

# 高效获取我国人群健康效用值的方法

李茂榛<sup>①</sup>, 万楚川<sup>①</sup>, 黄元楷<sup>①</sup>, 席晓宇<sup>①</sup>

**摘要** 目的: 借鉴现有国际相关指南, 针对从文献中获取我国人群健康效用值(Health Utility Values, HUVs)存在的困难与问题提出解决办法。方法: 运用文献分析法, 结合指南建议, 分析我国从文献中获取HUVs的现状 & 问题, 辅以案例, 按照操作顺序分析问题并提出可行建议。结果: 与HUVs研究较为成熟的国家相比, 我国存在HUVs文献数量少、二次引用数据普遍、效用积分体系使用不统一等问题, 这进一步导致文献检索筛选难、数据提取与合并难等问题。应根据研究目的获取HUVs, 兼顾我国HUVs研究现状调整检索策略、制定质量和相关性评价标准、设计数据提取表格。结论: 国际已有相关指南对我国有借鉴意义, 但鉴于我国HUVs研究现状, 研究者需及时做出相应调整并有助于其更迅速准确地获取我国目标人群的HUVs。

**关键词** 健康效用值; 中国人群; 获取方法

**中图分类号** R1-9; R-01 **文献标志码** B **文章编号** 1003-0743(2023)09-0006-05

A Method to Efficiently Obtain Health Utility Values in China/Li Maozhen, Wan Chuchuan, Huang Yuankai, et al.// Chinese Health Economics, 2023,42(9):6-10

**Abstract Objective:** To analyze the difficulties in obtaining health utility values (HUVs) of Chinese from the literature and propose targeted solutions by drawing on experience in guidelines issued in other countries, providing a reference for efficient searching HUVs of Chinese. **Methods:** Using the literature analysis method, the current situation and problems of acquiring HUVs from the literature in China are analyzed in conjunction with the guideline recommendations, supplemented with case studies to analyze the problems and make feasible recommendations in an operational order. **Results:** Compared with countries where HUVs researches are more mature, the problems of HUVs researches in China lie in less literature, more secondary citation, and non-uniform use of value sets. HUVs should be obtained by the need of the study, improved applicability to the current status of HUVs research in China by adjusting the search strategy, developing evaluation criteria, designing data extraction forms. **Conclusion:** International guidelines are available for China, but given the current state of HUVs research in China, researchers need to make timely adjustments accordingly. The recommendations will help researchers to obtain HUVs in Chinese target populations more quickly and accurately.

**Keywords** health utility values; Chinese residents; access

**First-author's address** The Research Center of National Drug Policy & Ecosystem, China Pharmaceutical University, Nanjing, 211198, China

**Corresponding author** Xi Xiaoyu, E-mail: xixy@cpu.edu.cn

健康效用值(Health Utility Values, HUVs)是个人对不同健康状态偏好程度的量化指标, 体现了健康状态对于个人的价值, 是成本-效用分析中量化健康产出指标的核心元素<sup>[1]</sup>。HUVs来源主要有两种: 直接测量获得和从文献中获取<sup>[2]</sup>。但在实际药物经济学评价中, 由于时间和资源限制, 通常从文献中获取。

HUVs的准确性直接影响着药物经济学评价结果的准确性, 规范地获取HUVs具有重要意义。目前国际上已有针对从文献获取HUVs的操作指南。如国际药物经济学会(International Society of Pharmacoeconomics and Outcome Research, ISPOR)关于HUVs系统评价最低报告标准<sup>[2]</sup>、英国卫生与临床优化研究所(National Institute for Clinical Excellence, NICE)关于从文献中获取HUVs的指南<sup>[3-4]</sup>和加拿大<sup>[1]</sup>制定的指导方法等。而我国

尚无相关指导办法, 且国内HUVs基础研究现状与国外不同。如在数据可获得性方面, 我国在某些疾病领域HUVs研究数量少<sup>[5]</sup>; 数据适宜性方面, 不同地区适用不同的效用积分体系<sup>[6]</sup>, 这可能导致研究结果因积分体系不同出现偏移; 在决策需求方面, 各国对HUVs的要求不同, 如英国倾向于使用EQ-5D-3L量表测量<sup>[4]</sup>, 我国认可EQ-5D量表等多种普适性量表<sup>[7]</sup>。

鉴于上述背景, 完全借鉴国外相关指南显然无法满足我国现状需求。为此本研究基于已有相关指南, 结合实际情况开展从文献中获取我国人群HUVs的研究, 分析可能面临的困难与问题, 并提出建议。本研究有助于规范HUVs研究的识别、选择、数据处理和使用, 为研究人员高效获取我国人群HUVs提供参考。

## 1 方法

研究结合NICE的Technical Support Document 9<sup>[3]</sup>和ISPOR的最低报告标准<sup>[2]</sup>, 对我国HUVs获取现状进行分析并提出建议。本研究按照从文献中获取HUVs的一般顺序, 将获取过程分为5个步骤: 文献检索与初筛、质量和相关性评价、数据提取、数据选择与合并、数

① 中国药科大学国家药物政策与医药产业经济研究中心  
南京 211198

作者简介: 李茂榛(1999—), 女, 硕士在读; 研究方向: 药物经济学和医药卫生政策; E-mail: epulimzn@163.com。  
通信作者: 席晓宇, E-mail: xixy@cpu.edu.cn。

据呈现。同时研究将根据上述划分逐步分析获取我国人群HUVs的特点与难点，辅以我国复发难治性多发性骨髓瘤（Refractory/Relapse Multiple Myeloma, RRMM）患者HUVs的获取为例，给出相关建议。

## 2 结果

### 2.1 文献检索与初筛

文献检索包括确定检索范围和设计检索式。研究者需根据研究目的和疾病特征确定检索范围和策略，以高效获取更精确的文献。其次是设计检索式，进行初步检索，并根据检索结果和目标需求对检索式进行动态调整。文献的初筛则是制定文献纳排标准，并根据从文献标题、摘要到正文的顺序筛选可用文献。

ISPOR提出制定HUVs检索范围时需考虑多项因素见表1<sup>[2]</sup>。对于检索式的构建，国际上已有详尽介绍<sup>[4,8]</sup>。如检索式常分为3部分：疾病相关术语、HUVs测量的方法学术语（可结合HUVs研究中的高频主题词<sup>[3,8]</sup>）和测量工具术语。

表1 HUVs检索标准

考虑因素	内容
必要因素	健康状态 治疗效果 各阶段的治疗效果和方法 合并症 并发症和后遗症 照护者HUVs 一般人群标准
其他因素	其他测量方法或映射 使用环境

我国的HUVs研究成果相对较少<sup>[9]</sup>，测量方法多样，二次引用数据较为普遍，研究中还存在专业术语使用不准确等情况，HUVs的检索与筛选难度较大。

因此，在文献检索与筛选阶段，考虑到数据的可获得性，建议在检索初期不限制HUVs来源和类型；对于二次引用HUVs的文献，应溯源原始研究；此外，应

对术语的拼写、翻译和使用加以甄别，如测量工具术语拼写不规范、HUVs与健康相关生命质量（Health-related Quality of Life, HRQoL）概念混用等。另外，如需考虑特定症状或并发症的负效用，可以参照HUVs检索策略，在疾病相关术语部分添加相应的健康状态，并替换HUVs为disutility，单独进行检索，以便高效获取负效用值。在初筛阶段，还应根据研究目的比较各测量方法的优势和局限<sup>[10]</sup>，如EQ-5D-3L量表对中小健康水平的变化敏感度较低<sup>[4]</sup>。

以获取我国RRMM患者HUVs为例。根据研究目的和要求（中国人、我国指南推荐的HUVs测量工具<sup>[7]</sup>、疾病无进展和进展状态）完善检索策略。然后制定文献纳排标准，纳入标准为临床确诊为RRMM的患者、横截面研究及队列研究、中英文文献；排除重复发表研究、系统评价、二次引用文献。再根据检索策略确定检索式，检索PubMed、The Cochrane Library、Web of Science、中国知网、维普和万方数据等数据库，以PubMed的部分检索式为例，见表2。

检索式根据初步检索结果和研究需求的变化动态调整：由于检索结果中没有针对我国RRMM患者的HUVs研究，调整检索式，扩大检索人群范围<sup>#5</sup>，再次检索。对于二次引用数据，溯源原始研究。检索过程参照ISPOR最低报告标准进行记录，保证研究的透明度。文献筛选流程见图1。

### 2.2 质量和相关性评估

筛选出潜在可用文献后，研究者需开展质量和相关性评估以进一步提取HUVs。其中，评估标准根据检索结果不断修订。此过程建议由两位研究者独立进行，结束后进行交叉核对。

NICE为评价研究的质量和相关性给出了参考<sup>[4]</sup>。质量方面包括：样本量、受访者的选择和招募、纳排标准、测量工具应答率、失访人数、研究国家或地区等；相关性方面包括：人群特征、测量工具、积分体系来源和构建方法与目标研究的一致性。

表2 PubMed检索式

术语	内容
#1 疾病相关术语	multiple myeloma [MeSH Terms] OR rrrmm[Title]等
#2 HUVs测量的方法学术语	utility*[Text Word] OR health state utility value*[Text Word] OR health performance*[Text Word] OR quality of life[MeSH Terms] OR hrqol[Text Word] OR health related quality of life[Text Word] OR quality-adjusted life years[MeSH Terms] OR quality adjusted life expectancy[Text Word]等
#3 基于效用的工具术语	eq5d[Text Word] OR sf6d[Text Word] OR 15D[Text Word] OR sg[Text Word] OR tto[Text Word] OR vas[Text Word] OR hui[Text Word] OR qwb[Text Word] OR Aqol[Text Word]等
#4	#1 AND #2 AND #3
#5	China[MeSH Terms] OR Chinese[Text Word]
#6	letter[Publication Type] OR editorial[Publication Type] OR comment[Publication Type]
#7	#4 AND #5 NOT#6

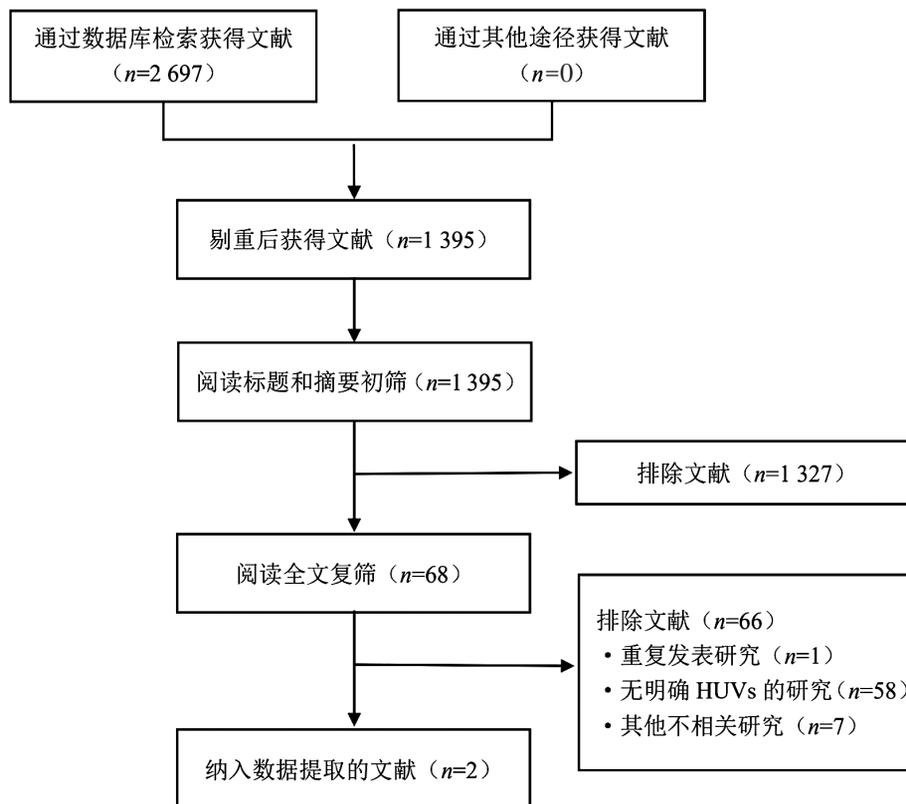


图1 文献筛选流程

由于我国地区差异较大、HUVs 研究发展较晚，研究质量和结果可能不同。有研究表明，我国城市和农村人群对于EQ-5D 量表测量工具各维度的偏好不同<sup>[6]</sup>，且早期HUVs 研究常使用国外的积分体系，研究结果与我国实际情况不一致<sup>[10]</sup>。综上，在评估研究的质量和相关性时，需结合我国研究现状，因时、因地制宜，设置合理的评价标准。若是参考基于国外人群的研究，应按照我国健康人群的生命质量进行校正<sup>[11]</sup>。已知英国健康人群的HUVs 为 $H_E$ ，我国健康人群HUVs 为 $H_C$ ，假如获得英国RRMM 疾病进展状态的HUVs 为 $H_M$ ，则可校正得到我国RRMM 疾病进展状态的HUVs ( $H$ ) 为： $H = H_M / H_E \times H_C$ 。

在RRMM 的HUVs 获取研究中，研究者制定并不断完善评价标准，据此筛选可用文献，记录文献基本信息、评价标准以及纳排文献的原因。

### 2.3 数据提取

提取HUVs 的过程中，为规范提取过程，建议制作提取表格，详细记录影响HUVs 准确性的关键因素。

Technical Support Document 9 提供了表格制作范例，囊括了HUVs 提取的关键信息<sup>[4]</sup>。基于我国各地区差异大、HUVs 测量和计算方法多样等特殊情况，在提取HUVs 时，应关注测量方法、数据呈现形式、积分体系以及受访者来源。目前，我国已建立针对不同地区的积分体系，如EQ-5D-3L 量表已有基于我国城市、城

市与农村以及农村人群的积分体系<sup>[12-14]</sup>。若HUVs 作为研究的次要结果，以质量调整生命年 (Quality-Adjusted Life Years, QALYs) 或增量成本-效用比的形式呈现，则需换算HUVs。如存在以上情况，应完整记录计算过程和结果。

本研究在提取RRMM 的HUVs 时，结合我国患者的HUVs 研究情况改编了NICE 指南的表格，据此提取与HUVs 相关的详细信息。

### 2.4 HUVs 的选择与合并

在数据提取阶段，可能获得一组或多组HUVs。针对这一情况，研究者应根据需求选择恰当的数据。NICE 指南建议根据不同的提取结果，选用不同的数据选择与合成策略<sup>[4]</sup>，具体如表3 所示。

NICE 的建议适用于我国，但在数据转化和合并方面，还应注意以下问题：(1) 映射是以某个普适性量

表3 HUVs 选择与合成

情形	方法
无HUVs 可用	选择其他HUVs，并证明可行性
仅1组HUVs 可用	直接使用，辅以敏感性分析
有多组HUVs 可用	(1) 直接选用绝对优势组 (2) 多组HUVs 各有优势，充分评估各标准的重要性 (3) 各组HUVs 相似度高，合并HUVs 以提高估计精度

表为目标量表，将疾病特异性量表测得的非基于偏好的信息使用转换模型转换为HUVs的方法<sup>[15]</sup>，对于使用映射计算的HUVs，需验证映射模型的有效性，并检验结果<sup>[4,15]</sup>。(2)合理选择合并症和并发症人群的HUVs计算方法。当前我国慢性病患者群体庞大，患者有合并症或并发症的情况普遍，如需计算多疾病状态的HUVs，可结合非参数估计法和参数估计法来估计<sup>[16]</sup>；对于已有较多实证研究的慢性病，应结合研究目的选择最匹配的数据。(3)选择或合并国外研究中的HUVs前充分评估其适用性。在合并不同研究中的数据时，还应考虑异质性，评估合并方法的准确性，并进行敏感性分析。

RRMM的HUVs获取研究中，根据数据提取结果，选择与研究需求最匹配的HUVs。最终选择与目标研究的患者健康状态高度一致，且参照我国健康人群生命质量进行校正后的HUVs<sup>[11]</sup>。另外，为探究研究结果的稳定性，本研究纳入了某药治疗RRMM临床试验中测量的HUVs<sup>[17-18]</sup>进行对比分析，以探究HUVs的变化对研究结果的影响。数据提取结果见表4。

### 2.5 数据呈现

数据呈现包含获取HUVs研究的整个过程的完整记录，旨在确保HUVs数据获取、数据处理和使用的系统性和透明度。*Technical Support Document 9*建议，在数据呈现阶段把纳入研究的特征和决策模型最终使用的HUVs、质量和相关性评估、HUVs的调整和敏感性分析均进行记录<sup>[9]</sup>。在获取我国相关人群的HUVs时，可参照其中建议，记录获取和使用HUVs的全过程。

### 3 讨论

总体来说，国际指南对于获取我国人群的HUVs有借鉴意义，但需结合我国实际做出调整<sup>[9]</sup>。当前，我国的HUVs研究数量少、质量不一，缺少有效的HUVs校正与合并方法<sup>[9-10]</sup>。为保障检索的全面性和数据可获得性，对于我国HUVs研究较少的疾病领域，可取消人群限制<sup>[4]</sup>，检索国际上针对目标疾病的高质量HUVs研究成果，结合测量工具、患者健康状态等要求选择恰当可用的数据。当使用来自国外的HUVs时，目前已有研

究根据我国健康人群的生命质量校正数据<sup>[11]</sup>。此外，鉴于我国各地区的发展和差异，HUVs研究结果可能不同<sup>[20]</sup>。其中的差异大小以及是否需要校正应依据具体情况论证，并结合目标研究人群特征选择更匹配的研究。需要注意的是，HUVs的校正方法尚未统一。另外，HUVs的合并可采用参数法和非参数法<sup>[16]</sup>，但参数法的可行性、非参数法的准确性以及二者在针对超过两种疾病时，我国人群的HUVs有效性仍有待验证；由于目前尚无合并不同研究中负效用数据的方法<sup>[21]</sup>，因此，如需合并特定症状或并发症的负效用值，应参考该疾病或同类型疾病领域已有HUVs研究或卫生技术评估中负效用值的合并或转换方法。

HUVs是药物经济学评价中计算QALYs的关键参数，对评价结果有重要影响，敏感性分析能够帮助验证结果的稳定性。在无法基于文献获取确定的HUVs或者HUVs取值范围来自于不同地区或背景等情况下，需要基于HUVs进行单因素敏感性分析。根据我国指南的建议<sup>[7]</sup>，通常情况下，若文献中同时提供了HUVs及其95%CI、最大值和最小值等参数取值变化范围，则带入取值范围计算，观察敏感性分析结果与基础分析结论的一致性；若文献中未提供参考依据，则参考同类研究中参数估计的极值。

为高效获取我国人群的HUVs，除规范获取过程、兼顾我国HUVs研究现状外，未来还需进一步确定HUVs相关的主题词、总结各数据库HUVs相关检索词的拼写形式、规范术语的拼写及使用、探索减小不同地区研究结果误差的方法。另外，HUVs校正与合并的有效方法也值得进一步研究。未来，可建立我国HUVs研究在线录入平台，录入既定标准的研究的基本信息、HUVs和关键影响因素便于后续研究按需高效查询和使用HUVs。

### 参 考 文 献

[1] XIE F, ZORATTI M, CHAN K, et al. Toward a centralized, systematic approach to the identification, appraisal, and use of health state utility values for reimbursement decision

表4 RRMM患者HUVs提取情况

作者	受访者来源	研究环境	平均年龄(岁)	性别占比(%)	健康状态	测量方法	样本量(例)	HUVs均值(SD)	HUVs中位数(区间)
Ramsenthaler等 <sup>[17]</sup>	英国	医院	68	男(61.2) 女(37.5)	无进展	EQ-5D-3L	264	0.67(0.27)	0.69(-0.18~1.00)
					进展	EQ-5D-VAS	139	69.00(19.60)	69.50(11.00~100.00)
					无进展	EQ-5D-3L	182	0.59(0.29)	0.69(-0.35~1.00.00)
					进展	EQ-5D-VAS	111	59.50(19.10)	60.00(10.00~100.00)
胡善联等 <sup>[11]</sup>	英国	医院	68	男(61.2) 女(37.5)	无进展	EQ-5D-3L	—	0.64(校正 <sup>[19]</sup> )	—
					进展	EQ-5D-3L	—	0.56(校正 <sup>[19]</sup> )	—
Borg等 <sup>[18]</sup>	多中心	临床试验	64	—	无进展	EQ-5D-3L	—	0.65	—
					进展	EQ-5D-3L	—	0.62	—

注：各研究中的健康状态描述者均为患者，问卷均由患者填写，积分体系均为英国。

- making: introducing the health utility book (HUB)[J]. Medical decision making, 2019,39(4):370-378.
- [2] BRAZIER J, ARA R, AZZABI I, et al. Identification, review, and use of health state utilities in cost-effectiveness models: an ISPOR good practices for outcomes research task force report[J]. Value in health, 2019,22(3):267-275.
- [3] PAPAIOANNOU D, BRAZIER J, PAISLEY S. Systematic searching and selection of health state utility values from the literature[J]. Value in health, 2013,16(4):686-695.
- [4] PAPAIOANNOU D, BRAZIER J, PAISLEY S. NICE DSU technical support document 9: the identification, review and synthesis of health state utility values from the literature[EB/OL]. (2010-01-01)[2022-10-18]. <https://www.sheffield.ac.uk/nice-dsu/tsds>.
- [5] 王凯旋, 刘世贤, 史钊, 等. 1型糖尿病患者健康效用值系统综述与Meta分析[J]. 中国药物经济学, 2022,17(8):16-21,31.
- [6] 伍红艳, 刘国恩, 官海静. EQ-5D健康量表效用积分体系的构建研究——基于我国西南地区的实证分析[J]. 中国药房, 2016,27(14):1877-1881.
- [7] 刘国恩. 中国药物经济学评价指南2020[M]. 北京: 中国市场出版社, 2020.
- [8] JENSEN M F, ZEALAND N, TECHNOLOGY H. Etext on health technology assessment (HTA) information resources[J]. US National Library of Medicine, 2010(2):1-8.
- [9] 黄佳文, 朱娟, 黄慧瑶, 等. 中国肝癌及相关疾病状态健康效用值及失能权重研究的系统评价[J]. 中国循证医学杂志, 2018,18(5):410-417.
- [10] 刘世贤, 王凯旋, 史钊, 等. 糖尿病足和糖尿病视网膜病变患者健康效用值系统综述与Meta分析[J]. 现代预防医学, 2021,48(20):3828-3836,3840.
- [11] 胡善联, 路瑾, 封宇飞, 等. 来那度胺联合低剂量地塞米松治疗复发或难治性多发性骨髓瘤的成本效用分析[J]. 中国医疗保险, 2017(9):51-57.
- [12] LIU G G, WU H, LI M, et al. Chinese time trade-off values for EQ-5D health states[J]. Value in health, 2014,17(5):597-604.
- [13] ZHUO L, XU L, YE J, et al. Time trade-off value set for EQ-5D-3L based on a nationally representative Chinese population survey[J]. Value in health, 2018,21(11):1330-1337.
- [14] LIU G G, GUAN H, JIN X, et al. Rural population's preferences matter: a value set for the EQ-5D-3L health states for China's rural population[J]. Health and quality of life outcomes, 2022,20(1):14.
- [15] 刘彤, 李顺平, 陈钢. 健康效用值测量中映射法应用的研究进展[J]. 中国药物经济学, 2018,13(11):121-124.
- [16] 伍红艳, 王龙, 张堂钦, 等. 药物经济学评价中对患多种疾病人群健康效用值的间接获取分析[J]. 中国卫生经济, 2019,38(1):71-73.
- [17] RAMSENTHALER C, OSBORNE T R, GAO W, et al. The impact of disease-related symptoms and palliative care concerns on health-related quality of life in multiple myeloma: a multi-centre study[J]. BMC cancer, 2016(16):427.
- [18] BORG S, NAHI H, HANSSON M, et al. Cost effectiveness of pomalidomide in patients with relapsed and refractory multiple myeloma in Sweden[J]. Acta oncologica, 2016,55(5):554-560.
- [19] SUN S, CHEN J, JOHANNESSON M, et al. Population health status in China: EQ-5D results, by age, sex and socio-economic status, from the National Health Services Survey 2008[J]. Qual life res, 2011,20(3):309-320.
- [20] 官海静. 中国四地城乡居民生命质量的比较分析[J]. 中国卫生经济, 2015,34(2):5-12.
- [21] 卢钰琼, 代展菁, 路云, 等. 健康状态负效用值测量结果合并方法及影响因素研究——以抗肿瘤药所致腹泻为例[J]. 中国药房, 2022,33(8):975-980,986.

(收稿日期: 2023-06-06) [编辑: 高非]

## 《中国卫生经济》在线投稿、查稿说明

如果您是新作者(即第一次在线投稿), 请先点击“作者登录”和“新用户注册”来在线填写作者信息, 注册成功后请记住您的E-mail和密码。如果您忘记了密码请电话咨询本刊编辑部(0451-87253040、87253041、87253042、87253048)。

如果您曾经给本刊投过稿, 您可以通过点击“作者登录”用您的用户名和密码直接登录即可在线查稿或再次投

稿, 您也可以登录后自行修改您的登录密码。

在投稿之前, 请您先浏览《中国卫生经济》网站上的“作者园地”中的中国卫生经济例: “《中国卫生经济》杂志编排: 刊例”和“投稿须知”中的“《中国卫生经济》杂志稿约”, 然后, 按要求完善您的文章并完成投稿。

最后, 在您投稿成功后, 您注册的E-mail里会立即收到一封已分配稿号的“《中国卫生经济》收稿通知”信件。