

我国儿童治疗方案经济学评价的现状与不足[△]

李文君*, 王 媛, 谢雯雯, 席晓宇[#](中国药科大学国家药物政策与医药产业经济研究中心, 南京 211198)

中图分类号 R956 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2019)19-2597-06

DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2019.19.02

摘要 目的:为提高我国儿童治疗方案经济学评价研究水平提供参考。方法:通过检索2009年1月1日—2018年12月31日国内期刊发表的我国儿童治疗方案经济学研究相关文献,探索成本(包括时间范围、成本计算)与健康产出(包括结果指标、测量量表)测量的研究现状,并结合国内外相关文献,总结我国儿童治疗方案经济学评价在上述两方面存在的不足,提出相应的对策。结果与结论:最终纳入140篇相关文献。在成本测量方面,短期(≤1年)研究占比最高(109篇,77.86%),成本计算多未明确研究角度(125篇,89.29%),均未涉及儿童生产力成本,主要存在时间范围不明确、成本计算不完整(生产力缺失、隐形成本)等不足;在健康产出测量方面,103篇(73.57%)采用成本-效果分析的方法,23篇(16.43%)采用成本-效益分析的方法,仅有4篇(2.86%)涉及测量量表的使用,主要存在结果指标获取困难、儿童健康产出测量量表缺乏等不足。基于此,笔者建议在进行经济学评价研究前应严格按照相关要求,明确研究角度,制订统一、规范的成本测量方式,根据研究目的与疾病特征合理选择技术分析方法和健康产出指标,并根据不同年龄段患儿的生理、心理特征开发适宜的测量量表,同时,未来研究可以在报告儿童相关状况时报道其家庭成员的状况,以家庭为单位进行治疗方案的经济学评估。

关键词 儿童;治疗方案;经济学评价;现状与不足;文献回顾

- <http://www.qingdao.gov.cn/n172/n24624151/n24626255/n24626269/n24626283/150122153700143211.html>
- [10] 青岛市人民政府.关于建立补充医疗保险制度的实施意见[EB/OL].(2016-12-01)[2019-07-18].<http://www.qingdao.gov.cn/n172/n68422/n68424/n31280703/n31280704/161201155915129302.html>
- [11] 贺小林,梁鸿,刘军帅.青岛市高值药品救助政策的实践与创新[J].中国医疗保险,2014(8):36-38.
- [12] BESHAWY AE, MURVIGESAN V, MISTRY PK, et al. Reversal of life-threatening hepatopulmonary syndrome in Gaucher disease by imiglucerase enzyme replacement therapy[J]. *Mol Genet Metab Rep*, 2019.DOI: 10.1016/j.ymgmr.2019.100490.
- [13] 许焱,王英晓,龚时薇.美国罕见病用药的专业药房销售模式研究[J].中国药事,2011,25(12):1238-1242.
- [14] 新京报.罕见病医保体系待完善 慈善赠药仍为部分患者用药途径[EB/OL].(2019-02-28)[2019-05-03].<https://baijiahao.baidu.com/s?id=1626684497749634361&wfr=spider&for=pc>
- [15] KANG L, ZHAN X, GU X, et al. Successful newborn screening for Gaucher disease using fluorometric assay in China[J]. *J Hum Genet*, 2017, 62(8):763-768.
- [16] LIAO HC, CHIANG CC, NIU DM, et al. Detecting multiple lysosomal storage diseases by tandem mass spectrometry-anational newborn screening program in Taiwan[J]. *Clin Chim*, 2014.DOI:10.1016/j.cca.2014.01.030.
- [17] 国家统计局.2018年国民经济和社会发展统计公报[EB/OL].(2019-02-28)[2019-05-19].http://www.stats.gov.cn/tjsj/zxfb/201902/t20190228_1651265.html
- [18] 林苡竹,陈文.青岛城镇大病医疗救助项目的政策分析[J].中国卫生资源,2015,18(3):203-207.
- [19] 青岛市人力资源和社会保障局,青岛市财政局.关于公布《青岛市补充医疗保险特殊药品和特殊医用耗材及精准诊疗项目目录》及有关问题的通知[EB/OL].(2018-07-30)[2019-07-18].<http://www.qingdao.gov.cn/n172/n24624151/n24626255/n24626269/n24626283/180730141602-738230.html>
- [20] 人力资源和社会保障部.2017年度人力资源和社会保障事业发展统计公报[EB/OL].(2018-05-21)[2019-05-19].<http://www.mohrss.gov.cn/SYrlzyshbzb/zwgk/szrs/tjgb/201805/W020180521567611022649.pdf>

[△] 基金项目:国家科技重大专项课题(No.2018ZX09721-003);中国药科大学“双一流”学科创新团队建设项目(No.CPU2018GY39)

* 硕士研究生。研究方向:卫生经济学与医药卫生政策。电话:025-86185211。E-mail:15850655627@163.com

[#] 通信作者:讲师,博士。研究方向:卫生经济学与医药卫生政策。电话:025-86185211。E-mail:cpuxixiaoyu@163.com

(收稿日期:2019-05-24 修回日期:2019-07-18)

(编辑:刘明伟)

Current Situation and Deficiencies of Economics Evaluation for Pediatric Therapeutic Regime in China

LI Wenjun, WANG Yuan, XIE Wenwen, XI Xiaoyu (Research Center of National Drug Policy & Ecosystem, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China)

ABSTRACT OBJECTIVE: To provide reference for improving the economics evaluation studies for pediatric therapeutic regime in China. METHODS: By searching the literature published in domestic journals from Jan. 1st, 2009 to Dec. 31th, 2018, the current situation of the measurement of cost (including time range, cost calculation) and health output (including outcome indicators and measurement scales) were explored. Combined with relevant literature at home and abroad, the deficiencies of economics evaluation for pediatric therapeutic regime in terms of cost measurement and health outcome measurement were summarized in China, and the corresponding research prospects were put forward. RESULTS & CONCLUSIONS: Totally 140 related literatures were finally included. In terms of cost measurement, short-term (≤ 1 year) research accounted for the highest proportion (109 literatures, 77.86%). Cost calculation mostly had no clear research perspective (125 literatures, 89.29%). It did not involve the cost of child productivity. The main shortcomings were unclear time range, incomplete cost calculation (lack of productivity, hidden cost) and so on. In terms of health output measurement, 103 (73.57%) used cost-effectiveness analysis, 23 (16.43%) used cost-benefit analysis, and only 4 (2.86%) related to the use of measurement scales. Main shortcomings included that the difficulty in obtaining outcome indicators, lack of child health output measurement scale and so on. Based on this, it is suggested that related demands should be complied before conducting economics evaluation research, we should clarify the research angle, formulate unified and standardized cost measurement methods, rationally select technical analysis methods and health outflow indicators according to research purposes and disease characteristics, and develop appropriate measurement scales according to the physiological and psychological characteristics of children in different age groups. At the same time, future studies can report on the status of family members when reporting on children's related conditions, and conduct an economic evaluation of therapeutic regimen in the family unit.

KEYWORDS Children; Therapeutic regimen; Economics evaluation; Situation and deficiencies; Literature review

治疗方案经济学评价是有效提高医药资源配置和利用效率的科学技术,与成人治疗方案经济学评价相比,儿童治疗方案的经济学评价在研究设计、数据收集、技术分析等方面具有其独特性。一方面,儿童在生理特征、认知能力、所处环境和社会地位等与成人存在较大差异,不可简单地将成人治疗方案经济学评价方法用于儿童治疗方案上^[1];另一方面,儿童时期可以分为多个年龄阶段,不同年龄阶段儿童变化迅速,对疾病、治疗手段等具有不同的认知能力,儿童报告自身健康状况的能力也存在较大差异,无法将一套通用的经济学评价方法用于不同年龄阶段儿童的治疗方案上^[2]。因此,在对儿童治疗方案进行经济学评价时,需要充分考虑儿童生理特征与心理发展状况,制订适宜的经济学评价方法。但目前专门针对儿童治疗方案的经济学评价研究较少,研究方法也缺乏统一的标准,已有文献可能存在一些不足。本研究通过回顾国内已发表的儿童治疗方案经济学评价文献,分析其研究现状,并在此基础上,综合国内外相关文献,总结儿童治疗方案经济学评价在成本和健康产出测量中的不足,为提高我国儿童治疗方案经济学评价研究水平提供参考。

1 资料与方法

1.1 研究方法

本研究一方面通过文献检索,搜集国内已发表的儿童治疗方案经济学评价文献,从成本测量与健康产出测量两方面评估我国儿童治疗方案经济学评价研究现状,另一方面在我国研究现状的基础上,结合国内外相关文献,总结儿童治疗方案经济学评价在成本与健康产出测量上的不足。

1.2 资料检索方法

本文以“儿童”“经济学评价”“成本效益”“成本效果”“成本效用”“最小成本”等为关键词,在中国期刊全文数据库、中文科技期刊数据库、万方数据、中国生物医学文摘数据库等数据库中检索2009年1月1日—2018年12月31日期间发表的儿童治疗方案经济学评价研究相关文献。

文献纳入标准:(1)必须为儿童治疗方案经济学评价原始研究文献,测量报告健康产出与成本;(2)研究人群为儿童,可细分为新生儿、婴儿、儿童和未满18岁的青少年;(3)若研究的产出是针对成人或整个群体,则需对儿童群体加以区分、提取。

文献排除标准:(1)未量化成本的研究文献(成本需以货币为单位);(2)儿童治疗方案经济学评价理论方法研究,研究现状综述、会议记录以及摘要;(3)重复发表的研究。

2 我国儿童治疗方案经济学评价的现状

2.1 检索结果

按照检索策略,两名研究者系统检索儿童治疗方案经济学评价文献共计150篇,依据纳入与排除标准,仔细阅读全文后剔除10篇文献,最终纳入140篇文献。

2.2 成本测量结果

2.2.1 时间范围 目前发表的文献大部分标明了研究的时间范围,但依然有16篇未注明时间范围。140篇文献中,短期研究 ≤ 1 年占比最高(109篇,77.86%)。短期研究成本计算较为简单,无需考虑贴现和治疗方案对未来生产力的影响。在15篇(10.71%)研究时间范围大于1年的文献中,有6篇未进行贴现处理,9篇主要针对成本进行贴现,采用3%~5%的贴现率。儿童治疗方案经济学评价文献的研究时间范围分布见表1。

表1 儿童治疗方案经济学评价文献的研究时间范围分布

Tab 1 Distribution of time range for economics evaluation literatures of pediatric therapeutic regimen

项目	时间范围		
	未注明	≤ 1 年	> 1 年
文献篇数	16	109	15
占比,%	0.71	77.86	10.71

2.2.2 成本计算 一般而言,治疗方案经济学评价分析角度包括全社会角度、患者角度、“医保”付费方角度、医疗机构角度,除后两者外,前两者角度在计算成本时均应纳入生产力损失,包括儿童和照料者的生产力损失。儿童生产力损失是指儿童因疾病造成的生产力方面的损失,照料者生产力损失是指家庭成员为照料患病儿童而损失的生产力。除与疾病相关的直接成本和生产力损失等间接成本外,还包括患者因疾病引起的痛苦、不适、担忧等隐形成本。

140篇文献中,只有1篇(0.71%)明确是从医疗机构角度出发,无需计算生产力损失,未注明研究角度的文献占比最高(89.29%)。140篇文献均未涉及儿童的生产力成本。仅有的纳入照料者生产力损失的21篇文献中,有8篇明确说明使用平均工资率计算生产力损失,1篇使用100元/(人·天)计算,1篇使用当地人均可支配收入计算。儿童治疗方案经济学评价研究文献的成本计算类型分布见表2[表中,“-”表示医疗机构角度不包含此项;“*”为相应研究角度篇数/相应研究角度的合计(即表中的合计项) $\times 100\%$;“#”为对应研究角度篇数/总篇数(140篇) $\times 100\%$;由于部分研究不在表中所列非直接成本之列,故合计篇数大于各类非直接成本篇数之和]。

部分文献说明了未计算儿童和照料者生产力损失

表2 儿童治疗方案经济学评价研究文献的成本类型计算分布[篇数(占比,%)]

Tab 2 Distribution of type of cost calculation for economics evaluation literatures of pediatric therapeutic regimen [piece(ratio,%)]

研究角度	非直接成本类型			合计*
	儿童生产力*	照料者生产力*	隐形成本*	
医疗机构	-	-	-	1(0.71)
全社会	0	5(50.00)	0	10(7.14)
患者	0	1(25.00)	0	4(2.86)
未说明	0	15(12.00)	0	125(89.29)

的原因,主要为以下四点:①患者为儿童,无生产力,因此不存在误工费;②患儿来自不同经济层面的家庭,照料者陪护费用难以统一计算;③研究条件有限,难以收集数据;④不同治疗方案涉及到的生产力成本无差异,无需比较。140篇文献均未纳入隐形成本,主要原因是尚无统一的衡量标准。

2.3 健康产出测量结果

2.3.1 结果指标 治疗方案经济学评价主要有四种技术分析:成本-效用分析(Cost-utility analysis, CUA)、成本-效益分析(Cost-benefit analysis, CBA)、成本-效果分析(Cost-effectiveness analysis, CEA)、最小成本分析(Cost-minimization analysis, CMA)^[8]。前三者根据衡量产出指标的不同而划分,结果指标分别为效用、货币、临床效果,CMA是指当不同治疗方案治疗效果无显著性差异时,只比较成本。纳入文献的儿童治疗方案经济学评价技术分析分布见表3。

表3 儿童治疗方案经济学评价文献的技术分析方法分布

Tab 3 Distribution of technical analysis methods for economics evaluation literatures of pediatric therapeutic regimen

技术分析	文献篇数	占比,%
CEA	103	73.57
CBA	23	16.43
CMA	9	6.43
CUA	5	3.57

由表3可知,我国儿童治疗方案经济学评价主要使用采用CEA方法(103篇,73.57%),较少的研究运用了CBA方法(23篇,16.43%)。CEA方法主要结果指标是临床效果,但目前采用CEA方法的文献中,大部分文献使用一定的标准将疾病结果划分为不同等级,包括痊愈、有效、显效、无效等,以总有效率指标代表治疗方案的健康产出,并未涉及其他临床效果的指标。采用CBA方法的23篇文献中,9篇均纳入了未来患者与照料者的产出效益,其余14篇并未同时纳入患者与照料者的产出效益;采用CUA方法的文献中,效用值均从已有文献和

资料中获得。

2.3.2 测量量表 在140篇文献中,只有4篇(2.86%)涉及到测量量表的使用,包括粗大运动功能测试(Gross motor function measure)和Peabody精细运动发育量表(Peabody developmental motor scale-fine motor),用于测量脑瘫患儿运动能力;儿童哮喘生命质量调查问卷(Pediatric asthma quality of life questionnaire, PAQLQ),用于测量哮喘患儿生命质量;家长对儿童听说成绩评价量表(Parents' evaluation of aural/oral performance of children scale)和教师对儿童听说成绩评价量表(Teachers' evaluation of aural/oral performance of children scale),用于评估听障患儿验配助听器后的主观效果。除PAQLQ量表针对的是7~17岁儿童,可由符合年龄的患儿自己填写外,其余量表均由父母或者教师代替儿童完成。

3 我国儿童治疗方案经济学评价的不足

3.1 成本测量

3.1.1 时间范围不明确 确定治疗方案经济学评价的时间范围是计算成本的重要前提,不同时间范围内儿童治疗成本的差异显著。一方面,即使是在相同的研究视角下,相关的成本项目也会随着时间的变化而变化。以自闭症儿童为例,学龄前自闭症儿童需要接受家庭成员的照顾,随着时间变化,患儿可能转而接受特殊教育机构的照顾,从患者的研究角度出发,这两者的成本显然存在差异。另一方面,成人医疗与儿童医疗的一个重要区别是大部分儿童治疗方案的目的是预防,可能是预防长期存在的不良健康后果,也可能是预防发生在儿童期之后的疾病^[9]。对于预防类治疗方案成本的衡量,选择合适的时间范围是必不可少的。因此,在进行经济学评价研究时,选择合适的研究视角后,还需要明确研究的时间范围,以免造成成本的误差。

从上文分析可得,目前我国依然有部分学者在进行儿童治疗方案经济学评价时并没有明确研究的时间范围,不利于明确成本的覆盖范围。除此之外,大部分研究时间范围较短,针对慢病的治疗方案来说,短期研究并不能准确反映其成本与产出结果,在一定程度上影响决策的效率与准确性。

3.1.2 成本计算不完整 ①生产力的损失。针对儿童生产力损失,过去有学者认为儿童无法工作,不存在生产力,因而忽略了治疗方案对儿童生产力的影响。但目前也有越来越多的学者认为儿童是具有生产力的,在学校期间的生产力可以使用学校成绩来衡量^[3]。除此之外,儿童的生产力还表现于成年之后。在儿童期间发生的疾病,不仅可能导致儿童在成年后无法参加工作,而且可能会花费相对更多的资源来治疗其功能障碍。在一项考虑终生健康后果和资源使用的经济评价中,如果忽

略成年人因在儿童期间的疾病导致的生产力下降或丧失,会严重低估疾病的成本^[4]。因此儿童生产力损失是治疗方案成本中的一个重要部分。

确定纳入儿童生产力损失后,随之而来的一个重要问题就是如何测量儿童生产力。除上文提到的学校成绩外,儿童的时间价值也可以代表生产力。美国公共卫生服务专家小组建议使用支付意愿等或有估价的方式为儿童制定时间价值^[4],但这种方式仍存在一个问题:支付意愿的对象是儿童还是父母?显然,不同对象给出的支付意愿结果会存在一定差异。

针对照料者生产力损失,儿童通常比成年人更为依赖照料者^[1],包括父母或其他家庭成员,他们因照料患病儿童所付出的时间成本可能相当大,会对治疗方案的选择与结果产生重要影响。特别是对患有慢病或者需要长期频繁住院的患儿的照料者来说,儿童疾病不仅导致他们工作天数的损失,也可能导致工作状态的变化,父母可能不得不减少工作时间、辞职、换一份低薪但工作时短的工作以照顾患儿。除此之外,父母的“假性出席”现象也变得愈加常见,这里的假性出席是指父母由于担心患病的子女,不能专心工作,最终结果导致社会生产力的下降^[6]。因此在测量成本时还需纳入照料者的生产力损失。

如何测量照料者的生产力损失也是目前亟需解决的一个问题。目前治疗方案经济学评价中常用市场工资率来测算照料者的生产力损失,但考虑到很多患儿的照料者是家庭主妇、退休人员等没有工作的人群,对于他们的生产力损失计算还需进一步的探索。同时,针对父母“假性出席”带来的生产力损失也没有适宜的测量方式。

由于缺乏统一的衡量标准,我国目前儿童治疗方案经济学评价并未纳入儿童生产损失,同时,由于缺乏相关数据与测量方式等原因,我国许多儿童治疗方案经济学评价在测量成本时会主动忽略照料者的生产力损失,导致成本计算不完整。

②隐形成本。针对那些会对患者自理能力、心理状况带来很大影响的疾病来说,隐形成本是构成总成本的重要组成部分,可能会影响到直接成本和间接成本。因此,隐形成本的计算也是儿童治疗方案经济学评价需要进一步分析的重要问题。但由于隐形成本难以量化计算,目前国内外也没有统一的货币转换标准,现有的经济学评价计算成本时往往忽略了隐形成本,导致评价结果不够精确和全面^[6-7]。

3.2 健康产出测量

3.2.1 结果指标获取困难 针对效用、临床效果、货币三个结果指标,在获取准确结果时存在一定难度。一方

面,效用属于主观评价指标,表示患者对获得某一健康状态的偏好,通常使用效用测量量表来测算。针对儿童患者来说,获取准确的健康效用值较为困难。其主要原因是幼儿童理解、表达能力尚未发展成熟,对健康偏好相关的抽象概念具有认知性障碍,通常只能从父母偏好角度出发,由父母代表儿童表达健康效用。父母通常能够可靠地报告儿童身体活动与疾病外部症状等客观指标,但对于情绪、心理等主观指标的测量与儿童本身状态可能与实际情况存在差异,影响结果的真实性^[9]。

另一方面,临床效果属于客观评价指标,在临床中可以得到直接、准确的结果,包括挽救的生命数、血压降低值、血脂降低值等。但临床效果指标的选取较为困难,涉及到临床专业知识,需要根据疾病特征选取适宜指标。例如感染的发生率可以作为剖腹产后抗菌药物预防的临床效果指标,该指标具有较高的准确性与客观性,且容易量化,但针对其他治疗方案时,感染的发生率可能并不是一个有效的临床效果指标。因此,在进行CEA时,需要根据疾病特征,结合临床专业知识,选择适宜的指标。

货币也属于客观指标,但其衡量过程有以下两个难点。第一,CBA中的效益往往发生在未来,主要指未来因为治疗而避免的患者产出价值的损失,因此需要注意对货币进行贴现处理,而贴现率的选择是研究的一个难点。第二,由于儿童和父母的相互依赖,儿童疾病会对其他家庭成员产生影响,这一点同样体现在经济效益上,即照顾患病儿童所需时间会对父母的生产力产生影响。因此,在CBA分析中,效益产出还需包括家庭成员因疾病治疗而造成的劳动力损失,而这类生产力损失的测量也是一个难点。

由于健康效用值获取的难度较大,我国目前使用CUA的文献中效用值均从已有文献与资料中获得,很少使用量表测量真实效用值,致使结果可能存在一定误差;采用CEA的文献中,均以“总有效率”代表临床效果,指标选取粗糙,且容易掺入评价人的主观倾向,影响最终分析结果;采用CBA的文献中,只有部分文献考虑了未来生产力效益贴现的问题,大部分忽略了未来生产力效益,影响结果的真实性与决策的有效性。

3.2.2 儿童健康产出测量量表缺乏 CUA是卫生经济学中的重要内容,其单一的成本指标与单一的效用指标使其可广泛地应用于各种治疗方案的评估。进行CUA最大的难点在于效用值的测算,目前通常使用量表测量健康效用值。不同年龄阶段儿童对于健康、疾病的理解差异较大,年龄较小的儿童甚至无法理解相关概念,这种认知局限性使得开发儿童健康产出测量量表极为困难。目前针对成人健康产出已开发出多种量表,但考虑

到成人与儿童之间认知性的差异,成人量表不可直接用于儿童。对此,相关研究也根据成人量表进行修改调整,开发出了专门针对儿童的测量量表,如青少年版欧洲五维量表(EuroQol five dimensions questionnaire-youth)是根据欧洲五维量表(EuroQol five dimensions questionnaire)进行修改调整,便于儿童理解,但其使用了与成人版本相同的维度权重,忽略了儿童与成人在健康偏好上的差异^[9]。除此之外,很多儿童健康产出量表对于儿童的年龄有限制条件,如儿童健康效用九维量表(Child health utility-9 dimension)、儿童生活质量筛查(Kid-screen)、标准博弈法(Standard gamble technique),指明分别是6、8、11岁以上的儿童才有理解该量表含义的能力^[10-12]。

为了克服无法直接获得儿童健康产出的问题,有学者提出请父母代表儿童完成量表的填写^[13]。但有实证结果表明,父母提供的健康效用与儿童实际感知的健康效用差异较大^[14],父母在报告儿童健康状况时通常会受到自身健康的影响,产生偏见。除此之外,儿童也有可能向父母隐瞒自己真实的健康状况,可能会对结果产生一定影响^[15]。因此为提高儿童治疗方案经济学评价结果的准确性和可靠性,需要选择有效的基于偏好的健康产出测量量表,纳入儿童自身的健康相关观点。

在已有文献中,很少使用量表测量效用值,主要原因在于缺乏适宜的本土化量表,目前使用的量表多从国外量表翻译而来,但其存在以下不足:一方面,现有儿童健康产出测量量表是基于国外理论与实践构建的,可能并不适用于我国现实情况;另一方面,国内相关研究采用直接翻译的测量量表可能存在语境、含义上的差错,无法测量出我国儿童健康产出真实情况。因此目前我国亟需根据我国实情,开发出适宜不同年龄阶段儿童使用的本土化专用量表。

综上所述,在已有文献的成本测量中,第一,依然有部分文献未注明研究的时间范围。除此之外,很多针对儿童慢病的研究只涉及短期内的成本,忽略了长期疾病对儿童生活的影响,降低了研究决策的可信度。第二,大部分研究没有标注研究角度,无法确定成本的测量范围。第三,很多研究由于数据难以收集、缺乏统一的衡量标准等因素忽略了儿童生产力损失、照料者生产力损失和隐形成本的计算,对总成本的评估不够全面、准确。

在健康产出的测量中,第一,使用CEA方法的部分文献中,忽略了患者和照料者未来的产出效益,可能会低估治疗方案的价值。第二,使用CUA方法的文献中,有关效用的计算直接采纳了先前研究的结果,但以往测得的效用值年代久远,儿童生理、心理状况可能与当下实际情况不符;同时,部分效用值的测量参考的是国外

指标,由于人种、文化、医疗体系的差异,国外儿童效用与我国儿童效用可能存在一定差异。第三,使用CEA方法的文献中,大部分以“总有效率”表示治疗效果,指标选取较为粗糙,忽略了不同疾病与临床表现之间的差异,且容易掺入评价人的主观倾向。第四,很多学者对于技术分析方法的认知不够清晰、深入,无法分辨不同分析方法的差异。部分研究注明使用的分析方法是CEA,但在实际测算过程中,测量的是效用值。技术分析的不确定会影响产出指标的选取,从而影响分析决策的可靠度。第五,从已有文献中也可以看出,我国儿童健康产出测量量表的应用较少,缺乏对儿童测量量表的开发、使用和评估。大部分已经投入使用的量表只能由照料者完成,忽略了儿童自身真实状况,可能会对结果造成一定影响。

4 研究展望

儿童治疗方案经济学评价是促进医疗卫生资源合理配置,提高儿童健康水平的重要手段。通过上述相关研究面临的不足,结合经济的相关要求,本文提出儿童治疗方案药物经济学评价的研究展望,以期提高经济学评估质量。第一,在进行经济学评价研究之前,明确研究角度,确定成本和产出的测量范围。第二,制订统一、规范的成本测量方式,覆盖各类成本项目,包括间接成本与隐形成本。第三,采用根据研究目的与疾病特征,合理选择技术分析方法和健康产出指标。第四,根据不同年龄阶段生理与心理特征,开发适用于儿童的健康产出专业测量量表,提高研究结果的准确度和可信度。除此之外,考虑到儿童与家庭成员之间的高度依赖性,无法独立测量儿童健康效用、生产力损失等值,未来研究可以在报告儿童相关状况的同时报告其他家庭成员的相关状况,以家庭为单位进行治疗方案的经济学评估。

参考文献

[1] KEREN R, PATI S, FEUDTNER C. The generation gap: differences between children and adults pertinent to economic evaluations of health interventions[J]. *Pharmacoeconomics*, 2004, 22(2): 71-81.

[2] KROMM SK, BETHELL J, KRAGLUND F, et al. Characteristics and quality of pediatric cost-utility analyses[J]. *Qual Life Res*, 2012, 21(8): 1315-1325.

[3] DOYLE L. Economic evaluation in child health[J]. *J Paediatr Child H*, 2011, 47(3): 156.

[4] TILFORD JM. Cost-effectiveness analysis and emergency medical services for children: issues and applications[J].

Ambul Pediatr, 2002, 2(4): 330-336.

[5] PAWASKAR M, WITT EA, SUPINA D, et al. Impact of binge eating disorder on functional impairment and work productivity in an adult community sample in the United States[J]. *Int J Clin Pract*, 2017. DOI: 10.1111/ijcp.12970.

[6] 何宝区,莫坤梅,易乐春,等.儿童咳嗽变异性哮喘临床治疗的药物经济学评价[J]. *中国药物经济学*, 2018, 13(4): 12-14.

[7] 周佳,曾芸. 3种常用抗菌药物治疗儿童社区获得性肺炎的成本-效果分析[J]. *中国药物经济学*, 2017, 12(6): 5-7.

[8] 伍红艳,田彩林.基于文献计量分析看国内药物经济学评价研究的现状及发展[J]. *中国药房*, 2015, 26(17): 2305-2307.

[9] MAIDA CA, MARCUS M, HAYS RD, et al. Qualitative methods in the development of a parent survey of children's oral health status[J]. *J Patient Rep Outcomes*, 2017, 2(1): 1-18.

[10] CANAWAY AG, FREW EJ. Measuring preference-based quality of life in children aged 6-7 years: a comparison of the performance of the CHU-9D and EQ-5D-Y-the WAVES pilot study[J]. *Qual Life Res*, 2013, 22(1): 173-183.

[11] SHANNON S, BRESLIN G, FITZPATRICK B, et al. Testing the psychometric properties of kidscreen-27 with Irish children of low socio-economic status[J]. *Qual Life Res*, 2017, 26(4): 1081-1089.

[12] JUNIPER EF, GUYATT GH, FEENY DH, et al. Minimum skills required by children to complete health-related quality of life instruments for asthma: comparison of measurement properties[J]. *Eur Respir J*, 1997, 10(10): 2285-2294.

[13] MCAULEY KA, TAYLOR RW, FARMER VL, et al. Economic evaluation of a community-based obesity prevention program in children: the apple project[J]. *Obesity*, 2010, 18(1): 131-136.

[14] YI MS, BRITTO MT, WILMOTT RW, et al. Health values of adolescents with cystic fibrosis[J]. *J Pediatr*, 2003, 142(2): 133-140.

[15] BINGER CM, ABLIN AR, FEUERSTEIN RC, et al. Childhood leukemia: emotional impact on patient and family [J]. *N Engl J Med*, 1969, 280(8): 414-418.

(收稿日期:2019-06-01 修回日期:2019-07-02)

(编辑:刘明伟)