

附件

药品临床综合评价管理指南

(2021年版试行)

前言

一、制定依据

根据《中华人民共和国基本医疗卫生与健康促进法》《中华人民共和国药品管理法》《“健康中国2030”规划纲要》《国务院办公厅关于完善国家基本药物制度的意见》（国办发〔2018〕88号），以及《关于进一步加强公立医疗机构基本药物配备使用管理的通知》（国卫药政发〔2019〕1号）、《关于开展药品使用监测和临床综合评价工作的通知》（国卫药政函〔2019〕80号）、《关于加强医疗机构药事管理促进合理用药的意见》（国卫医发〔2020〕2号）等法律法规和文件对药品临床综合评价工作的部署和要求，制定本指南。

二、制定过程

为加快建立健全统一、科学、实用的药品临床综合评价标准规范、实施路径和工作协调机制，统筹开展药品决策证据集成、科学分析和准确评价，指导和规范开展药品临床综合评价，国家卫生健康委药政司委托国家药物和卫生技术综合评估中心（挂靠国家卫生健康委卫生发展研究中心，以下简称评估中心）、国家卫生健康委药具管理中心（以下简称药具中心），联合国家心血管中心、国家癌症中心、国家儿童医学中心，以及相关医疗卫生机构等，组织临床医学、药学、管理学、循证医学、卫生经济学和卫生政策等领域专家共同制定本指南。自2018年9月启动指南编写工作以来，组织数百名相关学科专家召开了数十轮论证会，广泛听取了各省级卫生健康行政部门、部分医疗卫生机构、医药行业学（协）会和企业代表意见，同时结合部分省份实践经验，前后修改20余稿。于2020年11月公开征求社会意见，进一步修改完善，最终形成本指南。

三、起草思路

本指南主要围绕我国临床重大疾病防治基本用药需求，根据我国药品临床应用实践与药物供应保障政策现状，参考借鉴国际有益做法和经验，重点明确药品临床综合评价的目的原则、组织管理、规范流程、内容方法、质量控制、结果应用等内容，旨在引导和推动相关主体规范开展药品临床综合评价，持续推动药品临床综合评价工作标准化、规范化、科学化、同质化，更好地服务国家药物政策决策需求，助力提高药事服务质量，保障临床基本用药的供应与规范使用，控制不合理药品费用支出，更高质量满足人民群众用药需求。

四、主要内容

本指南包括4个章节。

第一章提出药品临床综合评价的目的、基本原则及本指南的适用范围。

第二章介绍评价流程、内容与维度。定义了包括主题遴选、评价实施和结果应用转化3个基本环节共5方面内容的药品临床综合评价工作流程。围绕技术评价与政策评价两条主线，提出了从安全性、有效性、经济性、创新性、适宜性、可及性6个维度开展科学规范的药品临床综合评价的管理要求。

第三章介绍证据评价与应用。明确了建立和完善国家药品临床综合评价基础信息平台的要求，充分利用真实世界数据，逐步形成全国药品临床综合评价模型、指标体系和标准化决策框架，加强数据信息安全。提出了评价质控与结果应用指导意见，围绕相关主体资质、组织流程合规性、方法学严谨性等开展重点质控工作，并提出了组织实施机构应按流程进行评价结果转化应用，持续跟踪药品应用情况，不断累积数据验证评价结果等要求。

第四章提出指南管理的要求。明确本指南与相关疾病别技术指南共同构成药品临床综合评价指南体系，提出本指南长期接受社会意见并定期修订完善。

五、特别说明

本指南基于我国当前情况下实施药品临床综合评价的认知水平和技术能力编制，供涉及药品临床综合评价研究和实施的相关主体参考使用。随着理论研究的深入、科技发展的进步和实践证据的积累，本指南将不断更新与完善。

第一章 概述

一、目的

药品临床综合评价以人民健康为中心，以药品临床价值为导向，利用真实世界数据和药品供应保障各环节信息开展药品实际应用综合分析，探索建立并逐步完善基于政策协同、信息共享，满足多主体参与、多维度分析需求的国家药品临床综合评价机制，为完善国家药物政策、保障临床基本用药供应与合理使用提供循证证据和专业性卫生技术评估支撑。

二、基本原则

（一）需求导向。聚焦新时代我国卫生健康事业治理决策需求和药品供应保障制度实施的主要问题，坚持正确价值引领与循证判断，重点优化临床基本用药动态管理机制，推动国家药物政策连贯协调。

（二）统筹协调。坚持总体谋划，多方参与，技术与管理协同的共建共治共享理念，充分发挥各方优势和信息化手段，探索建立中国特色的药品临床综合评价标准规范、路径流程和工作机制。

（三）科学规范。立足国情实际，突出药品疗效证据和药品供应保障政策评价，总结参考国际有益经验和成功实践，合理借鉴评价模式方法、

技术流程和工具，融合多学科专业知识体系，通过建立完善评价规则和技术标准与规范，有序指导药品临床综合评价工作的开展。

（四）公正透明。坚持利益相关主体共同参与，建立信息公开、数据共享的评价实施、质量控制和应用转化机制，防范潜在利益冲突，保障评价组织、管理、实施过程和结果公平公正，依法依规公开。

三、适用参考范围

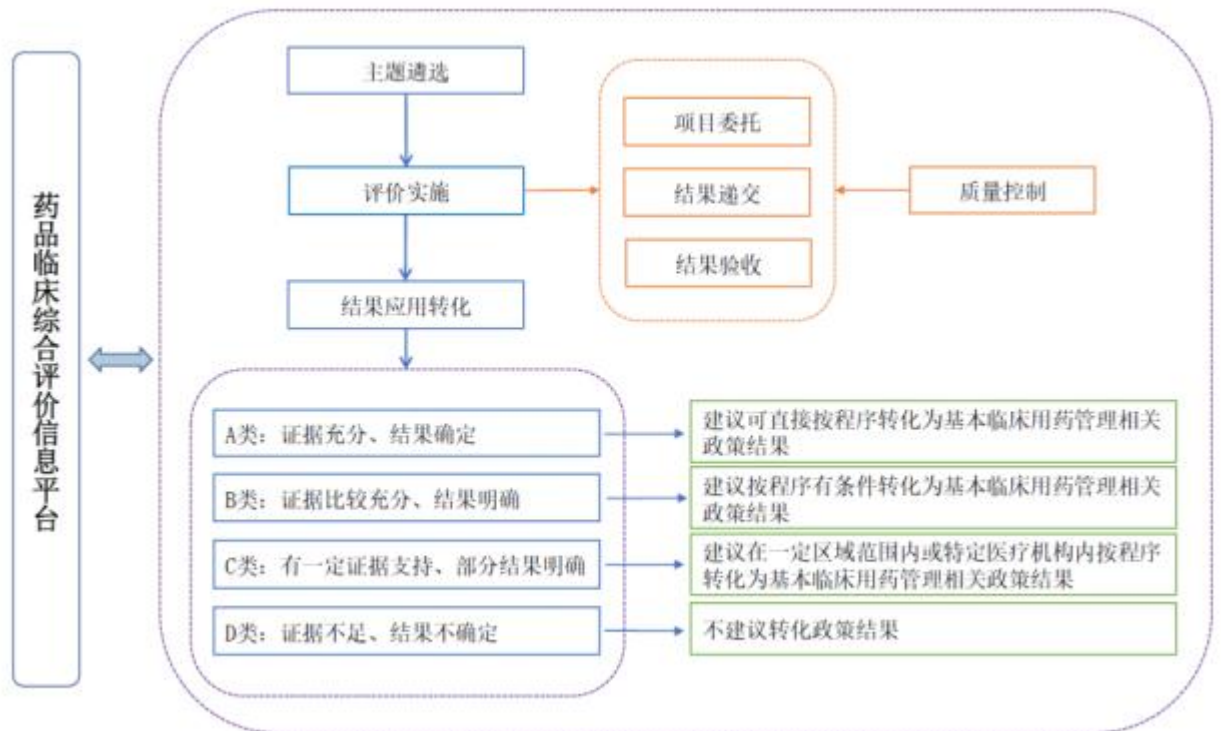
本指南主要用于国家和省级卫生健康部门基于遴选疾病防治基本用药、拟定重大疾病防治基本用药政策、加强药品供应管理等决策目的，组织开展的药品临床综合评价活动。同时，为医疗卫生机构、科研院所、大专院校、行业学（协）会等主体开展药品临床综合评价活动提供管理规范 and 流程指引。

第二章 评价流程、内容与维度

药品临床综合评价重点围绕药品使用与供应保障体系关键决策要素开展，聚焦临床实际用药问题及其涉及的药物政策决策问题，选择适宜的评估理论框架、方法和工具，收集分析药品使用与供应等相关环节数据及信息，综合评估药品临床使用和药物政策实际执行效果。

一、评价流程

药品临床综合评价的完整流程包括主题遴选、评价实施和结果应用转化三个基本环节，评价实施包括项目委托、质量控制、结果递交及验收（下图）。



评价流程简图

药品临床综合评价组织管理和技术实施机构应当协同加强工作统筹、信息沟通和技术交流，推动建立主题遴选、质量控制、专家咨询和结果转化等工作制度，因地制宜组织开展所承担评价的具体任务。充分发挥各级各类医疗卫生机构、科研院所、大专院校和行业学（协）会等专业优势，研制评估技术规范，加强业务培训，探索建立跨省份、多中心真实世界数据规范采集和平行技术评估机制。评价主题主要包括国家重大疾病防治基本用药、区域重要疾病防治基本用药和医疗卫生机构用药等，兼顾特殊用药等其他主题。国家重大疾病防治基本用药主题由药具中心联合评估中心进行遴选，区域重要疾病防治基本用药主题由省级卫生健康部门进行遴选。

鼓励国家医学中心、国家区域医疗中心和省级区域医疗中心及医疗卫生机构自主或牵头搭建工作团队，建立技术咨询和专题培训制度，组织开展药品临床综合评价工作。牵头单位依托评价协作网络，结合基础积累和技术特长，汇总疾病负担、基本用药需求、药品费用、分级诊疗服务体系影响等综合信息，并与国家、区域主题相衔接，确定主要选题及其相应参比对象，经参与医疗卫生机构同意后按程序启动评价主题立项及评价工作。

二、评价内容

药品临床综合评价是评价主体应用多种评价方法和工具开展的多维度、多层次证据的综合评判。评价主要聚焦药品临床使用实践中的重大技术问题和政策问题，围绕技术评价与政策评价两条主线，从安全性、有效性、经济性、创新性、适宜性、可及性 6 个维度开展科学规范的定性定量相结合的数据整合分析与综合研判，提出国家、区域和医疗卫生机构等疾病防治基本用药供应保障与使用的政策建议。

评价主体的主要工作内容包括：开展相关药品临床使用证据、药物政策信息收集和综合分析，组织实施技术评价、药物政策评估和撰写评价报告等。

三、评价维度

（一）安全性评价。

综合分析药品上市前后安全性信息结果。纳入评价信息包括：药物临床试验数据、药品说明书内容、不良反应、不良事件等信息，相对安全性（与同类产品比较），药品质量、药品疗效稳定性等信息。

（二）有效性评价。

通过定量分析，对拟评价药品及参比药品的临床效果进行人群测量，判断是否获得重要的健康收益。核心指标主要包括生存时长和生命质量两大类，生存时长相关指标包括生存率、疾病控制率以及其他能够反映疾病进展的可测量指标；生命质量相关指标包括健康相关生命质量和健康效用值，亦可进一步用质量调整生命年（QALY）进行评价。根据不同疾病或治疗领域可设定针对性的有效性评价核心指标。开展临床效果分析的数据应来源于所有当前可获得的质量最佳的相关研究证据和真实世界数据，必要时分析亚组患者效果数据，同时重视参比药品的选择及效果比较分析。

综合利用现有国家、区域或省级大型数据库等真实世界数据资源，规范开展基于真实世界数据研究的分析测量，利用规范严谨的方法，在可接受的不确定性范围内实现临床实际用药效果的测量及判断。

（三）经济性评价。

综合运用流行病与卫生统计学、决策学、经济学等多学科理论及方法，分析测算药品的成本、效果、效用和效益等。同时，强化增量分析及不确定性分析，必要时进行卫生相关预算影响分析，全面判断药品临床应用的经济价值及影响。根据药品决策的具体需求，可选择开展成本-效果分析（CEA）、成本-效用分析（CUA）、成本-效益分析（CBA）、最小成本分析（CMA）等，在条件允许的情况下优先推荐开展成本-效用分析。充分利用基于二手证据的系统评价结果及真实世界中的治疗模式构建分析模型，重视基于我国人群循证结果的经济性研究，选择最佳可获得数据作为模型参数。

（四）创新性评价。

通过分析判断药品与参比药品满足临床需求程度、鼓励国产原研创新等情况，进行药品的创新性评价。开展创新性评价，应当突出填补临床治疗空白，解决临床未满足的需求，满足患者急需诊疗需求和推动国内自主研发等创新价值判断。

（五）适宜性评价。

适宜性评价重点包括药品技术特点适宜性和药品使用适宜性。药品技术特点适宜性可从药品标签标注、药品说明书、储存条件等方面进行评价；药品使用适宜性主要包括适应证是否适宜、患者服药时间间隔是否恰当，用药疗程长短是否符合患者、疾病和药品药理特点，临床使用是否符合用药指南规范等。同时从分级诊疗等卫生健康服务体系的视角研判上下级医疗卫生机构药品衔接和患者福利及社会价值的影响。

（六）可及性评价。

参考 WHO/HAI 药物可及性标准化方法，主要涉及药品价格水平、可获得性和可负担性三个方面。药品价格水平可由国内药品采购价格与最近一年国际同类型药品价格比较获得，必要时应当了解医保报销情况以判断患者实际支付水平。可获得性可由医疗卫生机构药品配备使用情况或有无短缺情况等反映。可负担性可由人均年用药治疗费用占城乡家庭年可支配收入比重（%）体现。根据评价需要可从不同渠道获得相关支持信息，如药品生产、供应相关信息，医疗卫生机构药品使用数据，居民和患者代表意见等。

第三章 证据评价与应用

一、证据信息与安全保护

（一）基础信息平台。

评估中心充分利用已有国家、区域及省级数据库的数据资源，包括人口健康数据、卫生信息系统数据、采购流通等市场数据、国家及地方药品使用监测数据、临床诊疗服务规范指南数据，建立完善国家药品临床综合评价基础信息平台（以下简称信息平台）。信息平台建立完善数据共建共享共用机制，省级相关机构结合本地数据资源情况，与国家平台建立数据和工作协同机制。

信息平台覆盖主题遴选、评价研究设计、数据分析和评估、结果评价等全业务流程的重点环节，具备为数据交互管理等重点工作提供信息化支撑的功能。医疗卫生机构及第三方评估机构开展的自主选题评价项目，在自愿前提下鼓励其在信息平台进行成果交流发布，促进行业范围药品临床综合评价相关数据信息资源共享。

对于涉及跨省份、多中心真实世界数据采集的国家及省级药品临床综合评价项目，相关省级组织管理机构应根据采集规范和数据安全保密要求，研究制定统筹本辖区居民健康数据、医疗卫生机构诊疗相关数据的数据收集方案，为评价工作顺利开展提供数据信息支持。同时，加强网络信息安全及隐私保护事项。

（二）真实世界数据。

药品临床综合评价应充分利用真实世界数据。真实世界数据是来源于医疗机构及其他相关专业机构日常所产生的各种与患者健康状况和（或）诊疗及保健有关的数据。

当前我国药品临床应用相关的现有真实世界数据来源主要包括但不限于：医疗卫生机构信息系统、患者电子病历、个人健康档案、费用结算等卫生信息系统数据；出生死亡及疾病登记系统数据；药品不良反应监测数据；医学研究队列数据；社会药品服务机构数据以及患者自报或自评的健康相关数据。真实世界数据的获取，主要通过数据交换共享的方式实现。

使用真实世界数据开展药品临床综合评价前，应当对数据适用性进行充分评估，围绕真实世界证据可以回答的临床与卫生健康政策问题，进行科学的研究设计和严谨的组织实施，获取相关、可靠、适宜的真实世界数据，进行恰当、充分、准确的分析后，形成药品临床应用安全性、有效性、经济性等相关证据。

围绕基本用药决策需求，结合临床现实，规范、科学、合理地设计并实施临床研究，推动真实世界数据在临床综合评价中的使用并发挥其优势。参照药品审评真实世界研究相关实效性试验研究设计、观察性研究设计和其他非试验设计的推荐意见，定义疾病组别与药品特性密切相关的真实世界数据来源及分类标准，编制规范的药品临床综合评价数据集，定义采集范围、采集变量、采集方式等。充分依靠医院现有电子信息系统采集数据，确保数据采集的准确性、真实性和完整性。

鼓励医疗卫生机构等药品临床综合评价主体建立相关审查监督制度，对数据获取、数据质量、分析过程、结果阐释等关键环节进行质控评估，

强化科研伦理管理及患者隐私保护，尽量避免数据收集及分析偏倚，有效支持开展药品临床综合评价。

（三）数据方法模型。

根据药品技术评价和政策评价目标形成数据模块，充分发挥大数据、区块链等技术优势，确保数据在各个来源层面之间流转的标准化、完整性、可追溯性和一致性，对数据进行质量校验，为实现科学评价及决策分析提供数据与证据保障。依托评估中心、其他技术指导单位及重点医疗卫生机构，分类规范和标准化数据元，整合多来源、多类型、多中心的数据与证据，建设国家药品临床综合评价标准与方法，逐步形成全国药品临床综合评价模型、指标体系和标准化决策框架。

（四）数据信息安全。

坚持“谁主管谁负责、谁授权谁负责、谁使用谁负责”原则，加强评价过程中的数据收集、存储、使用、加工、传输、提供、公开等环节的安全管理。各评价任务承担机构应当建立健全相关信息网络安全管理制度、操作规程和技术规范，严格执行患者隐私保护和国家保密规定，构建可信的网络安全环境。任何单位和个人不得非法获取或泄露数据，未经国家及省级组织管理部门授权，不得擅自使用或发布国家及省级药品临床综合评价相关数据信息。各评价实施机构和人员对其组织实施评价工作任务范围内的数据、网络安全、个人信息保护和证据质量承担主体责任。

二、评价质控与结果应用

（一）质量控制。

质量控制重点包括但不限于相关主体资质、组织流程合规性、方法学严谨性、数据可靠性及报告质量的核查等。推动建立健全质量控制结果反馈机制和全行业药品评价证据共建共享共用机制，综合利用已有药品评价数据和政策信息，开展证据质量分级和校验。

充分发挥医疗卫生机构及其临床医师、药师等专业技术人员的质控主体作用。鼓励医疗卫生机构和符合要求的第三方评价机构等根据药品临床综合评价需求，对评价关键环节实施严谨、规范的质量控制，建立数据质量评估及结果质控机制。

（二）推动评价结果应用。

药品临床综合评价组织实施机构依照评价方案按流程对评价结果进行转化应用。

区域和医疗卫生机构药品临床综合评价结果主要用于：1. 医疗卫生机构药品采购与供应保障等；2. 推动医疗卫生机构用药目录遴选和上下级医疗卫生机构用药目录衔接，提高药学服务和安全合理用药水平；3. 控制不合理药品费用支出，提升卫生健康资源配置效率，优化药品使用结构；4. 为完善国家药物政策提供参考。

第三方评价机构药品临床综合评价结果可用于：1. 丰富行业药品临床综合评价的实践，扩大文献证据储备；2. 推动科研领域对于药品临床综合评价理论及方法的深入探索。

（三）评价结果优化完善。

药品临床综合评价实施机构应持续跟踪已完成评价药品的实际供应与应用情况，不断累积相关数据验证评价结果。长期用药持续跟踪时间根据疾病或病情而定，通常不少于1年。针对有调整需求的国家及省级药品临床综合评价结果，委托项目主要承担机构结合特定领域政策需要及国内外评估机构证据更新情况，适时开展证据优化和结果更新。

国家及省级药品临床综合评价的证据优化及结果更新，应当由有关部门及医疗卫生机构结合药品临床应用监测等相关评价研究数据，提出证据核查或更新的书面请示，经牵头组织机构委托开展咨询论证后，确定是否启动有关工作。

第四章 指南管理

本指南为开展药品临床综合评价管理工作的依据，在实际应用中需要与相关疾病别药品评价专业技术指南构成系统、完整的评价指南体系，共同使用。疾病别药品临床综合评价技术指南的制订，由评估中心联合药具中心及相关技术指导单位按程序共同组织编制，分工协作，分类别撰写，集体审定，在充分征求各相关利益方意见的基础上，经修改、完善后发布，并按程序定期更新。

本指南自发布之日起施行，长期接受社会意见与建议，并定期组织修订完善。