

中国药物经济学评价指南 2020 (征求意见稿)

2020年9月

目录

前言.....	4
引言.....	5
指南 1：研究问题.....	6
1.1 研究背景.....	6
1.2 研究目的与问题.....	6
1.3 研究角度.....	6
1.4 目标人群.....	6
1.5 干预措施及对照选择.....	7
指南 2：研究设计.....	7
2.1 研究设计类型.....	7
2.2 研究假定.....	7
2.3 样本大小.....	8
2.4 研究时限.....	8
指南 3：成本.....	8
3.1 成本的分类和确认.....	8
3.2 成本的测量.....	9
3.3 成本的估值.....	10
指南 4：贴现.....	10
指南 5：健康产出.....	11
5.1 疗效/效果.....	11
5.2 效用.....	12
5.3 效益.....	13
指南 6：评价方法.....	13
6.1 评价类型.....	13
6.2 增量分析.....	14
指南 7：模型分析.....	14
7.1 模型问题的描述.....	14
7.2 模型类型的选择.....	14
7.3 模型结构构建.....	15
7.4 模型参数来源.....	15

7.5 模型假设	16
7.6 模型验证	16
7.7 模型透明度	16
7.8 模型本土化与模型改编	17
指南 8：差异性和不确定性.....	17
8.1 差异性分析	17
8.2 不确定性分析的对象	17
8.3 不确定性分析的方法	18
8.4 不确定性分析的结果展示与解读	18
指南 9：公平性.....	19
指南 10：外推性.....	19
指南 11：预算影响分析.....	20
11.1 研究角度	20
11.2 目标人群	20
11.3 市场情境	21
11.4 研究时限	21
11.5 市场份额	21
11.6 成本	21
11.7 选择计算框架	21
11.8 不确定性和情境分析	22
11.9 验证	22
11.10 数据来源优先级	22
参考文献.....	24

前言

本标准是对《中国药物经济学评价指南（2011版）》的修订和更新

本标准由中国药学会归口

本标准起草单位：中国药学会药物经济学专业委员会

本标准主要起草人：

编写组

总 顾 问： 桑国卫 中国工程院院士，十一届全国人大常委会副委员长

组 长： 刘国恩 北京大学国家发展研究院长江学者特聘教授

副 组 长： 胡善联 复旦大学公共卫生学院教授

吴久鸿 中国人民解放军战略支援部队特色医学中心主任药师

吴 晶 天津大学药物科学与技术学院教授

董朝晖 中国劳动和社会保障科学研究院研究员

李洪超 中国药科大学国际医药商学院卫生经济学教研室主任

工作组（按姓氏笔画排序）

伍红艳 孙 鑫 李 洪 李明晖 李顺平 杨 莉 张田甜 陈英耀 岳晓萌

官海静 赵绯丽 胡 敏 贺小宁 隋宾艳 韩 晟 曾 渝 解纪攀

引言

药物经济学是研究如何使用有限的药物资源实现最大程度的健康效果改善的交叉学科，应用经济学的理论基础，系统、科学地比较分析医药技术之间的经济成本和健康产出，进而形成决策所需的优选方案，旨在提高医药资源配置的总体效率。

药物政策问题是现阶段中国医药卫生体制改革的重点主题。国家有关决策部门对此高度重视，并越来越明确药物经济学评价在基本卫生制度、全民医保制度、国家基本药物政策中的重要作用。2009年，国家公布的《中共中央国务院关于深化医药卫生体制改革的意见》提出，“建立科学合理的医药价格形成机制”，“对新药和专利药品逐步实行定价前药物经济性评价制度”。2016年，中共中央国务院出台“健康中国2030”发展规划，明确提出建立健全以应用为导向的成果评价和技术评估机制。与此同时，《“十三五”深化医药卫生体制改革规划》也强调将药物经济学评价作为药品价格谈判的重要依据。2017年，药物经济学评价证据被列为国家医保目录准入谈判的重要依据。2019年，国家医疗保障局发布了《2019年国家医保药品目录调整工作方案》，其中明确指出“对同类药品按照药物经济学原则进行比较，优先选择有充分证据证明其临床必需、安全有效、价格合理的品种”。展望未来，国家“十四五”发展规划即将进行，其中“健康中国2030”和深化国家医改是民生发展的核心内容，药物经济学的科学评价作用必将越发重要。

中国的药物经济学研究起步较晚，尚未系统性或强制性地应用于中国医药卫生决策过程。近年来，中国药物经济学研究队伍和能力不断壮大，总体呈现快速发展的良好趋势，但研究质量参差不齐，规范性差，总体水平亟待提高。根据发达国家经验，如果没有系统的研究和评估规范，不同药物经济学研究的结果标准和质量各异，影响药物经济学评价的可比性、科学性以及对医药卫生决策的参考意义。截至2019年已经有44个国家和地区制定出了适合本地区的药物经济学评价指南用于规范研究（ISPOR，2019）。因此，为了规范中国的药物经济学研究，更好促进其对医药卫生科学决策的指导，制定中国药物经济学评价指南至关重要。

药物经济学评价指南是应用药物经济学理论制定的对药物进行经济学评价应该遵循的一般框架和规范，是研究执行的方法学指南和研究质量评估的标准。希望本指南的使用，能够有利于中国药物经济学的学科发展，提高医药卫生资源的配置效率，促进中国医药卫生事业的发展。

指南 1：研究问题

1.1 研究背景

研究背景需提供的信息主要包括相关疾病的流行病学概况及其经济负担，主要干预措施(包括药物与非药物)及其疗效与安全性，国内外临床诊疗指南对治疗方案的推荐，全球范围内相关干预措施的药物经济学评价现状(基本结论和尚存的问题)，以及本研究的价值(必要性和重要性)等。

1.2 研究目的与问题

研究者应当明确提出药物经济学评价的主要研究目的和待证明的问题，问题应当以可回答、可检验的方式提出。

1.3 研究角度

1.3.1 研究者应根据研究目的和报告对象明确研究角度，主要包括以下几类研究角度：全社会角度、卫生体系角度、医疗保障支付方角度、医疗机构角度以及患者角度等。

1.3.2 推荐采用全社会角度和卫生体系角度进行评价，但研究者可根据研究目的选择合适的研究角度。所有应用于公共决策的药物经济学评价都应该提供全社会角度的评价结果。

1.3.3 在一项药物经济学评价中，可以分别基于多种角度开展评价，但在基于每一种角度的评价中都应当自始至终坚持研究角度的一致性。

1.4 目标人群

1.4.1 研究需要明确经济学评价的目标人群及其纳入标准与排除标准。通常，经济学评价的目标人群与药物的适用人群一致。应当采用流行病学特征描述目标人群的患者类型，如年龄、性别、疾病类型与严重程度、有无其他合并症或危险因素、社会经济特征等。

1.4.2 经济学评价通常在整体目标人群水平上进行，也可以根据需要在亚组水平上进行。亚组分析可以按人群特征、疾病亚型、严重程度以及有无合并症等分组进行。

1.4.3 干预措施临床试验的严格限制条件可能使临床试验人群与真实世界用药人群存在差异。当临床试验人群与真实世界用药人群有差异时，研究应进一步探索不同人群的差

异对研究结果造成的影响。

1.5 干预措施及对照选择

1.5.1 干预措施和对照的描述应该包括剂型、规格、用法用量、治疗方式、合并用药和治疗背景等信息。对照的选择建议尽可能采用适应症相同的标准治疗方案。如果没有标准治疗方案，可以考虑临床上的常规治疗方案。如果某些疾病目前仍然无有效医疗措施或不建议干预（如前列腺癌的观察等待法“Watchful Waiting”），药物经济学评价可以与无干预措施进行比较，但须说明该疾病无医疗干预的临床合理性。

1.5.2 如果新药属于现存的治疗药物分类，原则上选择同一治疗分类中的标准治疗或最常用的药物作为对照；如果药物属于一个新的治疗药物分类，且适应症与其他药物相同，则选择适应症最相近的药物作为对照；如果研究目的是将某种新干预措施纳入医保目录或医院目录，则需考虑目录中已有的替代药品作为对照。根据上述情况仍无法选择合适对照的罕见病治疗药物，可考虑使用真实世界的现行治疗方案作为对照。

1.5.3 如果所评价的新干预措施属于中药或中成药（非辅助治疗），在选择对照进行药物经济学评价时建议纳入与其适应症相同或相近的西药进行对比，同时也可考虑功能主治相同的中药品种。

指南 2： 研究设计

2.1 研究设计类型

2.1.1 药物经济学评价按照是否采用模型进行模拟可分为基于模型的研究和基于个体水平数据的研究两大类。

2.1.2 在基于个体水平数据的研究中，根据数据收集时间和方式的不同可分为前瞻性研究和回顾性研究；在前瞻性研究中，根据有无干预因素可分为试验性研究和观察性研究；其中，试验性研究又包括围绕随机对照临床试验的平行研究和实效性临床试验研究。

2.2 研究假定

对于研究设计或模型估计中所作的关键假定，应充分说明其依据和合理性。

2.3 样本大小

2.3.1 在围绕随机对照试验的平行研究中，研究者应当尽可能根据药物经济学评价的需求对临床试验的样本量进行调整；在实效性临床试验和前瞻性观察研究中，由于研究者需自行收集数据，并且收集数据的边际成本普遍较高，因此需要根据相关参数在真实环境下的分布情况考虑最小样本量的要求；在回顾性研究中，数据来源通常为医院电子病历或医疗保险数据库等大样本数据库，其收集数据的边际成本较低，且可以收集到的样本量通常远大于研究的最小样本量要求，因此通常不需要考虑最小样本量的要求；在模型研究中，所模拟的患者数量是模型假设的，因此不需要计算样本量。

2.3.2 一般来说，根据主要研究问题，药物经济学评价的样本量应大于随机对照临床试验要求的最小样本量。在相关参数可获得的情况下，推荐研究者采用药物经济学试验样本公式估算样本量（Backhouse, 2002；金丕焕, 1993）；当估算公式中的各个参数难以获得时，每组患者样本量不得低于按临床试验或队列研究中主要研究指标的样本量估计公式计算的样本量。

2.4 研究时限

2.4.1 在药物经济学评价中，研究者应清楚地说明所选择的研究时限并说明其合理性。

2.4.2 研究时限需要合理地反映疾病的自然进程，时间范围应足够长以获得干预方案对患者成本和健康产出的全部影响；为了保证分析的一致性，成本和效果数据的收集应该采用相同的研究时限。

2.4.3 在模型研究中，当对干预方案的成本和效果数据进行长期模拟时，除了应列出模型的长期模拟时间、依据及模拟结果外，还应列出原始数据的短期研究时限的结果。

指南 3：成本

3.1 成本的分类和确认

3.1.1 药物经济学评价中的成本包括直接成本、间接成本和隐性成本，其中直接成本中又包括直接医疗成本和直接非医疗成本。

3.1.2 成本确认的范围应与所选定的研究角度一致。全社会角度下应纳入所有直接医疗

成本、直接非医疗成本和间接成本；卫生体系角度下应纳入卫生系统内的所有直接医疗成本；医疗保障支付方角度下应纳入医保支付范围内的所有直接医疗成本；医疗机构角度下，应纳入在本医疗机构承担的直接医疗成本和非医疗成本（如果有的话）；患者角度下，应纳入患者相关的所有直接医疗成本、直接非医疗成本和间接成本。对于隐性成本，研究者可以灵活处理，可以将其放在成本端或者健康产出端，但要避免重复计算；当隐性成本显著较大时，需要对其进行专门评估。

3.1.3 成本确认的范围应与所确定的研究时限一致，应纳入研究时限内与实施干预措施相关的所有当前的和未来的成本。若因实施干预措施而延长了患者生命，则应将生命延长期间产生的与目标疾病以及此项干预措施有关的成本纳入分析，应排除与目标疾病或干预措施无关的成本。

3.1.4 如果所研究的医疗干预措施中发生了药品不良反应（Adverse Drug Reactions, ADRs），应当确认因处理不良反应而消耗的成本，尤其需要关注严重不良反应（如 WHO 不良反应分级标准中的 3-4 级 ADR）的影响。与 ADRs 相关的成本主要有两类（李易平等，2009）：（1）为避免或监测 ADRs 发生而产生的成本；（2）ADRs 发生后进行医疗干预而产生的成本。

3.1.5 在基于临床试验收集数据的药物经济学评价中，应当识别并排除为了进行临床试验而发生但在实际临床治疗中不会发生的“试验引致成本”项目。如某些成本项目难以确定在实际临床治疗中是否会发生，可以参考同类非基于临床试验的药物经济学评价中的成本构成进行敏感性分析。

3.2 成本的测量

3.2.1 成本测量时应首先列出与实施干预措施相关的资源项目，明确评价项目的计量单位，再根据该计量单位测算消耗的资源数量。计量单位主要包括三类：第一，卫生资源消耗的自然单位；第二，根据国家相关部门制定的项目标准；第三，根据研究需要所界定的计量单位。

3.2.2 成本的计量单位可以是比较宏观的，如一年就诊、一次住院、一次门诊等单位；也可以是比较微观的，如一片药品、一次注射、一次护理等。在数据可得的情况下，应尽可能使用微观的计量单位。其好处是，一方面可以详细地考察成本数据的构成及其合理性；另一方面，即使在不同地区采用了不同的治疗方案并且价格有所差异，如果采用

微观计量单位，也可以通过数据调整，使得不同地区的成本数据具有可比性。

3.2.3 在进行成本测量时应优先推荐使用基于中国人群的基础数据。若无法获得基于中国的基础数据，则应对来自国外的数据进行校正，使其适用于中国。

3.3 成本的估值

3.3.1 成本估值时将医疗资源使用量乘以单价，予以加和，得到总成本。

3.3.2 根据成本项目的计量单位，获取相应计量单位的费用或价格。如果采用较为宏观的计量单位，则有次均住院费用、日均住院费用等；如采用微观的计量单位，则有每种医疗服务和药品的明细价格。

3.3.3 医疗资源的单价建议使用官方或权威机构发布的最新价格信息，例如省级招标采购的中标价、国家谈判价等。如果某一医疗资源项目在市场上存在多个价格，在市场份额分布已知时，可以采用市场份额加权的平均价格；在市场份额不可获得时，可以采用所有已知价格的中位数。对药品而言，同一通用名相同剂型不同规格药品的价格可以采用限定日剂量（Defined Daily Dose, DDD）进行校正，获得多个来源的单价，再进行加权或中位价格的计算；不同剂型的药品如果治疗目标和疗效相当，也可以通过以上方式进行价格转换，然后再计算平均价格。如果药品尚未上市，建议采用生产厂商建议价格进行分析。研究者如未使用上述推荐的价格体系，应该明确注明并解释所使用的其它价格体系的合理性。

3.3.4 对于因疾病治疗所付出的间接成本，建议采用人力资本法（Human Capital Approach, HCA）进行计算（Liljas, 1998），即假定所有损失的时间用于生产，用劳动力市场平均工资水平去估算因疾病或过早死亡带来的劳动力损失。

指南 4：贴现

当研究时限为 1 年以上时，研究应该对发生在未来的成本和健康产出进行贴现（Discounting），将其折算成同一时点的价值当量。

贴现时建议对成本与健康产出采用相同的贴现率（Discount Rate）（Smith et al., 2001）。建议采用每年 5% 的贴现率进行分析，同时在 0%~8% 之间对贴现率进行敏感性分析（刘

国恩等，2015；谢烛光等，2019)。若采用其他贴现率，应给出合理解释。

指南 5：健康产出

在药物经济学评价中，通常将临床产出（临床指标的变化）和人文产出（体现为患者主观感受的变化，主要指健康相关生命质量）归为健康产出的范畴。健康产出的三类测量指标包括疗效/效果、效用和效益。

5.1 疗效/效果

5.1.1 药物经济学评价中的效果指标应该选择可获得的最佳证据，即从临床疗效或实际效果指标中选优。对于新药，当随机对照临床试验（Randomized Controlled Trial, RCT）的疗效数据可获得并适用时，优先选择临床疗效数据；对于已上市多年的药品，当无法获得更新的临床疗效数据或数据不适用时，建议考虑使用真实世界研究中的实际效果数据。

5.1.2 推荐优先从循证医学临床证据等级较高的 RCT 系统评价或荟萃分析中获取临床疗效数据；以上数据不可得时，可以考虑使用单个临床试验的数据。同时也需要考虑文献中人群特征与所研究人群特征的匹配性。

5.1.3 对于临床疗效数据的选择，推荐优先考虑基于中国人群开展的 RCT 数据或含有中国人群的国际多中心 RCT 数据。如选择含有中国人群的国际多中心 RCT 数据，应尽可能地对亚组人群的特征进行描述和分析；当无法获得含有中国人群的 RCT 数据时，可以使用基于其他国家或地区人群的 RCT 数据，但需要清晰地解释使用这些数据的合理性，强调人群之间潜在的差异，并需要对关键参数进行敏感性分析。

5.1.4 推荐优先选择干预组与对照组头对头直接比较的 RCT 临床疗效数据。当缺少直接比较时，应尽量选择间接比较或网状荟萃分析数据，以进行各干预措施人群效果的间接比较。

5.1.5 推荐优先采用终点指标进行药物经济学评价。当缺少终点指标时，也可以采用比较关键的中间指标进行分析，但通常需要基于已发表研究对中间指标和终点指标之间的函数关系构建模型来预测终点指标。

5.2 效用

5.2.1 推荐使用质量调整生命年（Quality-Adjusted Life Years, QALYs）作为效用指标，且在报告 QALYs 之前，应当先分别报告生存时间和健康效用值。

5.2.2 健康效用值的测量方法包括直接测量法与间接测量法，优先推荐使用间接测量法。当没有适用的间接测量工具来获得某些疾病或症状的健康效用值时，可以使用直接测量法。间接测量法中常用的健康效用量表包括五维健康量表（EQ-5D）和六维健康调查简表（Short-Form Six-Dimensions, SF-6D）等；对于儿童建议使用针对儿童的健康效用量表（如 EQ-5D-Y）。常用的直接测量法包括标准博弈法、时间权衡法和离散选择实验法等（Kopeck et al., 2003; Peter et al., 2017）。

5.2.3 采用间接测量法测量健康效用值时，如果有证据表明普适性效用量表对目标疾病有较好的信度和效度，优先推荐使用普适性效用量表，如 3 水平五维健康量表（EQ-5D-3L）、5 水平五维健康量表（EQ-5D-5L）和 SF-6D 等。当有证据表明普适性效用量表不足以反映某一患病人群重要特征或疾病症状时，可以使用疾病特异性效用量表。

5.2.4 在采用间接测量法时，推荐直接通过患者本人测量其健康相关生命质量。当无法通过患者本人测量时，应先考虑通过询问患者的正式照料者或非正式照料者进行测量，再考虑询问医护人员进行测量。

5.2.5 推荐使用基于一般人群偏好建立的健康效用积分体系进行效用值的计算。当使用的健康效用积分体系是基于患者偏好而获得时，需要在研究中说明其合理性及阐明对评价结果可能产生的影响。

5.2.6 推荐优先选择基于中国人群建立的健康效用积分体系进行效用值的计算。当没有基于中国人群的健康效用积分体系时，可以采用基于社会文化背景相近的其他国家或地区人群建立的健康效用积分体系，或国际上普遍认可并广泛应用的健康效用积分体系，但需要阐明其适用性，并进行敏感性分析。

5.2.7 健康效用值只能通过直接测量法或健康效用量表测量得到，通过非效用量表测量得到的分值不能直接作为健康效用值使用。若非效用量表存在通过映射法（Mapping）建立的效用得分转换公式，则可以通过公式将非效用量表的得分结果转换为效用量表的效用值。

5.2.8 当无法通过测量获得健康效用值时，可以通过系统文献检索，从已发表研究中获取健康效用值。但在使用时需要进行敏感性分析，比较不同研究发表或不同量表测量的同一疾病或状态的健康效用值可能给研究结果带来的影响。

5.2.9 如果疾病或者干预措施对照料者有较大影响，可以考虑其对照料者的健康相关生命质量的影响并测量其健康效用值。

5.3 效益

5.3.1 效益是指用货币单位来量化健康产出。疾病治疗方案的效益包括直接效益、间接效益和无形效益三个部分。直接效益是指实行某项干预措施后所节省的卫生资源；间接效益是指实行某项干预措施后所增加的患者的健康时间或劳动生产力恢复带来的收益；无形效益是指实行某项干预措施后减轻或者避免患者身体和精神上的痛苦，以及康复后带来的舒适和愉快等。

5.3.2 直接效益计量的是因实施干预措施而发生实际货币交换的收益。在测量直接效益时要特别防止双重计算，即避免将所改变的卫生资源同时计入成本和健康产出变量当中。

5.3.3 间接效益和无形效益计量的是没有直接发生实际货币交换的收益，通常需要采用人力资本法或意愿支付法等方法进行测算。推荐优先使用人力资本法计算间接效益。在采用意愿支付法时，要特别说明研究中的假设、提问方式、测量效益的范围和问题的语言表达等，并需要在报告或文章中附上货币价值的推导过程。

指南 6：评价方法

6.1 评价类型

6.1.1 研究者应当根据研究中疾病和干预措施的特点、数据的可获得性以及评价的目的与要求选择适当的评价方法。在条件许可时，建议优先考虑采用成本-效用分析（Cost-Utility Analysis, CUA）；也可以采用成本-效果分析（Cost-Effectiveness Analysis, CEA）、最小成本分析（Cost Minimization Analysis, CMA）或成本-效益分析（Cost-Benefit Analysis, CBA）等，但应当说明其理由。

6.1.2 研究者可同时采用两种或两种以上的方法进行评价，或者以一种方法为主联合其

他方法进行评价，并比较和分析各种方法评价结果之间的差异。

6.1.3 除了报告 CUA、CEA、CMA 或 CBA 的主要结果之外，研究者还应当对分析中或模型中没有系统纳入的其他各相关方面的影响进行描述，以更为全面和透明地反映全部重要信息。

6.2 增量分析

6.2.1 药物经济学评价中，CUA 和 CEA 的基本决策原则是按照增量分析结果进行决策。

6.2.2 增量分析是在干预方案与对照方案之间进行的成本和产出两个维度的比较。如果干预方案相比对照方案成本更低而产出更高，则干预方案为绝对优势方案；相反，如果干预方案相比对照方案成本更高而产出更低，则干预方案为绝对劣势方案；如果干预方案相比对照方案成本更高而产出也更高，需要计算两方案之间的增量成本-效果比（Incremental Cost-Effectiveness Ratio, ICER），即两组成本之差和效果之差的比值。如果 ICER 小于等于阈值，则干预方案相对于对照方案更加经济；如果 ICER 大于阈值，则对照方案相对于干预方案更加经济。

6.2.3 在增量分析中，对于 QALYs 的意愿支付阈值建议采用全国人均 GDP 的 1-3 倍。

指南 7：模型分析

7.1 模型问题的描述

对决策问题的描述是模型构建和分析的起点。模型中关于决策问题的描述应当清晰全面，模型构建必须反映当前医疗实践，以确保模型具有较好的外部效度。建议明确列出相关疾病、模型目的、目标人群、干预措施、研究角度、模拟范围、健康及其他产出以及研究时限等信息。

7.2 模型类型的选择

7.2.1 一项药物经济学评价中可能采用不同类型模型进行分析。模型的选择应当主要考虑相关决策问题的特点，研究者需要说明模型类型选择的具体理由。

7.2.2 研究者选择模型类型之前，首先需要了解相关疾病的临床特点，如疾病的发病与

患病特点、疾病自然转归特点、临床治疗路径特点等；其次，需要考虑研究数据的可获得性，根据不同类型模型对数据的要求进行选择。

7.3 模型结构构建

7.3.1 模型结构的构建应主要以疾病转归特点以及干预措施对疾病转归过程的影响为依据。研究者可以参考文献中已有的同类疾病模型为基础进行模型构建，并根据当前医疗系统、干预措施的特点等信息对结构进行修改和优化，并对其中的不同之处提供理由。

7.3.2 模型结构应当适度简化，研究者应当将不同干预方案之间对患者健康和成本影响有显著差异的事件包含进模型结构。模型结构不应取决于可获得的数据，但在模型结构初步建立后可以根据具体的数据可获得性情况进行适当调整。

7.3.3 对模型结构的说明应表达清晰，建议用模型结构图进行展示。研究者应当对模型结构进行验证，说明验证的过程和结果。

7.3.4 马尔科夫模型中，研究时限应当足够长，以反映干预措施对患者成本和健康产生的全面影响；模型周期应当足够短，以更加精确的模拟相关事件的发生频率。

7.3.5 马尔科夫模型建议进行半循环校正，尤其对于循环周期较长和周期数较少的模型。

7.4 模型参数来源

7.4.1 研究者应当系统地识别、收集和评价模型中使用的数据，详细说明模型中所有参数的来源和选择依据。

7.4.2 当模型参数有多个不同来源时，应当综合考虑参数的质量等级、数据来源的人群特征、数据收集的国家或地区、数据收集的医疗环境、数据收集时间等因素进行综合权衡，数据来源特征尽量与模型模拟环境一致。必要时，建议咨询临床专家，并进行敏感性分析或差异性分析。

7.4.3 在模型中各干预措施之间，临床参数来源尽可能保持可比。首选各干预措施之间直接比较的临床试验结果作为参数来源；当没有直接比较的临床试验时，优先选择各干预措施有相同对照的间接荟萃分析或网状荟萃分析作为参数来源；当各干预措施没有相同对照的临床试验存在时，需要对各数据来源研究中患者基线人口经济学特征、疾病特征、治疗环境、治疗周期、研究设计类型等特征进行详细比较，只有这些特征都比较接

近时才适合使用。

7.5 模型假设

7.5.1 研究者应对模型中的各种因果关系、使用的外推技术、模型范围、结构及数据等方面的假设进行解释和说明。对于重要的假设，应当进行不确定性分析。

7.5.2 数据的外推应当建立在能够反映科学合理证据的有效的技术基础之上，并通过敏感性分析检验。

7.5.3 建议研究者在报告中明确列出模型中所包含的所有重要研究假设。

7.6 模型验证

7.6.1 研究者应当对所构建的药物经济学评价模型进行验证，包括表面效度、内部效度、交叉效度、外部效度和预测效度等。

7.6.2 所有模型都应对表面效度、内部效度和外部效度进行验证。表面效度验证包括对模型模拟的具体问题、结构、参数和结果进行专家意见的验证。通过内部效度验证，以确保每一个参数的来源、参数估计方法和参数设定正确、合理，每一个公式或程序代码编写完整、正确、合理。在外部效度验证中，研究者应当尽可能选择最合适的数据来源进行外部效度验证，并说明所选择数据的理由。

7.6.3 建议研究者建立模型之后进行相似模型文献的检索和比较，在条件允许的情况下进行交叉效度检验。

7.6.4 如果研究者可以在不久的将来得到相关患者长期观察的结果，可以进行模型预测效度检验。

7.6.5 模型验证的具体方法、过程、结果、验证不理想的原因解释、依据验证结果对模型进行的调整等信息都应该清楚记录，建议包含在基于模型的药物经济学评价报告中。

7.7 模型透明度

7.7.1 模型应当具有足够的透明度，从而使得研究报告的读者、评审专家和卫生决策者可以判断该模型结果是否可信，并根据实际面临的决策环境来判断该模型研究结果是否适用于当前的决策。

7.7.2 建议研究者尽量采用较为常用和简单的软件进行模型构建和分析，如 TreeAge Pro 或者 MS Excel。

7.7.3 除非必要，尽量降低技术层面的复杂程度，并且尽量减少不可见或不可编辑的变量、公式或程序代码，易于读者和证据使用者理解。

7.7.4 提高模型透明度的方法主要包括两个方面：一方面，研究者应当尽量详细表述模型中模拟的问题、模型结构、模型假设、参数来源和估计方法、分析方法、分析结果等，提高模型的透明度；另一方面，每一个模型都需要建立一个独立的模型说明文件。

7.8 模型本土化与模型改编

7.8.1 在进行模型本土化和改编之前，研究者首先需要对原模型的有效性进行判断。如果原模型没有经过验证，研究者至少需要邀请专家对模型的表面效度进行初步验证，只有具有表面效度的模型才可以进行本土化或者改编。

7.8.2 为了进行模型本土化和模型改编，研究者应尽可能获得原模型的完整的模型文件以及模型说明文件。

7.8.3 研究者需要根据研究中的具体问题、系统的文献检索以及本地区的药物经济学评价指南对以下方面进行本土化或者改编，包括：模型研究角度、本地区可获得的治疗方案、患者特征、成本数据、临床治疗指南和临床诊疗习惯、流行病学数据、健康效用值、临床效果与安全性数据、贴现率和 QALYs 阈值等。

指南 8：差异性和不确定性

8.1 差异性分析

差异性是指已经明确的可能影响评价结果的与治疗背景差异相关的参数差异，无法完全消除。产生差异性的原因可能是地区和背景的不同（如治疗方案的差异、就医方式的差异、支付方式的差异等）或者患者异质性。

8.2 不确定性分析的对象

8.2.1 研究者应当对药物经济学评价过程中的各种来源的不确定性进行全面分析，包括

方法学不确定性、参数不确定性及模型不确定性等。

8.2.2 理论上来说，药物经济学评价中的所有参数和假设都应当列入敏感性分析变量的备选名单。

8.3 不确定性分析的方法

8.3.1 方法学及模型不确定性多采用情境分析。研究者应当明确定义不同情境下的分析方法和研究假设，并对不同情境分析的结果之间差异进行合理解释。

8.3.2 参数的不确定性可以采用单因素、多因素、极值分析法等确定型敏感性分析，也可以采用蒙特卡洛模拟进行概率敏感性分析。药物经济学评价中应该同时报告确定型敏感性分析和概率敏感性分析结果。

8.3.3 在确定型敏感性分析中，通常都需要进行单因素敏感性分析。

8.3.4 在确定型敏感性分析中，参数取值变化范围的设定需要有充分的依据。常见的依据来自于文献中报告的参数估计值的 95%置信区间、最大值和最小值或者各同类研究中参数估计的高值和低值。在没有任何其他参考依据的情况下，才可以主观设定，并应说明其局限性和改进的建议。

8.3.5 在概率敏感性分析中，当文献中只能获得某参数的点估计值而没有其分布或取值范围信息时，建议参考其他文献中相同相似性质参数的变化范围。

8.3.6 概率敏感性分析中，应纳入尽量多的参数，每个参数的概率分布形式、分布参数和蒙特卡洛迭代的次数都应该予以说明并说明其合理性。

8.3.7 在伴随临床试验开展的药物经济学评价或者观察性研究中，可以获得患者水平数据，此时可以通过非参数自助抽样法进行抽样不确定性分析。

8.4 不确定性分析的结果展示与解读

8.4.1 有多个不确定性因素存在时，单因素敏感性分析的结果可以采用旋风图来表示，以明确展示出各不确定性因素对结果影响的大小。需要注意对旋风图的坐标轴产出指标、分析变量、最优方案变化等信息进行必要的说明。

8.4.2 建议使用成本效果可接受曲线或成本效果平面散点图来表现药物经济学评价模型概率敏感性分析的结果。

8.4.3 在采用 95%置信区间表现 ICER 估计值的不确定性时，需要注意 ICER 的非连续分布的问题。

8.4.4 在进行敏感性分析结果解读时，需要注意与基础分析结果结合起来。敏感性分析结果与基础分析结果具有同等重要性，研究者应避免主要依据基础分析结果得出结论的做法。

指南 9：公平性

在条件允许时，应对基础分析中评价结果的公平性问题进行检验。在药物经济学范畴内，公平性是指一项干预活动影响到的所有生命、生命年（LYs）或质量调整生命年（QALYs）的价值都（假设）是相等的，而不管目标群体个人的年龄、性别或社会状态等（Lakdawalla et al., 2018; Round et al., 2018）。

处理公平性的方法有两种。第一种是，进行敏感性分析，说明公平性假设对结果的影响（Woodley et al., 2015）。第二种是，在预先设定的因素基础上，通过亚组分析，确定主要的受益亚组和劣势亚组的公平性相关特征，如年龄、性别、种族、地区、社会经济地位或健康状况等群体特征（Sun et al., 2010）。当不同亚组获益程度不同，且可以选择性地对不同亚组进行干预时，则应当报告每个亚组的成本-效果信息。

指南 10：外推性

在药物经济学评价中，外推性是指“能否将一种环境或群体中的结果应用于或外推至另外一种环境或群体（Willke, 2003）”，是在解释和推广研究结果时必须要考虑的问题。当研究中使用其他医疗环境（包括其他国家、地区或医疗服务体系）下获得的数据时，研究者应根据当前研究的医疗环境验证其适用性；如果需要根据当前医疗环境调整数据，则应描述所使用的方法，并说明其适用性。

10.1 流行病学数据常常都会带有一定的地域影响，当只能获得非全国性的流行病学数据时，研究者在使用前应评价该数据应用于当前研究中是否存在偏差；如果存在偏差，研究者还应对其进行可能的量化评价。

10.2 临床数据的适用性是研究者在应用或外推研究结果时应重点考虑的问题,研究者应当明确干预措施的疗效和效果之间的区别,尤其是在利用来自于III期临床试验的疗效数据进行药物经济学评价时。在使用跨国多中心研究的数据开展药物经济学评价时,应首先考虑是使用多个国家的整合数据,还是使用最适合决策者所处情况的某个区域或国家的数据。

10.3 在应用从某个国家或地区获得的干预措施成本数据时,研究者需要注意不同国家或地区之间成本数据的差异性,包括医疗资源使用模式、单位成本、经济因素及其他因素存在的地域或医疗背景差异。

10.4 医疗机构或相关部门的区域差异与级别(三级、二级、一级)对其数据的外推性会产生一定的影响。不同国家、地区或医疗机构的医疗价格和医疗行为会存在较大的差异(包括个体医务人员和整体医疗机构),这会对研究的外推性产生影响。

指南 11: 预算影响分析

11.1 研究角度

预算影响分析的研究角度通常为预算持有者角度。可以根据决策需要将角度界定在全国到地方的不同层次的医保支付方、商业保险机构、某地区某类型的某一家医疗机构等。不同的研究角度选择将会影响成本测算的范围。在预算持有者角度分析的基础上,研究者也可以再报告其他更广的研究角度的分析结果。进行预算影响分析研究设计时应首先考虑与资金预算和支付决策有关的医药卫生系统特征,以保证研究内容与结果符合决策实践的要求。

11.2 目标人群

预算影响分析需要明确界定目标人群。目标人群数量的计算应该根据纳入标准和排除标准,以及其它适用的患者特征,基于相应的流行病学数据,逐步估算出来。目标人群的规模估计需要考虑该系统当中具体的患者准入条件来精确计算,例如根据医保政策的相关规定,符合相应报销条件的患者才能获得报销,从而影响医保基金支出。

11.3 市场情境

预算影响分析应至少分析两种市场情境，分别为“未准入情境”和“准入情境”。两种情境均应考虑到预期的市场变化，包括其他干预措施的上市、同类药品的撤市以及可能的替代治疗方式等。

11.4 研究时限

预算影响分析的预测时间一般在3-5年之间。研究结果需要根据预算周期逐年汇报，如果必要也可汇报时限内的总影响。此外，预算影响分析中计算未来成本的发生时期都与所在预算周期相对应，因此不建议进行贴现。

11.5 市场份额

在预算影响分析中，研究者需要汇报在两种情境下，即未准入情境和准入情境下各干预措施的市场份额。新的干预措施准入后可能带来三种类型的市场份额变化：（1）替代，即新干预措施以一定比例替代了某一种或几种现有干预措施的份额；（2）联合使用，即新干预措施与现有干预措施联合使用；（3）扩张，即新干预措施覆盖了之前没有有效治疗方法或已经停止使用现有干预措施的患者，带来使用人群的净增长。在进行不同市场环境比较时，对市场份额变化的预测是非常重要且有挑战性的一个环节。研究者应保证预测方法的透明度，对于所做的假设、引用的数据和选择的预测模型都应做出充分的说明。

11.6 成本

预算影响分析的成本包括两部分，一是干预措施本身的成本，根据干预措施的单价和在不同环境下目标人群中的使用量即可计算得出。二是干预措施对其它成本的影响，这部分包括两种情况：疾病相关成本和间接成本。预算影响分析成本确认的范围应严格按照决策者角度进行选取，特别是干预措施对其它成本的影响部分。其中，间接成本往往与决策者角度不相关，一般不建议纳入预算影响分析的成本计算。必要时研究者应先与决策者沟通，以明确成本范围。

11.7 选择计算框架

预算影响分析的计算框架一般展示为电子表格形式。应尽量给决策者提供便于理解的“成本计算器”方法，将成本的各个组成部分明确列出。对于一些复杂的情况，如目

标人群的大小、不同疾病严重程度患者的构成、干预模式的组合等重要变量无法直接计算时，往往需要引入一些基于队列模拟或基于个体模拟的模型方法来计算不同市场环境 下相关重要变量的取值。这些模型的选择原则可参照本指南模型部分的推荐原则。

11.8 不确定性和情境分析

预算影响分析的不确定性包括模型结构的不确定性和输入参数的不确定性。模型结构的不确定性主要来自研究方法的不确定性及模型假设（Shiroiwa, 2017），输入参数的不确定性来自数据可获得性的限制、数据的可变性以及数据来源样本的有限性。不可忽略的不确定性应该被量化，要求建模者必须记录和展示与选择模型结构和基本假设相关的决策，通过情景分析（改变结构假设）和单因素/多因素敏感性分析（改变选定参数输入值）进行不确定性检验，必要时可以进行概率敏感性分析（Foroutan, 2019）。

11.9 验证

对重点分析过程和输入数据还应进行验证，验证包含三个主要环节：（1）表面效度验证，通过与相关决策者协商讨论以保证计算框架、所包含内容及相关决策要求都得到了合理体现；（2）技术验证，即验证模型是否按照预期方式运行，逻辑与运算是否正确实现；（3）外部验证，即在模型定义的限制范围内，是否正确反映真实世界，具有再现现实的能力（IQWiG, 2009）。此外，如果条件允许，应将实际发生的支付额与预算影响分析中起始年的估计值进行比较验证。在新干预措施准入后，也建议继续收集数据并与预算影响分析得到的估计值进行比较，虽然已不能影响当前干预措施的准入决策，但对未来决策与研究都具有重要的参考价值。

11.10 数据来源优先级

预算影响分析可能的数据来源包括与决策者视角相符的真实世界研究数据、临床试验数据、其他国家或地区的同类参考数据、官方卫生统计数据、市场调研数据以及专家访谈或问卷统计数据。

在选择数据源时，应当从决策者视角出发，选择最适合回答决策问题的数据。建议优先选择相同地区、相同人群中最高质量的数据。其中，真实世界数据的优先级高于临床试验数据。如果目标地区和人群数据不可得时，应选择尽量相似的地区、人群数据，或通过专家调研补充数据。研究中在面对有不同来源的数据时，可以对数据的可用性进行评价后选择合理数据。如果不同来源的数据质量相当，则需要通过情境分析的方式展

示所有可能的结果。

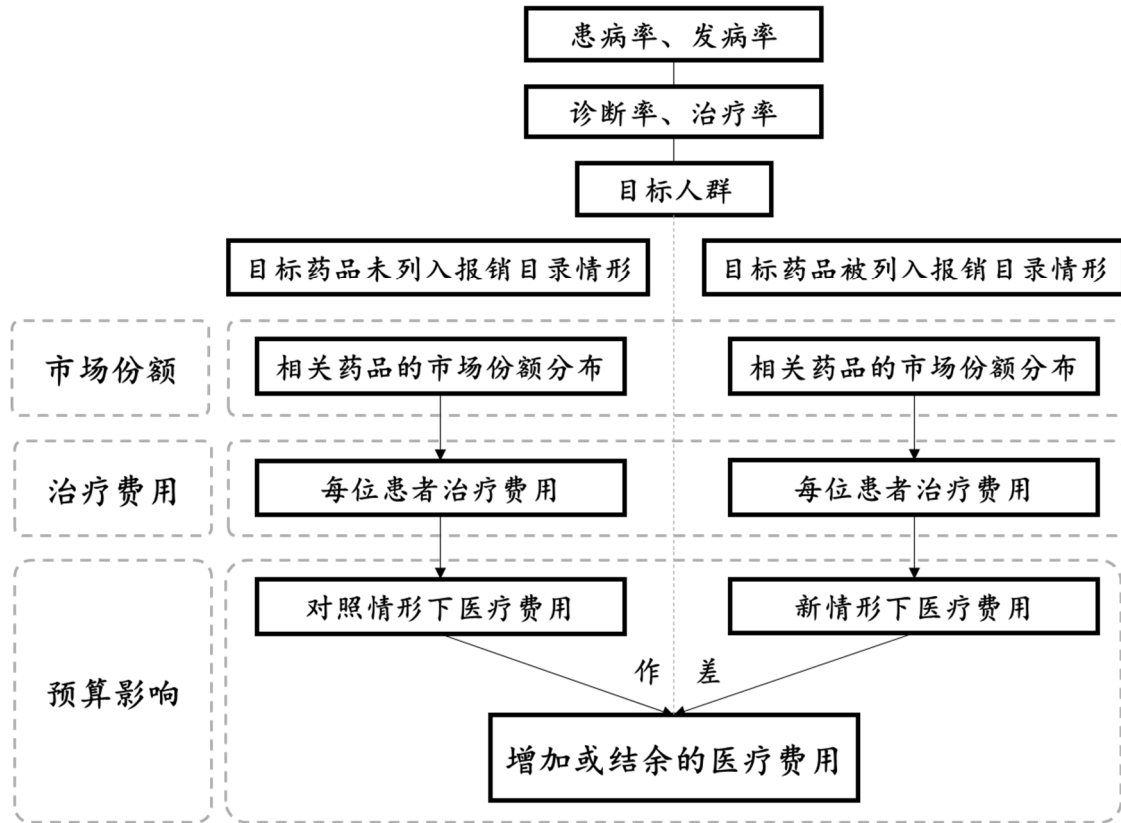


图 1 预算影响分析流程示意图

参考文献

- [1] Backhouse ME. Use of randomized controlled trials for producing cost-effectiveness evidence: Potential impact of design choices on sample size and study duration [J]. *Pharmacoeconomics* 2002; 20 (15): 1061-1077.
- [2] Bae EY, Lee EK. Pharmacoeconomic Guidelines and Their Implementation in the Positive List System in South Korea [J]. *Value Health* 2009; 12(3):36-41.
- [3] Bala MV, Mauskopf JA, Wood LL. Willingness to pay as a measure of health benefits[J]. *Pharmacoeconomics* 1999; 15(1):9-18.
- [4] Berger ML, Dreyer N, Anderson F, et al. Prospective observational studies to assess comparative effectiveness: the ISPOR good research practices task force report [J]. *Value Health* 2012; 15(2):217-230.
- [5] Borenstein M, Hedges LV, Higgins JPT, et al. *Introduction to Meta-Analysis*[M]. 2009.
- [6] Brazier JE, Yang Y, Tsuchiya A, et al. A review of studies mapping (or cross walking) non-preference based measures of health to generic preference-based measures[J]. *Eur J Health Econ* 2010; 11(2):215-225.
- [7] Brazil Ministry of Health. *Methodological Guidelines: Economic Evaluation of Health Technologies* [M]. 2nd Edition. 2014.
- [8] Bress AP, Bellows BK, King JB, et al. Cost-Effectiveness of Intensive versus Standard Blood-Pressure Control[J]. *N Engl J Med*. 2017; 377(8): 745–755
- [9] Briggs AH, Sculpher M, Claxton K. *Decision Modelling for Health Economic Evaluation* [M]. Oxford: Oxford University Press. 2006.
- [10] Briggs AH. Handling uncertainty in cost-effectiveness models [J]. *Pharmacoeconomics* 2000; 17 (5): 479-500.
- [11] Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH). *Guidelines for the Economic Evaluation of Health Technologies: Canada* [M]. 4th Edition. 2017.
- [12] Caro JJ, Briggs AH, Siebert U, et al. Modeling good research practices -overview: A report of the ISPOR-SMDM modeling good research practices task force-1[J]. *Value Health* 2012; 15: 796-803.
- [13] Dolan P. Chapter 32 The measurement of health-related quality of life for use in resource allocation decisions in health care[M]. *Handbook of Health Economics*. Elsevier B.V. 2000:1723-1760.
- [14] Drummond MF, Sculpher MJ, Claxton K, Stoddart GL, Torrance GW. *Methods for the economic evaluation of healthcare programmes* [M]. Fourth edition. Oxford: Oxford University Press. 2015.
- [15] Drummond MF, Stoddart GL, Torrance GW. *Methods for the economic evaluation of healthcare programmes* [M]. Third edition. Oxford: Oxford University Press. 2005.
- [16] Eddy DM, Hollingworth W, Caro JJ, et al. Model transparency and validation: a report of the ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practices Task Force-7[J]. *Value Health* 2012; 15: 843-850.
- [17] Fenwick E, Claxton K, Sculpher M. Representing uncertainty: the role of cost-effectiveness acceptability curves [J]. *Health Econ* 2001; 10: 779-787.
- [18] Foroutan N, Tarride JE, Xie F, et al. A Comparison of Pharmaceutical Budget Impact Analysis (BIA) Recommendations Amongst the Canadian Patented Medicine Prices Review

Board (PMPRB), Public and Private Payers. Pharmacocon Open 2019.

[19] Gerduso LA, Kotstanos JG. Review of health economic guidelines in the form of regulations, principles, policies, and positions [J]. *Drug Inf J* 1996; 30 (4): 1003-16. Gold MR, Siegel JE, Russell LB, Weinstein M. *Cost-effectiveness in health and medicine*[B]. New York: Oxford University Press, 1996.

[20] Guideline for Preparing Cost-Effectiveness Evaluation to the Central Social Insurance Medical Council. Tokyo, 2016.

[21] Guidelines of Methodological Standards for Pharmacoeconomic Evaluations in Taiwan. Taiwan, 2006.

[22] Hauck K, Smith PC, Goddard M. 2004. The economics of priority setting for health care: a literature review. HNP discussion paper series. Washington, DC: World Bank. Available: <http://documents.worldbank.org/curated/en/896691468780616417/The-economics-of-priority-setting-for-health-care-a-literature-review>.

[23] Health Insurance Council (Ziekenfondsraad). Dutch guidelines for pharmacoeconomic research [R], 1999.

[24] Hoyle CK, Tabberer M, Brooks J. Mapping the COPD Assessment Test onto EQ-5D[J]. *Value Health* 2016; 19:469-477.

[25] Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG). General Methods for the Assessment of the Relation of Benefits to Costs [M]. 1st Edition. 2009.

[26] Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG). Working Paper on Modelling in health economic evaluations. 2009.

[27] ISPOR. 2019: <https://tools.ispor.org/peguidelines/>

[28] Jr GL, Neumann PJ, Erickson P, et al. Using real-world data for coverage and payment decisions: the ISPOR Real-World Data Task Force report.[J]. *Value Health* 2007; 10(5):326-335.

[29] King MT, Viney R, Simon A P, et al. Australian Utility Weights for the EORTC QLU-C10D, a Multi-Attribute Utility Instrument Derived from the Cancer-Specific Quality of Life Questionnaire, EORTC QLQ-C30.[J]. *Pharmacoeconomics* 2018; 36(2):225-238.

[30] Knies S., Severens JL, Ament HAJA, et al. The Transferability of Valuing Lost Productivity across Jurisdictions. Differences between National Pharmacoeconomic Guidelines [J]. *Value Health* 2010; 13 (5): 519-527.

[31] Kopec JA, Willison K D. A comparative review of four preference-weighted measures of health-related quality of life[J]. *J CLIN EPIDEMIOL* 2003; 56(4): 317-25.

[32] Kozma CM, Reeder CE, Schulz RM. Economic, clinical, and humanistic outcomes: a planning model for pharmacoeconomic research [J]. *Clin Ther* 1993; 15 (6): 1121-1132.

[33] Lakdawalla DN, Doshi JA, Garrison LP, Jr., et al. Defining Elements of Value in Health Care-A Health Economics Approach: An ISPOR Special Task Force Report [3]. *Value Health* 2018; 21(2): 131-139.

[34] Lam CLK, Brazier J, McGhee SM. Valuation of the SF-6D health states is feasible, acceptable, reliable, and valid in a Chinese population [J]. *Value Health* 2008; 11 (2): 295-303.

[35] Lancsar E, Louviere J. Conducting Discrete Choice Experiments to Inform Healthcare Decision Making[J]. *Pharmacoeconomics* 2008; 26(8):661-677.

[36] Liljas B. How to calculate indirect costs in economic evaluations [J]. *Pharmacoeconomics* 1998; 13 (1): 1-7.

[37] Liu G G, Wu H, Li M, et al. Chinese time trade-off values for EQ-5D health states [J]. *Value Health* 2014; 17(5):597-604.

- [38] Luce BR, Elixhauser A. Estimating costs in the economic evaluation of medical technologies [J]. *Int J Technol Assess Health Care* 1990; 6 (1): 57-75.
- [39] Luo N, Liu G, Li M, et al. Estimating an EQ-5D-5L Value Set for China [J]. *Value Health* 2017; 20(4):662-669.
- [40] MacPherson H. Pragmatic clinical trials [J]. *Complement Ther Med* 2004; 12: 36-40.
- [41] Mauskopf JA, Sullivan SD, AnnemansL, et al. Principles of good practice for budget impact analysis: report of the ISPOR Task Force on Good Research Practices—Budget Impact Analysis. *Value Health* 2007;10(5):336–47.
- [42] Mills EJ, Thorlund K, Ioannidis J P. Demystifying trial networks and network meta-analysis[J]. *BMJ* 2013; 346:f2914.
- [43] Mühlbacher AC, Kaczynski A, Zweifel P, et al. Experimental measurement of preferences in health and healthcare using best-worst scaling: an overview[J]. *Health Econ Rev* 2016; 6(1):2.
- [44] Mullins CD, Onwudiwe NC, Brancode GT, et al. Guidance Document: Global Pharmacoeconomic Model Adaption Strategies[J]. *Value Health Reg Issue* 2014; 5:7-13.
- [45] Muratov S, Podbielski WD, Kennedy K et al, Preference-based Glaucoma-specific Health-related Quality of Life Instrument: Development of the Health Utility for Glaucoma[J]. *J Glaucoma* 2018; 27(7): 585-91.
- [46] National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE). Guide to the methods of technology appraisal 2013 [M]. 2013.
- [47] Neumann PJ, Sanders GD, Russell LB, et al. *Cost- Effectiveness in Health and Medicine* (2nd edition) [M]. New York: Oxford University Press, 2017.
- [48] Neumann PJ, Sanders GD, Russell LB, Siegel JE, Ganiats TG. *Cost- Effectiveness in Health and Medicine*[M]. 2nd Edition. New York: Oxford University Press.2016.
- [49] Neumann PJ, Thorat T, Shi J, Saret CJ, Cohen JT. The changing face of the cost-utility literature, 1990-2012[J]. *Value Health* 2015; 18(2):271-277.
- [50] Neumann PJ , Willke RJ , Garrison L P. A Health Economics Approach to US Value Assessment Frameworks—Introduction: An ISPOR Special Task Force Report [1][J]. *Value Health* 2018; 21(2):119-123.
- [51] NICE. Assessing resource impact process manual: technology appraisals and highly specialised technologies. April 2017.
- [52] Olsen JA, Smith RD. Theory versus practice: a review of 'willingness-to-pay' in health and health care[J]. *Health Econ* 2001; 10(1):39-52.
- [53] Oxman AD, Guyatt GH. A consumer's guide to subgroup analyses [J]. *Ann Intern Med* 1992; 116 (1): 78-84.
- [54] Round J. Is a QALY still a QALY at the end of life?[J]. *J Health Econ*, 2012, 31(3): 521-527.
- [55] WHO. Choosing Interventions that are Cost Effective (WHO-CHOICE), Threshold values for intervention cost-effectiveness by Region. http://www.who.int/entity/choice/costs/CER_thresholds_regions.xls.
- [56] Round J, Paulden M. Incorporating equity in economic evaluations: a multi-attribute equity state approach. *Eur J Health Econ*, 2018; 19(4): 489-498.
- [57] Rowen D, Brazier J, Roberts J. Mapping SF-36 onto the EQ-5D index: how reliable is the relationship?[J]. *Health Qual Life Outcomes* 2009; 7(1):27.
- [58] Sculpher MJ, Pang F S, Manaca A. 2004. Generalisability in economic evaluation studies in

- healthcare: a review and case studies [J]. *Health Technol Assess* 2004; 8(49): 1-192.
- [59] Sculpher MJ, Fenwick E, Claxton K. Assessing quality in decision analytic cost-effectiveness models: a suggested framework and example of application [J]. *Pharmacoeconomics* 2000; 17 (5): 461-7.
- [60] Shiroiwa T , Fukuda T , Ikeda S , et al. Development of an Official Guideline for the Economic Evaluation of Drugs/Medical Devices in Japan[J]. *Value Health* 2017; 20(3):372-378.
- [61] Smith DH, Gravelle H. The practice of discounting in economic evaluations of healthcare interventions [J]. *Int J Technol Assess Health Care* 2001; 17 (2): 236-243.
- [62] Sullivan SD, Mauskopf JA, Augustovski F, et al. Budget Impact Analysis—Principles of Good Practice: Report of the ISPOR 2012 Budget Impact Analysis Good Practice II Task Force. *Value Health* 2014;17(1):5–14.
- [63] Sun X, Briel M, Walter SD, et al. Is a subgroup effect believable? Updating criteria to evaluate the credibility of subgroup analyses. *BMJ* 2010; 340: c117.
- [64] Sun X, Ioannidis JP, Agoritsas T, et al. How to use a subgroup analysis: users' guide to the medical literature. *JAMA* 2014; 311(4): 405-411.
- [65] Takashi Fukuda. Guideline for preparing cost-effectiveness evaluation to the central social insurance medical council[M]. 2016.
- [66] The Collège des Économistes de la Santé (the French Health Economists Association). French Guidelines for the Economic Evaluation of Health Care Technologies[M]. 2004.
- [67] The Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC). Guidelines for preparing a submission to the Pharmaceutical Benefits Advisory Committee[M].5th Edition. 2016.
- [68] Thomas Butt, Gordon G.Liu, David D, et al. Taking stock of cost effectiveness analysis of healthcare in China[J]. *BMJ Global Health* 2019; (4):1136-1418.
- [69] Torrance GW, Thomas WH, Sackett DL. A utility maximization model for evaluation of health care programs. *Health Serv Res.* Summer 1972;7(2):118-133.
- [70] Wakker P, Klaassen M. Confidence intervals for cost-effectiveness ratio [J]. *Health Econ* 1995; 4(5): 373-382.
- [71]WHO. World Health Statistics 2018. https://www.who.int/gho/publications/world_health_statistics/2018/en/
- [72] Wild D, Grove A, Martin M, et al. Principles of Good Practice for the Translation and Cultural Adaptation Process for Patient-Reported Outcomes (PRO) Measures: report of the ISPOR Task Force for Translation and Cultural Adaptation [J]. *Value Health* 2005; 8(2):94-104.
- [73] Willke RJ. 2003. Tailor-made or off-the-rack? The problem of transferability of health economic data[J]. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res* 2003; 3(1):1-4.
- [74] Woodley HJ, Bourdage JS, Ogunfowora B, et al. Examining Equity Sensitivity: An Investigation Using the Big Five and HEXACO Models of Personality. *Front Psychol* 2015; 6: 2000.
- [75] 陈洁, 刘国恩, 高丽敏. 药物经济学[M]. 北京: 人民卫生出版社, 2006.
- [76] 胡善联. 药物经济学[M]. 北京: 高等教育出版社, 2009.
- [77] 胡善联. 药物经济学评价指南[M]. 复旦大学出版社, 2017.
- [78] 金丕焕. 医用统计方法[M]. 上海: 上海医科大学出版社, 1993.
- [79] 李易平, 李洪超, 邱家学. 从不同决策主体角度对药品不良反应相关成本的分析[J]. 中

国药物经济学, 2009, (2): 26-30.

[80] 李幼平. 药物经济学与循证医学[J]. 中国药物经济学, 2008(6): 14-19.

[81] 刘国恩. 中国药物经济学评价指南及导读 [M]. 2015 版. 北京: 科学出版社, 2015.

[82] 孙利华. 药物经济学[M]. 第三版. 北京: 中国医药科技出版社, 2015.

[83] 吴久鸿. 药物经济学[M]. 第一版. 北京: 高等教育出版社, 2017.

[84] 吴晶, 刘国恩. 成本-效果可接受曲线: 不确定状态下的决策方法. 中国药物经济学, 2006, 11(3): 55-9.

[85] 谢烛光, 李洪超. 我国药物经济学评价贴现率取值探索[J]. 中国卫生经济, 2019, 38(05): 74-77.

[86] 中华人民共和国国家卫生健康委员会. 2018 年中国卫生健康事业发展统计公报.

<http://www.nhc.gov.cn/guihuaxxs/s10748/201905/9b8d52727cf346049de8acce25ffc0bd0.shtml>

[87] 周丽丽, 马爱霞. 药物经济学研究中离散事件模拟的介绍[J]. 中国药物评价, 2012, 29(5): 347-350.