

慈善医疗救助中的
高值药品卫生技术评估（HTA）决策流程

项目报告



天津大学
Tianjin University

2023 年 4 月

目 录

项目背景与决策流程简介	3
一、主题遴选阶段	5
1.1 利益相关方提名.....	5
1.2 初筛与形式审查.....	5
1.3 企业与患者/患者组织/照护者递交相关材料.....	6
1.4 专家综合评估.....	6
二、价值证据提交与评审阶段	8
2.1 价值证据提交.....	8
2.2 HTA 评审	8
三、决策委员会决议阶段	9
3.1 召开决策委员会.....	9
3.2 确定救助药品名单.....	11

项目背景与决策流程简介

我国已经全面打赢脱贫攻坚战，但脱贫人口的返贫风险仍不容忽视，其中疾病是致贫、返贫的重要原因之一。为有效消除贫困、防范因病返贫，我国大力推进多层次医疗保障制度体系，中共中央、国务院发布《关于深化医疗保障制度改革的意见》，要求到 2030 年全面建成以基本医疗保险为主体，医疗救助为托底，补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助共同发展的多层次医疗保障制度体系。作为多层次社会保障体系中的重要一环，慈善医疗救助是解决因病致贫、因病返贫问题的一个重要补充途径。

为响应国家减少因病致贫、因病返贫的号召，加强和国家医疗救助体系的衔接，强化国家多层次医疗保障体系的建设，北京新阳光慈善基金会（以下简称基金会）在青海省实施了面向省内所有儿童白血病患者和儿童实体肿瘤患者的全覆盖兜底式医疗救助；基金会在内蒙古自治区乌兰察布市（11 区县）、重庆市巫山县和奉节县实施了面向区域内所有低保、困境儿童（如因病致贫、因病返贫家庭的儿童）的慈善医疗救助项目，致力于降低困难家庭的经济压力。随着新的医疗卫生需求和保障水平的发展，在资助项目中需要考虑并提升慈善医疗救助的投入产出比，确保精准、高效发挥慈善医疗救助的补充作用，基金会与天津大学药学院医药政策与经济研究中心合作开展“慈善医疗救助中的高值药物卫生技术评估流程开发与实践项目”，旨在通过卫生技术评估（Health Technology Assessment, HTA）来遴选未纳入基本医保的、有效性突出的高值药品纳入基金会位于内蒙古自治区乌兰察布市、重庆市巫山县和奉节县等地的补充报销基金，推动慈善救助决策的科学和透明化，以有限的资金投入让经济困难的患者及其家庭获得最大化的健康产出，为构建慈善医疗救助项目中的高值药品 HTA 决策流程提供思路与参考，形成基于 HTA 决策的医疗救助资助模式，同时依托慈善组织先行先试，为医疗保障局等准入部门提供经验参考。

基于以上研究内容与目的，本项目系统梳理了我国国家基本医保谈判过程与英国、加拿大、法国等国际价值评估典型国家或地区的高值药品 HTA 经验后，对 HTA 决策流程的思路和方法开展了全面探索，最终制定了 HTA 决策流程的基

本思路。本 HTA 决策流程包括主题遴选、价值证据提交与评审以及决策委员会决议三个阶段。其中主题遴选阶段通过利益相关方提名、基金会初筛与形式审查、企业与患者/患者组织/照护者递交材料以及专家组综合评估环节确定待评审药品，整个过程共持续 8 周；价值证据提交与评审阶段通过企业提交价值证据与评审机构对药品价值证据进行评审完成价值评估，整个过程共持续 6 周；最后是决策委员会决议阶段，通过召开决策委员会确定救助药品名单和合理价格，整个过程共持续 4 周。全流程共持续 18 周，总流程图与各阶段概要流程图分别见图 1 和图 2，其中图 2 中进一步细化了每个阶段的关键环节信息。后文将对每个阶段的具体流程、证据材料递交要求等进行具体说明。

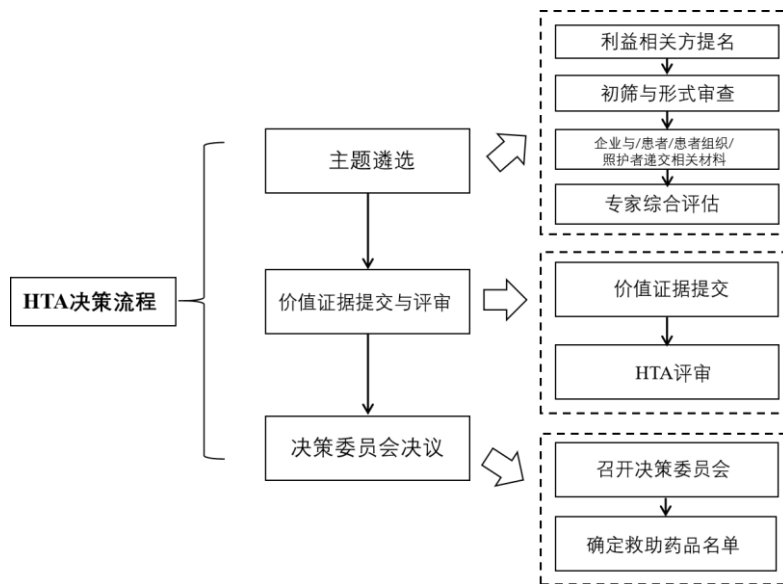


图 1 慈善医疗救助中的高值药品卫生技术评估（HTA）决策流程

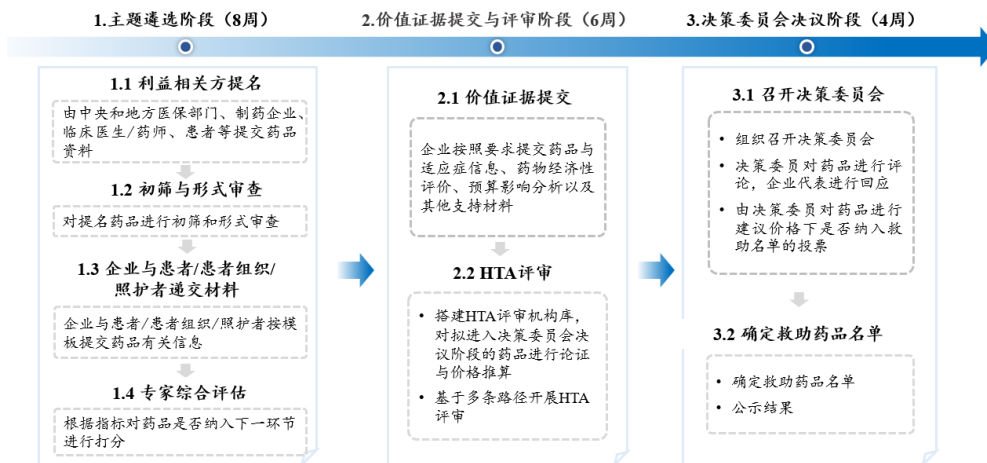


图 2 慈善医疗救助中的高值药品卫生技术评估（HTA）决策各阶段概要流程

一、主题遴选阶段

主题遴选阶段包括利益相关方提名、初筛与形式审查、企业与患者/患者组织/照护者递交相关材料以及专家综合评估四个环节，预计持续 8 周。

1.1 利益相关方提名

首先，由基金会发布《慈善医疗救助项目药品遴选通知》，公布药品申报条件，同时定向对试点地区目标医院、相关患者组织等开展线上线下宣传活动，对项目内容进行宣讲。其次，各利益相关方于通知发布后 2 周内完成备选药品提名，并按照基金会模板要求提交药品相关信息。其中，利益相关方包括但不限于中央和地方医保部门、制药企业、临床医生/药师、患者/患者组织/照护者等。需提交的药品基本信息应包含药品名称（通用名、商品名），适应症与用法用量，药品价格（如单价、日费用、疗程费用）等内容。

1.2 初筛与形式审查

首先，基金会根据基金优先资助原则对提名备选药品进行初筛，具体包括：
（1）优先资助国家基本医保目录保障范围外的罕见病高值药品，并适当考虑资助目录外的高值非罕见病药品；（2）在罕见病中，优先考虑第一批罕见病目录内疾病（根据国家卫健委发布的目录批次动态更新）；（3）在各类疾病中，优先考虑青海省、重庆巫山县和奉节县、内蒙古乌兰察布市（11 区县）具有高发性、危急程度高、疾病负担严重、未满足需求高的疾病；（4）在同类药品中，优先考虑临床指南推荐的药品、相对疗效显著更高的药品、经济性更好的药品。

其次，基金会对所有通过初筛的提名药品进行形式审查，审核该药品是否符合申报要求及其提交信息的完整性、真实性、准确性，具体包括：（1）通过国家药品监督管理局网站确认药品通用名、商品名、上市时间等信息无误；（2）通过药品说明书确认所治疗疾病和适应症在优先资助范围内；（3）确认提名药品未纳入现行版《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录》；（4）确认药品符合基金会提出的其他必须满足的申报条件。形式审查时间为 1 周，审

查结果为“通过”或“不通过”。

1.3 企业与患者/患者组织/照护者递交相关材料

基金会根据通过形式审查的提名药品名单，联系邀请该药品的生产企业（如为非独家产品，则邀请所有生产企业）与相关患者/患者组织（如有）/照护者进一步递交材料，时间约 2 周。生产企业需要递交的材料可分为药品基本信息、药品安全性信息、药品有效性信息、药品经济性信息、药品创新性信息、药品公平性信息六个主要方面及其他相关支持材料。其中药品安全性信息与药品有效性信息是主题遴选阶段专家评估的重点信息；患者/患者组织/照护者需要递交的材料主要包括目前使用的治疗方法的经验、待评价药品的使用经验、疾病负担情况（包括疾病相关调研报告等）、患者组织情况及其他相关信息等。患者/患者组织/照护者需要提交利益冲突声明。

1.4 专家综合评估

基金会构建综合评估专家组，对所有待评估药品开展总体评估。

（1）综合评估专家组构成

综合评估专家组由 9 名专家组成，包含基金会代表 1 名、相关疾病领域临床专家 2 名、药学专家 2 名、卫生经济学（含药物经济学）专家 2 名、医保管理专家 1 名以及患者/患者组织/照护者代表 1 名。

（2）综合评估专家组资质

基金会与基金会专家库沟通后建立专家提名小组。由专家提名小组提出综合评估专家组建议名单，确定名单后由基金会进行公示。专家组专家需要提交利益冲突声明。

相关疾病领域临床专家、药学专家、卫生经济学（含药物经济学）、医保管理专家应具备以下资质：1）副高及以上职称，在相应领域有 3 年及以上的从业经验；2）了解并理解基金会慈善救助项目与评审委员会的任务，有能力作为团队成员进行建设性的工作；3）目前未受雇于任何制药公司且并愿意遵守基金会的利益冲突和保密要求；4）愿意付出时间评审资料；5）若试点地区有具备丰富

经验的专家人选，优先在试点地区进行专家推荐。

患者/患者组织/照护者代表应具备以下资质：1) 具备待评审药品使用及照顾病人等（诊断、治疗和护理）相关问题的知识、经验和理解；2) 理解基金会慈善救助项目与综合评估专家组的任务；3) 有患者社群工作经验的优先；4) 愿意遵守基金会的利益冲突和保密要求。

(3) 开展综合评估

基金会首先就企业与患者/患者组织/照护者提交的资料的完整性、真实性、准确性进行初步审查，并于评估开始前 1 周交予专家组审阅。基金会需要事先结合专家意见讨论确定维度权重，该权重设定后即可开始评估。随后，基金会召开综合组评审会议，评估设安全性、有效性、经济性、创新性、公平性 5 个评估维度（各维度具体内容见表 1）。最后，在评估过程中，请每位专家分别就每个维度对药品进行打分，再基于提前确定好的不同维度的权重计算加权得分，根据分数排名确定药品是否进入价值证据提交与评审阶段。会评中，可根据实际情况讨论纳入药品的适应症（是否全适应症纳入或部分纳入）、参照药品的选取（不唯一）等。综合评估的时间为 2 周。

表 1 各维度具体内容

维度	具体内容（包括但不限于）
安全性	该药品在国内外不良反应发生情况、与参照药品相比安全性方面的优势与不足等
有效性	临床试验或真实世界中与参照药品疗效方面的优势和不足、临床指南/诊疗规范推荐情况等
经济性	目前的市场价格、过去 2 年大陆地区药品销售金额以及与参照药品相比经济性方面的优势和不足
创新性	主要创新点、该创新带来的疗效或者安全性方面的优势
公平性	未满足的治疗需求、是否能够弥补基本医保药品目录保障短板

注：维度描述参考《2022 年国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录调整工作方案》，并基于慈本项目特点对维度内容进行调整

(4) 确定纳入名单

根据得分情况确定进入价值证据提交与评审阶段的药品名单,并对其中含有拟纳入适应症、参照药品建议等信息的材料进行公示,持续时间 5—7 个自然日。

二、价值证据提交与评审阶段

价值证据提交与评审阶段主要内容是利用卫生技术评估(药物经济学)工具对药品价值证据进行科学评审,时间 6 周。

2.1 价值证据提交

由基金会召开企业沟通会并介绍证据材料需求。企业按照要求提交材料,主要包括药品与适应症信息、药物经济性评价(需要提交电子版模型)、预算影响分析(需要提交电子版模型,拟替代药品为基金会医疗救助项目中已纳入的药品以及同期进行评估的药品)以及支持材料,企业提交材料持续时间 2 周。

2.2 HTA 评审

(1) 搭建 HTA 评审机构库

基金会组建 HTA 评审机构库,纳入约 10 个 HTA 评审机构,如大学、政府和第三方 HTA 评估机构等,纳入的评审机构中需有一定数量的专家具有疗效直接与间接比较分析、药物经济性评价(Cost-Utility Analysis, CUA)、预算影响分析(Budget Impact Analysis, BIA)等资料的评审经验。每年每个 HTA 评审机构将负责一个疾病类别的评审。评审开始前,由基金会召开沟通会,讨论评审时间、评审原则、评审流程以及专家利益冲突等相关事项。

(2) 开展 HTA 评审

首先,HTA 评审机构对企业所提交资料的真实性、完整性、科学性进行评估,必要时可要求企业更正或补充资料。确认资料完备后,专家将同时通过多条路径开展 HTA 评审,主要包括疗效比较和价格推算,详见表 2。时间将持续 4 周。

疗效比较证据以头对头临床试验为主，其中以随机对照试验（Randomized Controlled Trial, RCT）为金标准。缺乏 RCT 直接比较证据时，可考虑采用间接比较方法，即结合现有数据和已发表的临床研究证据来评估干预措施疗效，推荐使用网状 Meta 分析（Network Meta Analysis, NMA）或匹配调整间接比较（Matching-Adjusted Indirect Comparisons, MAIC）。价格推算主要包括药物经济性评价模型与预先设定的 ICER 阈值倒推、国际与国内价格、竞争品价格等维度。原则上以价格最低区间为准。

评审过程中，允许评审专家就评审思路和重点流程与基金会、基金捐赠人代表、企业及患者组织进行面对面沟通，需保证沟通过程公开透明并留存相关记录。

表 2 评审与价格推算原则

维度	具体标准
药物经济性评价模型	重点对模型结构、假设条件、输入参数及来源、证据等级、模拟分析、研究结果进行审核，必要时需对模型进行修正后再开展价格推算；基金会根据疾病严重程度等关键考量因素设定合理的 ICER 阈值。
国际与国内价格维度	尽量选取参考价格中的最低价格。
竞争品价格维度	从多维度选取可能的竞争品（不唯一），在有效性、安全性方面相近的前提下，考虑价格对比。

三、决策委员会决议阶段

决策委员会决议阶段共分为召开决策委员会与确定救助药品名单两个步骤，最终形成药品推荐名单，时间大约为 4 周。

3.1 召开决策委员会

（1）决策委员会参会人员构成

参加决策委员会的人员包括决策委员以及申请企业代表。其中决策委员共 9 名，由基金会代表 1 名、相关疾病领域临床专家 2 名、药学专家 2 名、卫生经济

学（含药物经济学）专家 2 名、医保管理专家 1 名以及患者/患者组织/照护者代表 1 名构成，决策委员可以发表评论并进行投票。

申请企业代表即为论证人，2 名，主要代表企业立场对决策委员的评论和问题进行回应和解答。

决策委员会根据疾病领域分场进行，相关疾病领域临床专家、患者/患者组织/照护者代表以及申请企业代表需要根据药品情况进行调整。

（2）决策委员会参会人员资质

决策委员由基金会专家提名小组提出建议名单，确定名单后由基金会进行公示。决策委员需要提交利益冲突声明。

相关疾病领域临床专家、药学专家、卫生经济学（含药物经济学）、医保管理专家应具备以下资质：1）副高及以上职称，在相应领域有 3 年及以上的从业经验；2）了解并理解基金会慈善救助项目与评审委员会的任务，有能力作为团队成员进行建设性的工作；3）目前未受雇于任何制药公司且并愿意遵守基金会的利益冲突和保密要求；4）愿意付出时间评审资料；5）若试点地区有具备丰富经验的专家人选，优先在试点地区进行专家推荐。

患者/患者组织/照护者代表应具备以下资质：1）具备待决策药品使用及照顾病人等（诊断、治疗和护理）相关问题的知识、经验和理解；2）理解基金会慈善救助项目与评审委员会的任务；3）填写《决策委员会患者/患者组织/照护者代表申请表》并获基金会批准；4）愿意遵守基金会的利益冲突和保密要求。

申请企业代表应具备以下资质：1）熟悉并了解待论证药品的有效性、安全性、经济性信息，熟悉提交材料；2）部门负责人及以上，能代表企业立场；3）理解基金会慈善救助项目与评审委员会的任务。

（3）决策委员会决议

基金会提前 1 周将证据资料及 HTA 评审结果发给决策委员会专家审阅并熟悉药品。决策委员会根据疾病领域分场进行，决策委员对拟纳入救助名单药品进行评论，申请企业代表对评论进行回应。论证结束后申请企业代表需要离场回避。

随后由决策委员对药品进行建议价格下是否纳入救助名单的投票，投票通过比例为 2/3，低于 2/3 比例的药品不得纳入救助名单。

3.2 确定救助药品名单

(1) 确定救助药品名单

根据决策委员会投票结果，由基金会整理最终纳入救助名单的药品，直至充分利用预算。基金会可结合自身资金情况，选取资助限度及方式，可采取限定资助资金总额或限定保障患者人数等方式进行支付。

(2) 挂网公示

公布纳入救助名单的药品结果，并在基金会挂网公示，时间 2 周。