36
二、政府对药品市场的干预措施	37
第三章 研究设计与统计学基础	38
第一节 研究设计	38
一、研究设计的基本内容	38
二、研究设计的基本原则与方法	40
三、调查设计	43
四、新药的临床试验设计	45
五、药物经济学的研究设计	49
六、样本含量的估计	49
第二节 描述统计	52
一、基本统计学概念	52
二、计量资料的统计描述	53
三、计数资料的统计描述	55
四、统计图表	55
第三节 推断统计	56
一、 t 检验	56
二、方差分析	59
三、相关与回归分析	62
四、 χ^2 检验	64
五、等级资料的 Ridit 分析法	65
六、信度与效度分析	66
七、敏感性分析	67
八、生存分析	68
九、多元统计分析简介	71
第四章 成本分析	74
第一节 成本概述	74
一、医疗成本的概念	74
二、成本的分类	75
第二节 成本测算方法	77
一、成本测算的意义和要求	77
二、成本测算的内容与方法	77
三、贴现	81
第三节 最小成本法	83
第五章 成本效果分析	85
第一节 概述	85
一、成本效果分析的定义和发展	85

二、成本效果分析的意义	86
三、成本效果分析评价指标	86
第二节 成本效果分析的基本程序和方法	88
一、明确问题	89
二、备选治疗方案的分类和验证	91
三、描述投入和产出的关系	91
四、备选方案成本的区分和衡量	91
五、备选方案结果的区分与衡量	92
六、健康结果的区分和衡量	92
七、资源结果的区分与衡量	94
八、经济和卫生变量的评价	94
九、阐明和得出结论	95
十、敏感性分析	95
第三节 成本效果分析的运用实例	96
一、抗菌药用于预防剖宫产后感染的成本效果分析	96
二、痤疮的局部和全身治疗的成本效果分析	97
第四节 成本效果分析的评价	98
第六章 成本效用分析	100
第一节 概述	100
一、成本效用分析产生背景	100
二、成本效用分析相关概念	100
三、成本效用分析的特点	104
第二节 生命质量的评价	105
一、生命质量量表的类型	105
二、生命质量量表的设计	108
第三节 健康效用的测量	111
一、效用值的测量	111
二、效用的计算	117
第四节 成本效用分析原则和实例	118
一、运用时机	118
二、增量成本效用分析和决策	119
三、成本和效用的贴现	119
四、成本效用分析实例	120
第七章 成本效益分析	128
第一节 成本效益分析一般概念	128
一、定义与应用范围	128
二、经济学理论基础	129
三、决策原则	132
第二节 成本效益分析基本方法	133
一、问题与研究设计	133
二、成本概念与估计	135

三、效益概念与估计	137
第三节 成本效益分析常见问题	145
一、数据收集与误差	145
二、敏感性分析与分布	146
三、其他分析与方法	146
第四节 成本效益分析应用实例	147
一、问题与数据资料	147
二、模型分析与结果	148
三、讨论与研究局限	151
第八章 决策分析	154
第一节 决策概述	154
一、决策	154
二、决策的过程	155
三、决策的类型	156
四、决策的信息	157
第二节 决策分析方法	158
一、不确定型决策	158
二、风险型决策	159
第三节 决策分析模型	160
一、模型技术	160
二、模型评价	163
第四节 药物决策分析实例	164
一、决策树分析实例	164
二、Markov 模型应用实例	172
第五节 敏感性分析在药物经济学中的应用	176
一、敏感性分析概述	176
二、敏感性分析方法	176
三、敏感性分析实例	177
第六节 药物决策分析中应注意的问题	178
一、研究角度所造成的偏性	178
二、信息不全所带来的不确定性	178
三、结果评价的差异	179
第九章 药物经济学在医院药学中的研究	180
第一节 药物经济学在医院药学中的研究特点	180
一、需求迫切	180
二、研究对象广泛	181
三、决策多从医院角度出发	182
第二节 药物经济学与医院药事管理	183
一、优化医院药品结构	183
二、指导医院药品价格政策	184
三、遏制不合理用药	185

四、辅助新药研究和开发	185
第三节 医院药品采购供应中的药物经济学	186
一、药品采购供应的成本效益分析	186
二、药品采购供应的成本变动分析和采购策略	188
第四节 药物经济学与临床合理用药	190
一、药物治疗决策中的药物经济学研究内容	190
二、药物治疗决策中经济学分析的注意点	192
第十章 新药研发的经济学分析	194
第一节 新药研发概述	194
一、新药的概念、特点及分类	194
二、新药研发的两个阶段	196
三、新药申报与审批	198
四、新药生产	198
五、新药研发的意义和模式	199
第二节 新药研发的相关理论	200
一、R&D 的阈值理论	200
二、R&D 的规模经济性	201
三、R&D 的时间因素	201
第三节 新药研发特点概述	202
一、研发费用越来越大	202
二、研发的成功率越来越低	203
三、研发的时间周期越来越长	204
四、高产出高收益	204
五、新药研发是一项系统工程	204
第四节 我国新药研发的经济学特征	204
一、我国新药 R&D 的资源投入	205
二、我国新药 R&D 的资金来源	206
三、我国新药 R&D 的产出	207
第五节 药物经济学与新药研究开发	207
一、新药研究开发阶段开展药物经济学评价的意义	207
二、新药研发阶段开展药物经济学研究的步骤	209
三、新药研发阶段开展药物经济学评价应注意的几个问题	210
四、药物经济学研究对药物开发的启迪作用	211
第十一章 药物经济学在国际上的应用	213
第一节 药物经济学在世界各国的发展	213
一、药物经济学与结果研究的关系	213
二、药物经济学的研究现状	214
三、药品成本和定价	214
四、药品的补偿	215
第二节 国际药物经济学与结果研究	216
一、国际药物经济学与结果研究协会	216

二、药物经济学评价指南	217
第三节 药物经济学研究的国际潮流.....	218
一、新药的研究与发展	218
二、药物的经济学评价	219
三、药物经济学的方法学研究	220
第四节 药物经济学研究的地区差异.....	221
一、日本	221
二、韩国	222
三、新加坡	222
四、泰国	222
五、巴基斯坦	223
六、马来西亚	223
七、印度	223
第五节 药物经济学的国际研究对我国学科发展的启示.....	223
一、努力发展药物经济学学科	223
二、将药物经济学的理论应用到卫生改革的实践中去	224

参考文献.....	225
-----------	-----

中英文名词术语索引.....	228
----------------	-----

第一章 绪 论

市场经济中的每一个单位,小到个人、家庭,大至企业、国家,在经济决策中都受到有限的资源或者财政预算的限制。如何有效分配资源的利用和消费,以取得最大的经济学效益,是每一个经济单位必须解决的问题。在卫生保健各个方面,不论患者、医生、医院、医疗保险公司还是卫生管理部门,均面临类似的问题。不管经济如何发展,社会的承受能力总是有限的,不可能给予所有患者最新最好的医疗保健。近二、三十年来,随着药物及其他治疗手段的日新月异,医疗开支的逐年增长,这一问题越来越突出。如何权衡在医疗保健上和在其他同等重要的社会公益项目上的开支,如何在包括药物治疗在内的各种治疗措施中作出选择,是所有国家、组织、医疗单位、家庭以及个人面临的问题。卫生经济学研究及其分支药物经济学研究,能够协助人们完成这些决策过程,使有限的卫生资源达到合理利用。希望读者通过本章的学习,能够对药物经济学的基本概念、发展史、研究方法等方面有一个总体了解。

第一节 概 述

一、药物经济学的定义

药物经济学(pharmacoeconomics)泛指西方经济学在药物治疗评价上的应用,包括一切有关药物临床应用的经济学研究。具体地说,药物经济学应用现代经济学的研究手段,结合流行病学、决策学、生物统计学等多学科研究成果,全方位地分析药物治疗备选方案(包括非药物治疗方案)的成本(cost)、效益(benefit)或效果(effectiveness),评价其经济学价值的差别。药物经济学的服务对象包括医疗保健体系的所有参与者:政府管理部门、医疗提供单位、医疗保险公司、医生以及患者。药物经济学研究能够为政府提供一种合理配置卫生资源和技术(特别是药品)的决策手段;药物经济学研究能够协助社会医疗保险计划和私营医疗保险公司制定合理的报销政策;药物经济学研究能够帮助医院、临床医护人员优化治疗方案;药物经济学研究能够给消费者(患者)提供全面的药物治疗信息;药物经济学研究可以指导制药公司的新药开发以及市场营销决策。此外,药物经济学研究还使得那些以提高全社会福利水平为己任的经济学家们有了新的用武之地。

药物经济学的研究方法主要有4种:成本效益分析(cost benefit analysis,简称CBA)、成本效果分析(cost effectiveness analysis,简称CEA)、最小成本分析(cost minimization analysis,简称CMA)、成本效用分析(cost utility analysis,简称CUA)。

二、药物经济学的产生和发展过程

药物经济学,是伴随着主要研究方法——成本效益(果)分析在药物治疗决策上的应用而逐渐

成熟和发展起来的。

(一) 药物经济学学科的产生

1. 研究思想和方法来源 成本效益分析和成本效果分析的思想远早于其名词的产生。Quade 所著《A History of Cost Effectiveness》中列举的最早的成本效益(果)分析的例子发生于中国宋代。当时的京都开封府为火灾所毁,皇帝委派一名工匠主持重修一座防火的宫殿。然而,大量的建筑材料需从城外用车或人力运入,费工费时。于是,该工匠想出了一个既省钱又省力的办法。他命令工人挖掘了一条从工地延伸到城外河流的人工运河,将所有的材料用船运入。在宫殿完工之后,他又命令将所有碎砖、碎瓦以及废土填入运河,使运河重新变为街道。显然,这位工匠的工程设计比当时的传统方法更省时省力,在当时的技术条件下是成本效果最优的方法。历史上这样的例子很多,都远早于现代成本效益(果)分析思想的产生。

成本效益(果)分析思想来源于三门学科:经济学、工程学和运筹学。法国经济家居利·杜普(Jules Député)早在 1844 年就提出修建公共设施如道路、桥梁,其公众效益远大于经济效益(如收取过路费、过桥费等收入)。然而,直到 20 世纪 30 年代,随着美国公共投资的急剧增加,经济学家才真正介入到成本效益和成本效果的研究中来。实用工程学应用成本效益分析源于 20 世纪初。1902 年,美国通过了河流及码头法(The River and Harbor Act),首次将成本效益分析运用于政府经济决策。该法律规定由工程师分析河流、码头工程给当地居民带来的经济效益,以决定地方政府的财政分担。其后的水灾控制法(The Flood Control Act, 1936 年)的制定及其他政府决策均要求类似的成本效益分析。此后二、三十年中,成本效益分析广泛应用于众多水利工程。为协调成本效益分析的方法,美国于 1962 年成立了总统水资源委员会,颁布了统一的政府(水资源)项目成本效益分析标准。与此同时,成本效益分析逐渐扩展到其他政府部门的预算计划中。成本效益(果)分析的最后来源是运筹学(operation research)。运筹学运用于政府决策始于第二次世界大战之后。二战之后的冷战期间,美国军队将运筹学研究及其衍生的系统分析理论应用于武器开发,其着眼点着重于成本效果分析,即比较达到同一目标的不同方法的优劣。由于美国的军费开支庞大充足,军队研究者很少进行成本效益分析,不关心项目的成本效益净差值(即考虑该武器的效益是否大于成本)。直到 20 世纪 60 年代,随着经济学的分支——公共金融学(public finance)在政府预算中的影响越来越大,其中成本效益分析是其主要研究手段之一,美国国防部才将分析各军事项目的成本、效益列为武器开发的重要指标。1965 年起,成本效益分析成为美国联邦政府项目财政预算的必需成分,标志着成本效益(果)分析的研究方法已经成熟。经济学、工程学和运筹学三者的结合,构成了成本效益分析的理论 and 实践基础。

2. 卫生经济学的发展为药物经济学的成熟创造条件 成本效益分析和成本效果分析在医疗上的应用,始于 1966 年瑞思(Rice)的《疾病成本估计》(Estimating the Cost of Illness)一文。很快,研究者们意识到成本效益(果)分析在医疗领域的应用远远难于水利工程:进行成本效益分析所必需的元素——健康与生命的货币价值很难衡量,并且可能引起伦理学的争论;角度不同引起各方利益冲突又使得研究者无法在成本效果分析的临床结果指标上取得一致。由于成本效果分析易为临床医疗人员和患者接受,其在医疗卫生领域的应用较成本效用分析更为广泛。1970 年,埃可顿(Acton)对心肌梗死预防的研究是成本效益(果)分析在医疗卫生领域的首次重要应用。当时,心肌梗死导致的死亡约占美国 70 年代死亡人数的 1/3,所以该项目很受美国公共卫生部门重视。埃可顿研究 5 种预防措施(分别是高危患者筛查预防、移动救护车、移动心电监护车、住区急救中心以及住区急救中心附加移动救护车)的成本和其引起的心肌梗死死亡率的下降水平,并比较其成本效果的异同。在此基础上,他还运用人力资本法(human capital approach)及意愿支付方法(willingness to pay,简称 WTP),进行了各种预防措施的成本效益分析,发现结论与成本效果分析近乎一致。

成本效益(果)分析首次用于标准临床操作程序始于纽豪赛和鲁维齐(Neuhauser & Lewicki)

发表于1975年新英格兰医学杂志的有关便潜血的研究。他们通过第1次至第6次便潜血检查的边际增量成本效果分析,揭示第6次便潜血检查的成本大于效益,从而确立了便潜血的临床诊疗标准。1977年,温斯坦和史太升(Weinstein & Staton)在新英格兰医学杂志发表两篇文章,提出为合理分配利用有限的卫生资源,必须采用成本与效益的比较,同时系统地阐明了如何应用成本效益(果)分析进行卫生决策的方法学问题。这两篇文章引发了后来一系列关于成本效益(果)分析在医疗保健领域应用的讨论,标志成本效益(果)分析逐渐为临床医疗人员和卫生决策者重视。

1980年,美国国会技术评估办公室(Office of Technology Assessment, OTA)的报告全面总结了成本效益(果)分析在医疗卫生领域的应用。该报告认为成本效益(果)分析在医疗卫生领域的局限性有两方面的原因:方法学本身固有的局限以及方法学发展过程中的局限性,而唯有后者可以通过未来发展改变。OTA的报告认为成本效益(果)分析可以作为参考,可以协助卫生决策,但不能代替卫生决策。其后,OTA发表了一系列具体的医疗措施成本效益(果)分析范例,在一定意义上普及了成本效益(果)分析。随着成本效果分析在公共卫生领域的应用,包括流行病学家和生物统计学家在内的公共卫生研究者越来越多地进入这一领域的研究,他们的介入使得成本效益(果)分析逐渐成为一门多学科、面向卫生决策者的边缘科学。

在卫生保健成本控制的驱动下,药品成本控制成为卫生决策关注的重点。这主要是因为:①与其他卫生服务项目相比,药品的成本容易确定;②对于某种药品来说,通常存在价格相对较低的替代品;③在药品成本控制宏观决策中,利益受到损失的往往既不是患者,也不是医务人员,而是制药企业,因为一旦患者或医务人员坚持自己的权益,那么企业的利益就会被削减。因此,卫生经济技术和方法在药品成本效果(效益)评价中的应用受到了决策者特别是政府部门的重视,药物经济学作为一门独立的学科逐渐发展壮大。

3. 药物经济学学科的独立 成本效果分析应用于临床药物评价始于1980年。萧恩玻姆(Shoenbaum)最早提出成本效果分析应该与临床药理试验同时进行。他认为临床药理试验提出了许多成本效果分析未曾注意的问题,二者的结合能够极大帮助临床医务人员的医疗决策。其后,德茨可(Detsky, 1985)探讨了如何应用经济学分析优化临床药物试验的设计,降低财政预算和患者数量,同时增加临床试验的显著性。1989年,范·爱莫恩和荷瑞思伯格(van Eimeren & Horrisberger)主编了《药物治疗的社会经济评价》(Socioeconomic Evaluation of Drug Therapy)一书。书中收集一系列欧美各国药物评价的历史、发展、现状以及方法学文章,并应用国际范例阐明了如何应用经济学手段,从社会与科学两个角度评价药物治疗的效益效果。1991年,针对药物经济学研究的现状,希尔曼(Hillman)等人新英格兰医学杂志撰文提出由于现有药物经济学研究缺乏固定、统一的标准,研究者的利益和政策倾向可能影响研究设计,导致成本效果分析结果或诠释的偏倚,该文中提出了一系列减少研究误差的原则。

1992年药物经济学(Pharmacoeconomics)杂志的发行,标志着药物经济学研究作为一门独立学科已经形成。在创刊号上,居姆德(Drummond)撰文“药物的经济学评价:科学还是市场营销?”作为对希尔曼一文的回答。居姆德比较药物有效性试验与药物经济学研究中可能存在的偏倚因素,指出二者可能面临的偏倚因素类似,均在于试验设计不严格。他特别指出,由胜任的药物经济学家主持的药物经济学研究,应该与药物有效性研究一样可靠。而玻利(Pauly, 1996)在其“药物经济学研究准则”一文中强调:由于出发点不同,公共卫生部门、药品生产商、私营保险公司等的药物经济学研究标准不可能相同。过分强调统一的药物经济学标准只会加重药物市场的信息不全。政府对药物经济学研究的管理应仅强调最基本原则的准确,同时提醒消费者在使用这些信息时适当存疑。有关药物经济学研究方法的争论,尚需通过未来的理论研究以及卫生决策实践解决。

(二) 药物经济学的作用

1. 为医疗决策提供依据 经济学研究范畴非常广泛,但所有经济学问题有一个共同特点:资

源的有限性。不论国家、组织还是家庭和个人,其财政资源的有限性决定了经济杠杆的必然作用。面临有限的资源,每一个经济单位都必须权衡各种资源利用的利弊,在有限的财政预算下,合理进行资源消费,以取得最大的经济效益。一个国家必须合理分配其在国防、医药卫生、交通建设等方面的投资;一个家庭必须合理安排其在食品、医药、住宅等方面的消费水平。即使像美国这样的发达国家,其医疗保健预算也只能占国民生产总值的15%左右。包括新药在内的医疗新技术的不断涌现已被公认是医疗费用上涨的重要原因之一。如何应用有限的卫生财政资源,合理选择医疗新技术、新药的使用,以取得最大的健康效果,是所有国家面临的问题。与发达国家相比,发展中国家用于卫生保健的财政资源更为有限。不同的药物,其成本、治疗途径、疗效、不良反应各不相同,单一方面的比较很难决定药物的优劣。药物经济学研究利用上述所有信息,借助经济学以及其他学科的研究手段,导出药物治疗的成本效益或成本效果参数,判断何种药物治疗能取得最大的经济学效益,为临床医疗决策和宏观卫生决策提供重要参考。

2. 为消除药品市场失灵寻找原因 西方经济学的研究一再证实完全或充分的市场竞争(perfect competition)能够帮助生产者、消费者达到生产和消费的最佳分配,使得产品的市场价格等于其边际价值,通过市场价格机制达到资源的最合理分配。在充分的市场竞争下,如果一种产品的价格高于其价值,新的生产者就会介入这一市场,直到产品的价格等于其价值;如果一个生产者的生产过程没有达到最佳的资源利用,其生产的产品价格高于市场价格,这个生产者会亏本并被其他的生产者所淘汰;如果一个消费者各种产品消费比例不合理,他必然会调整消费结构,使消费品的边际效用比等于其市场价格比,从而达到自己的最大效用函数点。在市场能够正常运转的情况下,一切资源分配、利用、生产、消费均达到最合理的状态,产品的价格完全由市场竞争决定,任何政府干预都是多余的,这一论述则是通常所称的福利经济学(welfare economics)的最基本原则。

然而,完全的市场竞争不一定能够实现。政府的经济学职能在于消除可能导致市场失灵(market failure)的因素,促进完全的市场竞争,帮助达到资源的合理分配和利用,以使全社会的福利达到最大状态。从下面的分析中我们可以看到,卫生保健市场具有导致市场失灵的所有特点,需要政府干预以达到完全的市场竞争;药物经济学研究可以帮助消除可能导致药物市场失灵的原因,协助卫生部门作出决策。

市场失灵的原因包括:

(1)市场力(market power):马克思主义政治经济学早就指出,在资本主义国家,垄断以及寡头控制导致少数生产者操纵产品的生产和销售,以赚取超额利润。具有控制市场能力的生产者能够通过减少产品的生产达到提高价格、赚取超额利润的目的。他们阻碍新的生产者介入市场竞争,导致产品的市场价格高于其真正价值,妨碍了资源的合理利用。政府的职能在于解除产品市场的进入限制,促进市场竞争的实现,或者控制产品的价格,增加产品的生产。在卫生保健市场,通常由一家或几家药厂控制一种药物的生产与销售,可能需要政府的调控。经济学的分支之一——调控经济学(regulation economics),则专门研究政府的市场调控职能。药物经济学研究可以提供药物的经济学价值信息,帮助政府进行药物定价和报销管理。

(2)信息不全(incomplete information):市场运转的前提条件是市场的参加者必须掌握所有的信息,例如生产者了解消费者的需求、消费者了解产品的质量等等。信息不全或者不准确的信息可能导致产品交易不能进行,损害双方的利益;或者导致错误的交易,损害某一方利益,影响未来交易的进行,从而损害其他生产者或消费者的利益。以上两种情况均可能引起市场失灵,损害全社会的福利。在现实市场中,信息不全的情况很多。例如,消费者(患者)对于药物的性质不够了解,而药物公司提供的信息很可能偏袒本公司的药物,公平的市场竞争很难实现。由于消费者不能判断药物的优劣,可能购买不对症的药物,或者做出不购买的决定,从而损害了消费者和对症药物生产商的利益。再如,临床医生作为专业人员,比患者掌握更多的医药信息。作为患者的利益维护者,医生本应推荐最佳的诊治措施,然而,为增加收入,一些医生可能为患者推荐并非最佳的诊疗措施,损

害患者以及医疗保险公司的利益。而另一方面,医疗保险分担了个人风险,导致患者仅需承担部分的药物费用。由于患者承担的药物费用低于药物的市场价格,患者会倾向于消费与有效治疗相比更多、更好的药物,这种情况经济学上称为道德危害(moral hazard)。道德危害不仅导致医疗开支的不正常上涨,严重时还可能将导致医疗保险费用超过人们的承担程度。许多经济学家认为医疗保险的普遍性以及患者费用分担的局限性,是医疗费用上涨的原因之一。客观的药物经济学研究能够弥补市场信息的缺乏,帮助消费者权衡各种药物的利弊,限制医生在诊治中的谋利行为,帮助医疗保险公司界定药物报销范围,以达到最佳的药物选择、应用,让市场正常运转,提高全社会的福利。

(3)外在作用(externality):市场有效运转的关键在于生产者与消费者根据反映产品价值的市场价格决定生产与消费,从而达到全社会的资源合理分配和利用。如果某些生产者或消费者的活动间接地影响其他生产者和消费者的生产或消费活动,且其影响效应没有引起产品价格的相应变化,外在作用也就应运而生。由于市场价格不能真实反映产品价值,市场失灵也就在所难免。外在作用一般指负性外在作用(negative externality),即对全社会福利造成危害的外在作用。负性外在作用的典型例子是环境污染:一个小规模造纸厂所能造成的环境污染危害可能超出它的经济效益。如果该厂需要对环境污染负责(没有负性外在作用),污染罚款将引起其生产成本增加,造纸厂会试图减少环境污染或者被迫关闭;如果它不用支付环境污染费用,或者说环境污染没有引起产品成本的相应增高(负性外在作用),造纸厂盈利而换来的代价则是造成严重的环境污染和全社会的总福利的降低。在医疗卫生方面,传染病的治疗是负性外在作用的例子之一。传染病患者在进行治疗与否的决策时仅仅考虑自身的治疗费用与效益,但由于疾病能够传染其他人,患者所考虑的个人效益可能远远小于全社会从它的治愈中得到的效益。政府的职能之一就是适当干预市场,比如保护环境、防止传染病的流行,以消除外在作用的影响。全社会观点进行的药物经济学研究考虑传染病治疗对全社会的成本、效果,能够帮助卫生决策者选择合理的预防、治疗措施。

(4)公共品(public goods):市场失灵的最后可能原因是单纯市场机制不能提供足够数量的公共品。公共品的特点在于:①生产成本较高,少数消费者很难承担;②公共品一旦已生产出来,就能够以低廉的边际成本(marginal cost)提供给消费者,而且很难限制其他消费者共同享用该公共品。由于公共品以上这些特点,单纯市场机制所能提供的公共品少于公众希望消费的数量。药物经济学信息即属公共品之一。设想一些消费者很希望得到某些药物经济学研究结果,他们愿意支付的价值总和超出研究的成本。研究结果一旦发表,即成为公共信息,研究机构能够以极低成本向消费者提供该信息,但很难仅向交费者提供信息,同时防止其他消费者的使用。消费者知道研究结果发表后可以得到免费信息,就不会花钱去购买。换句话说,虽然市场上有对药物经济学研究的需求,但由于研究需要投入一定的成本,又较难通过市场机制收回成本,市场机制提供的药物经济学研究显然不能满足消费者的需求。此时,政府可以通过公共税收收入,进行公共品的生产,满足消费者的需求。

卫生保健市场的以上特点决定了政府干预的必然性。药物经济学研究属于市场生产不足的公共品,能够协助政府的药物定价决策,弥补市场的药物信息不全,研究传染病治疗的社会成本和效益,是防止药物市场失灵的重要手段(表 1-1)。

表 1-1 药物市场失灵的可能原因以及药物经济学研究的作用

原因	药物市场失灵原因	药物经济学研究作用
市场控制	药物价格垄断	提供经济学价值信息,协助政府定价
信息不全	药物信息不全	消除药物信息不全
外在作用	传染病的负性外在作用	提供传染病治疗的全社会成本、效果
公共品	药物信息属公共品:供应不足	由政府部门提供药物经济学信息

3. 保证卫生保健的可及性和公平性 许多国家把人人享有卫生保健作为公民的基本权利之

一。西方经济学将卫生保健的可及性称为必需消费品(merited goods),将享有基本的卫生保健列为与自由选举权同等重要的人身基本权利。医疗保健体制不仅应该注重经济学效益,也应该体现卫生保健的公平性以及可及性。在私有化的医疗市场,消费者的医疗消费与其收入成正性相关,收入的不平等造成了卫生保健的不平等。为体现卫生保健的公平性,许多国家采用全民医疗保险制度(national health insurance)。全民医疗保险制度给予每个公民统一的医疗保险计划,在不同收入层次人群之间进行财产再分配,保证了公民平等的卫生保健权利。如果在药物经济学研究中不考虑消费者收入和其他社会经济层次的差别以及由此导致的疾病种类、程度的不同,并给予每种疾病、每个患者同等的重视,那么,根据研究结果作出的卫生决策,优化全社会的健康结果,必然体现了卫生保健的可及性、公平性原则。

(三) 药物经济学的应用

近年来药物经济学发展迅速,其重要原因之一是全世界范围内的卫生系统改革。随着经济的发展、人民生活水平的提高,人们对卫生保健的需求必然增加。新药、新医疗技术的不断发展,一方面能满足人们对卫生保健的需求,另一方面其昂贵的价格又常常使政府、个人医疗开支的增加超出经济发展的水平。财政资源的有限使得各种医疗措施(特别是药物)的经济学成本与效益比较成为政府以及公众关心的焦点之一。以美国为例,每年发表在全科医生、专科医生、公共卫生以及政策杂志上的成本效益(果)分析有 100 余篇,研究主持者来源于政府部门、企业界、保险公司、咨询公司以及大学,研究对象则主要是药物制品。

1. 用于宏观卫生决策参考 成本效果分析应用于医疗卫生领域虽然只有 30 年的时间,却已成为医疗决策者的重要参考。医疗必需(medical necessity)和社会责任(social responsibility)曾经是一度成为卫生决策的理论依据。然而,这两种论述的支持者都忽略了机会成本的比较:一旦有限的卫生资源用于某些项目,其他急需拨款的项目必然被搁置。只有将某一项目的投资收益与该投资用于其他所有可能项目所能得到的最大价值(即机会成本)比较,才能保证有限卫生资源的最佳利用。此外,卫生决策通常仅考虑成本因素,常常削减开支大的项目以控制成本。由于药物开支占医疗支出的比例明显,而新药价格又较昂贵,则通常成为管理者降低医疗支出的主要目标。简单比较药物价格决定药物报销政策,虽然可以有效限制短期医疗开支,但却可能对临床医疗质量造成影响,导致中、远期医疗开支的增加,不能达到有限资源的合理分配。典型案例发生在美国弗吉尼亚州(Bloom & Jacobs, 1985),其医疗补助制度(medicaid)为降低开支,曾经将治疗胃溃疡的有效药物西咪替丁排除出报销范围,其结果是胃溃疡患者的住院率上升,患者平均治疗成本反而增加。可见,一味追求成本的控制,而缺乏科学、系统的药物经济学研究,是得不偿失的。

药物经济学研究结果是确定费用补偿政策的一项重要参考。澳大利亚政府是第一个参考药物经济学研究进行药物报销管理的国家,加拿大也已开始实行类似的药物报销管理。单纯控制昂贵药物的使用而不进行药物成本与效益的综合比较,虽然能够在短期内控制药物开支,却可能引起其他医疗开支的增加。如果通过药物与药物之间以及药物与其他治疗措施之间的成本效益(果)比较分析来选择报销药物,则不仅可防止药物的滥用,还可防止包括手术在内的其他治疗措施的滥用,才有可能真正实现卫生资源的合理分配、利用。此外,包括澳大利亚在内的一些国家政府还依靠药物经济学研究进行药物的定价管理,让药物价格差别能够反映其临床治疗效果差别。随着研究方法的不断完善,药物经济学将在药物报销名单制定中起到更大的作用。

2. 协助制定临床治疗准则和规范 Neuhauser 和 Lewicki(1975 年)将成本效益(果)分析用于便潜血检查研究,开始了经济学在标准临床操作程序中的研究。通过边际增量成本效果分析,揭示了第 6 次便潜血检查的成本远大于效益,对临床医疗实践起到了一定的指导作用。药物经济学研究比较不同药物治疗的成本、效果优劣,揭示特定疾病、特定人群的最佳药物选择和治疗步骤,是制定临床标准治疗程序的重要参考。临床医生依据药物经济学研究确立的临床诊疗规范,能够在同