药物经济学评价指南研究

A Study on Guidelines of Pharmacoeconomic Evaluation

主　编　胡善联　杨　莉　陈慧云

编写者（以姓氏笔画为序）

刘　宝　毕康宁　杨　莉

陈　文　陈慧云　胡善联

龚向光

复旦大学出版社

需要全本请访问 www.ertongbook.com

前　言

经过 2 年的努力，《药物经济学评价指南研究》一书终于与读者见面了。我们首先要感谢的是，本书在葛兰素史克中国投资有限公司的支持下，列入科研项目，提供了 2002～2003 年世界各国的药物经济学评价最新指南。在编写的初期，我们也曾得到过杭州赛诺菲圣德拉堡-民生制药有限公司和杭州默沙东制药有限公司的鼓励。在此，愿将本书贡献给所有曾经关心和支持过我们进行药物经济学评价和研究的各级领导和专家们，并致以衷心的感谢。

药物经济学评价指南是各国开展药物经济学研究和评价的工具。自 20 世纪 90 年代初加拿大首先制定药物经济学评价指南以来，迄今在世界各国推广已有 15 个年头了。随着我国社会经济的改革和发展以及城乡医疗保障制度的建立，人民对自我健康的期望值越来越高，希望能够得到比较低廉的价格与比较优质的药品和医疗服务。各地政府在制定医疗保险药品报销目录时也注意到药品预算的影响，因此希望能够将具有最佳成本效果而又有创新价值的药物引入目录，使物有所值。因此，有效性、安全性和经济性就成为选择药物的三大标准。

药物经济学的研究正在我国兴起，对药物的经济学评价已成为临床医生、药师、社会学家、卫生经济学家和社会保障、卫生、药品监督、物价部门共同关心的问题。目前在医药杂志上刊登的药物经济学评价的论文日益增多，由于缺乏比较规范的方法，因此结果的偏倚较大。我国 1999 年颁布的《药品临床实验管理规范》中没有对临床试验的药品提出经济学评价的要求。

我们撰写本书的目的是希望介绍药物经济学评价的基本理论和方法，借鉴世界各国药物经济学评价指南的经验，为今后制定符合我国国情的药物经济学评价指南创造条件。

本书共分成 4 篇 24 章，分别介绍国际药物经济学评价指南的基本情况，药物经济学评价的基本理论和方法，世界主要国家的药物经济学评价指南的内容，以及一些调研报告，包括我国相关机构对药物经济学的态度和对近 10 年来国内发表药物经济学文献的评述。

本书是一本参考书，可供从事于医疗保险、药品监督管理、医学、药学、卫生经济学的实际工作者和研究人员参考。本书各章分属于不同作者编写，均

为个人的意见和体会，疏漏之处敬请广大读者提出宝贵的意见和建议。

复旦大学药物经济学研究与评估中心
复旦大学公共卫生学院卫生经济学教研室
胡善联
2004 年 10 月

目　录

第一篇　概论

第一章　国际药物经济学评价指南的发展史 …… 3

第二章　国际药物经济学评价指南的比较研究 …… 10

第二篇　药物经济学评价方法的研究

第三章　药物经济学基本原理与方法 …… 23

第四章　药物经济学评价中的伦理基础 …… 34

第五章　药物经济学评价中的成本界定及存在的争议 …… 38

第六章　药物经济学评价中的健康结果测量 …… 46

第七章　药物经济学评价中的决策分析模型 …… 56

第八章　药物经济学分析与预算影响分析 …… 67

第九章　药物经济学评价中处理不确定性的方法 …… 76

第十章　药物经济学评价的若干相关问题 …… 84

第十一章　药物经济学评价指南在卫生决策中的应用 …… 99

第三篇　各国药物经济学评价指南综述

第十二章　澳大利亚药物经济学评价指南 …… 125

第十三章　加拿大药物经济学评价指南 …… 141

第十四章　英国药物经济学评价指南 …… 177

第十五章　法国药物经济学评价指南 …… 196

第十六章　荷兰药物经济学评价指南 …… 213

第十七章　美国药物经济学评价指南 …… 227

第十八章　西班牙药物经济学评价指南 …… 250

第十九章　意大利药物经济学评价指南 …… 259

第二十章　德国药物经济学评价指南 …… 269

第二十一章　丹麦经济评估技术的标准化进展 …… 274

第二十二章　日本药物经济学评价指南 …… 281

第四篇　中国药物经济学评价研究的现状
第二十三章　国内药物经济学评价研究文献的系统评估 …… 299
第二十四章　我国相关机构人员对药物经济学态度和认知的调查 … 315

需要全本请访问 www.ertongbook.com

第一篇 概　论

第一章

国际药物经济学评价指南的发展史

过去十几年里，卫生经济学评价方法得到了普遍推广，这一领域的研究文章日益增多。特别是 1992 年以后，随着澳大利亚政府开始要求进入药品报销目录(PBS)的新药申请必须提交药物经济学评价结果，其他国家也纷纷效仿，根据各自国情制定了相应的药物经济学评价指南，药物经济学评价指南开始得到迅速发展。指南不仅可以作为制定药品价格、进行药品报销决策和新药审批的参考，同时为合理配置卫生资源提供依据，还可以规范药物经济学研究和指导临床合理用药。回顾药物经济学指南的发展历史，可以帮助我们更好地制定指南和进行药物经济学研究。

一、起源

最早关于经济学评价方法的文章可以追溯到 30 年以前，英国学术界对卫生经济学评价指南的发展和推广起了重要作用。卫生经济的主要奠基人——英国 York 大学的 Alan Williams 教授(被称为“卫生经济之父”)在 20 世纪 70 年代初期撰写了两篇文章：一篇是关于成本-效益分析的介绍，另一篇是关于成本-效益分析方法在卫生服务系统中的应用。后者包括药物经济学评价指南的 19 个问题，从中可以清楚看到现在指南的雏形(表 1-1)。

表 1-1　Williams 指南(1974 年)

- 研究想要解决的问题是什么？
- 研究实际回答的问题是什么？
- 研究的目标是什么？
- 采用何种测量方法？
- 如何赋值？
- 能否让我们知道目标是否达到？
- 指标的范围如何？
- 有其他的指标吗？

- 拒绝指标有充分的理由吗？
- 纳入这些指标是否会改变结果？
- 分析中未考虑的人群是否会受影响？
- 如果会，为什么要排除？
- 成本的范围是否比经销商的消耗更广泛和深入？
- 如果不是，成本是否包括了所有资源利用和其他使用的价值？
- 如果是，考虑所有的潜在效益和损失，资源是否按最佳的机会成本估计？
- 效益和成本的时间范围差异是否考虑？（如贴现，贴现率是多少？）
- 不确定性和可知的偏倚是什么？是否阐明结果对它们的敏感性？
- 结果能否解决研究的问题？
- 有其他人做得更好吗？

在20世纪70年代后期，Williams的研究生Michael Drummond教授对指南进行了创造性的提炼和修改，此后又不断完善，于1987年提出了得到经济学家一致公认的非常著名的10条经济学评价标准（表1-2），它不是简单地对Williams教授指南的删减，而是精心补充和完善。1992年，Lipsey发表了一篇关于在药品报销决策中药品目录与药物经济学分析关系的综述，药物经济学评价指南被认为是继安全性、功效和质量以外评价药品的又一重要指标。1994年，Drummond提出了药物经济学评价指南的三大目的：①药品报销决策的要求；②方法学标准的需要；③伦理学标准的需要。这些成为以后指导药物经济学指南分类和研究的标准。

表1-2 Drummond 10条标准

- 对照的综合描述（who，what，whom，where，how）
- 是否有效果的证据？
- 是否包括重要的成本和效果？
- 成本和效果是否以合适的自然单位进行测量？
- 成本和效果计算是否阐明研究的问题？
- 是否可信？
- 成本和效果是否进行贴现？
- 是否有增量成本效果分析？
- 是否有敏感度分析？
- 结果的讨论是否涵盖使用者所关注的问题？

20世纪80年代末期，世界各国不同的组织和机构开始致力于经济评价指南的发展和完善。根据各自使用的目的制定相应的药物经济学评价指南，澳大利亚、加拿大、英国和美国等国逐渐在学术界、药厂和政府之间就如何进

行卫生经济评价达成共识，形成了各自的药物经济学评价指南。

二、发展

早期药物经济学评价指南主要用于指导药物经济学研究。到了20世纪末期，卫生费用的恶性膨胀、预算的紧缩，促使政府对国家卫生服务体系药物补偿是否提供了资源消耗的最大价值的关注，同时卫生保健市场竞争加剧，提高了管理保健组织和其他卫生服务支付者的成本意识，不论是卫生政策决策者、医药企业、医疗保险机构还是临床医生，都迫切需要一套统一的药物经济学评价标准来保证评价的一致性和可靠性。1991年，加拿大安大略省率先制定了药物经济学评价指南草案，在很大程度上推动了加拿大经济评价的改革进度。1992年8月，澳大利亚在世界上第一个将药物经济学评价指南引入药品报销目录，指南于1993年1月正式开始实施。标志着药物经济学指南的发展进入了一个崭新的阶段。1995年11月公布了修订后的第二版。1994年11月，加拿大卫生技术协调办公室(CCOHTA)公布了加拿大药物经济学评价推荐性指南，同年安大略省也公布本省的正式评价指南。加拿大指南经过两年的实践后，于1997年11月公布经过修改后的第二版指南。与第一版相比较，除了格式上的变动之外，在药物经济学中有争议的领域提供了更多的参考信息，以增强指南的可理解性和可操作性。

在澳大利亚和加拿大指南的带动下，随后英国、美国、法国、意大利、荷兰、西班牙、芬兰、葡萄牙、丹麦、爱尔兰、新西兰、挪威、比利时、德国、瑞士和日本等国也相继制定了本国的指南，而且在同一国家不同组织根据其目的不同还制定了不同的指南，掀起了制定药物经济学评价指南的高潮(表1-3)。

表1-3　世界各国药物经济学评价指南一览表

国　家	名　称	制 定 者	公布时间
正式指南			
澳大利亚	药品报销目录指南(PBS指南)	药品报销委员会(PBAC)	1992年8月第一版 1995年11月第二版
加拿大	安大略省药品经济分析指南	安大略省卫生署	1994年
芬兰	卫生经济账户报销指南	社会事务与卫生部	1999年6月

续 表

国 家	名 称	制 定 者	公布时间
荷兰	药物经济学研究指南	疾病基金委员会(SFC)	1999 年 3 月
葡萄牙	药物经济学评价方法学指南	医药协会	1998 年 11 月
美国	Regence Blue Shield 指南	华盛顿大学专家/药厂	1997 年
英国	药厂提交技术评估申请指南(NICE 指南)	MEDTAP(由 NICE、药厂和其他利益集团顾问组成的指导委员会)	1999 年 7 月 第一版 2001 年 2 月 第二版
非正式指南			
丹麦	药品经济评价指南	大学专家	1998 年
爱尔兰	卫生技术评估指南	国家药物经济学中心	1999 年 12 月 第二版
新西兰	药物经济学分析指南(PHARMAC 指南)	药品管理有限公司/卫生基金管理局(HFA)	1999 年
挪威	药品报销经济学指南	挪威医药管理局	1999 年 9 月
美国	科罗拉多和内华达州蓝十字和蓝盾组织指南(BCBS 指南)	科罗拉多大学	1994 年第一版 1998 年第二版
	食品和药品管理局(FDA)指南	药品市场、广告和交流司(DDMAC)	1995 年
	管理保健制药协会(AMCP)报销指南	咨询大学专家	2000 年 10 月
瑞士	卫生技术临床和经济评价标准手册	联邦社会保障办公室	1995 年
日本	新药送审的经济学评价要求	卫生和福利部	1994 年
	临床试验的经济学评价准则	临床试验规范指南(GCP)	1997 年
研究方法指南			
比利时	药物经济学研究方法学指南	药物流行病学协会	1995 年 11 月
加拿大	药物经济学评价指南(CCOHTA 指南)	卫生技术评估委员会(CCOHTA)	1994 年 11 月 第一版 1997 年 11 月 第二版

续　表

国　家	名　　称	制 定 者	公布时间
法国	药物经济学研究指南	卫生经济学院	1997 年 4 月
意大利	药物经济学指南草案	Mario Negri 卫生经济研究中心(CESAV)	1995 年
	国家经济学评价指南	药物经济学研究工作组(GISF)	1998 年起草 2001 年公布
西班牙	卫生技术经济学分析方法学标准	咨询大学专家	1995 年
德国	经济学评价指南	汉诺威大学	1995 年 1 月
英国	医药经济学评价规范指南	政府卫生部/药厂(ABPS)	1994 年
	英国 BMJ 经济学文献作者和同行评议指南	英国医学杂志(BMJ)	1995 年 1 月
美国	医药成本效果分析专家指南	公共卫生署召集大学专家	1997 年 2 月
	药品研究和药厂协会(PhRMA 指南)	PhRMA	1996 年
	卫生技术经济学分析专家指南	宾夕法尼亚大学	1995 年
	美国疾病预防和控制中心(CDC)	CDC	1992 年

三、启示

从各国指南的发展我们可以看出，一个国家的指南与其卫生保健体系和药品政策有着密不可分的关系。如美国，主要是依赖私人筹集卫生经费，购买和提供卫生服务的卫生保健制度，管理保健组织是其主要的医疗保险形式，因此没有全国统一的指南，指南大多数是从管理保健组织的角度出发制定的。而英国是实行全民健康保险的国家，国家临床规范研究院(NICE)为国家卫生服务(NHS)制定的指南在全国范围内适用。指南的内容同时也取决于指南的发起者和制定者，国家卫生行政部门的指南通常具有强制性，如澳大利亚、加拿大、荷兰和英国 NICE 指南；医药协会的指南带有行业规范性质，如比利时、美国的 PhRMA 指南；学院指南通常是指导药物经济学研究的，如法国、英国 BMJ 指南、美国专家指南。

从指南的制定情况来看，正式指南大多由国家卫生部门或政府委托研究机构和协会制定指南；而非正式指南和方法学指南的制定者各不相同，有政

需要全本请访问 www.ertongbook.com

府部门、研究机构、药厂、行业协会、学术期刊和保险机构等，他们均代表着不同的利益集团。从制定方法来看，有卫生部门或机构单独拟订指南的，也有成立工作组，召集医学会、药厂、卫生经济学专家协作制定指南的。前者的国家卫生保健体系相对集中，而后者能更好地协调各方利益。

纵观各国指南，尽管都在理解性和可操作性上进行了不断的完善，在大多数指南条目上达成了共识，如研究的观点、优选分析方法、模型的构建和敏感度分析。但是，在药物经济学评价方法中某些关键细节上却存在分歧，很难达成一致，直接影响到评价的结果，致使国与国之间、组织与组织之间缺乏统一的比较基础。首先是成本的界定，大多数指南认为成本的计算应该包括直接成本和间接成本，但在间接成本的估计上存在争议，有的主张意愿支付法，有的推荐摩擦成本生成法。在数据的收集上，大多数指南建议应收集实际条件下病人的成本数据，有的主张在随机对照实验（RCTs）基础上收集。在成本的计算中还存在双重估计的质疑，指在成本效用分析中，医疗费用的变化和生产力的变化有可能同时包括在成本计算和效用的质量权重中。在贴现率计算上，达成共识的是应该进行贴现，但成本和效果是否采用相同的贴现率和率的大小上还存在争议。在计算生命质量时，是采用疾病影响量表（SIP）、Euro-Qol，还是 SF-36，选择的依据也没有统一。另外，在敏感度分析和模型建立上也存在分歧，在研究的独立性和透明度方面缺乏保证，药厂资助的药物经济学研究的可信度还值得怀疑。

总之，药物经济学评价指南经过 30 多年的发展已经形成了一套系统而完善的评价体系，各国应根据本国国情、医疗保健制度和药品政策制定相应的指南，关于指南的研究不能只是重复国外的方法和经验，而应把重点放在评价方法上还存在争议的领域，提高评价结果的适用性和可推广性，这才是制定指南的目的所在。

（胡善联 杨 莉）

参 考 文 献

[1] Commonwealth Department of Health, Housing and Community Services. Guidelines for the pharmaceutical industry on preparation of submissions to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee — including submissions involving economic analyses. Canberra: Australian Government Publishing Service. August, 1992

[2] Drummond MF, Stoddart GL, Torrance GW. Methods for the economic evaluation of healthcare programes. Oxford: Oxford University Press, 1987

[3] Dummond MF, *et al*. Guideline for author and peer reviewers of economic submission to the BMJ. BMJ, 1996,313:275～283

[4] Glennie JL, Torrance GW, Baladi JF. The revised canadian guidelines for the economic evaluation of pharmaceuticals. Pharmacoeconomics, 1999,15(5):459～468

[5] Hjelmgren J, Beerggren F, Andersson F. Health economic guidelines — similarities, differences and some implications. Value Health, 2001,4(3):225～250

[6] Johannesson M. Avoiding double-counting in pharmacoeconomic studies. Pharmacoeconomics, 1997,11(5):385～388

[7] Johnson JA, Friesen E. Reassessing the relevance of pharmacoeconomic analyses in formulary decisions. Pharmacoeconomics, 1998,13(5):479～485

[8] Keda S, Ikegami N, Oliver AJ, *et al*. A case for the adoption of pharmacoeconomic guidelines in Japan. Pharmacoeconomics, 1996,10(6):546～551

[9] Laura A, *et al*. Review of health economic guidelines in the form of regulations, principles, policies and positions. Drug Inf J, 1996,30:1003～1016

[10] Maynard A. Economic evaluation techniques in healthcare. Reinventing the Wheel. Pharmacoeconomics, 1997,11(2):115～118

[11] National Institute for Clinical Excellence. Technical guidance for manufacturers and sponsors on making a submission to a technology appraisal. March, 2001

第二章

国际药物经济学评价指南的比较研究

面对快速增长的医疗费用，各国政府开始寻找新的策略来有效控制卫生费用。众所周知，卫生费用增长的一个主要驱动力是最近几年药品的科技创新速度和新药的价格攀升，其中一个解决办法就是在药品价格和补偿决策中运用药品经济学评价。越来越多的国家开始鼓励对新药进行经济学评价，确保进入报销目录的药品具有临床疗效和成本效果两方面优势。药品经济学评价作为一种决策工具，过去几十年得到迅速的发展。由于没有统一的评价标准，过去所做的大量药物经济学评价大部分是不完整和缺乏可信度的；而且尽管提供了药物经济学评价，开药的医生也不总是按照评价结果来制订治疗方案。使用经济学评价结果也面临许多问题，这些问题包括不信任，特别是临床医生对经济学评价结果和一系列方法缺乏认识；经济学评价结果是否各国适用，经济学证据对药品报销决策有多大程度影响。为了解决这些问题，一些国家开始制定如何进行经济学评价和如何使用经济学评价的指南。1992 年 8 月，澳大利亚政府率先公布药物经济学评价指南，并用于药品报销目录(PBS)。加拿大也于 1994 年 11 月公布了药物经济学评价推荐指南。随后英国、美国、法国、意大利、荷兰、西班牙、芬兰、葡萄牙、丹麦等国也相应制定了本国的指南，而且在同一国家的不同组织根据其目的不同也制定了不同的指南。

一、分类

前面已经谈到根据各国国情、卫生保健体系和药品政策的不同，药物经济学评价指南的用途也各不相同。按制定级别可以分为：国家指南，如澳大利亚和荷兰的指南；省级指南，如加拿大安大略省的指南；组织指南，如美国蓝十字/蓝盾组织为药品报销目录制定的指南。按用途可以分为 5 类：第一类，继疗效、安全性和质量后作为药品上市的第 4 个标准，目前还没有国家采

用，可能是由于经济学评价的可信度还受到怀疑和指南亟待完善有关。第二类，作为报销决策和纳入基本治疗计划的前提条件，如芬兰从 1999 年 6 月，荷兰从 1999 年底，都要求申请进入报销目录的药品必须按照指南进行经济学评价。这意味着如果药品没有成本效果数据，就不能报销。但由于这些国家卫生服务的高福利性，此举就等同于新药上市条件，因为消费者常常不愿意支付报销目录以外的药费。第三类，在处方决策时使用，如英国英格兰和威尔士通过国家临床规范研究院（NICE）制定的指南，在引进新药和贵药时促进对临床和成本效果的循证医学的重视。第四类，在卫生决策中使用，如法国，尽管也鼓励经济学评价，但不是强制性，也不要求完整的经济学评价。一个简单的新治疗方法具有预算的影响估计或疾病的成本研究就足够了，因此这些证据对报销决策的影响非常有限。第五类，经济学评价指南作为研究者自愿性指南，美国成果效果专家指南和英国经济评价规范指南都是这样，指南没有明确的政策目标，指南由卫生部和药厂共同协商，研究者可以偏离指南的内容。

Hjelmgren 等人根据 Drummond 对指南目的的归纳，按执行情况将指南分为 3 类：一是正式指南，主要指强制用于药品报销目录的指南，如澳大利亚、加拿大安大略省、芬兰、荷兰、葡萄牙、美国 Regence Blue Shield（一种健康维持组织）和英国国家临床规范研究院（NICE）指南；二是非正式指南，推荐用于药品报销目录，如丹麦、爱尔兰、新西兰、挪威、美国蓝十字和蓝盾组织（BCBS）、美国食品和药品管理局（FDA）、美国管理保健组织制药业协会（AMCP）和瑞士指南；三是卫生经济方法学指南，主要用于指导药物经济学研究，如比利时、加拿大卫生技术评估协作办公室（CCOHTA）、法国、意大利、西班牙、德国、英国经济评价规范指南（ABPS）、美国成本效果专家指南、美国药品研究和药厂协会（PhRMA）和美国宾夕法尼亚指南等。

二、异同点

不同类别的指南由于目标、制定者和执行情况的差异，在指南内容上也有很大差异。如研究角度、价格的确定、成本和效果计算、贴现率的选择。研究角度和成本选择的差异主要是因为卫生保健系统的差异和指南的目的不同，而资源和成本计算的差异主要是因为多数指南没有标准化的定价标准，如价格目录。达成一致的是分析方法可采用成本效果分析（CEA）或成本效用分析（CUA），结果用增量成本效果比表示，接受模型分析，选择足够长的时间范围以观察到所有成本和效果，不确定性存在时都主张采用敏感度分析，结果应采用分解和合计两种形式报告（表 2-1）。解释上述 3 类指南共性的一

表 2-1 不同种类药物经济学评价指南异同点

比 较	正式指南(7 种) 澳大利亚、加拿大安大略省、芬兰、荷兰、葡萄牙、美国 Regence 和英国 NICE 指南		非正式指南(8 种) 丹麦、爱尔兰、新西兰、挪威、美国 BCBS、FDA、AMCP 和瑞士指南		卫生经济方法(11 种) 比利时、加拿大 CCOHTA、法国、意大利、西班牙、德国、英国 Good Practice、日本** 、美国 Panel、PhRMA 和 Task Force 指南	
研究角度	社会角度	4/7	社会	3/8*	取决于研究目标	5/11
	社会和(或)卫生保健部门	6/7	多种(包括社会、第三方付费者)	2/8*		
资源/成本	直接卫生服务成本	5/7	所有相关成本	4/8	所有相关成本	5/11
结果测量	通用和疾病特殊量表	6/7	通用和疾病特殊量表	5/8	通用和疾病特殊量表	8/11
分析种类	CEA 或 CUA	7/7	CEA 或 CUA	5/8	CEA 或 CUA	11/11
	CEA、CUA 或 CBA	4/7			CEA、CUA 或 CBA	10/11
结果表达	增量成本效果比	7/7	增量成本效果比	4/8	增量成本效果比	9/11
对照选择	常规治疗	5/7	常规治疗	3/8*	现存治疗方法	4/11*
资料获取方法	RCT(和 Meta 分析)	7/7	RCT(和其他方法)	7/8	RCT(和其他方法)	5/11
建模	接受	7/7	接受	8/8	接受	9/11
时间范围	足够长	7/7	足够长	6/8	足够长	5/11
贴现率	5%	4/7	2.5%～10%	2/8*	5%	5/11
敏感度分析	不确定性因素存在时	7/7	不确定性因素存在时	8/8	不确定性因素存在时	10/11
报告结果	以分解形式	6/7	以分解形式	8/8	以分解形式	8/11
社会财务影响	不必需	4/7	不必需	6/8	不必需	10/11
估价/价格目录	国家特定成本计算	3/7	没有定价原则	2/8*	机会成本定价	5/11
	可得的价格目录	3/7	按费用和(或)价目表	2/8*		
报告格式	标准格式	4/7	没有标准格式	5/8	没有标准格式	9/11

*：表内分数表示占该类指南种数的比例；比例低于 1/2，被认为一致性较差；

**：日本没有正式指南，1994 年 9 月卫生和福利部要求新药定价送审必须提供经济学评价结果。

个可能的理由是：正式指南的制定往往早于非正式指南，成为另两类指南参照的模版。而在同类指南中，某些细节方面有差异，如贴现率的大小、建模方法及敏感度分析的具体方法和范围等。以下就指南要点进行详细讨论。

1. 研究角度

药物经济学评价指南的研究角度是由指南目的决定的，正式指南主要是用于药品报销目录，因此研究角度主要是从社会或卫生保健部门的角度出发，要求更为严格；而非正式指南在研究角度上一致性较差，只有 3/8 选择了社会观点。有些指南选择多种角度进行评价，这种差异主要是由于卫生保健系统的不同造成的。例如，美国的 FDA 指南和瑞士指南都反映了各国卫生保健系统的特点。卫生保健系统建立在自由竞争市场基础上，有大量卫生服务提供者和购买者，卫生服务的第三方（即付费方）如保险公司只关心病人产生的直接医疗费用，忽略其他成本如工作日的损失成本；而在挪威和丹麦，政府在卫生保健系统内起主要作用，因此选择社会观点。卫生经济研究方法指南的要求就更为宽松，研究者根据研究目的选择合适的角度，研究者有充分的自由选择分析方法和成本的范围。

2. 资源/成本

按理在社会观点下，所有相关成本包括直接成本和间接成本都应包括在资源使用的总成本中，非正式指南和研究方法指南均采用了这一标准，而正式指南只包括卫生服务直接成本，不包括卫生服务部门外的直接成本如病人自付费用和交通成本及间接成本如生产力损失。一方面是因为考虑到测量难度，另一方面是由于间接成本的计算方法（人力资本法）目前还存在争议，有的国家如荷兰建议用摩擦成本生成法计算间接成本，加拿大安大略省采用意愿支付法（WTP）计算。在成本计算上还存在争议的是：由治疗延长的生命时期内发生的医疗费用是否作为成本的一部分。

3. 结果测量

三类指南都不约而同地在结果测量上达成统一，均认为效果指标优于功效指标，中间结果应转化成最终结果，效果的单位可以是自然单位、货币（WTP）和非货币（质量调整生命年，QALYs），QALYs 的测量方法有标准博弈法（SG）、时间权衡法（TTO）、直观相似尺度法（VAS），生存质量（QoL）建议采用通用的和疾病特殊量表对结果进行测量。但在不同指南里又各有所偏重，如加拿大安大略省指南还主张用偏好的量表来测量 QoL。各国指南具体采用的通用量表也各不相同，有疾病影响量表（SIP）、生活功能指数、SF-36、McMaster 健康效用指数、诺丁汉量表（NHP）、健康效用指数（HUI）、欧洲生

需要全本请访问 www.ertongbook.com