

医保药品目录调整视角下的卫生技术评估 多维度决策框架研究*

杨燕^①, 唐密^①, 何江江^①

摘要 目的: 基于证据与价值对决策的影响构建医保目录药品遴选的多维度决策框架, 解决医保药品目录调整面临多利益相关者、多维度价值的难题。方法: 根据多准则决策分析实施步骤, 初步构建起医保目录药品调整多维度决策框架; 邀请医保、医药、医疗等相关工作领域专家, 采用两轮德尔菲法形成指标及其权重。结果: 形成疾病、临床、经济、创新、公平及证据6个维度, 疾病严重程度、疾病影响人群范围、有效性及安全性等14项准则的指标框架。结论: 利用证据与价值对策的影响建立的多维度决策指标框架具有较强实用价值, 可以为医保目录药品调整决策提供技术支持。

关键词 医保药品; 多维度; 卫生技术评估

中图分类号 R1-9; F840.613 **文献标志码** A **文章编号** 1003-0743(2023)11-0028-05

A Study on the Multidimensional Decision Framework for Health Technology Assessment from the Perspective of Adjusting the Medical Insurance Drug Catalog/Yang Yan, Tang Mi, He Jiangjiang//Chinese Health Economics, 2023,42(11): 28-32

Abstract Objective: To construct a multi-dimensional decision-making framework for the selection of drugs in the medical insurance catalogue based on the Evidence and Value: Impact on Decision Making (EVIDEM), so as to solve the problem of multi-stakeholder and multi-dimensional value in the adjustment of the medical insurance drug catalog. **Methods:** According to the steps of Multi-criteria decision analysis (MCDA), a multi-dimensional decision-making framework for drug adjustment in the medical insurance catalogue was preliminarily constructed. Experts in medical insurance, medicine, medical treatment and other related work fields are invited to form indicators and their weights by two rounds of Delphi method. **Results:** An index structure of 14 criteria was formed, including disease, clinical, economic, innovation, fairness and evidence, and 14 criteria, including disease severity, disease affected population, efficacy and safety. **Conclusion:** The multi-dimensional decision-making index framework established by EVIDEM has strong practical value and can provide technical support for the adjustment decision of medical insurance catalogue drugs.

Keywords medical insurance drugs; multidimensional; health technology assessment

First-author's address Shanghai Health Development Research Center, Shanghai, 200040, China

Corresponding author He Jiangjiang, E-mail: hejiangjiang@shdrc.org

2020年2月,《中共中央 国务院关于深化医疗保障制度改革的意见》明确提出,要完善医保目录动态调整机制,将临床价值高、经济性评价优良的药品纳入支付范围,完善医保准入谈判制度,建立医保药品评价规则和指标体系。近年来,卫生技术评估和药物经济学等学科的发展为衡量药品价值提供了良好的基础,但综合国内实际情况,医保目录药品的价值确定往往涉及申请方(企业)、评估方(医师、药师、药物经济学专家等)及决策者(医保)^[1-2],具体价值也涉及疾病的严重程度、治疗的有效性、安全性、成本效果、患者的偏好以及医疗保险基金的可负担性等多重维度^[3-4]。因此,医保药品目录调整面临多个利益相关

者、多维度价值的难题。本研究从以上实际问题出发,通过文献检索和广泛咨询专家的方式,基于“多维度决策分析”(Multi-criteria decision analysis, MCDA)和“证据与价值对决策的影响”(Evidence and Value: Impact on Decision Making, EVIDEM)方法,构建医保目录药品遴选的多维度决策框架。旨在帮助决策者系统考虑多种相互冲突、不可公度的准则,同时纳入可观测量和主观判断,帮助其在不同准则的相关性、重要性以及如何利用已有信息来评价备选方案等方面达成共识,以此提高决策的一致性、透明性和合理性^[5]。

1 资料和方法

1.1 理论框架介绍

EVIDEM于2008年开发^[6],是一个在协作开发下评价医疗干预的开源框架。EVIDEM提出了1套标准的准则,并使用核心模型与文本工具对待评药物进行决策打分,可用于比较跨疾病领域的各种干预措施,以便对干预措施进行优先排序。EVIDEM使用了MCDA算法,通过对具体的决策准则进行界定,清晰地呈现出

* 基金项目: 首都医科大学国家医疗保障研究院开放性课题面上项目(YB2020B06); 上海市卫健委卫生行业临床研究专项面上项目(21940319)。

① 上海市卫生和健康发展研究中心 上海 200040

作者简介: 杨燕(1986—),女,硕士学位,助理研究员;研究方向: 药物政策与药物经济学研究; E-mail: yangyan@shdrc.org。

通信作者: 何江江, E-mail: hejiangjiang@shdrc.org。

确定优选重点的思考过程，是MCDA方法的延伸^[7]。

EVIDEM框架由规范化的通用准则和情境化准则组成（表1）。通过规范化的通用准则支持体系对药品价值多维度量化进行评估和排序，情境化准则用以定性评估药品应用产生的影响。通用准则又称决策的核心模型，由5个维度和13个准则组成，决策者可以根据决策情境对准则进行删减或修改。情境化准则有助于EVIDEM框架因地制宜地解决不同类型的决策问题。决策者可结合具体决策问题，将部分情境化准则调整至核心模型进行量化分析。

表1 EVIDEM框架的通用准则和情境化准则

聚类指标	标准
通用准则	
疾病影响	疾病的严重程度 受该病影响的人群大小 未满足的有效性、安全性等需求
干预疗效	对功效或效果的改善 对安全性或耐受性的改善 对患者自报结果的改善
效益类型	公共卫生利益 医疗服务类型
经济学	成本 其他医疗成本 非医疗成本
证据的认识	证据质量 证据专家共识或临床指南
情境化准则	效用：是否实现卫生体系或规划的目标 公平：干预的优先人群（领域）及其可及性 效率：机会成本和可负担能力 系统容量和干预的合理使用 利益相关者存在的压力或障碍 政治历史环境 环境影响（干预带来的环境破坏程度）

1.2 指标构建方法

1.2.1 明确价值维度并构建指标池。运用文献综述和焦点组讨论法，明确药品目录调整视角下价值评价的维度，构建初步的评价指标池。（1）文献综述。通过检索中国知网、维普、万方、PubMed、Medline、Proquest等国内外数据库，浏览国内外相关机构网站，整理归纳文献涉及的价值评估框架及准则。对有关科研机构 and 政府部门现有的研究成果和网络资料进行系统分析，筛选出有价值的信息。（2）焦点组讨论。邀请医保局和卫健委等相关行政人员、临床医学、药学、卫生经济学等技术专家、企业代表等不同利益相关方，围绕卫生技术评估所涉及的维度进行小组讨论，尽可能激发大家进行充分讨论，以获得医保目录药品调整视角下不同利益相关方在不同价值维度中关注的

重要内容、事件和感受。访谈内容进行主题分析后提炼相应指标，与文献综述的指标合并构建指标池。

1.2.2 筛选指标及确定指标权重。运用德尔菲法，对药品多维度价值评估指标池中已有指标进行进一步筛选。为保证指标体系权重反映出的是多方博弈后的综合价值，本研究的专家组成员包含不同的利益相关方。本研究通过两轮科学程序的专家咨询，不断筛选、整理、归纳、统计和分析形成相应的评估指标。

1.2.3 赋权。指标权重的确定采用两步百分制加权法，具体的操作步骤为：第1步，请专家以100分为总分，为各一级指标分配分值，分值越高代表重要性越高；第2步，在每个一级指标内部，请专家以100分为总分，为各二级指标分配分值。基于以上步骤可以计算得出每个二级指标对评估体系整体的重要性权重，即二级指标权重 = (所属一级指标重要性得分/100) × (该二级指标对一级指标的重要性得分/100) × 100%。

2 结果

2.1 决策背景与原则

决策框架应当适应决策背景和价值观，用以反映规范性（即有明确的任务和优先事项）和可行性。无论是国际标准^[8]还是我国《“健康中国2030”规划纲要》都提出要实现三重目标，即个体水平的健康身体、群体水平的健康社会和系统水平的可持续发展。因此，医保目录药品多维度价值决策是基于患者、人群、系统三重目标考虑，即从患者角度看，必须用预防来减轻自身痛苦；从人群角度看，要优先考虑境地最差的人群，并为数量最大的人群争取利益最大化；从系统角度看，要考虑卫生资源的可持续性。本研究的决策情境是在医保药品目录调整视角下考虑医保基金运行风险和可持续性。这三重目标决定了决策框架的基本视角，例如基于患者视角，本研究关注疾病严重程度，因为对重症、危及生命或致残性疾病的患者进行干预或预防比对病情较轻或预防程度较轻的患者进行干预具有更大的价值；基于人群的视角，本研究关注疾病影响的人群范围，因为惠及更多人的干预比惠及较少人的干预更有价值；在医保视角下，需要考虑资源的潜在置换，因为如果采用某种干预措施或将该干预措施纳入医疗保险报销范围，就会放弃其他资源或其他干预措施或机会成本。

2.2 构建评价指标

2.2.1 指标池拟定。明确了决策背景之后，本研究以EVIDEM框架为基础，围绕医保药品目录动态调整需求，结合文献综述结果^[9-13]及MCDA的方法学要求，即可测量性、非冗余性、判断独立性、完备性和可操作性等原则，建立医保药品的通用准则和情境化准则。初步拟定的评价指标池包括6个维度（一级指标），以

及下设的18个准则（二级指标），见表2。

2.2.2 指标筛选与优化。本研究采用两轮德尔菲专家咨询，第1轮共发放10份问卷，收回10份，有效回收率为100%。参与咨询的专家包括行政管理人员、临床医生、临床药师和科研人员等，年龄为31~59岁，工作年限10~39年。专家中，80%为博士研究生，80%为高级职称。第2轮共发放41份问卷，收回41份，有效回收率为100%，专家基本情况见表3。

(1) 专家权威程度。专家权威程度用权威系数 C_i 表示，一般由两个因素共同决定，一是专家对指标作出判断的依据，即 C_a ；二是专家对指标的熟悉程度，即 C_s ； $C_i = (C_a + C_s) / 2$ ， $C_i > 0.70$ 可以作为可信任的标准。两轮咨询 C_a 分别为0.94和0.91， C_s 分别为0.84和0.81，的平均值均 > 0.70 ，表明本研究的专家权威程度较高。

(2) 协调系数。专家意见的协调系数可用Kendall检验统计量 W 表示， W 介于0~1，越靠近1表明协调性越好。两轮结果显示， W 的 P 值均 < 0.05 ，差异具有统计学意义，表明专家对各指标评分具有一致性。

(3) 专家意见集中程度。专家意见的集中程度用均数、支持率以及变异系数来表示。第1轮结果显示，专家一致认可一级指标的重要性，但获益维度和情境维度的评分和支持率较低，变异系数相对较大；在二级指标上，间接成本、临床使用管理、对环境的影响指标的重要性评分和支持率相对较低，变异系数相对较大。根据第1轮咨询专家修改意见，结合本研究讨论结果，对指标框架进行调整优化。对获益维度和情境

维度2个一级指标进行调整，删除间接成本、临床管理难度和对环境的影响3个二级指标；增加创新维度和公平维度，将二级指标疾病维度中未满足的需求指标纳入创新维度，获益维度中公共卫生获益指标纳入公平维度、治疗长远获益指标纳入有效性指标，情境维度中对医保基金的影响纳入经济维度、对技术创新的影响纳入创新维度、优先重点人群和可及性纳入公平维度。经过第2轮咨询发现，技术创新指标重要性均数为3.54，支持率低于50%，变异系数 > 0.2 ，需要删除，但考虑此指标在目前医保药品目录调整的决策框架中有所应用，且与《“健康中国2030”规划纲要》提及的促进医药产业发展相适应，因此，本研究保留了此指标，具体情况见表4。

2.2.3 指标赋权。本研究采用两步百分制加权法对准则的权重进行打分计算，根据专家所填写数据、医保目录药品等内容遴选多维度决策框架各级指标权重，具体情况见表5。

3 讨论

3.1 多维度价值决策框架特点

基于卫生技术评估的多维度价值决策指标框架是以医保决策需求为出发点的应用工具，有明确的理论基础和方法学支持。

本研究出于对不同利益相关方的纳入和具体决策情境考虑，进一步提高了其应用价值，尤其是本研究在指标纳入的过程中加入了伦理层面的考虑。例如从公平正义的角度，要减轻最严重者的痛苦（疾病严重程度）、在特定社会或社区中给予处境最差的人最优先

表2 医保目录药品遴选多维度决策框架(初拟)

维度	准则	指标解释
疾病	疾病严重程度	接受该药品患者健康状况的严重程度，如死亡率、残疾率等
	疾病影响人群范围	在特定时间、特定人群中受该疾病影响的人数，如发病率或患病率
	未满足的需求	在预防、治疗或改善目标条件方面，能够克服现有治疗局限的程度
临床	有效性	对症状、体征及病程的改善作用
	安全性	该药品自身产生的危害
获益	患者报告结局	该药品对患者自身感觉健康程度和患者报告结局(如生活质量)产生正向影响
	公共卫生获益	该药品可以降低人群风险（如根除、减少疾病传播、减少风险因素的流行）
经济	治疗长远获益	该药品可以提供治疗获益的时间长度
	干预措施的成本	该药品的费用情况（不考虑其他费用）
	其他医疗成本	该药品对住院、专家会诊、不良事件费用及长期护理费等其他医疗成本的影响
证据维度	间接成本	该药品在社会服务、生产力损失等非医疗成本方面产生的影响
	证据质量	证据的质量评价（现有证据的相关性、真实性及不确定性）
情境维度	专家共识或临床指南	评价药品在专家共识或临床实践指南中的推荐情况
	优先重点人群	社会或决策者确定的优先重点人群
	临床使用管理	临床滥用的风险
	对技术创新的影响	对科学技术创新的推动程度
	对医保基金的影响	医保基金可负担情况
	对环境的影响	该药品对环境的危害程度

表3 第2轮参与咨询的专家基本情况

基本情况	人数(人)	构成比(%)
性别		
男	25	60.98
女	16	39.02
年龄		
30岁及以下	0	0
31~39岁	18	43.90
40~49岁	14	34.15
50~59岁	8	19.51
60岁及以上	1	2.44
工作年限		
10年及以下	6	14.63
11~19年	19	46.34
20~29年	9	21.95
30年及以上	7	17.07
职称		
中级及以下	10	24.39
副高级	16	39.02
正高级	15	36.59
文化程度		
本科	3	7.32
硕士研究生	9	21.95
博士研究生	29	70.73
专业领域		
行政管理	6	14.63
临床医生	10	24.39
临床药师	8	19.51
科研人员	15	36.59
企业职工	2	4.88
地区		
上海	22	53.66
北京	7	17.07
江苏	5	12.20
广东	5	12.20
浙江	1	2.44
山东	1	2.44

考虑(优先重点人群);从功利主义角度,要为尽可能多的个体减轻痛苦(受疾病影响人群的范围)、要考虑成本(经济维度);从道德角度,要消除而不仅仅是减轻痛苦(有效性、患者报告结局)、要避免造成患者伤害,确保其安全性等。

在可操作方面,本研究根据现有数据的可获得性,明确了具体的评估内容,同时还对评分规则进行了量化,例如在有效性指标方面,除了考虑患者健康获益的程度外,还考虑到患者获益时间的长度,同时评分规则也将“没有健康获益—治愈/完全缓解—临床终点”指标将作为主要的衡量标准。但由于评分的科

表4 第2轮专家咨询的意见集中程度

指标	重要性均数	支持率(%)	变异系数
疾病维度	4.68	97.56	0.11
疾病严重程度	4.61	95.12	0.13
疾病影响人群范围	4.66	92.68	0.13
临床维度	4.78	100.00	0.09
有效性	4.85	100.00	0.07
安全性	4.76	97.56	0.10
患者报告结局	4.24	90.24	0.15
经济维度	4.32	82.93	0.18
药品成本	4.46	92.68	0.14
其他成本	3.68	58.54	0.21
对医保基金的影响	4.46	90.24	0.15
创新维度	3.61	58.54	0.23
技术创新	3.54	48.78	0.21
未满足的需求	4.32	82.93	0.18
公平维度	4.10	78.05	0.21
公共卫生获益	4.24	80.49	0.20
优先重点人群	4.22	80.49	0.18
证据维度	4.39	92.68	0.16
专家共识或临床指南	4.44	92.68	0.14
证据质量	4.54	95.12	0.13

表5 医保目录药品遴选多维度决策指标权重

指标	权重	综合权重
疾病维度	0.22	
疾病严重程度	0.52	0.114
疾病影响人群范围	0.48	0.106
临床维度	0.24	
有效性	0.43	0.103
安全性	0.35	0.084
患者报告结局	0.22	0.053
经济维度	0.18	
药品成本	0.45	0.081
其他成本	0.23	0.041
对医保基金的影响	0.32	0.058
创新维度	0.11	
技术创新	0.40	0.044
未满足的需求	0.60	0.066
公平维度	0.11	
公共卫生获益	0.55	0.060
优先重点人群	0.45	0.050
证据维度	0.14	
专家共识或临床指南	0.49	0.069
证据质量	0.51	0.071

学量化较为复杂,叠加部分关键信息获取困难,本研究尚未对指标的评分规则进行细化与论证,这将在后续的研究中进一步拓展与补充。

3.2 决策框架应用注意事项

一是需要分析准则设定、评分测量和权重赋予各个阶段产生的不确定性。这需要通过不同的方法予以化解^[14]，如概率性敏感性分析可以用于参数的不确定性；情景分析可以用于模型结构的不确定性；亚组分析可以用于人群偏好的异质性。二是需要注意总体决策流程的合法性。由于医保药品目录调整涉及多个利益团体，鉴于国外经验，为使决策更具科学性，还需要公开、透明的决策过程^[15-16]。因此，要设置申诉和修正环节，保留挑战决策的机会以及最后执行方案选择后的原因解释^[17]。三是需要结合待评价药品进行框架的适应性调整。在医保药品目录准入决策支持方法尚未成熟的背景下，本研究提出的指标框架是方法学层面的一次探索，并未考虑药品的特殊情况，如多适应症、序贯治疗、中成药等。

3.3 决策框架应用的配套建议

一是建立广泛的专业工作网络支持多维度决策。行政部门、学会、协会等可以在传播多维度决策理念和方法学方面发挥优势，协助各医疗机构建立联系和举办网络活动，如建立多维度决策专委会、学术培训基地等。二是确保多个利益相关方参与决策的互动。建立机制，促进企业参与多维度价值评价活动，建议建立起完善的组织机构和严谨的工作制度，保障参与决策过程中不同相关方利益并规范其行为。三是加强真实世界数据的收集与利用。进一步改善医保药品多维度评价的数据利用基础，建立药品医保目录准入后的多维度评价机制，提高医保目录药品调整决策的及时性和动态性。

参 考 文 献

[1] GALLINI A, JUILLARD-CONAT B, SAUX M C, et al. Drug selection in French university hospitals: analysis of formularies for nine competitive pharmacological classes[J]. *Br j clin pharmacol*, 2011,72(5):823-831.

[2] TERKOLA R, ANTONANZAS F, POSTMA M. Stakeholder opinions on value in healthcare[J]. *European journal of hospital pharmacy*, 2019,26(2):79-84.

[3] RANG H P, DALE M, RITTER J M, et al. *Rang & Dale's pharmacology*[M]. UK.: Elsevier, 2011.

[4] JIMENEZ A, AIS A, BEAUDET A, et al. Determining the value contribution of selexipag for the treatment of pulmonary arterial hypertension (PAH) in Spain using reflective multi-criteria decision analysis (MCDA) [J]. *Orphanet journal of rare diseases*, 2018,13(1):1-11.

[5] 唐密, 杨燕, 胡善联, 等. 多维度决策分析应用于卫生决策的理论基础与进展[J]. *中国卫生资源*, 2020,23(4):326-331.

[6] GOETGHEBEUR M M, WAGNER M, KHOURY H, et al. Evidence and value: impact on decision making- the

EVIDEM framework and potential applications[J]. *BMC health services research*, 2008,8(1):270.

[7] BARAN-KOOIKER A, ATIKELER K, GAITOVA K, et al. Applicability of the EVIDEM multi-criteria decision analysis framework for orphan drugs Ñ results from a study in 7 Eurasian countries[J]. *Acta poloniae pharmaceutica - drug research*, 2019,76(3):581-598.

[8] BERWICK D M, NOLAN T W, WHITTINGTON J. The triple aim: care, health, and cost[J]. *Heal aff*, 2008,27(3):759-769.

[9] GOETGHEBEUR M M, WAGNER M, NIKODEM M, et al. Pragmatic multicriteria decision analysis (MCDA) combined with advanced pharmacoepidemiology for benefit-risk assessments of medicines adapted to the real-life constraints of regulators: development and case study[J]. *Therapeutic innovation & regulatory science*, 2016,50(5):620-631.

[10] GILABERT-PERRAMON A, TORRENT-FARNELL J, CATALAN A, et al. Drug evaluation and decision making in Catalonia: development and validation of a methodological framework based on multi-criteria decision analysis (MCDA) for orphan drugs[J]. *International journal of technology assessment in health care*, 2017,33(1):111-120.

[11] WAGNER M, KHOURY H, BENNETTS L, et al. Appraising the holistic value of Lenvatinib for radio-iodine refractory differentiated thyroid cancer: A multi-country study applying pragmatic MCDA[J]. *Bmc cancer*, 2017,17(1):1-12.

[12] GARAU M, HAMPSON G, DEVLIN N, et al. Applying a multicriteria decision analysis (mcda) approach to elicit stakeholders' preferences in Italy: the case of obinutuzumab for rituximab-refractory indolent non-hodgkin lymphoma (iNHL)[J]. *Pharmacoeconomics-open*, 2018,2(2):153-163.

[13] ZOZAYA N, MARTÍNEZ-GALDEANO L, ALCALÁ B, et al. Determining the Value of Two Biologic Drugs for Chronic Inflammatory Skin Diseases:Results of a Multi-Criteria Decision Analysis[J]. *Biodrugs*, 2018,32(3):281-291.

[14] 徐菲, 唐密, 胡善联, 等. 多维度决策分析应用于卫生决策的假设基础与基本操作[J]. *中国卫生资源*, 2020,23(4):332-336.

[15] DHALLA I, LAUPACIS A. Moving from opacity to transparency in pharmaceutical policy[J]. *Can med assoc j*, 2008,178(4):428-431.

[16] 耿劲松, 陈英耀, 吴博生, 等. 卫生技术评估应用于决策的方法探析[J]. *中国卫生资源*, 2014,17(4):262-264.

[17] DANIELS N, SABIN J. *Limits to health care: fair procedures, democratic deliberation, and the legitimacy problem for insurers*[M]. *Rights and Resources*. London: Routledge, 2018:350-398.

[收稿日期: 2023-08-19] (编辑: 高非)