

中 国 药 学 会

T/

-2026

**中国药物经济学评价指南
(第 2 版)
(征求意见稿)**

**China Guidelines for
Pharmacoeconomic Evaluations (2nd
version)**

目录

前言	II
引言	III
范围	1
术语和定义 (Terminology)	1
1. 研究问题与设计	11
2. 成本	17
3. 健康产出	20
4. 折现	25
5. 评价方法	26
6. 模型分析	28
7. 差异性和不确定性	34
8. 公平性	37
9. 外推性	39
10. 预算影响分析	39
11. 报告标准	43
参考文献	55

前言

本标准按照 GB/T1.1-2020《标准化工作导则第1部分标准的结构和编写》的规则起草。

本文件代替 T/CPHARMA 003-2020《中国药物经济学评价指南 2020》，为《中国药学生物经济学评价指南（第2版）》。

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：

吴 晶（天津大学）	刘国恩（北京大学）
孙利华（沈阳药科大学）	吴 斌（上海交通大学医学院附属胸科医院）
刘茂柏（福建医科大学附属协和医院）	蒋 杰（暨南大学）
李洪超（中国药科大学）	王海银（上海市卫生和健康发展研究中心）
孙 鑫（四川大学华西医院中国循证医学中心）	伍红艳（贵州医科大学）
李顺平（山东大学）	杨 莉（北京大学）
张田甜（暨南大学）	范长生（北京医药卫生经济研究会）
官海静（首都医科大学附属北京天坛医院）	金雪晶（北京中医药大学）
贺小宁（天津大学）	胡 敏（复旦大学）
郭武栋（国家卫生健康委卫生发展研究中心）	席晓宇（中国药科大学）
韩 晟（北京大学）	蒋亚文（中山大学）
谢诗桐（天津大学）	

本标准顾问组（按姓氏笔画排序）：

丁玉峰（华中科技大学同济医学院附属同济医院）	丁锦希（中国药科大学）
马爱霞（中国药科大学）	方 宇（西安交通大学）
毛宗福（武汉大学）	王 健（武汉大学）
史录文（北京大学）	司 磊（澳大利亚西悉尼大学）
刘丽宏（中日友好医院）	刘国强（河北医科大学第三医院）
吕志强（美国南卡罗莱纳大学）	孙 强（国家卫生健康委员会卫生发展研究中心）
朱文涛（北京中医药大学）	陈 文（复旦大学）
陈 昊（华中科技大学）	陈英耀（复旦大学）
陈 钢（澳大利亚墨尔本大学）	陈盛新（海军军医大学）
李大魁（北京协和医院）	李明晖（美国田纳西大学）

李国辉（中国医学科学院肿瘤医院） 李树泉（亚洲药科学院）
李詠恩（中國香港中文大学学能提升研究中心） 李 濛（美国塔夫茨大学医学中心）
沈爱宗（中国科学技术大学附属第一医院） 邵 辉（美国埃默里大学）
宋瑞霖（中国医药创新促进会）
吴久鸿（中国卫生经济学会药物经济政策专委会）
吴 琼（中国北京安诺析思 Analysis Group 国际咨询有限公司）
应亚珍（首都医科大学国家医疗保障研究院） 张 玉（华中科技大学同济医学院附属协和医院）
张 兰（首都医科大学宣武医院） 张 波（北京协和医院）
金春林（上海市卫生和健康发展研究中心） 金桦杰（英国伦敦国王学院）
罗 南（新加坡国立大学） 罗景虹（中国药物经济学杂志社）
林厚文（上海交通大学附属仁济医院） 武志昂（亦弘商学院）
封宇飞（北京大学人民医院） 胡 欣（北京医院）
胡 明（四川大学） 胡善联（复旦大学）
姜明欢（西安交通大学） 施李正（美国杜兰大学）
宣建伟（中山大学） 姚文兵（中国药科大学）
赵志刚（首都医科大学附属北京天坛医院） 赵荣生（北京大学第三医院）
赵 琨（清华大学公共管理学院民生与健康政策研究中心）
顾 海（南京大学卫生政策与管理研究中心） 顾源远（澳大利亚麦考瑞大学）
郭剑非（美国辛辛那提大学医学中心） 袁 静（澳门大学）
崔 丹（武汉大学） 常 峰（中国药科大学）
董恒进（浙江大学） 蒋昌松（首都医科大学国家医疗保障研究院）
舒丽芯（海军军医大学） 谢 锋（加拿大麦克马斯特大学）
曾 渝（海南南海健康产业研究院） 詹思延（北京大学）
谭延辉（中国台湾药师公会联合会药事照护发展中心）
熊先军（北京协和医学院） 翟所迪（北京大学第三医院）

引言

随着社会经济增长与医疗卫生技术的不断进步,人们的医药卫生需求也在不断增长,卫生投入持续提升,如何科学评估并有效配置医药资源将是中国经济与医疗卫生可持续发展的重大议题。药物经济学(Pharmacoeconomics)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。其应用经济学等相关学科的原理与方法,系统、科学地比较分析医药技术之间的经济成本(Economic Costs)和健康产出(Health Outcomes),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。近年来,药物经济学评价证据已被明确应用于国家基本医疗保险药品目录调整与价格测算工作中,同时也是药品临床综合评价中的重要组成部分。随着“健康中国2030”战略的持续实施,深化医疗卫生体制改革依然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。

2020年,中国药学会药物经济学专业委员会编制发布《中国药物经济学评价指南2020》团体标准,对规范国内评价工作、支撑医药决策意义重大。近五年,国内外药物经济学学科快速发展,评价理念、技术方法、核心参数均有了更新与发展;同时我国医保谈判、药品综合评价等应用场景的证据要求持续升级,原有2020版指南已难以完全适配新形势。因此有必要对指南开展修订,形成新版《中国药物经济学评价指南》,为科研人员、医药企业、卫生与医保决策部门开展药物经济学评价证据生成与评审工作提供规范指引。

本指南为药物经济学评价通用方法学规范,明确评价实践通用操作与流程要求,概述国内评价应用场景的相关要求,对细分场景实操细节不作详尽阐释。因此,研究者与决策机构使用本指南开展评价、评审工作时,需搭配专业专著、其他配套技术文件协同参考,以此产出科学可靠、高质量的药物经济学评价证据。

中国药物经济学评价指南（第2版）

范围

本文件为药物经济学评价通用方法学规范,规定了药物经济学评价实践通用操作与流程要求。

本文件适用于科研人员、医药企业、卫生与医保决策部门开展药物经济学评价证据生成与评审工作,为上述主体提供规范指引。

术语和定义 (Terminology)

注:按中文首字母排序

半循环校正 Half-Cycle Correction

由于在实际疾病状态间的转移是发生在整个周期之中,假设仅在周期开始时或结束时发生状态转移就会产生偏误。为了更加准确地反映转移状态的连续性,假设状态转移平均发生在每个周期的中间,并在开始时增加半个周期来填补周期的右移。

标准博弈法 Standard Gamble, SG

一种直接测量健康状态效用值的方法。测量时,要求受访者在两种假想情况中做出选择:情况1是受访者将处于一种确定的健康状态;情况2是受访者将有一定的概率处于一种较好的健康状态(例如完全健康),也有一定的概率处于一种较差的健康状态(例如死亡);调查者不断变换情况2中的概率来让受访者在情况1和情况2中做出选择,直到受访者认为选择情况1和情况2无差异时终止访问。

标准治疗 Standard Treatment

标准治疗是临床诊疗指南中优先推荐的,当前公认的临床实践中最佳且可及的治疗方法。

表面效度 Face Validity

表面效度是指由相关领域专家主观判断的一个模型及其假设和应用在多大程度上与当前科学和证据相一致。表面效度验证的内容主要包括模拟的具体问题、结构、参数和结果四个方面。

不确定性 Uncertainty

指事前无法控制的外部因素变化（如数据估算误差、研究背景变化等）对评价结果或决策方案造成的影响或风险，反映了由于研究设计、测量技术或分析方法的不完善，导致估计值与真实值之间可能出现差异分析。

差异性 Variability

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。

产出 Outcome

疾病和干预措施可能对患者产生的各类影响，主要包括经济产出、临床产出和人文产出。在药物经济学评价中，通常将经济产出归为成本范畴，将临床产出和人文产出归为健康产出的范畴。

常规治疗 Conventional Treatment

常规治疗是临床较为常用的治疗方法或市场份额较大的治疗方法。

成本 Cost

实施预防、诊断或治疗等干预项目所耗费的资源或所付出的代价，包括所消耗的人、财、物、时间等资源及因干预方案而产生的恐惧、不安、痛苦、行动不便等。药物经济学评价中的成本是指实施某一干预方案治疗或预防疾病时，所消耗的全部资源价值。

成本-效果分析 Cost-Effectiveness Analysis, CEA

分别以货币和临床效果指标作为成本和健康产出指标，对各备选干预方案进行经济性评价的方法。一般适用于具有相同临床产出指标方案之间的经济性比较。

成本-效益分析 Cost-Benefit Analysis, CBA

均以货币表示成本和健康产出指标，对各备选干预方案进行经济性评价的方法。

成本-效用分析 Cost-Utility Analysis, CUA

分别以货币和质量调整生命年作为成本和健康产出指标，对各备选干预方案进行经济性评价的方法。

动态传播模型 Dynamic Transmission Models

是一种常见的用于模拟疾病传播及相关干预措施影响的数学模型，该模型为一种舱室模型，其全称为 Susceptible（易感者）-Exposed（潜伏者）-Infected（感染者）-Recovered（康复者）模型，每一个字母都代表一个舱室，类似于马尔科夫模型的状态。

对照方案 Comparator

与干预措施相比较的治疗方案，可以为标准治疗方案、常规治疗方案或无干预方案。

多层次网状 Meta 回归 Multilevel Network Meta-Regression, ML-NMR

是一种统计方法，用于分析包含多个干预措施和效果修饰因子的临床研究数据。这种方法结合了网状荟萃分析（NMA）和多元回归分析，旨在处理复杂干预措施之间的比较和效果修饰因子的影响。

儿童九维健康效用量表 Child Health Utility 9D, CHU9D

是评估儿童健康状态的有效工具，包括九个维度，分别是身体状况、心理状况、社会适应能力、行为习惯、智力发展、情感表达、社交能力、自我认知和安全意识。

分区生存模型 Partitioned Survival Model, PSM

是一种基于参数生存函数确定研究队列在每个健康状态的分布和转移，进而估计疾病的成本和产出的成本-效果分析模型。适用于可以划分有限个健康状态且需要长期模拟的疾病的经济学评价，常用于晚期恶性肿瘤的药物经济学评价。

概率敏感性分析 Probabilistic Sensitivity Analysis, PSA

根据各不确定因素的概率分布进行随机取值，测定不确定因素对分析结果影响程度的方法。

干预措施 Interventions

对研究对象实施的预防、诊断、治疗等具体的干预措施或政策。

个体患者数据 Individual Patient Data, IPD

是指在临床研究或试验中，从每个参与研究的患者那里收集的详细数据。

公平性 Equity

本指南借鉴世界卫生组织的定义，将健康公平理解为“人群之间不存在不公平的、可避免的或可补救的差异，无论这些人群是根据社会、经济、人口、地理或其他不平等的维度（如性别、种族、残疾或性取向）来定义的”。

国际药物经济学会 The Professional Society for Health Economics and Outcomes Research, ISPOR

于 1995 年成立的国际组织，致力于促进世界范围内药物经济学和结果领域的研究和实践。

回顾性研究 Retrospective Study

一种非随机临床研究，在药物经济学评价中通常指的是回顾性队列研究，往往是回顾性地从各种数据库或医院病历等已有资料中纳入患者并收集患者信息，进而对干预组和对照组的成本和效果进行比较。

疾病特异性效用量表 Disease-Specific Instrument

用于测量某一特定疾病患者健康效用值的量表。

机会成本 Opportunity Cost

某种资源分配到一种用途上而放弃另一种用途可能得到的最大价值。

间接成本 Indirect Cost

间接成本指新干预措施在准入后对生产力、社会服务和其他方面产生影响所应折算的成本。

健康产出 Health Outcomes

疾病或干预措施对患者健康状况的影响。

健康相关生命质量 Health-Related Quality of Life, HRQoL

指那些与健康相关的生命质量，反映人们的健康状态，包括生理状况、功能状况、社会活动、认知、情感、睡眠和休息、精力与活力、健康认识，以及总的健康满意度等。

健康效用积分体系 Value Set

是与健康相关生命质量量表配套使用的一套计算量表中所有健康状态效用值的计算公式。其基本思路是选取特定国家或地区中一定数量有代表性的样本人群，采用时间权衡法等直接测量方法获取量表中部分健康状态的效用值，进而采用计量经济学模型或多维效用函数构建预测量表中所有健康状态效用值的计算公式。

健康效用值 Health Utility

也被称为生命质量权重，反映人们对特定健康状态或健康结果的偏好程度。具体体现为-1到1之间的一个值，0代表死亡，1代表完全健康，负数表示比死亡还要差。

健康状态 Health State

是从生理、心理和社会等方面对个人或人群功能状态的描述，反映个人或人群的健康水平，可以是主观的也可以是客观的。

交叉效度 Cross Validity

将一个模型的结果与其他已经存在的解决相同或相似问题的模型结果之间进行的跨模型比较。是对药物经济学评价模型进行验证的主要内容之一。

基于主体的模型 Agent-Based Model, ABM

基于主体的模型是一种自下而上的建模方法，通过模拟个体（主体）的行为及其相互作用，研究复杂系统的动态演化与宏观特征。

解释性临床试验 Explanatory Clinical Trials, ECT

是一种用于评估某种治疗在理想条件下的疗效的临床试验。这类试验通常在严格定义和筛选的受试者中进行，以评估治疗在理想条件下的效果。

经济产出 Economic Outcomes

疾病或干预措施对患者产生的经济影响。

净效益 Net Benefit

效益现值（用货币单位表示）与成本现值（用货币单位表示）之差，是成本-效益分析的基本决策依据。

决策树模型 Decision Tree Model

决策树模型是一种用来模拟干预方案对疾病影响的静态模型，通常有一个可视的树形结构。

绝对劣势 Strictly Dominated

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。

绝对优势 Dominance

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。

离散事件模拟模型 Discrete Events Simulation Model, DES

是一种可以用来表现个体行为、个体与个体、个体与群体以及个体与环境之间互动关系的模型方法。通过模拟疾病治疗过程中非连续事件（疾病成本、治疗效果、生命质量等）的发生发展过程，反映疾病的发生发展过程，以探讨备选方案的成本和产出特性。

离散选择实验法 Discrete Choice Experiment, DCE

一种基于随机效用理论的偏好测量方法，使用不同维度及其不同水平的组合来描述干预措施、健康状态、服务或政策，形成多个配对的备选方案，通过受访者的选择推断其对不同属性的偏好。

疗效 Efficacy

干预措施在严格控制的环境下（通常为 RCT）对患者产生的治疗结果。

临床产出 Clinical Outcomes

疾病或干预措施对患者产生的临床影响。

六维健康调查简表 Short-Form Six-Dimensions, SF-6D

全球范围内使用广泛的通用效用量表，涵盖躯体功能（Physical Functioning）、角色限制（Role Limitation）、社会功能（Social Functioning）、疼痛（Pain）、精神健康（Mental Health）和活

力 (Vitality) 六个维度。量表最新版为第二版, 其中除疼痛维度具有 6 个水平外, 其余维度均具有 5 个水平, 不同维度水平组合共计可描述 18750 个不同的健康状态。

马尔科夫模型 Markov Model

是将临床事件和相关干预实施的时间因素系统纳入模型模拟的动态模型, 是一种特殊的循环决策树模型。疾病过程被模拟成一系列的时间段, 每个时间段与特定的健康状态相联系, 同时用概率来表示一个时间段到下一个时间段的转移, 在研究时间范围内对疾病的成本和产出进行估计的决策分析模型。

蒙特卡洛模拟 Monte Carlo Simulation

蒙特卡洛模拟是反映参数估计值不确定性的一种方法, 每次从样本参数的分布区间内随机抽取一组参数数据进行药物经济学评价, 形成一系列的可能的结果, 计算成本和结果的期望值分布状态。

敏感性分析 Sensitivity Analysis

是药物经济学处理不确定性的主要方法, 通过检验重要自变量 (如成本、结果、事件的概率等) 可能的范围来判断这种变化是否对分析结果产生有意义的影响。

模拟治疗比较 Simulated Treatment Comparison, STC

在个体数据上建立治疗效果与基线特征之间的回归模型, 再将模型外推到汇总数据人群上进行比较。

模型验证 Model Validation

模型验证是指采用一系列方法对模型模拟或预测结果的准确性进行判断的方法, 主要包括对表面效度、内部效度、交叉效度、外部效度和预测效度的验证。

目标人群 Target Population

药物经济学评价的目标人群, 一般为待评估干预措施的所有适用人群。

内部效度 Internal Validity

又被称为技术效度, 是指模型中的每一个部分是否都能与研究者设想的那样运行, 模型中的计算是否都正确。是对药物经济学评价模型进行验证的主要内容之一。

逆概率治疗加权 Inverse Probability of Treatment Weighting, IPTW

是一种用于处理观察性研究中混杂因素的统计方法。它通过为每个个体分配一个权重, 使得处理组和对照组在协变量上的分布更加平衡, 从而减少选择偏差和混杂因素的影响。

匹配调整间接比较 Matching-Adjusted Indirect Comparison, MAIC

是一种用于比较两种干预措施疗效的统计方法。该方法通过对研究干预的个体患者数据（IPD）进行加权调整，使其在基线特征上与对照干预的汇总数据（AgD）相匹配，从而在匹配后的研究人群中进行疗效比较。

偏好 Preference

对某种健康状态或健康结果的意愿或倾向，通常体现为效用或价值。

普适性效用量表 Generic Instrument

是指可用于测量包括健康人群和各种疾病患病人群在内的所有人群健康效用值的量表，如EQ-5D和SF-6D。

倾向得分匹配 Propensity Score Matching, PSM

是一种在观察性研究中用于减少选择偏差和混杂因素影响的统计方法。它通过匹配处理组和对照组中具有相似倾向得分的个体，使两组在匹配后具有类似的背景特征分布，从而更准确地评估处理效应。

全国人均国内生产总值 Gross Domestic Product, GDP

是一个国家在一定时期（通常为1年）内所生产的按人口平均计算的社会最终产品和劳务的总值。

确定型敏感性分析 Deterministic Sensitivity Analysis, DSA

通过手动改变某个或某些特定参数的取值，测算参数变化对研究结果的影响，从而找出敏感因素的分析方法，主要包括单因素敏感性分析、多因素敏感性分析、阈值分析、极值分析、情境分析等。

人力资本法 Human Capital Approach, HCA

人力资本法用患者增加的健康时间所带来的工资收益表示健康效益，一般使用潜在市场收入来测量，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。

伤残调整生命年 Disability-Adjusted Life Years, DALYs

从发病到死亡所损失的全部健康年，包括因早亡所致的寿命损失年和疾病所致伤残引起的寿命损失年两部分，经常用于测量疾病负担。

生命质量 Quality of Life, QoL

指不同文化和价值体系中的个体对与他们的目标、期望、标准以及所关心的事情有关的生存状况的体验，包含个体的生理健康、心理状态、独立能力、社会关系、个人信仰、和与周围环境的关系等。

时间权衡法 Time Trade-Off, TTO

一种直接测量某健康状态效用值的方法。测量时，受访者需要在两种情况中做出选择：情况 1 是受访者将在某种确定的健康状态生存一定的时间；情况 2 是受访者将在一种较好的健康状态（例如完全健康）生存，但是生存时间较短；调查者不断变换情况 2 中的生存时间来让受访者在情况 1 和情况 2 中做出选择，直到受访者认为选择情况 1 和情况 2 无差异时终止访问。

实效性临床试验 Pragmatic Clinical Trial, PCT

将所有试验对象随机分配，在药物的日常实际应用环境中进行的试验。

随机对照临床试验 Randomized Controlled Trial, RCT

参加者按照一种程序被随机分配到干预组（治疗组）或对照组，两组都被随访一个特定时期，并按照开始时所确定的目标分析研究结果。一般而言，除了治疗措施外，两组对象各类特征都是相同的。因此，从理论上讲，研究结果的任何差异都归因于治疗措施。

外部效度 External Validity

对一个模型的模拟结果与实际观察到的数据结果之间进行的比较，是直接对模型结果进行的验证，是最重要的一种效度。

外推性 Transferability

也称为可转移性、可移植性等，是指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的可靠性。

系统动力学模型 System Dynamics

系统动力学模型是一种基于微分方程的建模框架，通过绘制和量化系统内关键变量的关系，来描述系统如何随时间变化。

系统综述 Systematic Review

对研究问题进行结构化、清晰化的定义，运用系统和明确的方法对相关的临床原始研究进行系统地检索、筛选及评价，并对纳入的研究进行数据提取和分析，最后讨论总结而形成的描述性结果。

限定日剂量 Defined Daily Dose, DDD

药品用于治疗其主要临床适应症时的成人平均日用量。

效度 Validity

测量指标或观测结果在多大程度上反映了事物的客观真实性，包括内部效度和外部效度。

效果 Effectiveness

效果指干预措施在特定环境下对患者健康状态的实际改善程度。

效益 Benefit

用货币单位来量化的健康产出。

效用 Utility

效用基于患者或社会对健康状态的偏好程度，综合生存时间与生命质量，常用质量调整生命年（QALYs）衡量。

信度 Reliability

是指量表测量结果的稳定性、可靠性或一致性，包括内部一致性、重测信度、分半信度等。在效用测量中，信度的大小目前没有一致的标准，通常认为信度系数大于等于 0.7 表示具有较好的信度。

循环周期 Cycles Length

马尔科夫模型中，总研究时限被划分为的等长时间间隔，假设该时间间隔内的所有健康状态转移均发生在该事件间隔结束的瞬间。

研究角度 Research Perspective

药物经济学评价和研究的视角，主要包括社全社会角度、卫生体系角度、医疗保障支付方角度、医疗机构角度和患者角度。

研究时限 Time Horizon

研究者对于干预措施治疗某一疾病的成本和健康产出进行观察或者模拟的时间长度。

药品不良反应 Adverse Drug Reactions, ADRs

合格药品在正常用法用量下出现的与用药目的无关的有害反应。

药物经济学 Pharmacoeconomics

对可选择的卫生干预措施的成本和结果之间进行的比较。

意愿支付法 Willingness To Pay, WTP

在个人总体效用值不变的情况下，通过计量受访者愿意牺牲的最大货币收益来表示健康状态的价值。

隐性成本 Intangible Cost

因疾病或实施预防、诊断等医疗服务所引起的疼痛、忧虑、紧张等生理上和精神上的痛苦及不适。

映射法 Mapping

利用计量模型估计以非效用测量方法得到结果与以效用测量方法得到结果之间的关系,以非效用量表的结果参数为自变量、效用量表的结果参数为因变量建立回归方程,并对所建立的回归方程进行拟合度检验,最后利用该方程预测健康效用值的方法。

预测效度 Predictive Validity

预测效度是通过记录模型预测的长期结果,等待该研究中观察得到的真实结果后与模拟结果进行比较的方法。

预算影响分析 Budget Impact Analysis, BIA

是从预算持有者角度对新的医疗干预措施进入某个支付系统(如国家、地区的医保目录或医疗相关部门的报销清单等)后对该系统费用支出影响的分析评估,一般通过比较该干预措施是否获得准入的两种假设情境来衡量该系统预算的可负担性。

阈值 Threshold Value

一个领域或系统的取值界限。

增量成本-效果比 Incremental Cost-Effective Ratio, ICER

将多种干预措施进行对比时,一种干预措施相对于另一种干预措施增加的成本与相对增加的效果的比值。

增量分析 Incremental Analysis

基于干预方案与对照方案在成本和产出两个维度的差异进行决策的方法。

折现 Discounting

将未来预期的成本和健康产出折算成现值的方法。

折现率 Discount Rate

将未来预期的成本和健康产出折算成现值的比率。

真实世界研究 Real World Study, RWS

对临床常规产生的真实世界数据进行系统性收集并进行分析的研究。

直接成本 Direct Cost

在医疗服务活动中直接发生的成本,包括直接医疗成本和直接非医疗成本。

直接非医疗成本 Direct Non-Medical Cost

患者因寻求医疗服务而直接消耗的医疗资源以外的资源，如交通费、食宿费、营养食品费等。

直接医疗成本 Direct Medical Cost

某种治疗方案所消耗的医疗资源所构成的成本，如挂号费、药费、手术费、诊疗费、治疗费、护理费、监护费、材料费、床位费、检验费等。

质量调整生命年 Quality-Adjusted Life Years, QALYs

一个标准化的通用健康产出指标，既考虑了治疗方案对患者生存时间的影响，也考虑了对患者生命质量的影响。

终点指标 Final End-Points

大多反映已经发生或者患者可以感知的疾病事件，如疾病导致的死亡或死亡率、生存年数等。

中间指标 Intermediate End-Points

某治疗或因素导致的最终产出发生前的预期或实际的变化或改善，通常通过临床检查获知，如血压、血脂、血糖等生化指标。

转移概率 Transition Probability

在马尔科夫模型中，从一种健康状态转换为另一种健康状态的可能性。

最小成本分析 Cost Minimization Analysis, CMA

当有证据显示干预组与对照组的重要临床产出(如疗效和安全性)相同或无临床意义差异时，根据成本来比较治疗方案相对经济性的一种药物经济学评价方法。

1. 研究问题与设计

本章作为药物经济学评价的核心方法学指南，旨在引导研究者系统构建评价框架并明确基础要素。药物经济学评价的研究问题与设计，是确保评价目的明确，评价结果科学可靠、有效支持决策的关键。内容涵盖研究背景的深入分析、研究问题与目的的精准界定、研究角度（Perspective）的审慎选择、目标人群（Target Population）的清晰定义、干预措施与对照措施（Interventions and Comparators）的规范设定、研究设计类型（Types of Study Design）以及研究时限（Time Horizon）

的科学确定。本部分内容对于确保药物经济学评价的科学性、可靠性及其对决策的相关性至关重要。

1.1 研究背景

研究背景需系统阐述目标疾病的流行病学特征（发病率、患病率、地域/年龄分布差异）、多维疾病负担（如伤残调整生命年、生产力损失、直接医疗成本及家庭灾难性支出等），特别需关注中国区域经济与医疗资源分布不均导致的疾病负担异质性。当前干预措施应对比分析中西医并存体系下的临床实践差异，包括西药方案（疗效/安全性循证证据）、中药制剂（饮片/中成药/配方颗粒等）及非药物干预等。随后，应基于最新的文献证据，总结全球及国内针对相关干预措施已开展的药物经济学评价的研究现状，凝练关键研究发现，识别尚存的争议点以及亟待填补的研究空白。

1.2 研究问题与目的

1.2.1 在药物经济学评价中构建研究问题时，可遵循循证医学规范化的PICOS框架，明确界定五大核心要素，包括研究人群（Population/Participants）、干预措施（Intervention）、对照措施（Comparator）、结局指标（Outcomes）、研究设计（Study Design）或研究场景（Study Setting）。

1.2.2 在药物经济学评价中，研究者应基于研究问题明确评价的核心目的，聚焦临床未满足需求、卫生资源配置优化或医保决策支持等具体导向；其次应采用结构化框架精准界定研究问题要素以及适配中国决策情境的研究设计类型；同时需阐述研究问题对临床诊疗指南修订、医疗技术准入评估或药物目录调整的潜在影响路径。

1.3 研究角度

1.3.1 研究者应根据研究目的、决策背景及报告对象明确研究角度。研究角

度的选择应能够全面反映相关成本和健康产出，并便于决策者理解和应用。主要的研究角度包括全社会角度(Societal Perspective)、医疗卫生体系角度(Healthcare System Perspective)、医疗保障支付方角度(Payer Perspective)、医疗机构角度(Healthcare Provider's Perspective)以及患者角度(Patients' Perspective)等。

1.3.2 在公共决策和资源配置中，推荐优先考虑全社会角度和卫生体系角度进行评价，以全面评估药物或医疗技术的经济影响。然而，具体的研究角度选择，应立足于特定的决策需求、研究目的以及数据可获得性进行综合判断。

1.3.3 在同一项药物经济学评价中，若基于多种角度开展评价，必须确保每种角度下的分析保持内部一致性。这包括在成本识别与测量、健康产出测量、折现率选择及假设设定等方面，均需严格遵循该角度的定义和范围。同时，应清晰区分和标识不同角度下的分析结果，避免混淆。

1.4 目标人群

1.4.1 药物经济学评价的目标人群，一般为待评估干预措施的所有适用人群。研究需要明确经济学评价的目标人群，描述其纳入标准与排除标准，并详细描述其流行病学特征，包括但不限于年龄、性别、疾病类型与严重程度、合并症、危险因素以及社会经济特征等。

1.4.2 药物经济学评价应在整体目标人群水平上进行。此外，鼓励根据研究目的和需要进行亚组分析。亚组分析应基于明确的临床或流行病学特征进行分组，如人群特征、疾病亚型、严重程度、合并症等，以探索不同人群间的差异和异质性。

1.4.3 当以临床试验数据作为药物经济学评价主要数据来源时，研究者应认识到临床试验人群与目标人群之间可能存在的差异，并设计适当的分析策略来探

索、量化这些差异对经济学评价结果的影响，如亚组分析、敏感性分析等。在进行临床试验加载药物经济学评价时，研究者可以建议临床试验尽可能提升受试者多样性，适当拓宽纳入标准，避免不必要的排除标准。

1.4.4 目标人群数量的确定应综合考虑研究设计类型、研究目标、数据收集方式、成本投入以及模型复杂性等多方面因素。对于基于临床研究的经济学评价，样本量计算应遵循统计推断原则，确保足够的统计检验功效，以检测预期的经济学指标差异。推荐采用净货币效益（Net Monetary Benefit, NMB）为主要结局指标进行样本量估算，通过假设检验确定能够可靠检测净货币效益显著偏离零值所需的最小样本量。若经济学评价所需样本量超过临床研究基于主要临床终点所估算的样本量，应考虑扩大研究样本量；若受实际条件限制无法达到理想样本量，则应在分析阶段通过贝叶斯方法或概率敏感性分析等方法评估和报告样本量不足带来的不确定性。对于基于模型的经济学评价，虽然模拟人群规模为假设性数据，不需严格遵循样本量计算原则，但应基于模型复杂度、参数不确定性程度以及计算资源等因素确定适当的模拟规模，并通过蒙特卡洛（Monte Carlo）模拟的收敛性分析验证所选模拟规模的充分性，必要时应进行不同模拟规模的敏感性分析以评估结果稳健性。

1.5 干预措施与对照措施

1.5.1 研究需要详细描述干预措施与对照措施，包括但不限于药物干预方案的通用名、商品名（如适用）、剂型、规格、用法用量、治疗方式、合并用药情况、治疗背景信息，以及非药物干预方案的具体细节等。

1.5.2 在选择对照时，应基于适应症相同或相近的原则，优先考虑标准治疗方案（Standard Treatment）。若标准治疗方案不存在，则选择相同或相近适应症

下，临床上广泛接受且效果良好的常规治疗方案（Current Care，或 Usual Care）作为对照。一般不建议选用超说明书使用的药物或非药物干预方案作为对照措施。对于目前尚无有效干预措施，或仅可采用对症或支持治疗等疾病状态，药物经济学评价可考虑与无干预措施及对症治疗与支持治疗进行对比，但必须充分阐述对照选取的临床合理性和依据。在一个研究中，可以考虑纳入多种对照措施。

1.5.3 若待评估干预措施所属的治疗药物分类中（需考虑药理类别、作用机制、作用靶点等），已有药物方案获批相同或相似适应症，原则上应选择获批相同/相似适应症药物方案中的标准治疗或临床上最常使用的药物方案作为对照；若待评估干预措施属于全新的治疗药物分类，或其为所在治疗药物分类中首个获批目标适应症的药物方案，应选择与其获批相同/相近适应症的其他类别药物作为对照，选择时应优先考虑与干预措施治疗药物类别相似程度高的药品（如均为靶向治疗）；当研究旨在将新干预措施纳入医保目录或医院目录时，应主要考虑选择目录中已有的替代药品作为对照；如所评价的新干预措施属于中药或中成药（非辅助治疗），在考虑对照时，建议同时考虑与其适应症相同或相近的西药，以及与其功能主治相同的中药品种。

1.6 研究设计类型

1.6.1 药物经济学评价可分为基于模型的经济学评价研究（Model-Based Economic Evaluations）和基于临床研究的经济学评价（Clinical Research-Based Economic Evaluations）两大类在实践中，也可以联合两个类型的经济学评价来开展研究。

1.6.2 基于模型的经济学评价是较常用的研究设计方法，常用的模型有决策树模型（Decision Tree Model）、马尔科夫模型（Markov Model）、分区生存模型

(Partitioned Survival Model , PSM)、离散事件模拟模型 (Discrete Events Simulation Model , DES) 和动态传播模型 (Dynamic Transmission Models , 又称动态传染模型) 等。模型中的参数可来源于单个或多个临床研究。

1.6.3 基于临床研究的药物经济学评价依据临床证据类型，主要分为试验性研究 (Experimental Studies) 和观察性研究 (Observational Studies)。试验性研究，如临床试验，由研究者对干预 (如药物治疗) 进行分配 (通常为前瞻性设计)，包括评估理想条件下疗效的解释性临床试验 (Explanatory Clinical Trials , ECTs) 和评估常规实践中效果的实效性临床试验 (Pragmatic Clinical Trials , PCTs)。观察性研究则在真实世界中自然观察干预与结局，可以是前瞻性或利用已有数据进行回顾性设计，为药物经济学评价提供重要的真实世界证据。两类研究所得证据也常被用于模型分析，以推算长期成本和结局。

1.7 研究时限与研究假定

1.7.1 在药物经济学评价中，研究者应明确并合理设定研究时限，同时考虑疾病特点、干预措施效果及决策需求。

1.7.2 研究时限应足以覆盖疾病的完整进程，确保捕捉到干预措施与对照措施对患者成本和健康产出的长期影响，同时需考虑数据的可获得性和模型的适用性；为了保证分析的一致性，成本和健康产出的收集应该采用相同的研究时限。在开展加载于临床试验的经济学评价时，如经济学评价需要且临床试验条件允许，研究者可以建议临床试验尽量延长研究时限；也可以建议在试验结束后开展开放标签的扩展研究，进行更长的随访。

1.7.3 在模型研究中，对于长期模拟，需明确模型的长期模拟时间、依据及结果，并对比短期研究时限 (如临床试验) 与长期模拟的结果，评估外推的合理

性和准确性。

1.7.4 在进行药物经济学评价时，对于研究设计或模型估计中所作的所有假定，包括关键假定和次要假定，均应详细列出，并充分说明其依据、合理性以及可能对结果产生的影响。同时，应提高模型的透明度，以便评审专家和决策者能够理解和验证这些假定。

1.7.5 研究时限如果超过 1 年以上，应考虑对成本与健康结果进行折现。

2. 成本

药物经济学评价中的成本是指实施某一干预方案治疗或预防疾病时，所消耗的全部资源价值。成本分析主要包括成本的分类与确认（Cost Classification and Identification）、成本的测量（Cost Measurement）与成本的估值（Cost Valuation）。

2.1 成本的分类与确认

2.1.1 药物经济学评价中的成本包括直接成本（Direct Cost）、间接成本（Indirect Cost）和隐性成本（Intangible Cost），其中直接成本又包括直接医疗成本（Direct Medical Cost）和直接非医疗成本（Direct Non-Medical Cost）。

2.1.2 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；医疗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基金支付的所有直接医疗成本；医疗机构角度下，应纳入本医疗机构承担的直接医疗成本和非医疗成本（如有）；患者角度下，应纳入患者承担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，研究者可以根据实际情况进行处理，当其十分显著时，需要考虑进行专门评估，可以将其放在成本端或者健康产出端，同时

应注意处理的合理性，并避免重复计算。

2.1.3 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（包含其相关并发症）以及此项干预措施有关的成本纳入分析，并排除与目标疾病或干预措施无关的成本。

2.1.4 如果所研究的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（如世界卫生组织不良反应分级标准中的3~4级药品不良反应的影响。与药品不良反应相关的成本主要有两类：（1）为避免或监测药品不良反应发生而产生的成本；（2）药品不良反应发生后进行医疗干预而产生的成本。不良反应的发生不仅会导致直接成本，也可能导致间接成本和隐性成本的发生。

2.1.5 在基于临床研究的药物经济学评价中，应当识别并排除根据临床研究设计方案规定而发生但在实际临床治疗中不会发生的“方案引致成本”（Protocol-Driven Costs）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，可以参考医疗资源消耗的真实世界数据进行敏感性分析（Sensitivity Analysis）。

2.1.6 研究所涉及的资源消耗若被包含在打包付费中，如果研究角度为医疗保障支付方角度，可按照打包付费的情况计算直接医疗成本；如果研究角度为全社会角度或医疗卫生体系角度，对于相关资源消耗的成本测算应根据临床实际发生，即按项目付费进行计算。

2.2 成本的测量

2.2.1 成本测量时应首先列出与实施干预措施、对照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。

2.2.2 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。

2.2.3 成本相关参数通常可以来自于已发表文献、临床研究、真实世界数据、专家咨询等。通过临床研究获得成本信息时，可以采用患者自报告，或通过医院或其他数据库获取患者在临床研究阶段的成本信息，也可将两种途径相结合。

2.2.4 进行成本测量时应推荐优先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。

2.3 成本的估值

2.3.1 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。

2.3.2 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。

2.3.3 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，例如省级集采平台最新挂网价、药品医保支付标准等。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，可以采用基于销售数量市场份额（而

非销售额市场份额)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他价格体系的合理性。

2.3.4 来自于不同数据来源成本数据,应首先统一折算至同一基准年份。可以采用国家统计局或其他官方机构发布的医疗服务价格指数(Medical Service Price Index, MSPI)或居民消费价格指数(Consumer Price Index, CPI)进行调整。

2.3.5 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,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。

3. 健康产出

疾病和干预措施对患者产生的影响可以分为三个方面,即经济产出(Economic Outcomes)、临床产出(Clinical Outcomes)和人文产出(Humanistic Outcomes)。在药物经济学评价中,通常将临床产出和人文产出归为健康产出(Health Outcomes,也称为健康结果、健康结局)的范畴,其中临床产出主要体现为临床指标的变化,人文产出主要体现为患者主观感受的变化如健康相关生命质量(Health-Related Quality of Life, HRQoL)的变化。

健康产出的三类测量指标包括效果（Effectiveness）、效用（Utility）和效益（Benefit）。效果指干预措施在特定环境下对患者健康状态的实际改善程度，分为临床疗效（Efficacy，也称为功效）和实际效果（Effectiveness）；效用基于患者或社会对健康状态的偏好程度，综合生存时间与生命质量，常用质量调整生命年（QALYs）衡量；效益将健康产出转化为货币单位，量化干预带来的经济价值。效果、效用与效益分别从不同维度衡量健康产出的价值，需结合研究目标、数据可获得性及决策者偏好进行指标选择。

3.1 疗效/ 效果

3.1.1 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（Best Available Evidence），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，亦可选用适宜人群的高质量真实世界研究证据；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。鉴于真实世界研究实施环境更为复杂、实施过程更加难以控制，在使用真实世界研究中的实际效果数据时，需要对数据来源研究的质量或偏倚风险进行评估，以保证最终药物经济学评价研究的质量。

3.1.2 推荐优先从循证医学临床证据等级较高的临床试验系统综述（Systematic Review）或 Meta 分析（Meta-Analysis）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。同时需要考虑数据来源的人群特征与所研究人群特征是否一致。

3.1.3 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临床试验数据或含有中国人群的国际多中心临床试验数据。如选择含有中国人群的国际

多中心临床试验数据，应尽可能地对我国亚组人群的特征进行描述和分析；当无法获得含有我国人群的临床试验数据时，可以使用基于其他国家或地区人群的临床试验数据，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。

3.1.4 推荐优先选择干预组与对照组头对头（Head-to-Head）比较的随机对照临床试验临床疗效数据。当缺少头对头直接比较证据时，若两项随机对照临床试验研究中存在共同对照组，推荐使用基于共同对照组调整的间接比较（Bucher Indirect Treatment Comparison, Bucher 法）。一般不推荐使用朴素间接比较（Naive Indirect Treatment Comparison, Naïve 法）。

3.1.5 当缺少头对头直接比较证据时，若可获得一项随机对照临床试验研究的个体患者数据（Individual Patient Data, IPD）且不同研究之间基线特征分布不均衡时，可以使用匹配调整间接比较（Matching-Adjusted Indirect Comparison, MAIC）或模拟治疗比较（Simulated Treatment Comparison, STC）分析临床疗效数据。其中，当存在共同对照组时，推荐使用有锚定匹配调整间接比较或模拟治疗比较；仅当不存在共同对照组时（如干预组或对照组疗效来自于单臂临床试验），可以考虑使用无锚定匹配调整间接比较或模拟治疗比较。当可同时获得两项随机对照临床试验研究的个体患者数据时，可以使用倾向得分匹配（Propensity Score Matching, PSM）或逆概率治疗加权（Inverse Probability of Treatment Weighting, IPTW）分析疗效数据。

3.1.6 当可构建由直接证据和间接证据组成的证据网络时，推荐使用网状 Meta 分析（Network Meta-Analysis, NMA）；若网状结构中至少一个临床试验可获得个体患者数据，可以使用多层次网状 Meta 回归（Multilevel Network

Meta-Regression, ML-NMR)。

3.1.7 推荐优先采用终点指标 (Final Endpoints) 进行药物经济学评价。当缺少终点指标时,也可以采用关键的中间指标 (Intermediate Endpoints) 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。

3.2 效用

3.2.1 推荐使用质量调整生命年 (Quality-Adjusted Life Years, QALYs) 作为成本-效用分析的健康产出指标,且在报告 QALYs 之前,应当先分别报告生存时间和健康效用值 (Health Utility)。

3.2.2 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,如青少年版五维健康量表 (EQ-5D-Y)、儿童九维健康效用量表 (Child Health Utility 9D, CHU9D) 等。常用的直接测量法包括标准博弈法 (Standard Gamble, SG)、时间权衡法 (Time Trade-Off, TTO) 和离散选择实验法 (Discrete Choice Experiment, DCE) 等。

3.2.3 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 (Generic) 效用量表对目标疾病有较好的信度 (Reliability) 和效度 (Validity),优先推荐使用普适性效用量表,如三水平五维健康量表 (EQ-5D-3L)、五水平五维健康量表 (EQ-5D-5L) 和六维健康调查简表 (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。

3.2.4 健康效用值可以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。如果有通过映射法（Mapping）建立的效用得分转换公式可用，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。使用映射法获取健康效用值时，优先选择基于中国人群的效用得分转换公式，且需要评估公式来源文献中研究人群与目标人群特征的相似性。

3.2.5 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代理测量（Proxy-assessed），再考虑询问医护人员进行测量。

3.2.6 推荐使用基于一般人群偏好建立的健康效用积分体系（Value Set）进行效用值的计算，并在研究中说明其合理性，同时阐明对评价结果可能产生的影响。推荐优先选择基于中国人群偏好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偏好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偏好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。

3.2.7 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。但在使用时需要阐明其合理性，并进行敏感性分析，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。

3.2.8 当考虑某种特定症状、给药方式、不良事件或并发症等对健康效用值产生的影响时，可以通过效用损失（Disutility，又称负效用）进行计算。

3.2.9 如果疾病或者干预措施对照护者有较大影响，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或效用损失。

3.3 效益

3.3.1 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(Direct Benefit)、间接效益(Indirect Benefit)和隐形效益(Intangible Benefit)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生命时长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。

3.3.2 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使用同时计入成本和健康产出维度当中。

3.3.3 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(Willingness to Pay, WTP)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述等,并需要在报告或文章中附上货币价值的推导过程。

4. 折现

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折现(Discounting,也称为贴现),将其折算成同一时点的价值当量。

折现时建议对成本与健康产出采用相同的折现率(Discounting Rate)。建议采用每年4.5%的折现率进行分析,同时在采用0%与5%的折现率进行敏感性分

析。若采用其他折现率，应给出合理解释。

5. 评价方法

本章指南围绕评价类型和增量分析进行阐述与推荐。在评价类型方面，基于卫生技术评估的实践需求，重点针对主流药物经济学评价方法的适用场景与结果汇报等进行说明，提出评价方法选择的推荐意见。针对增量分析指标及结果解释标准进行介绍，同时结合我国卫生体系特征与循证证据，提出针对增量指标的阈值范围或阈值测量方法的推荐意见，为不同情境下的卫生资源配置提供可操作的判断依据。

药物经济学评价方法主要分为成本-效果分析（Cost-Effectiveness Analysis, CEA）、成本-效用分析（Cost-Utility Analysis, CUA）和成本-效益分析（Cost-Benefit Analysis, CBA）。在实际研究中，成本-效用分析也往往被视为使用效用作为健康产出指标的成本-效果分析。此外，在一些特殊情况下，也可采用最小成本分析（Cost Minimization Analysis, CMA）。

5.1 评价类型

5.1.1 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，以药物经济学证据使用者（例如医保管理部门、医院管理者、医药企业等）的不同决策需求来选择适当的评价方法。建议优先考虑采用成本-效用分析；若无法采用成本-效用分析，也可以采用成本-效果分析、成本-效益分析或最小成本分析等，但应说明理由。

5.1.2 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。

5.1.3 选择最小成本分析开展药物经济学评价时需谨慎，仅当有充分证据显示干预组与对照组的重要临床产出（主要包括疗效和安全性）相同或无临床意义差异时，才可考虑使用最小成本分析。在证明两种干预措施的重要临床产出的无差异性时，统计学无差异性和临床无差异性均可接受，但应综合考虑两种方案的所有特性差异（不仅限于临床研究中的疗效终点和安全性指标）所带来的临床产出差异以及患者完整病程中或终生（不仅限于两种方案所处治疗阶段或治疗疗程）的临床产出差异。

5.1.4 除了报告成本-效用分析、成本-效果分析、成本-效益分析或最小成本分析的主要结果之外，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，更为全面和透明地反映全部重要信息。

5.2 增量分析

5.2.1 药物经济学评价中，成本-效果分析、成本-效用分析和成本-效益分析的基本决策原则是按照增量分析（Incremental Analysis）结果进行决策。

5.2.2 在成本-效果分析和成本-效用分析中，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（Dominant）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（Dominated）方案；如果干预方案相比对照方案成本更高而产出也更高，在成本-效果分析和成本-效用分析中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 小于或等于意愿支付阈值，则干预方案被认为在可接受的成本下带来健康收益，是具有成本效果的；如果 ICER 大于阈值，则干预方案不被认为具有成本效果，对照方案在当

前阈值下可能是更优选择。

5.2.3 在成本-效用分析中进行增量分析时，一般情况下建议对 QALY 采用 2 倍以下全国人均国内生产总值（Gross Domestic Product, GDP）作为意愿支付阈值。对于创新价值突出或显著改善公平性的药物，在实际研究中可以根据决策需求以超过 2 倍人均 GDP 作为阈值。对于其他健康产出指标，应采用高质量文献资料中形成的阈值，或采用意愿支付法、支出效果法等适用于灵活预算背景的方法，以及统计生命价值法、机会成本法、影子价格法等适用于固定预算背景的方法，并报告阈值的设置依据或方法，不可直接采用 QALY 的阈值。

5.2.4 在成本-效益分析中，针对单一方案需计算净效益（Net benefit, NB）或效益成本比（Benefit cost ratio, B/C），当其数值大于某个标准值时（通常情况下 NB 大于 0 或 B/C 大于 1，不同的决策场景可以有不同的标准值），该方案被认为是经济的；当其数值小于标准值时，该方案不被认为是经济的。当存在财务预算约束（即成本支出受限），需要将可互为替代的方案进行比较时，仅证明 NB 或 B/C 大于标准值是不充分的，还需在方案间比较 NB 或 B/C 值，数值大的方案相比于小的方案在现有财务预算约束条件下更具成本-效益优势。

6. 模型分析

在药物经济学评价中，模型经常被用来对不同疾病干预方案的经济性进行比较。药物经济学评价模型通常是采用图形结构、公式等方式对疾病的自然转归过程和干预措施对该疾病转归过程的影响进行抽象模拟，重点关注此过程中发生的干预措施和重要临床事件以及由此引起的健康变化和资源消耗情况，最终在不同干预方案之间进行经济性比较。一个典型的药物经济学评价模型通常包括以下信

息：疾病或健康问题的发病率或患病率、疾病诊断和治疗的措施、干预方案对某些临床事件发生风险的影响、患者生存时间和生存质量以及干预方案的成本等。

6.1 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，以确保模型具有良好的外部效度。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。

6.2 模型类型的选择

6.2.1 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。

6.2.2 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。可考虑借助已发表的模型选择工具，如 Revised Brennan's taxonomy 辅助模型选择，并在报告中明确说明选择某种建模方法的理由。

6.3 模型构建

6.3.1 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。

6.3.2 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。模型结构不应仅取决于可获得的

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。

6.3.3 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。

6.3.4 马尔科夫模型和分区生存模型中,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出的全面影响;模型循环周期应当足够短,以更加精确的模拟相关事件的发生频率。

6.3.5 马尔科夫模型和分区生存模型建议进行半循环校正(Half-Cycle Correction),尤其对于循环周期较长和循环周期数较少的模型。

6.3.6 分区生存模型的健康状态之间应当有明确的单向转移关系,没有同级健康状态或多个转移方向,且模型中的个体仅能从初始状态向吸收状态的方向进行转移,其间可以保持在某个状态,转移到下一个状态或者跨越多个状态,但不能向初始状态的方向进行转移。

6.3.7 分区生存模型中,如果选择半参数或者参数生存分析所得生存函数来拟合生存概率,需要确保各状态的生存曲线在研究时限内没有交叉,即在任何时间点上,顺序靠后的健康状态的累计生存概率必须不小于其前一个健康状态的累计生存概率。

6.4 模型参数来源

6.4.1 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。

6.4.2 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，选择咨询专家时应充分考虑专家数量和地域代表性，根据就诊疾病的特征和就诊医院级别分布合理选择专家。专家咨询问卷的设计应充分考虑临床使用场景，并对参数值进行敏感性分析或差异性分析。

6.4.3 Markov 模型中转移概率来源的研究的观测时间需要足够长，以保证可以获得稳定可靠的转移概率。

6.4.4 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且可以获得单组个体患者数据时，优先选择有锚定的匹配调整间接比较或有锚定的模拟治疗比较；无法获得单组 IPD 时，建议采用基于共同对照组调整的间接比较（Bucher 法）或网状 Meta 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且可以获得单组 IPD 时，可采用非锚定 MAIC 或 STC 法；若能获得所有干预措施的 IPD，则可采用倾向得分匹配和逆概率治疗加权等进行间接比较；无法获得单组 IPD 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。

6.4.5 当研究中需要通过生存分析获得模型关键参数（如马尔科夫模型的转移概率和分区生存模型中的生存概率）时，研究者应当明确阐述选择特定生存分析方法的原因、具体的方法设置以及最优模型选择的依据或方法。

6.5 模型假设

6.5.1 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。

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

6.5.3 建议研究者在报告中明确列出模型中包含的所有重要研究假设。

6.6 模型验证

6.6.1 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（Face Validity）、内部效度（Verification or Internal Validity）、交叉效度（Cross Validity）、外部效度（External Validity）和预测效度（Predictive Validity）等。

6.6.2 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。如果评审专家认为模型表面效度不理想，需要把其中的理由和后续的模型修改等信息都记录下来。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。

6.6.3 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。

6.6.4 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。

6.6.5 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。

6.7 模型透明度

6.7.1 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。

6.7.2 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 MS Excel、R 语言或者 TreeAge Pro。

6.7.3 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。

6.7.4 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。

6.8 模型本土化与改编

6.8.1 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。

6.8.2 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。

6.8.3 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、折现率、质量调整生命年

(QALYs) 和意愿支付阈值等。

7. 差异性和不确定性

差异性 (Variability) 和不确定性 (Uncertainty) 是药物经济学评价研究方案设计和结果解读中的两个重要概念, 主要用于分析和描述分析结果的可靠性和稳健性。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 (如就医方式的差异、支付方式的差异等) 或者患者异质性。不确定性反映了由于研究设计、测量技术或分析方法的不完善, 导致估计值与真实值之间可能出现差异。

药物经济学评价旨在为决策者提供干预方案预期成本和健康产出的关键信息, 提高医疗卫生资源配置效率。因此, 向潜在决策者提供关于评价结果在差异性和不确定性方面的完整信息将对决策不确定性产生重要影响。研究人员在评价中应采用系统且一致的方法来定义和分析差异性与不确定性, 不仅有助于提高药物经济学评价的科学性和可解释性, 还能够为决策者提供更加可信和稳健的信息支持, 从而优化医疗资源配置的效率和公平性。

7.1 差异性分析

研究者在研究设计和模型分析阶段中, 均应考虑由于研究地区、研究背景以及患者异质性带来的差异性的影响, 并在报告中汇报完整的差异性分析方法和结果。

7.2 不确定性分析的对象

7.2.1 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。

7.2.2 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。

7.3 不确定性分析的方法

7.3.1 方法学及模型不确定性多采用情境分析（Scenario Analysis）。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的差异进行合理解释。

7.3.2 参数的不确定性可以采用单因素、多因素、极值分析等确定型敏感性分析（Deterministic Sensitivity Analysis, DSA），也可以采用蒙特卡洛模拟（Monte Carlo Simulation）进行概率敏感性分析（Probabilistic Sensitivity Analysis, PSA）。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。

7.3.3 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。

7.3.4 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。有些参数取值的范围可能来自于不同地区或者不同医院，如药品中标价格在全国各地区有最高和最低中标价。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。

7.3.5 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。

7.3.6 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。同时，研究者应当检查概率敏感性分析中参数的相关性，必要时采用科列斯基分解（Cholesky

Decomposition) 等方法进行处理。

7.3.7 在临床试验加载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 (Bootstrap) 进行抽样不确定性分析。

7.3.8 在进行概率敏感性分析时, 应使用足够多次数 (建议至少 1000 次) 的模拟来最小化蒙特卡洛误差的影响。

7.3.9 在情境分析和亚组分析的各情境或亚组中, 除了汇报增量成本-效果比 (Incremental Cost-Effectiveness Ratio, ICER) 的点估计值之外, 也应当汇报概率敏感性分析的结果, 以更加完整的展示结果, 并有利于决策参考。

7.4 不确定性分析的结果展示与解读

7.4.1 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 (Tornado Diagram) 来表示, 以明确展示出各不确定性因素对结果影响的大小排序。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。

7.4.2 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。在临床试验加载的药物经济学评价或者观察性研究中, 也建议将非参数自助抽样的结果绘制成本-效果可接受曲线 (CEAC) 或成本-效果平面散点图来表现。

7.4.3 在对多个方案进行经济性比较的评价时, 成本-效果可接受曲线需要包含完全方案 (即所有纳入分析的方案), 同时可以汇报成本-效果可接受边界 (CEAF)。

7.4.4 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。

7.4.5 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。即使在基础分析中得到了阳性结果，在敏感性分析中也有可能被逆转。

8. 公平性

本章主要介绍药物经济学中有关公平性的问题，包含公平性的定义、原则、影响因素、考虑公平性影响的方法，以及引入公平信息的经济性评价方法学研究等。

维护公平是决策者在可能影响资源分配的评估中需要面对的问题。虽然药物经济学评价是以提高资源配置效率为主要目标的评价，但为了更好支持卫生决策，需要考虑公平性问题。

8.1 药物经济学评价中需要纳入公平性的考量，主要是从机会公平的原则出发，保证研究结果对不同人群无歧视。

8.2 药物经济学研究中的某些假设和参数取值会对公平性产生影响。研究者应该对这些假设和参数加以说明，并尽量提供与健康平等相关的、全面的公平性信息给决策者参考。一般，在基础分析中，假设不同人群所获得的健康收益其价值相等，如成本-效用分析中不同人群获得的 QALY 其价值相等。

8.3 常见的公平性影响因素包括：（1）社会因素，如年龄、性别、受教育水平、社会经济地位等；（2）疾病因素，如疾病严重程度、疾病罕见程度等；（3）健康获益因素，如健康获益的类型（延长寿命 vs. 改善生命质量）、健康获益大小等。

8.4 考虑“谁获益，谁受损，获益受损的程度如何”的原则在公平性评估中具有重要意义。研究者可从健康公平的角度明确不同亚组在干预中获得的净健康收益与成本负担，强化结果解释的透明性与分配正义的考量。

8.5 在药物经济学评价中可以通过以下方法来评估公平性相关假设或参数选择所带来的影响。首先是开展敏感性分析，评估研究中与公平性有关的假设及参数取值对结果的影响。其次是开展亚组分析，确定主要的获益（优势）亚组和受损（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态等群体特征。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。

8.6 鼓励研究者探索、开展引入公平信息的经济性评价方法学研究，尤其是公平性因素影响较大的研究问题或疾病领域。主要研究方法包括公平性权重（Equity based weighting, EBW）、分布式成本-效果分析（Distributional Cost-effectiveness Analysis, DCEA）、扩展成本-效果分析（Extended Cost-effectiveness Analysis, ECEA）、广义风险调整成本-效果（Generalized Risk-Adjusted Cost-Effectiveness, GRACE）等方法。建议在有决策需要的情况下作为补充信息参考使用。

9. 外推性

在药物经济学评价中，外推性也称可转移性（Transferability）、通用性（Generalizability）、可移植性（Transportability）、外部效度（External Validity）、相关性（Relevance）或适用性（Applicability），是药物经济学评价中的一个难点。外推性是指“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的程度”，外推性通常涉及两个层次：①可通用（Generalizable），指在某一特定研究环境或背景下获得的药物经济学评价结果能够直接应用于其他环境或背景。②可转移（Transferable），指在某一特定研究环境或背景下获得的药物经济学评价结果需要经过相应的参数或模型调整后才能应用于其他环境或背景。由于受疾病流行病学和人口特征、临床实践模式、资源使用模式以及单位成本等因素的影响，同一药物的研究结果可能因评价环境或群体的不同而有所不同。因此，在解释和推广药物经济学评价结果时考虑“外推性”是十分必要的。

建议在药物经济学评价中从疾病的流行病学和人口特征、临床实践模式、资源使用模式、成本和效果的有效性和相关性等角度详细阐述研究结果应用于目标决策环境中的外推性，特别是对于使用非中国本土数据开展的药物经济学评价。

10. 预算影响分析

预算影响分析（Budget Impact Analysis, BIA），是从预算持有者（Budget Holder）角度对新的医疗干预措施进入某个支付系统（如国家、地区的医保目录或医疗相关部门的报销清单等）后对该系统费用支出影响的分析评估，一般通过比较该干预措施是否获得准入的两种假设情境来衡量该系统预算的可负担性。预

算影响分析从宏观角度分析新干预措施对系统费用支出的影响,能够在新干预措施市场准入过程中为相关决策者提供重要的决策参考。

10.1 应用场景

10.1.1 开展预算影响分析时,需要首先明确系统内可能受新干预措施影响的目标人群规模,其次确定准入情境和未准入情境下各干预措施的市场份额,得到两种情境下各干预措施的使用人群数量,最后结合每位患者使用不同干预措施的治疗成本,计算得到各个情境下的费用支出。准入情境与未准入情境之差即为增加或结余的医疗费用。图 10.1 详细展示了预算影响分析模型的分析框架与具体操作流程。

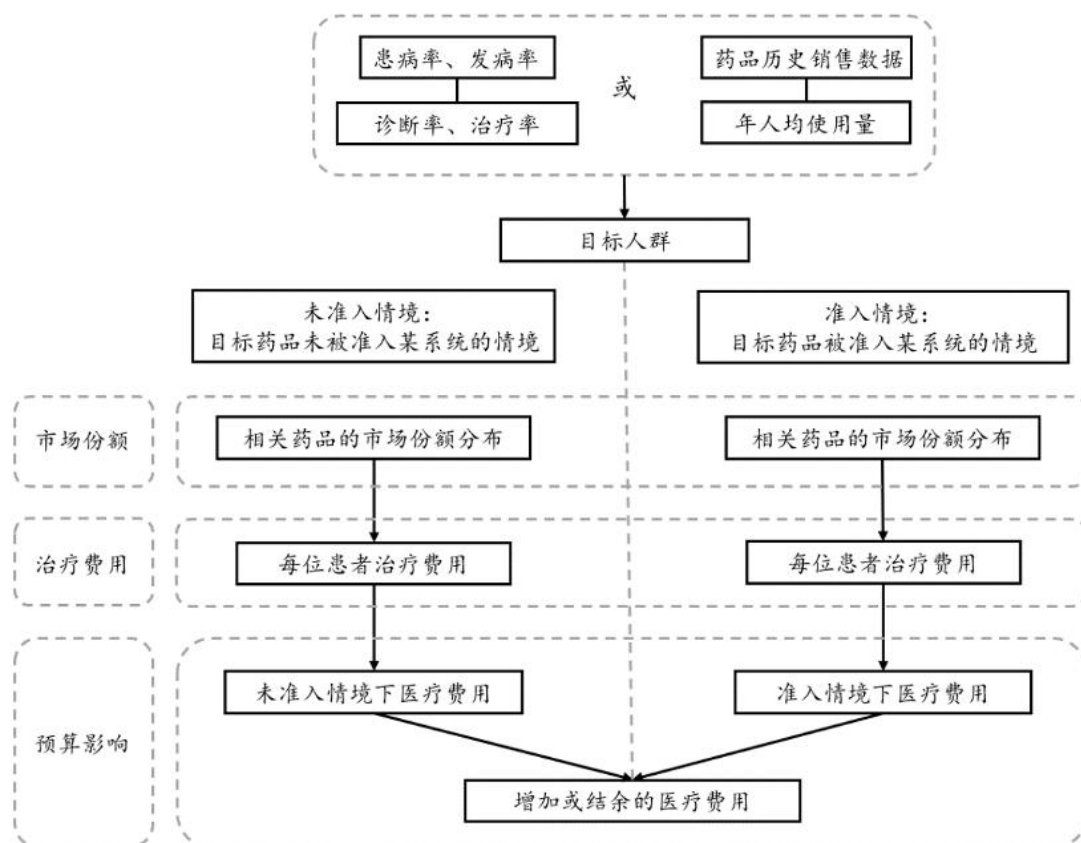


图 10.1 预算影响分析流程示意图

10.1.2 向决策者提交证据材料或发表研究成果时,预算影响分析可以单独提

交或发表，也可以作为药物经济学评价的必要补充与扩展。

10.2 分析框架

10.2.1 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，将角度界定在从全国到地方的不同层次的医保支付方、商业保险机构、某地区某类型的某家医疗机构等。

10.2.2 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待评价干预措施的适应症、医药卫生系统的患者限定条件（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）、临床确诊和接受治疗的比例以及引致需求（如此前未接受治疗的患者因为新干预措施的引入而开始接受治疗）等所确定的患者群体。

10.2.3 预算影响分析的预测时间一般在3~5年之间。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，因此不建议进行折现。

10.2.4 预算影响分析中的各种市场情境是指待评价干预措施在不同准入情况下的市场状态，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、同类药品的撤市或集采以及可能的替代治疗方式等。

10.2.5 预算影响分析的成本通常包括两部分，一是干预措施本身的成本，二是干预措施的使用对其他成本的影响（Impact on Other Costs），后者又包括疾病相关成本（Condition-Related Costs）和间接成本两类。其中，间接成本往往与预算持有者角度不相关，一般不建议纳入预算影响分析的成本计算。

10.2.6 预算影响分析的计算框架一般展示为电子表格形式。应尽量向决策者提供便于理解的“成本计算器”（Cost Calculator），将成本的各个组成部分明确

列出。对预算影响分析的计算框架与输入数据进行描述时，应尽量确保数据与假设的透明度与可靠性，例如以电子表格的形式展示。

10.2.7 预算影响分析的不确定性包括模型结构的不确定性和参数的不确定性。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，如目标人群的不确定性、新干预措施替代药品的不确定性等。参数的不确定性主要来自数据可获得性的限制以及数据来源样本的局限性，如疾病的发病率和患病率、新干预措施在未来市场中的预期份额、干预措施和其他医疗服务的价格、干预措施的平均用药时长、目标人群使用干预措施的依从性等。

10.2.8 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（Face Validity）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内部效度（Verification or Internal Validity）验证，也被称为技术效度（Technical Validity）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外部效度（External Validity）验证，即在模型定义的限制范围内，是否较为客观合理地反映真实世界，具有再现现实的能力。

10.3 数据来源

10.3.1 预算影响分析能否有效支持决策，除了合理的研究设计以外，很大程度上取决于其使用数据的质量，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。

10.3.2 预算影响分析中首先需要计算该卫生系统内目标人群的总体规模，此时通常会用到国家或地区的总人口、年龄分布、性别比例和参保情况等参数，该

类参数优先推荐来源于国家或地区的官方卫生统计数据,使用时应明确数据来源并对数据质量和相关性进行评估,确保所用数据的合理性和时效性。

10.3.3 推算适应症目标人群需要使用疾病的患病率、发病率、诊断率、治疗率、疾病严重程度分布等流行病学参数,这些数据优先推荐来源于国内的流行病学数据或真实世界研究数据。当数据不可得时,可考虑利用专家访谈或问卷调查来估计参数值,但该途径得到的参数值的不确定性较大,需要进行充分的敏感性分析。

10.3.4 对于现有干预措施的市场份额,优先参考来源于预算持有者自身的数据,例如预算持有者掌握的保险报销数据等。当预算持有者不能提供该类数据时,也可以参考疾病登记数据、保险报销数据、本地调查、市场调研或其他已发表的二次研究数据。

10.3.5 对于两种情境下未来市场份额变化情况的预测,可以优先基于历史数据的变化情况进行合理预测,或者结合市场调研、临床专家意见以及国内外类似市场的分布情况进行设定。

10.3.6 预算影响分析中成本参数优先推荐使用与决策者视角相符的真实世界数据,这些数据的来源可以是登记研究、基于数据库的回顾性研究、市场调研等。需要阐明成本参数来源与选择理由,并进行敏感性分析。

11. 报告标准

当前药物经济学评价研究数量不断增加,本指南前述章节对研究的设计与开展提出了具体的推荐和指导意见,但药物经济学评价报告撰写标准目前尚不统一,报告间差异较大,透明度不高。本章提出标准报告格式和质量核查列表两份报告

标准，可帮助报告撰写者规范报告格式，帮助审阅者确认和理解相关研究内容。

其中，标准报告格式旨在指导研究报告撰写者准确报告研究背景、研究方法、研究结果和研究结论等评价细节，包括 9 个部分共 27 条具体推荐意见。此外，还对首页和摘要的报告格式进行了明确规范。质量核查列表是基于标准报告格式形成的检查清单，包括 9 个部分共 58 条具体检查项，可供审阅者明确报告结构，快速把握研究内容，更好使用研究结果，也可供报告撰写者在完成报告撰写后进行核对校验。

11.1 标准报告格式的解释与阐述

11.1.1 标题

标题应该能使药物经济学评价在文献检索时被轻松识别。建议研究者在标题中使用“经济学评价”一词，也可以直接在题目中明确研究所采用的评价方法（如，“成本-效果分析”、“成本-效用分析”“成本-效益分析”等）。此外，标题中需要具体说明干预措施与研究人群相关信息。

11.1.2 摘要

摘要作为进一步筛选文章的基础，应足够详细，以便读者能够评估经济学评价的相关性。作者应提供一个结构化的经济评价总结，包括研究目的、研究方法、研究结果以及结论。在结论中应该指出对患者、公众或政策的潜在影响，并描述相关不确定性分析的影响。

11.1.3 引言

在引言中，研究者应明确阐述研究动机，提出研究问题（即决策问题），说明其对卫生政策或实践决策的实际意义，并描述其对患者和全体公众的重要性。如果研究是旨在为政策决策提供依据，或者旨在解决某个特定的决策问题，需要

在引言中明确说明，同时需要充分阐述研究问题的重要性。

11.1.4 方法

研究方法部分需要清晰展示研究的设计思路和实施过程，确保研究的透明性、可重复性和科学性。该部分需要详细阐述研究角度、干预与对照措施、研究时间范围、评价方法、研究假设、模型参数及数据来源、差异性及不确定性以及统计分析方法等信息，以确保读者能充分了解研究方法，增强研究结果的可信度。

11.1.5 结果

研究结果部分需要汇报基础分析结果，同时应对不确定性分析的相关结果进行汇报，分析关键参数变化对结果的影响，确保研究结果的稳健性，为决策者、临床实践者以及相关利益方提供关键参考信息。同时为了确保研究结果兼顾效率与公平，符合社会伦理要求，结果中还应汇报公平性和患者及其他人群影响等相关信息。

11.1.6 讨论

讨论部分应全面总结本研究的主要模型或统计结果，与以往相关研究进行比较，分析异同及其可能原因，并对研究中的不确定性和关键影响因素进行探讨。此外，应评估研究结果的外推性，包括其在流行病学、人群特征、地域特征、临床实践和资源使用模式等方面的适用性和差异性。此外，需针对研究方法和数据的局限性及其可能造成的偏倚，进行详细的讨论，并说明研究结果对医疗卫生服务资源的潜在影响。在条件允许时，还应通过敏感性分析或亚组分析对结果的公平性问题进行检验。

11.1.7 结论

结论部分需要用清晰简洁的文字阐明研究的主要目标，总结主要研究结果和相关影响，干预措施适合应用的人群及环境，以及研究的不确定性和注意事项。

同时明确学术价值和应用价值，并说明未来有待解决的问题。

11.1.8 附录

在药物经济学报告的附录部分，应提供关键数据的详细图表、问卷设计（如有）、数据来源说明以及药物经济学模型的详细信息，以便读者查阅和核实研究过程。如果涉及系统评价或 Meta 分析，还需列出文献检索的数据库、检索策略、筛选流程、纳入研究的基本信息表、数据提取标准及格式，以及文献质量评价工具或标准。这些内容有助于增强研究的透明性，便于其他研究者复核和验证，从而确保研究结果的可靠性。

11.2 标准报告格式（Standard Reporting Format）

11.2.1 首页（Cover Page）

- ◇ 标题（Title）
- ◇ 作者（Author）与工作单位（Affiliation）
- ◇ 资金/资助（Funding/Support）：列出本文所有的资金和资助来源
- ◇ 致谢（Acknowledgements）：对数据提供者、技术支持者及其他对研究有实质性贡献的个人或机构的致谢

11.2.2 摘要（Abstract）

- ◇ 背景（Background）：简述该研究问题的重要性和显著性
- ◇ 目的（Objectives）：具体解决什么问题
- ◇ 方法（Methods）：研究设计方案、研究人群和分析所使用的主要结果指标
- ◇ 结果（Results）：报告分析所得到的主要结果和数据
- ◇ 局限性（Limitation）：对研究设计、研究方法和所用数据的主要局限进行描述
- ◇ 结论（Conclusions）：根据结果数据所能做出的基本判断

11.2.3 正文部分 (Main Text)

11.2.3.1 引言 (Introduction)

(1) 研究背景 (Background)

①所研究疾病的基本信息

- ◇ 疾病严重性, 疾病的流行病学特征, 疾病诊疗模式 (Treatment Pattern)
- ◇ 疾病负担, 包括流行病学负担、经济负担和人文负担 (主要指生命质量) 三个部分
- ◇ 所研究疾病领域的主要临床未满足需求

②干预措施的基本信息 (Interventions)

- ◇ 该疾病诊疗指南中主要的规范诊疗路径以及干预措施在治疗路径中的定位, 治疗方式、用法用量、合并用药、使用环境要求等信息
- ◇ 疗效、不良反应、警告或注意事项, 成本等信息 (如年费用、疗程费用或日费用等费用信息)
- ◇ 新干预措施的创新特点 (靶点、作用机制、药代动力学、使用便捷性、患者依从性等方面的优劣势), 适用人群, 及其在中国的上市和医保准入现状
- ◇ 新干预方案及其对照方案在诊疗指南中的推荐情况及推荐等级等信息
- ◇ 信息适用场景 (如中国卫生体系场景或国际化场景) 和信息来源 (如系统综述或单一来源)

(2) 文献综述 (Literature Review)

- ◇ 系统综述国内外同领域的药物经济学评价文献, 描述新干预措施相关证据等结论性信息
- ◇ 重点关注方法学的综述 (如模型选择、模型结构、研究假设、参数来源等)
- ◇ 指出所要进行的研究与已知文献的差别、特点和创新之处

(3) 研究目的 (Objectives)

- ◇ 明确该研究的主要目的和次要目的

- ◇ 确定研究的目标受众和潜在受众，明确目标受众和潜在受众的需求

11.2.3.2 方法 (Methods)

(1) 目标人群 (Target Population)

- ◇ 描述干预措施针对的目标人群
- ◇ 描述本研究中是否分亚组进行相关分析，并指出划分亚组的依据及合理性

(2) 研究角度 (Perspective)

- ◇ 明确本研究中研究角度的选择和理由
- ◇ 明确不同研究角度下，对结果解读的差异及注意事项

(3) 干预与对照措施 (Interventions and Comparators)

- ◇ 研究中所引入的对照措施的选择和理由
- ◇ 详细描述本研究中干预组和对照措施的内容，包括用法用量、治疗周期、合并检查及治疗、不良反应的处理、疾病进展后的后续治疗等

(4) 研究时间范围 (Time Horizon)

- ◇ 描述研究中时间范围的选择和理由
- ◇ 阐述时间范围的选择对研究结果的潜在影响

(5) 研究方法

- ◇ 研究中需描述研究设计，包括基于模型的药物经济学评价与基于临床研究的药物经济学评价等研究方法。
- ◇ 如为基于模型的药物经济学评价，需简述模型类型（如决策树模型、马尔科夫模型、分区生存模型等）选择的依据、模型结构、健康状态的定义以及分析方法等。如为基于临床研究的药物经济学评价，请简述主要研究设计及关键变量的定义等。

(6) 主要假设 (Key Assumptions)

- ◇ 描述本研究关键假设，以及假设的重要特点及其合理性

(7) 研究产出 (Model Outputs)

- ◇ 描述本研究关键模型产出（如质量调整生命年 QALYs、增量成本-效果

比 ICER 等)

(8) 模型参数及数据来源 - 仅适用于基于模型的药物经济学评价

①人群基本特征

- ◇ 描述本模型所使用人群基本特征
- ◇ 列出数据来源, 并说明其合理性

②健康产出的识别 (Health Outcomes Identification)

- ◇ 描述本研究选择的关键健康产出指标 (如疗效参数、效用参数等)、测量方法、选择理由与分析方法
- ◇ 列出数据来源或者假设来源, 并说明其合理性。

③安全性

- ◇ 描述本模型所使用的安全性参数与分析方法
- ◇ 列出数据来源或者假设来源, 并说明其合理性

④成本的识别 (Cost Identification)

- ◇ 确定本研究成本的组成部分 (直接成本、间接成本等) 及其理由
- ◇ 描述、测量和评价分析中涉及的所有成本
- ◇ 描述各成本变量的来源、确定方法

⑤折现 (Discounting)

- ◇ 说明研究中是否折现及其理由
- ◇ 说明研究中折现率的选择和理由

(9) 主要结果的分析方法 - 仅适用于基于模型的药物经济学评价

- ◇ 描述本研究中具体评价方法及其合理性 (包括成本-效果分析、成本-效用分析、成本-效益分析或最小成本分析)
- ◇ 描述增量分析的方法

(10) 差异性 & 不确定性

- ◇ 不确定性描述: 表述研究分析中不确定性的来源, 包括方法学不确定性、参数不确定性和模型不确定性
- ◇ 不确定性处理: 明确分析不确定性的方法, 包括情境分析、确定型敏感

性分析和概率型敏感性分析

◇ 描述不确定性参数的取值范围、概率分布类型及参数

(11) 数据及样本的选择 - 仅适用于基于临床研究的药物经济学评价

◇ 描述该研究使用的数据源情况

◇ 描述对数据进行清理（包括数据的纳排标准、缺失值处理等）的过程

◇ 描述样本选择过程

(12) 研究变量的选择

◇ 描述成本、效果以及 ICER 相关变量的选择和定义

(13) 统计分析 - 仅适用于基于临床研究的药物经济学评价

◇ 描述该研究所使用的统计分析方法

(14) 患者及其他人群参与

◇ 报告邀请患者或服务对象、普通公众、社区或利益相关者（如临床医生或支付方）参与研究设计的方法

11.2.3.3 结果 (Results)

(1) 基础分析结果 (Base-case Results)

◇ 若适用，报告总体样本组间关键变量的统计分布与特点（包括主要人口学指标、相关临床指标、成本指标与健康产出指标等）

◇ 报告基于进一步的模型估计与系统分析后，本文所获得的主要研究结果，重点陈述不同干预措施导致的成本与健康产出差异，以及增量成本-效果比 (ICER)

◇ 结果首先使用自然单位表述，之后可转为可选择单位（如 QALYs 或者货币）

◇ 如果数据许可，应该考虑给出关键亚组的统计分析结果，说明亚组划分的合理性以及对整体结果的影响

◇ 建议考虑报告分解后的成本结果（如总成本中，药品成本、手术成本、并发症成本等各占多少）和 QALYs 结果（如按不同健康状态进行分解）的情况，同时明确各部分的计算方法和意义

- ◇ 提供显示结果的图表，鼓励使用图表进行结果的可视化展示（如成本-效果平面图、成本和 QALYs 分解的柱状图等）

（2）不确定性分析结果（Uncertainty Analysis Results）

- ◇ 报告敏感性分析结果：报告模型在改变关键假设或变量的取值后，其主要结果的变化情况与分布
- ◇ 报告情境分析结果：报告模型在不同情境下，其主要结果的变化情况与分布
- ◇ 描述主要结果的敏感性程度与主要影响因素、来源或条件
- ◇ 给出被分析的亚组结果，显示分布的影响，及其他差异性分析的结果
- ◇ 提供显示结果的图表，鼓励使用图表进行结果的可视化展示（如旋风图、CEAC 和 CEAF 等）

（3）公平性（Equity）

- ◇ 报告研究结果的公平性影响

（4）患者及其他人群影响

- ◇ 报告患者或服务对象、公众、社区或利益相关方的参与对研究方法或研究发现造成的差异

11.2.3.4 讨论（Discussions）

（1）结果总结（Summary of Results）

- ◇ 总结本研究的主要模型或统计结果
- ◇ 比较本研究结果和过去相关研究结果的异同及其可能原因
- ◇ 讨论不确定性和关键的影响因素
- ◇ 讨论成本、收益及危害之间的权衡

（2）外推性（Generalizability）

- ◇ 指出本研究结果在流行病学、人群特征、地域特征、临床实践或资源使用模式等方面的适用程度、差异性

（3）研究局限（Limitations）

- ◇ 指出本研究研究方法或数据可能存在的主要问题和局限以及可能造成的

偏倚

◇ 提出进一步研究所应注意的主要问题和改进措施

(4) 医疗卫生服务影响

◇ 对医疗服务资源可能产生的影响进行评论

◇ 考虑流行病学因素和其他干预因素可能对预算产生的影响

◇ 关于干预措施与对照措施的优劣判断，提供相关医药卫生政策的合理建议

(5) 未来的研究方向

◇ 找出存在的证据差距，指出有待进一步研究的方向和领域

(6) 公平性

◇ 在条件允许时应通过敏感性分析或亚组分析对基础分析中评价结果的公平性问题进行检验

11.2.3.5 结论 (Conclusions)

◇ 阐明该研究的目标，明确学术价值和应用价值，说明待解决的问题

◇ 总结主要研究结果和相关影响，干预措施适合应用的人群及环境，以及研究的不确定性和注意事项。

11.2.3.6 参考文献 (References)

● 列出所引用的参考文献

11.2.3.7 附录 (Appendices)

◇ 提供关键数据的详细图表、问卷设计、数据来源情况、决策树模型图或其他必要的说明材料等，以供读者查阅和核实。

◇ 如进行系统评价/Meta 分析，需列出文献检索的数据库、检索策略、文献筛选流程、纳入研究基本信息表、数据提取的标准及格式、文献质量评价工具或标准等。

11.3 质量核查列表 (Quality Checklist)

在评价一个药物经济学研究报告质量时，应该按照标准报告格式核查以下内

容：

标准报告格式	核查内容
首页	
标题	是否为药物经济学研究，可表述为经济学评价或成本-效果分析等 是否列出干预措施 是否说明了目标疾病或健康问题
资金/资助	是否列出资金/资助来源 资金/资助是否干预研究进行
摘要	是否简要概述研究背景、目的、方法、结果、局限性、结论
1 引言	
1.1 研究背景	是否描述疾病背景信息 是否描述干预措施基本信息
1.2 文献综述	是否提供系统文献综述 是否指出现有文献不足
1.3 研究目的	是否明确研究问题 是否明确研究受众 是否描述本研究与临床行为和政策制定决策的相关性
2 方法	
2.1 目标人群	是否描述目标人群特征
2.2 研究角度	是否明确研究角度 是否陈述选择原因
2.3 干预与对照方案	是否表述比较的干预和策略 是否解释对照组的选择理由
2.4 研究时间范围	是否明确研究时间范围及其适宜性
2.5 研究方法	是否区分基于模型的研究和基于个体水平数据的研究

2.6 研究假设 (基于模型)	是否描述研究假设
2.7 研究产出 (基于模型)	是否明确关键模型产出
2.8 人群基本特征 (基于模型)	是否描述本模型所使用的人群基本特征 是否列出数据的来源, 并说明其合理性
2.9 健康产出变量的确认(基于模型)	是否描述本研究选择的关键健康产出指标 是否列出数据和有关假设的来源以及合理性
2.10 安全性 (基于模型)	是否描述本模型所使用的安全性参数与分析方法 是否列出数据和有关假设的来源以及合理性
2.11 成本变量的确认 (基于模型)	是否确定本研究成本的组成部分 (直接成本、间接成本等) 及其理由 是否描述、测量和评价分析中涉及的成本 是否描述各成本变量的获取来源、确定方法
2.12 折现率 (基于模型)	是否说明研究中是否折现及其理由 是否说明研究中折现率的选择和理由
2.13 主要结果的分析方法 (基于模型)	是否描述本研究中具体评价方法及其合理性 (包括 CEA、CUA、CBA 或 CMA 等) 是否描述增量分析的方法
2.14 差异性及不确定性	是否表述研究分析中不确定性的来源 是否明确分析不确定性的方法 是否不确定性参数的取值范围、概率分布类型及参数
2.15 数据及样本的选择 (基于临床研究)	是否描述该研究使用的数据源情况 是否描述对数据进行清理的过程 是否描述样本选择过程
2.16 研究变量的选择	是否描述成本、效果以及 ICER 相关变量的选择和定义
2.17 统计分析 (基于临床研究)	是否描述该研究所使用的统计分析方法
2.18 患者及其他人群参与	是否报告邀请患者或服务对象、普通公众、社区或利益相关者 (如临床医生或支付方) 参与研究设计的方

法	
3 结果	
3.1 分析结果	是否报告关键变量分组结果 是否报告成本产出分组结果
3.2 不确定性分析	是否报告主要结果的不确定性分析
3.3 公平性	是否报告研究结果的公平性影响
3.4 患者和其他人群影响	是否报告患者或服务对象、公众、社区或利益相关方的参与对研究方法或研究发现造成的差异
4 讨论	
4.1 结果总结	是否总结本研究的主要结果
4.2 外推性	是否讨论研究结果的外推性
4.3 研究局限	是否讨论研究局限
4.4 对医疗卫生服务的影响	是否讨论对医疗服务资源可能产生的影响
4.5 未来的研究方向	是否指出有待进一步研究的方向和领域
4.6 公平性	是否在条件允许时对基础分析中评价结果的公平性问题进行检验
5 结论	是否总结主要研究结果
6 参考文献	是否列出参考文献
7 附录	是否提供关键数据图表

参考文献

Brazier J, Ratcliffe J, Saloman J, et al. Measuring and valuing health benefits for economic evaluation[M]. OXFORD university press, 2017.

Briggs AH, Weinstein MC, Fenwick EAL, et al. Model parameter estimation and uncertainty: a report of the ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practices Task Force--6. Value Health 2012;15(6):835–842.

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. Value Health 2012;15(6):796–803.

Cookson R, Mirelman A J, Griffin S, et al. Using cost-effectiveness analysis to address health equity concerns[J]. *Value in Health* 2017, 20(2):206-212.

Cohen JT. It Is Time to Reconsider the 3% Discount Rate. *Value Health* 2024;27(5):578–584.

Drummond M, Barbieri M, Cook J, et al. Transferability of economic evaluations across jurisdictions: ISPOR good research practices task force report [J]. *Value Health* 2009; 12(4):409-18.

Ghabri S, Dawoud D, Drummond M. Methods for Including Adverse Events in Economic Evaluations: Suggestions for Improvement [J]. *Value Health* 2024;27(7):936-942.

Jin H, Robinson S, Shang W, Achilla E, Aceituno D, Byford S. Overview and Use of Tools for Selecting Modelling Techniques in Health Economic Studies. *Pharmacoeconomics*. 2021 Jul;39(7):757-770.

Kim DD, Wilkinson CL, Pope EF, et al. The influence of time horizon on results of cost-effectiveness analyses. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res* 2017;17(6):615–623.

Kopec JA, Willison KD. A comparative review of four preference-weighted measures of health-related quality of life. [J]. *J Clin Epidemiol* 2003;56(4):317-25.

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

Olsen J, Smith R. Theory versus practice: a review of “willingness-to-pay” in health and health care[J]. *Health Econ* 2001;10(1):39-52.

Ramsey SD, Willke RJ, Glick H, et al. Cost-effectiveness analysis alongside clinical trials II-An ISPOR Good Research Practices Task Force report. *Value Health* 2015;18(2):161–172.

Robinson KA, Saldanha IJ, McKoy NA. Development of a framework to identify research gaps from systematic reviews. *J Clin Epidemiol* 2011;64(12):1325–1330.

Sculpher MJ, Pang FS, Manca A, et al. Generalisability in economic evaluation studies in healthcare: a review and case studies [J]. *Health Technol Assess* 2004; 8(49):1-192.

Shi L, Hodges M, Drummond M, et al. Good research practices for measuring drug costs in cost-effectiveness analyses: an international perspective: the ISPOR Drug Cost Task Force report--Part VI [J]. *Value Health* 2010;13(1):28-33.

Su, C., Xia, X., He, X., & Wu, J. (2025). An empirical study on the discounting rate of pharmacoeconomic evaluations in China. Presented at the ISPOR 2025 RWE Summit.

Sun X, Briel M, Walter S D, et al. Is a subgroup effect believable? Updating criteria to evaluate the credibility of subgroup analyses[J]. *BMJ* 2010, 340: c117-c117.

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 [J]. *Value Health* 2014;17(1):5–14.

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.

Sittimart M, Rattanavipapong W, Mirelman AJ, et al. An overview of the perspectives used in health economic evaluations. *Cost Eff Resour Alloc* 2024;22(1):41.

Woodley HJR, Bourdage JS, Ogunfowora B, et al. Examining equity sensitivity: An investigation using the Big Five and HEXACO models of personality[J]. *Frontiers in Psychology* 2016, 6: 2000.

Yuan F, Bangdiwala SI, Tong W, et al. The impact of statistical properties of incremental monetary net benefit and incremental cost-effectiveness ratio on health economic modeling choices. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res* 2023;23(1):69–78.

Husereau D, Drummond M, Augustovski F, et al. 卫生经济学评价报告标准共识 2022 (CHEERS 2022): 卫生经济学评价报告指导意见更新版[J]. *英国医学杂志中文版*, 2022, 25(8): 460-465.

刘国恩.中国药物经济学评价指南 2020 (中英双语版) [M]. 北京: 中国市场出版社, 2020.

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.