第一章　药物经济学

1.1　药物经济学的产生与发展

药物经济学（pharmacoeconomics，PE）是运用经济学的基本原理和方法，以卫生经济学为基础而发展建立起来的一门新型边缘性科学。其主要任务是鉴别、测量、对比、分析与评价不同药物治疗方案，药物治疗与其他治疗方案（如手术治疗或理疗等），对不同社会或卫生服务项目（如社会养老与家庭病床）所产生的相对社会经济效果，为临床合理用药和疾病防治决策提供科学化依据。

1.1.1　药物经济学源于经济学原理与方法

经济学（economics）是研究个人和团体从事生产、交换以及对产品劳务消费的一种社会科学，它研究怎样能最佳使用稀缺的资源以满足人们日益增长的需求。即如何实现稀缺资源的有效配置与利用的科学。经济学至今已具有两百多年的历史，但近代发展非常迅速，被称为“最古老的艺术和最新颖的科学”，有“社会科学皇后”之美誉。

经济学专家普遍认为，世界上任何经济资源都是有限的，因而社会产出也总是有限的。但与此恰恰相反的是，人们的消费欲望是无限的，具有多种多样、不断变化、无止境的需求。正是因为“资源的稀缺性”和“消费欲望的无限性”，致使人们在整体经济活动中要作出各种各样的选择，以追求尽可能的最大满足。

1.1.1.1　经济学解决的基本问题

人们对稀缺资源要进行选择，就要对资源进行配置，其进行选择的过程也就是资源配置的过程。选择要解决的基本问题有三个：

（1）生产什么：由于资源有限，用于生产某种产品的资源多一些，用于生产其他产品的资源就会少一些。因此，人们就必须作出选择，需要用多少资源生产某种产品，再用多少资源去生产其他产品。

（2）怎样生产：不同的生产方法和资源组合是可以相互替代的。同样的产品可以有不同的资源组合（如劳动密集型或资本技术密集型等方法）。因此，人们必须决定各种资源如何进行有效组合，才能提高经济效率。另外，同样的产品生产在不同的外部环境下会有不同的劳动生产率，所以人们还必须决定资源配置在哪种外部环境下最有效。

（3）为谁生产：即产品如何进行分配，根据什么原则、采用什么机制进行分配，以及分配的数量界限如何把握等。

资源配置的三个基本问题，不仅是社会所必须抉择的问题，也是一切经济制度所共有的问题。只是由于各个国家是在不同的经济制度下的，所以会采用不相同的方式来解决这

需要全本请访问 www.ertongbook.com

些经济学的问题。

稀缺资源不仅引出了资源配置的问题，而且还有资源利用的问题。资源利用是指人类社会如何更好地利用现有的稀缺资源，使之生产出更多的物品。

因此，经济学家认为，经济学是研究稀缺资源配置与利用的科学。通过经济学分析，可以促进有效、公平地利用资源，供决策者选择相应的经济政策作参考。

1.1.1.2 资源配置的基本方式

资源配置与利用中的基本问题过去社会中主要依靠习惯和传统来解决。而现代社会经济中主要是通过两种基本的经济体制来加以解决。即市场经济体制和计划经济体制。

（1）计划经济体制：计划经济体制主要是通过经济计划来解决资源配置与利用问题。中央集中的指令性计划决定生产什么，如民用品或军需品的数量及比例。其生产要素统一调拨，按计划供应，产供销“一条龙”，计划缺口的平衡与调剂（如何生产），均为计划起着支配作用；而产品分配是自上而下的组织及制度决定（为谁生产）。资源配置与利用都是由计划中心来安排。

（2）市场经济体制：市场经济体制主要是通过市场经济来解决资源配置与利用问题，即由市场竞争性价格决定生产什么、如何生产、为谁生产。企业使用成本最低的技术和成本组合（即如何生产）生产那些价高利大的商品（即生产什么）；生产要素价格或要素供求决定人们收入的高低，产品的分配取决于人们的货币选择或消费决策（为谁生产）；资源的高效率充分利用、经济波动和通货膨胀也主要通过价格的调节与刺激等间接经济手段来实现。

应该说，计划经济体制和市场经济体制在资源配置和利用中都存在不足，都可能产生失灵。计划失灵是指政府的集中计划与干预不能实现资源的公平配置与利用的高效率。政府计划与干预依赖于正确的决策者，他应具备高水平的科学管理和决策的能力。然而在现实生活中，很难做到决策不失误和干预中各种因素不出偏差。市场机制有效地调节和分配社会资源是以完全竞争为条件的。由于经济生活中存在垄断及进入障碍、外部经济效果、公共产品等，使市场机制在许多场合不能导致资源的有效配置，这种情况被称为市场失灵。目前，随着世界经济一体化，客观上促进了资源、市场、资金、技术、人才和信息等全球化趋势，因此使各国经济体制不得不以市场化为取向。

社会主义市场经济体制正是适应了世界经济的客观发展。社会主义市场经济体制就是要使市场在国家宏观调控下对资源配置起基础性作用。在完善市场体系的同时，建立健全宏观经济调控体系，保持国民经济持续、快速、健康发展。

1.1.1.3 经济学理论

（1）交替关系原理：在资源既定的情况下，多生产甲产品，必须以少生产乙产品为代价。

（2）机会成本原理：机会成本又称选择成本，是指作出一项选择时所放弃的其他可供选择的资源利用带来的潜在收益。

（3）边际决策原理：是指人们经常要对现有行动计划进行增量调整，这种增量调整被称为边际决策或边际变动。

（4）激励反应原理：就是利益原则，即人们会对激励作出反应，在比较成本与收益后

作出决策。

(5) 比较优势原理：又称交换（贸易）原理，说明两个人的交换能使双方获益，两个国家的贸易可使各国的状况都变得更好。

(6) “看不见的手”原理：指家庭或企业受价格这只“看不见的手”的指引。价格指引这些个别决策者通过市场，在大多数情况下实现了整个社会福利的最大化。

(7) “看得见的手”原理：是指在“看不见的手”失灵或市场失灵时，进行政府干预或宏观调控有时可以改善市场结果。

(8) 生产率差异原理：生产率是指一国生产物品和劳务的能力。各国生产率的不同导致各国人均收入和生活水平的差异。

(9) 通货膨胀与失业短期交替关系原理：即失业率高，通货膨胀率低；失业率低，通货膨胀率高。通货膨胀与失业之间存在短期交替关系。

(10) 收益递减原理：是指当保持其他投入不变时，连续增加同一单位的某种投入所增加的收益（或产量）越来越少的现象，又称边际收益递减规律。边际收益递减的另一面是边际成本递增。

1.1.1.4 微观经济学和宏观经济学

经济学可分为两大领域，即宏观经济学及微观经济学。

(1) 宏观经济学（macroeconomics）：研究涉及全球性的经济问题和国家的经济政策，把整个国民经济运行当做一个整体加以考察，它研究的都是经济总量，如国民生产总值、就业总量、价格水平、总消费、总储蓄、总投资、总需求、总供给等，研究影响宏观经济的因素及变化趋势。

(2) 微观经济学（microeconomics）：是分析消费者（如家庭或个人）、单位（企业）或部门的行为，包括产品及服务的数量、价格、成本、供给量和需求量等各种影响生产的因素。

微观经济学涉及的理论有：均衡价格理论、生产和消费理论、弹性理论、成本理论、收益理论以及厂商均衡理论（市场理论和定价决策论）等。

1.1.2 卫生经济学的兴起

卫生经济学（health economics）是经济学领域的一个分支学科。它是运用经济学理论和方法来阐明和实践解决卫生及卫生服务中所出现的现象及问题。卫生经济学研究的对象是卫生服务过程中的经济活动和经济关系及其相关的规律，最优化地筹集、开发、配置和利用卫生资源，提高卫生服务的社会效益和经济效益。

卫生经济学的兴起只有近半个世纪的历史。传统的卫生经济学主要注重在微观上的资源配置，后来卫生经济学也逐渐重视宏观经济对健康的影响，研究卫生筹资及资源的筹措等问题。

1.1.2.1 学科建设

在北美、欧洲大部分学校将卫生经济学的内容作为其他专业课程的一个组成部分，如将其纳入流行病学与社会医学、卫生计划、医院管理、医学社会学、社会政策等课程。比利时、瑞典、荷兰、英国、美国等国家的一些大学，将卫生经济学纳入公共卫生、计划或

管理的专业课程。只有少数国家或机构开设单独的卫生经济学学位课程。

1.1.2.2 国际组织的重视

许多国际组织在卫生经济学的发展中发挥了重要的作用。如世界卫生组织、联合国儿童基金会、世界银行及各大洲的发展银行，以及一些非政府组织，如国际卫生政策规划组织（IHPP）、国际临床流行病学网络（INCLEN）、美国洛氏基金会、福特基金会等。

（1）世界卫生组织（WHO）：在卫生总干事倡导下，于 1993 年 11 月成立了卫生经济特别工作组，其目的是促进会员国在制定和执行卫生政策的过程中更多地应用卫生经济学。

（2）联合国儿童基金会（UNICEF）：一直致力于提高卫生经济及筹资能力，用以加强各国基本卫生服务的成本及筹资研究。在许多亚非拉国家举办了成本、资源利用和卫生筹资的培训班。并对公平性及可及性、社区筹资及社区参与、卫生人员的激励及工作、卫生结构及系统的持续性发展、药品的采购、分配及质量保证、卫生筹资及服务质量等几个领域进行了卫生经济学研究。

（3）卫生经济学会（IHEA）：于 1996年 5 月在加拿大温哥华召开了第一届大会。会上进行了卫生经济学国际交流，如健康及卫生保健筹资问题，卫生保健的界定，提供者、支付者及消费者的激励机制，卫生保健改革，谁得益、谁失益及总的教训等，交流了卫生经济学的研究进展。探讨了卫生保健的机会成本，卫生经济计量学的进展，健康效用指数的应用，在市场为导向的卫生改革中如何进行风险调整，不同组织及支付模式下医师的行为及收入，经济学评价标准，药品政策及评价，卫生改革与经济发展以及人群健康的微观模拟模型的研究等，反映了当代卫生经济学研究的许多新的领域。

1.1.2.3 卫生经济学近况

当前世界各国均面临在以市场为导向情况下，如何进行卫生改革的问题。许多国家如俄罗斯、以色列、荷兰、比利时、瑞士、德国、美国等尽管改革的方法各有不同，但都是面临着消费者选择众多医疗保险计划的情况。在卫生经济学研究中一个共同的技术问题，就是如何发展一种办法来解决按人头付费的风险调整问题。作为政府或中央公积金机构要考虑不同投保者患病的风险性是不同的，以此激励保险机构提高效率，防止有的保险组织或医疗市场竞争中的提供者专门选择风险小的人群进行保险。

一个国家卫生经济研究能力的强弱，应从供需双方来进行分析。卫生经济学研究的“供方”应该是从事卫生经济学的研究人员，包括卫生经济学家、卫生政策研究专家、计划财务管理人员和各级卫生技术人员，对卫生部门内部各项经济活动规律作过深入的研究。卫生经济学研究的“需方”是财政、计划、物价、卫生等国家政府部门，他们需要有一系列可行的卫生经济政策来指导卫生事业的投资和发展。在不同的国家和地区，卫生经济研究的需方和供方的能力是不同的。

1.1.2.4 我国卫生经济学的研究

我国卫生经济学研究同其他发展中国家一样，起步较晚，力量薄弱。

中国卫生经济学会于 1982 年成立，后全国省、区、市也相继成立了分会。成员大多数是来自卫生行政部门、医院、预防、保健机构的计划财务管理人员和从事卫生经济学的教师。从 20 世纪 80 年代起卫生经济学被列入卫生管理及预防医学专业教学内容之一。

1991 年在世界银行经济发展学院推动下，卫生部组织了有 10个医学院和单位参加的中国卫生经济培训和研究网络。随着改革开放的需要，中国卫生经济学研究也正在蓬勃发展，为中国卫生改革和发展以及卫生经济政策的研究提供了一些有价值的成果。

1996 年底中央卫生工作会议以后，发表了《中共中央、国务院关于卫生改革与发展的决定》，指明了中国卫生工作到 2010 年的发展方向。因此，我国的卫生经济改革政策，迫切需要卫生经济学研究队伍加强卫生经济政策的研究，向政府部门推广政策研究的成果。

1.1.3 药物经济学的发展

药物经济学是近二十年来以卫生经济学为基础而发展起来的一门新型边缘学科。它是一门将经济学基本原理、方法和分析技术，运用于临床药物治疗过程，并以药物流行病学的人群观为指导，从全社会角度开展研究，以求最大限度地合理利用现有医药卫生资源的综合性应用科学。

药物是防病、治病，保护人民身体健康的一种特殊商品，也是一种经济资源。药物生产需要有必备的厂房、设备与生产用的原材料，以及技术、劳动力和资金的投入，并经过药品市场流通渠道及卫生服务者的帮助，才能达到为患者防治疾病的目的。这些条件和过程构成了药物成本和定价的基础。另外，由于患者对药物知识缺乏，特别是处方药，其药品品种的选择主要是由医师决定，同时参加医疗保险的患者，药物费用的报销还要受医疗保险组织的控制。因此药物需求不同于一般商品，受到医师、药师、患者和社保部门等多方面的影响。

随着社会的发展，科技的进步，人们生活水平的提高，人口的老龄化及慢性疾病也在增多，人们对医疗服务的要求也愈来愈高。然而社会的资源，包括药物的资源是有限的，不可能满足人们的无限消费欲望，即对医疗服务的更高要求与期望。新药的研制生产，生物技术的发展，药品的换代升级，虽然推动了经济总量的增长，也提高了医疗质量，但是由于新药生产的成本较高，价格昂贵，各国政府和社会保障部门不得不关注药物费用在整个卫生费用中所占的比重。因此，药物的需求需要人们探索生产成本低、疗效好的新药，并在合理使用药物及减少、杜绝药物浪费方面探索科学的管理策略和方法。这就为药物经济学的产生创造了前提。

1.1.3.1 药物消耗费用剧增

药物在预防、治疗、诊断疾病和调节改善人体功能方面发挥着重要的作用。随着社会发展及人们生活水平的提高，大家对保健的需求更为重视，药物的应用日益剧增。根据有关资料统计：

（1）全球医药市场规模，从 1970 年的 217 亿美元，至 2000 年达到 3540 亿美元，平均年增长率为 7%，高于全球经济增长的速度。到 2005 年预计将达到 5000 亿美元左右。

（2）全世界用于卫生事业服务的公共和私人支出占世界总产出费用比， 1990 年为 8%，仅美国就消费了全球总开支的 41%，卫生费用占其国民生产总值（GNP）的 13%，到 2000 年所占比例上升到 16.4%。发达国家卫生费用占其国内生产总值的情况见表 1－1。

需要全本请访问 www.ertongbook.com

表 1－1　世界各国卫生费用占其国内生产总值（GDP）的百分比

国家 / 年度	美国	加拿大	法国	德国	日本	英国
1985 年（%）	10.8	8.5	8.5	8.7	6.5	6.0
1992 年（%）	13.6	10.3	9.4	8.7	6.9	7.1

资料来自：Drug Information Journal，Vol.30，pp609－619，1996

（3）药品费用占卫生费用的比例较大：发达国家药品费用一般要占卫生总费用的 10%～20%；经济合作与发展组织（OECD）国家平均在 14%左右。1992 年药品费用占卫生费用比例较大的国家有德国（占 20.7%）、意大利（占 18.1%）、法国（占 16.6%）、比利时（占 16.3%）等。药品开支在卫生费用中仅次于人员费用，位居第二。

1.1.3.2　药物经济学受到重视

由于人们对药物需求量的剧增，加之社会上医疗、伦理、经费等方面的一些不利因素，造成药物的上涨和药物不合理的滥用，导致卫生事业和药品费用的急剧增长，超过了社会经济所能承受的能力。因此，引起了全社会和各国政府的高度重视。

（1）早在 1979 年，美国由于医疗药品消耗的急剧上涨，大大超过了国会的预算，因此国会便令其下属的技术评定局去研究药品的成本效益和成本效果分析方法在医疗保健系统上的运用，当时主要包括免疫、抗癌、预防、用药方案及新药评价几个方面。

经过多年的努力，到 1986 年才真正从文献中出现“ pharmacoeconomics ”一词，1989 年美国创刊了药物经济学杂志，随后有了药物经济学的专著问世，美国于 1997 年编写了《药物经济学及政策》一书，从而使药物经济学逐步成为一门新兴的边缘学科。

如今，美国及加拿大、澳大利亚、意大利、西班牙等国，均制定和颁布了药物经济学的研究准则，明确药物经济学的主要任务是对比分析与评价不同的药物治疗方案、药物治疗与其他治疗方案、不同的临床药学服务或医疗社会服务所产生的相对经济效果，为合理用药、药政管理、新药的研究和开发提供决策依据，并从社会角度来考虑如何合理分配使用有限的卫生资源和医药经费。

（2）国际药物经济学组织积极开展活动：国际药物经济学学会，全称为国际药物经济学和结局研究学会（The International Sociey for Pharmacoeconomics and Outcomes Research，简称 ISPOR）。ISPOR 的使命是将药物经济学和结局研究的成果赋予实践，以确保社会有限的保健资源分配得更为理智、公平和有效。ISPOR 除团体会员外，还有来自近 30 个国家的近 2000 位专家个人会员。有常设的办公室，还设立了年会、资助、法律、通讯、教育战略、欧洲会议、财政、健康策略、新闻、提名等委员会以及院校工作、学生教育、生活质量、护理管理、疾病管理、临床工作者、设计策略技术等网络研究专家组和若干分会与顾问委员会。

ISPOR 每年都有活动安排，如 2001 年主要开展健康科学战略、教育训练战略、策略设计技术等研究活动，以求建立结局研究与应用研究的连接桥梁。健康科学战略研究将致力于伦次编码、医药信息的配置、临床研究、模型建立、数据分析、生活质量和结局评价

的优良研究管理规范(Good Research Practices,简称 GRP)。教育战略研究将致力于课程发展、短期课程质量研究以及合作研究等。

关于药物的治疗结局的分析研究，所采用的方法现已超出原药物经济学的概念的范围，研究工作已将药物扩展到生产和流通过程。

1.1.3.3 我国药物经济学进展情况

我国药物经济学研究起步较晚，也就是近十多年的事。在计划经济时期，药物的研制、生产、经营均由国家统一组织安排。在药物使用方面，国家行政机构及事业单位实行公费医疗，企业实行劳保医疗，农村实行合作医疗。城镇药物费用长期超支，均由国家及企事业单位分别承担；农村由于经费短缺，处于艰难的维持之中，有的合作医疗名存实亡。进入社会主义市场经济时期后，随着卫生改革与发展，社会保障体制和医疗保障制度的改革，药物资源的配置和合理的利用，受到国家政府和相关部门以及卫生科技人员的重视，药物经济学在我国得到了迅速的发展。

(1) 卫生费用增长给国家财政和企业造成巨大的压力：1980～1994 年，我国劳保医疗的支出从原来工资总额的 5.5%上升到 10%以上，公费医疗、劳保医疗费用的年增长率高达 23.2%，明显高于国家财政约 10% 的年增长率。

据世界银行统计，1995 年全世界用于医疗卫生服务的公共和私人支出占世界总支出的 8%，大多数欧洲国家全年卫生保健总费用约占其国内生产总值（GDP）的 7%～9%。而我国医疗卫生费用在 GDP 中比例以 23% 的速度增长，明显高于国民生产总值的增长率和财政的增长幅度，也高于国民收入的增长速度及物价上涨指数。专家预测，按此速度，我国到 2030年的卫生事业总费用将占国民生产总值的 35%，比其他任何一个国家都高。

从医院收入看，1978～1997 年全国职工医疗费用从 27亿元增长到 773.7 亿元，增长 28 倍。而药费收入在医院收入中的比例达到 60%以上，少数中小型医院甚至高达 70%～80%。这一比例远远大于经济合作与发展组织国家（占 5%～20%）和大部分发展中国家(占 15%～40%)的水平。卫生保健费用已成为国家的沉重负担。

(2) 我国药物经济学的研究于 1993 年开始，有关专家在杂志上介绍了药物经济学的概念、原理和基本方法，并探讨了在我国应用的前景。引起国家及相关部门和有关人员的注意，得到迅速响应，并开始从事这方面的实践研究。特别是在早期发展阶段，得到卫生、财政、物价、医药工业、社会保障部门和政府决策者的支持。到 1999年底，已有近 200 篇有关药物经济学研究的论文发表。1998 年 5 月，中华医学会药事管理专业委员会在上海举办了药物经济学研讨会，同时主办了数次研讨班，相继有许多药物经济学的文章参与交流，从而进一步推动了药物经济学在我国的推广和应用。

(3) 1997 年初《中共中央、国务院关于卫生改革与发展的决定》提出了医药改革和卫生经济改革的一系列方针与政策。在社会主义市场经济新形势下，药物经济学的研究将会进一步提高药物资源的配置效率和合理利用，促进临床合理用药，控制药物费用不合理的增长，为药品市场营销提供科学依据，以及更好地为政府制定药品政策服务。药物经济学的研究与应用必将会促进医药经济的发展，生产出更多安全、高效、经济的药物为人们的健康服务，为社会主义现代化建设服务。

1.2 药物经济学研究的内容与方法

药物经济学是一门将经济学原理和方法应用于评价临床药物治疗过程，并以此指导临床医生制定出合理的费用效果处方为主要宗旨的应用学科。随着学科的深入发展，药物经济学从社会的角度开展研究，成为一门使医疗卫生事业合理化的综合性学科。因此，药物经济学研究可为临床合理用药、药物资源的优化配置、新药的研制与开发、临床药学服务、药政管理和医疗保险等提供决策依据。

1.2.1 药物经济学的含义

药物经济学最早是描述和分析药物治疗费用对医药卫生系统和社会总开支的影响，对药品和药师服务的费用和结果进行鉴定、测量及对比。换言之，药物经济学分析主要是对比药物治疗与其他治疗方案，或不同药物治疗方案所产生的经济效果的相对值。即对比分析与评价不同的药物治疗方案、药物治疗与手术或理疗等其他治疗方案、不同的临床药学服务或医疗社会服务所产生的相对经济效果，为临床合理用药和治疗决策科学化提供客观依据。

如今药物经济学不仅用于新药评价、用药方案的选择，还用于药品生产、药品管理、药品保存、药品市场、药品销售等许多方面。

1.2.1.1 药物经济学的定义

早期药物经济学的定义是指经济学在药物治疗评价中的应用。其理想的结果是获得药品投资的高额回收，即用最小的药学服务费用取得最显著的治疗效果。这是对卫生保健系统和社会的药物治疗成本和效果的描述与分析。

随着药物经济学研究和实际应用范围的扩大，药物经济学的定义也相应扩展。可以说药物经济学是运用经济学原理和方法来提高药物资源的配置效率，促进临床合理用药，控制药品费用的增长，为药品的市场经营决策和药品管理决策提供依据。

1.2.1.2 药物经济学研究的基本原理

就是对药物疗效的评价，在观察其安全性、有效性的同时，还要注意其经济性，即对药物进行经济学评价。对药物疗效经济性评价的理论基础是物有所值。要考虑到药物资源的投入成本；在有限的经费预算条件约束下，使健康产出最大化；尽可能地满足需要，提高人们的福利水平。所以，药物经济学研究的核心就是让有限的卫生资源发挥出最大的社会经济效益。其重要目标就是提高个人和公共卫生结果，提供更加理性的管理决策和医疗方法的选择，以及卫生系统的资源分配。

1.2.1.3 药物经济学研究的重点

药物资源的合理开发与利用；基本药物的筛选；医院药学服务与管理及临床合理用药；新药的研制与开发、药物市场营销及市场管理；药物疗效的经济学评价和对患者生活质量的影响；为政府制定药物政策和医疗保险等提供科学依据。

1.2.2 药物经济学研究的内容

药物经济学研究的问题与卫生医疗保健系统有着密切的关系。药物治疗成本和效果，为临床合理用药和治疗决策提供科学依据。同时，也为药物资源的配置和利用、控制药品费用的增长、药品市场经营决策和药品管理决策提供了重要的分析数据。

1.2.2.1 药物经济学研究可解决的问题

药物经济学所要解决的问题与药物治疗及药师工作密切相关。

(1) 为了充分地利用有限的医疗经费，国家应该担负哪些药品费用，而哪些药品费用需要患者自己负担。

(2) 根据世界卫生组织推荐的基本药物目录，从我国医疗发展、经济实力、传统习惯等国情出发，经过筛选应将哪些药物列入本国的基本药物目录中。

(3) 从患者出发，使用什么药物既能治愈疾病又能降低医药费用最为合理。

(4) 医院应提供哪些药学服务才能更好地为患者服务，并能提高合理合法的利润。

(5) 采用某种药物治疗某种疾病，患者生命每延长一年所需要的费用。

(6) 综合药物的毒副作用、价格、对患者生命质量的影响等因素，采用什么药物治疗某种疾病最佳。

(7) 某些疾病是采用药物维护疗法，还是采用手术或其他疗法等。

1.2.2.2 药物经济学研究的出发点

药物经济学研究所得结论(如“最佳的”“经济效果最好的”“最理想的”等)具有一定的出发点，即研究的结果是主要提供给开发者、政府、第三付费方或者消费者进行决策。具体地说，就是提供的结论是给医院、社会、保险公司还是患者。由于以上四方的不同考虑，决定了药物经济学研究的角度和数据的利用。评价的多种项目或治疗方案的不同，其结论将对谁来讲最合理。所以，在使用药物经济学研究结果时，要看研究者是谁，从谁的角度提出问题，从谁的角度来解决问题，包括数据来源、计算方法等。

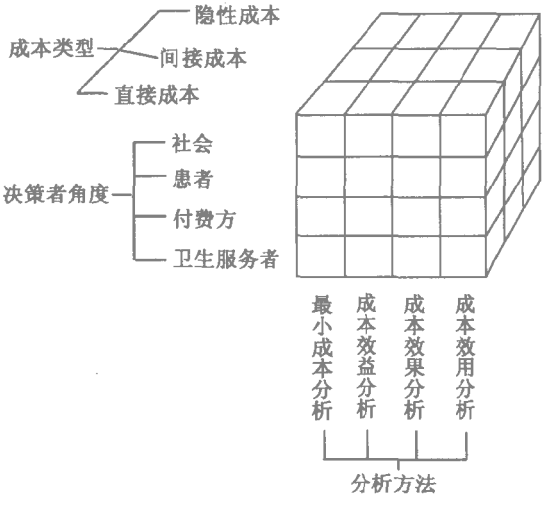


图 1－1 药物经济学研究的立体模型

研究者从不同的角度出发，对研究的过程和结果可能产生不同的影响。由此，决策者、成本、分析方法构成了药物经济学研究的立体模型（图 1－1）。

1.2.2.3 药物经济学研究的基本内容

从药物经济学研究可以解决的问题出发，其具体内容主要有：

(1) 药物治疗的费用效果比较；
(2) 药物治疗的费用效益比较；
(3) 药物治疗对生命质量或质量调整生命年限的影响；
(4) 药物治疗的社会经济学；
(5) 药物不良反应的费用分析；
(6) 药物不良反应或药源性疾病的药物经济学评价；
(7) 药物费用分析；
(8) 疾病费用分析；
(9) 临床药学服务的药物经济学评价；
(10) 药物治疗的费用控制措施；
(11) 药物价格制定的药物经济学依据；
(12) 新药临床试验的药物经济学评价；
(13) 药物政策的药物经济学依据；
(14) 医疗保险的药物经济学依据；
(15) 药品资源开发、生产、分配与使用的药物经济学评价；
(16) 药物经济学研究的方法与规程等。

1.2.2.4 药物经济学研究的分析观点

表 1－2 药物经济学研究的分析观点

成本组成	社会观点	患者及其家庭观点	没有保险的雇主观点	保险公司观点	管理保健型保险公司观点
卫生服务	所有成本	自负费用	雇主承担费用	赔付费用	保险覆盖服务
单位	所有单位	自负部分	雇主承担部分	保险覆盖部分	保险覆盖部分
价格	机会成本	自负价格	雇主支付的部分＋管理费用	赔付费用＋管理费用	边际成本
患者用于治疗的时间成本	所有的时间成本	对患者的机会成本	当影响生产力时，带薪病假与管理费用	无	–
有价格的照护	所有成本	自负费用	雇主承担部分	保险覆盖部分	保险覆盖部分
没有价格的非正式照护	所有成本	对服务提供者的机会成本	无	无	
交通与其他非卫生服务	所有成本	所有成本	无	无	无
带薪病假、伤残、其他转移支付	仅为管理成本	获得的数额	雇主承担的部分＋自身管理费用	赔付费用＋自身管理费用	保险覆盖部分

药物经济学研究的结果，在进行药物经济学评价时，由于研究者要解决问题的出发点不同，在进行研究分析时，社会、个人、保险公司等各方，对成本的构成、费用的承担、支付的方式等方面的观点也就不尽相同（表 1－2）。

1.2.2.5 药物经济学研究的应用

药物经济学研究是促进卫生资源有效利用的一项重要措施，正处于蓬勃发展之中。其主要应用于国家控制药品费用、制定药物目录、确定新药价格、药品报销与补偿和促进合理用药等。

（1）控制药品费用：随着人们对卫生服务的需求日益增长，卫生费用特别是药品费用的急剧增长，以日益受到越来越多国家政府的关注。20 世纪 80 年代以后，为了适应各国健康保障制度的变革和国际医药产品的发展趋势，各国政府纷纷修订了药品管制政策，特别是药品经济政策，形成了对药品生产、经营、消费和补偿进行协调和控制的一系列政策措施。如加拿大提出在新药申请增列入政府补偿的药品目录时，要求制药厂家提供药物经济学分析的新指南。澳大利亚的新指南要求药物经济学评价作为药品评审的一项正式指标，与药品的功效和安全性评价同等考虑。法国新药申请时，许多厂家自愿提供该药物的经济学评价资料。美国、英国等均鼓励对药物的经济学评价，试图通过药物经济学研究与其他药品政策措施的协同作用，达到控制药品费用的目的。

（2）制定药物目录：很多国家采取一系列政策措施来促进地方卫生行政管理部门、医院、医师等卫生服务决策者有效地利用卫生资源。即运用药物经济学研究，按成本效果的原则，制定出国家或地区的基本药物目录以及各医院的临床用药目录或临床诊疗常规，使其卫生服务体系更有效地利用药品资源。国家采取的政策措施包括卫生预算的安排，改变医院支付方式，在卫生服务体系内鼓励合理竞争等。迫使卫生服务决策者从自身利益出发，根据当地的社会经济发展水平、服务人群的人口学特征和疾病谱特点等，充分考虑采用适宜的卫生技术来从事预防和诊疗工作。

（3）药品定价：通过对新药和已上市同类药品的经济学评价研究，可以战略性地确定新药的价格范围，这是药物开发过程中很重要的战略研究。

虽然药品定价极其复杂，各国药品定价政策又有显著差异，但是药物经济学评价能够提供临床上优选药品及其意愿支付能力的信息。实行药品定价管制的国家（如法国、瑞典、芬兰等），药物经济学评价提供了新的重要的药品定价管制手段。只要政府能充分考虑，不仅能提高药品定价管制的透明度，而且能促进资源的有效合理利用。采用药品参考定价的国家（如法国、荷兰等），由于保险公司为一组疗效相同或相近似的药品设定了一个参考价格，供患者支付药费参考。患者实际消费药品时，必然会考虑个人支付费用。这样，在不减低药物可获得的同时，抑制患者对昂贵药品的消费需求。

（4）药品报销与补偿：一些国家、政府既要管理药品定价，又要决定药品公共补偿和其共付水平。如英国几乎所有上市药品都由国家卫生服务部门进行补偿。大多数欧洲国家或采取药品报销范围规定，或者对不同种类药品采用不同的共付水平。还有的采用参考定价体系来限制药品的公共补偿。过去，药品补偿或共付水平是根据药品所治疗疾病的严重程度（如危害生命的疾病）、新药的功效及安全性等主要指标，由临床医师和药学专家评审决定，往往缺乏客观、科学性。现在，用药物经济学评价资料可以补充完善药品评审的

需要全本请访问 www.ertongbook.com

科学性，有利于政府主管部门之间的协调合作。

（5）促进合理用药：药物经济学研究最主要的目的是促进合理用药，有效地利用药物资源。药品合理使用，世界卫生组织定义为使患者获得临床需要的药物，采用满足个人需要的剂量，服用适当的期限，并具有最低的成本。临床医师在药品使用中处于主导地位，是促进药品合理使用的关键。而医师的处方行为缺乏有效的政策措施，甚至认为考虑药品费用是对患者的不人道行为。因此，许多欧洲国家，如英国制药厂家主动向临床医师提供丰富的药物经济学研究资料，政府资助开展这些信息反馈活动，来促进临床医师合理用药。

1.2.3 药物经济学研究的方法

药物经济学研究的主要分析方法是建立在卫生经济学的技术经济分析方法的基础上，即最小成本分析、成本效益分析、成本效果分析和成本效用分析等四种分析方法。这四种分析方法的主要差别在于对健康结果的不同测量上。

1.2.3.1 药物经济学研究的实施阶段

药物的有关经济学数据，对药品的研制、开发和使用都具有重要的作用。实施药物经济学评价，一般在新药研制、开发的早期阶段就应该进行。可以说，从药物研究到上市的全过程是实施药物经济学研究最为合适的阶段。

（1）确定治疗研究目标：进行新药研究都具有一定的治疗目标，即针对临床某些疾病需要寻找更为理想的安全、有效、经济的新药及制剂，特别是原创的新药。在研究设计中，应把药物经济学评价一并纳入目标。在研究中，要注意药物资源的合理配置和充分利用；评价要根据国家有关的法规和方针政策，以及药物经济学研究的准则或指南；确定的对比药物或治疗方法要有可比性；要从社会的角度来进行分析评价。总之，在进行评价时，在保证药物安全有效的同时，既要考虑循征医学、经济效果，又要考虑政策、公平、伦理等因素，避免评价不科学的偏倚结果。

（2）新药Ⅰ、Ⅱ、Ⅲ期临床试验：对于疾病费用和现行治疗有关的费用评价，可在此阶段开展。但由于Ⅰ、Ⅱ、Ⅲ期临床试验受到严格的控制，因此，更多的药物经济学结论要在药品上市之后才能产生。

（3）药品上市后的Ⅳ期临床试验：新药一旦上市，即进入新药Ⅳ期临床试验阶段。由于药品的广泛应用，可回收大量的试验资料。药物经济学评价可采用回顾性和前瞻性的研究设计，以药物流行病学和药物经济学的方法进行实施。

（4）药品上市的商业分析和市场决策：药品市场基本上属无弹性需求，特别是抢救药品是完全无弹性的。但药品供求关系受经济、社会多方面的影响。另外，药品市场性能，特别是创新药品在市场生存的有效性周期，即药品的寿命周期直接影响药品的成本效益。所以，创新药品要承担一定的风险。为了延长寿命周期，可采用开发新制剂、新剂型及化学药物分子修饰等方法，使新药有较长的市场占有率。因此，在新药研究开发前应做好市场预测，要做到新药的安全有效性好，具有特色，适销对路，企业有开发能力，尽可能地降低药品成本费用，能产生经济效益等。

1.2.3.2 药物经济学常用的分析方法

（1）成本分析：成本包括直接成本和间接成本，还有无形成本、机会成本与边际成本。药物经济学概念中的成本，不仅指药品价格，还包括治疗费用、仪器损耗、实验检测、劳动消耗等一切费用。成本分析只评价投入或成本，不评价产出或结果。从经济学角度来讲，成本分析只是经济评估的一个侧面，它不是在有同等疗效情况下的成本比较，所以没有治疗学上的意义。

（2）最小成本分析：是指在两种或多种药物的治疗认定为等效时，分析选出成本消耗最小的一种药物作为首选药物。但由于在实际治疗中的结果大多数是不尽相同的，而疗效均有严格的衡量标准，所以最小成本分析的药物评价，在实际应用中很少。

（3）成本效益分析：是将费用和结果，均以货币单位进行测量与评估，计算和比较货币得失净值或费用与效益的比值。这种分析的优点在于可对疗效不同的药物进行经济学评价。

（4）成本效果分析：是以某一特定的临床治疗目的（如症状缓解、疾病治愈或延长生命时间等）为衡量指标，并计算和比较其成本与效果比率或每单位效果所需的费用。其目的是选择达到某一治疗效果时所需费用最低的治疗方案。

（5）成本效用分析：是评价和比较改进生命质量所需成本的相对大小或每质量调整生命年所需要成本。这种分析更适合患者的心愿或提高患者的生活质量。

以上分析方法并不能说某一种分析比另一种分析更好或更差，而是在特定的条件下，某一种分析方法可能比较合适。

药物经济学的评价不仅是在不同治疗方案之间进行成本比较，而且是从各种备择方案中挑选出最具成本效果的方案。所以最具成本效果的方案不一定是成本最低的方案。有时在评判相对昂贵的治疗方案所能获得更多的新增健康结果是否值得追加成本时，可采用增量成本效果（或效用）分析。在多个研究项目中进行药物治疗方案决策时，应特别注意不同研究项目的基准治疗方案，是空白对照，还是常规治疗。基准治疗方案的不同，可能会引起最终决策的差异。

1.2.3.3 药物经济学通常研究设计的方法

药物经济学研究的不同目的，其设计、资料数据的收集方法也不相同，每种方法各有其自身特点及优、缺点，通常研究设计方法如下：

（1）前瞻性研究：前瞻性药物经济学研究是将药物经济学研究与药物临床试验相结合，通常在药物Ⅲ期临床试验中进行，也有在Ⅱ期临床或Ⅳ期临床试验中相结合进行药物经济学研究。许多大型制药企业在新药开发中较常采用这种“平行研究”。

药物临床试验是采用严格的随机双盲法，有较强的可信度和有效性，同时资料收集完整，信息及时、准确。但由于药物临床试验是对药物的安全、有效性进行评估，对患者进行筛选，按规定标准严格取舍，并在指定的医疗机构中开展研究。因此，严格的限制使外部的有效性降低。加之，临床试验对照组通常使用安慰剂，而药物经济学研究要求对照组最好是其他的药物或治疗方案；临床试验的患者样本数较小，不适宜药物经济学指标的显著性表现；临床试验检测检查次数增多，往往会增加药物治疗的实际成本。这些都是平行研究中存在的缺陷或不足，应采取相应的对策或补救措施。

另一种前瞻性药物经济学的研究是药物经济学临床实验研究，这种方法是为经济学研究而设计的理想的金标准。然而由于取消了外部限制条件，患者医嘱依从性差，交叉和混杂的因素可能进入实验研究，从而降低内部的有效性。

（2）回顾性研究：是对已有临床试验患者的费用资料进行回顾性整理分析，是一种省时省钱的分析方法。但由于难以获得患者生命质量、效用和工作活动能力丧失情况的资料，不能进行成本效用分析。在测量药物治疗方案的间接成本时，也有一定的困难。

回顾性研究中回顾性定群研究是首选方案。将使用某药的患者作为研究组，而没有使用该药的患者作为对照组，然后进行比较研究。研究的成本较低，时限较短，有关数据大多可以直接获得，并有较大的外部有效性。定群研究要求任何可能混杂的因素，如年龄、性别、疾病的严重程度，多种疾病并发状态及竞争风险等因素应进行统计控制。但由于现实环境中定群队列的选择偏倚，用药人群与不用药人群之间存在差异，所以存在相当的难度。另外，现有记载的数据不是根据药物经济学研究目的要求而记录的数据，总体上往往难以达到研究设计本身的要求。

（3）模型法研究：数学模型研究是成本效果研究中最流行的方法，在药物经济学研究中使用也相当普遍。特别是当大量基础数据不易得到、研究时间很长或研究预算受制约时，数学模型就十分有用。根据所研究的医疗卫生问题是属于当前疾病的临床决策，还是将来疾病的预防或健康促进干预，可选择临床决策分析模型和以流行病学为基础的数学决策模型。

根据现有文献资料，专家咨询意见，有时也收集必要的基础数据，建立检验假设和模型，并进行广泛的灵敏度分析。由于无法计算检验模型的统计量，不能进行统计显著性检验，只能根据较宽的可信限范围来检验不同假设条件下结果的灵敏度。在建立假设和模型时，较易产生假设偏倚，因而结果的可信度和准确度相对较差，在定价和补偿决策时应谨慎对待。

（4）混合研究：混合研究是将以上几种研究方法综合运用。通常以前瞻性或回顾性的临床试验中已获得足够的基础数据。为了对药物的健康和经济结果作出有效的推论，仍需要延伸临床试验基地中获得的数据和假设，来估测患者的最终结果和药物的成本效果。药物经济学研究要求试验药物的治疗要与其他治疗方法进行比较。更理想的试验是能估测患者治疗几十年后的最终健康结果。因此，这样的成本效果研究就可能要利用已有的前瞻性研究的临床结果，还可能包括经济学资料，以前报告过的其他临床研究（回顾性）结果，以及影响疾病发生和医疗费用开支的数学模型进行模拟研究。

混合研究的优点是可以利用几种研究来解决单一某种研究不能解决的问题。主要缺点是层次多，过于复杂，而不易对患者生命质量、效用及工作活动能力的丧失情况进行研究。

1.2.3.4 评价或应用药物经济学研究结果应注意的问题

药物经济学研究中使用的参数大多数是软指标，其研究结果的合理性直接影响临床决策的科学性。因此，在评价或应用药物经济学研究结果时，应该注意以下问题：

（1）所提问题是否可直接通过研究解答；

（2）对不同治疗方案的描述是否详细；

(3) 是否有足够证据证明所评价的方法有效；
(4) 是否考虑到了所有使用费用的重要项目；
(5) 成本与结果的测量是否准确，表述两者的单位是否合理；
(6) 成本与结果的定值是否可信；
(7) 成本与结果是否用时间参数校正；
(8) 是否逐项列出了不同方案的成本和结果的差异；
(9) 有无敏感度分析；
(10) 研究结果和讨论部分是否涉及到所使用研究结果时应注意的全部问题。

1.3 药物经济学研究的目的与意义

1.3.1 药物经济学研究的目的

药物经济学研究源于将有限的卫生资源如何更好地满足人们日益增长的卫生保健的需求，为防治疾病提供安全有效药品的同时，做到经济、合理用药，提高人们健康水平和生活质量。

药品费用的增长有许多因素，如医药卫生成本的上涨、药品生产经营费用的增大、治疗方案选择的不合理、药物使用不当等，均能导致药费的上涨。因此，有效利用医药卫生资源，节省开支，寻找经济、有效的防治疾病的方案是控制医药费用上涨的关键。药物经济学研究通过成本与效果两个方面的测量和对比，选出最佳治疗方案，不仅有利于疾病的防治和提高生命质量，而且还可控制药品费用过快增长，体现医药服务安全、有效、经济的实际价值。药物经济学研究的目的有：

(1) 分析药物治疗费用对医药卫生系统和社会总支出的影响，降低药费在医药卫生费用中的比例，减轻药物费用在国家经济总支出的比重。

(2) 从整体人群来考虑如何合理地分配和使用有限的卫生资源和医药经费，使全社会获得最大的收益，让药物资源为更多的人群需求服务。让国家、集体和个人三者均获得最大效益。

(3) 对药物的费用和结果进行鉴定、测量及对比，努力提高药物治疗效果，做到既高效安全又经济地直接为患者服务，以最合理低价的药物治疗费用收到最好的医疗保健效果。

1.3.2 开展药物经济学研究的意义

药物经济学是用经济学的原理和方法，在药物研究、生产、经营和使用中的应用。因此，药物经济学研究涉及到药物经济管理的全过程，有着非常现实的意义。

1.3.2.1 药物资源配置的需要

药物是人们防治疾病的重要手段。药物的需求基本上是一种无弹性需求，不会受价格等因素的影响。但是在市场竞争中，由于受到利润的驱动，难免出现供求的盲目性。因此，国家有必要通过宏观经济的调控，对药物资源起配置的作用。所以，在社会主义

市场经济条件下，药物作为人们的卫生资源，要通过药物经济学研究，推动药品在尽可能满足人们需求的同时，做到药物安全、有效、经济。并通过宏观调控与医药卫生事业协调发展，保持卫生资源总需求与总供给的平衡。提高药物经济在国民经济中的比重，促进国民经济的发展。

1.3.2.2 适应卫生改革与发展的需求

为了有效控制卫生费用的快速增长，世界各国都非常重视社会医疗保障体制改革与卫生事业的发展。药物费用支付，药物治疗等经济学评价占有重要的地位。随着药物经济学研究的深入，药物经济学不仅用于区分、衡量和比较不同的医疗计划、医疗服务或治疗成本、风险和效益，而且扩大到评价药物目录、新药的经济学评价，以及处方药与非处方药的决策等方面。

1.3.2.3 药物研制开发的需要

药物资源与社会其他经济资源一样，都是稀缺性的，社会所提供的药物资源总是少于人们想要拥有的。人们患病时，总是希望得到最好、最新、最贵重的药物治疗，新药的研制开发就是为了满足患者治疗的需要。但是，一个新研制开发的药物是否就一定会是最有效、最安全的，这需要临床试验和大量人群的实证。在同类药物中究竟哪一个药物最理想，能更有效地满足患者需要，也需要利用药物经济学评价来帮助决策。

1.3.2.4 防止药物市场可能失灵的需要

药品是特殊的商品，是人们防治疾病不可缺少的，根据病情在医师或其他医务人员的咨询指导下来决定或购买，不可能由消费者自由选购。在医疗保险制度下，药品的选择还要受到支付方的限制。因此，药品价格不可能完全由市场需求和供给状况所决定。如何保证药物资源使用的公平和效率，需要一个衡量尺度、公认的可行标准，这也需要利用药物经济学的评价方法要解决。

1.3.2.5 平抑药品价格的需求

药物是知识技术密集型产业，科技含量高，更新换代快，成本高。因此，药品价格也比较高。但由于药品定价的复杂性，让某些药品虚高定价带来了可乘之机，这样也必然给社会各方面带来了更大的经济负担。利用经济学的原理和方法，准确计算药物成本，可防止药物价格虚高现象。

1.3.2.6 医疗临床合理用药的需求

药物经济学研究最早的目的是针对临床药物治疗方案的经济学评价，对药物治疗中卫生保健系统和人类社会所付出的成本和产生效果进行描述和分析。药品费用占卫生总费用的比例，中国约占 50%～60%，而发达国家一般在 10%～20%，表明药物利用和药品费用支付存在一定的问题。药品价格和药品费用问题已成为人们关注的焦点，也是国家卫生行政部门和社会保障部门降低药品费用工作中的一个重点。控制医疗工作中药品费用不合理的增长可借助药物经济学评价方法来实现。

1.3.2.7 药品管理决策的需求

药品是一种准公共物品，药品治疗不仅有益于患者，也有益于他人和社会。因此，药品费用不能完全由个人承担，即应当由个人、单位和社会共同承担。同时，也不允许药品资源的随意浪费和滥用。药品管理者要运用药物经济学研究，制定相应的政策，明确药品

研究、生产、经营的投资者和药品使用费用的投保者以及政府补贴等应有的责任和义务，确保卫生投资基金和药物资源的有效利用。

（1）用药物经济学为指导，筛选国家基本药物，在制定《国家基本药物目录》时，将药物经济因素作为一项药物遴选的原则。

（2）根据《国家基本药物目录》，结合各个地区社会经济发展水平，指导制定医疗保险制度，明确国家、集体、个人应分别承担的药物费用。

（3）指导医院开展既能更好地为患者服务、维护医院信誉的社会效益，又能提高医院经济效益的医疗保健措施和项目。

（4）制定相应制度和措施，提供药物经济信息，指导和帮助临床医师、药师在临床决策中选择最佳治疗方案，以期用最小成本获得最大效益。

（5）指导药物科研、生产、经营企业，在研制、开发、生产和经营中既能满足社会人群防病治病的用药需要，又能获取合法利益发展自己。

1.3.3 药物经济学运用与展望

在经济学中常常用国民生产总值（GNP）来表示一国总产出或一国财富量，体现了国民收入。中国 2000 年人均收入才到 800 美元，而美国 1993 年的人均收入就达到 2.5 万美元。国家经济资源多寡表明国家富裕程度，资源越丰富，国家生活也就富裕。从卫生保健费用来看，1984 年美国卫生保健费用总额为 3870 亿美元，占国民生产总值的 10.6%，到了 1990 年卫生费用达到 6900 亿美元，占国民生产总值的 12%，2000 年达到 19000 亿美元，占国民生产总值的 14%。卫生费用急剧增长，也致使美国感到力不从心。中国卫生费用 1990 年为 743 亿元，占国民生产总值的 4.01%，1996 年为 2853.51 亿元，占国民生产总值的 4.16%，2000 年卫生费用占到国民生产总值 5%。2001 年，我国卫生总费用占 GNP 的 5.37%，2002 年为 5.42%。尽管我国与发达国家相比增幅不算过大，但已足使政府、单位和个人为之困扰。特别是我国的药品费用支出一直占有卫生费用的 52% 左右，居高不下，远远高于发达国家 10%～20% 之间的水平。因此，为了控制医药费用的上涨，在合理用药保证安全、有效性的基础上，要重视药物的经济性，开展药物经济学研究。

（1）改革医疗经济管理模式：非营利性医院主要为社会提供基本医疗服务，在享受国家财政扶持和不纳税的同时，要坚决执行政府规定的价格政策，严格医院财务制度和会计制度，对医疗收支和药品收支进行分开核算，实行药品集中招标采购，做好卫生资源的优化配置。总之，在改革卫生管理体制和卫生机构运行机制，建立城镇卫生三级服务体系和农村卫生服务网络和城镇职工医疗保障制度及农村合作医疗制度中，充分发挥卫生经济学和药物经济学的作用。

（2）加强药物经济学的研究和宣传：增强用药的经济学意识，引进国外药物经济学研究的成熟经验，在制定基本药物目录、新药审批、临床合理用药等方面，将药物的经济性与安全性、有效性处于同等重视位置，保证药物资源合理和有效的利用。

（3）建立专门机构，确定药物经济学研究的范畴和方法：从国情出发，开展成本结果分析，在开展成本效益分析和成本效果分析的基础上，对成本效用分析进行更深入和更广

需要全本请访问 www.ertongbook.com