

编者按:为深入学习贯彻习近平新时代中国特色社会主义思想,落实2021年全国宣传部长会议和全国卫生健康工作会议精神,聚焦中国共产党成立以来卫生健康事业历史进程中的重要决策、活动及成果,从不同角度和层面展现卫生健康事业发展的重要成就,我刊特从2021年7月起开设“党为人民谋健康的100年”专栏,从我刊实际出发,陆续推出一系列我国健康卫生事业与药学工作结合的相关文章,从而助力提高人民健康水平制度保障、坚持和发展中国特色卫生健康制度。本期专栏文章《采用增量人数开展预算影响分析的探讨》建立了推算各干预方案使用人数及其增量的新算法,并分析了新算法相较于常见算法的优势及潜在应用范围,以期药物经济学预算影响分析研究的开展和相关决策提供参考。

采用增量人数开展预算影响分析的探讨[△]

张婧*,黄元楷,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(2021)22-2790-04
DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2021.22.18



摘要 目的:为药物经济学预算影响分析研究的开展和相关决策提供参考。方法:以使用新干预措施的增量人数为切入点,设计新的计算方法,并分析新算法相较于常见算法的优势及潜在应用范围。结果与结论:新算法直接使用来源于真实世界的销售数据推算各干预方案的使用人数及其增量。相较于常见算法,新算法不考虑各干预方案使用人数的不变部分,转而重点关注使用人数的变化部分,回避了目标人群和某些干预方案使用人数的估算,能够在一定程度上解决常见算法对目标人群和市场份额预测不合理或不准确的问题,而且可以进行灵活调整以适应不同的市场情形和支付准入情形。但也存在关键参数(如抢占率等)来源主观性较强或数据来源不准确等不足,从而导致使用人数计算过程中不确定性因素较多。

关键词 预算影响分析;增量人数;算法;药物经济学;抢占率

Discussion on Budget Impact Analysis Based on the Increment of Users

ZHANG Jing, HUANG Yuankai, XI Xiaoyu (Research Center of National Drug Policy & Ecosystem, China Pharmaceutical University, Nanjing 211198, China)

ABSTRACT OBJECTIVE: To provide reference for the development of pharmacoeconomic budget impact analysis and related decision-making. METHODS: Taking the incremental number of people using new intervention measures as the starting point, a new algorithm was designed, and the advantages and potential application scope of the new algorithm were compared with those of common algorithms. RESULTS & CONCLUSIONS: The new algorithm directly used the sales data from the real world to calculate the number of users and their increment of each intervention scheme. Compared with common algorithms, the new algorithm did not consider the unchanged part of the number of users of each intervention scheme, but focused on the changing part of the number of users, avoided the estimation of the number of the target population and the users of some intervention schemes, and could solve the problem of unreasonable or inaccurate prediction of the target population and market share by common algorithms to a certain extent; moreover, it could be flexibly adjusted to adapt to different market conditions and medical insurance access conditions. However, due to the strong subjectivity of key parameters (such as preemption rate) or inaccurate data sources, the calculation results of the new algorithm are still uncertain.

KEYWORDS Budget impact analysis; Increment of users; Algorithm; Pharmacoeconomics; Preemption rate

预算影响分析(budget impact analysis, BIA)是针对新的医疗干预措施进入支付范围后对该系统支出影响的分析评估,已被越来越多的国家和地区要求用于评估药物的经济性以帮助其进行决策^[1-3]。

《中国药物经济学评价指南(2020)》中推荐的BIA计算流程为:首先,需要确定目标人群数量,即特定时间段内,符合新干预措施在相应准入政策约束下的所有适用患者人数^[1]。研究者可根据国家统计局年鉴或者全国人口普查数据确定全国总人口,再按照纳入和排除标准,基于患病率/发病率、诊断率、治疗率等相应的流行病学资料,以及支付方种类、覆盖率、支付比例等医疗产品或服务的支付范围相关数据,逐步估算目标人群数量^[4]。其次,根据各干预方案市场份额的分布情况,即每种干

[△] 基金项目:国家自然科学基金(青年科学基金)资助项目(No.72004230)

* 硕士研究生。研究方向:药物经济学和医药卫生政策。电话:025-86185211。E-mail:2020170465@stu.cpu.edu.cn

[#] 通信作者:研究员,博士生导师。研究方向:药物经济学和医药卫生政策。电话:025-86185211。E-mail:xixy@cpu.edu.cn

预方案在目标人群中的使用比例,研究者依次估计各干预方案的使用人数^[1]。最后,研究者将不同市场情形下各干预方案的使用人数和人均年基金支出相乘,计算得到对应市场情形下的基金支出总量,进而可确定新干预措施纳入或排除出支付范围对基金支出的影响。

但在实际操作过程中,部分干预方案(如抗感染药物、营养支持药物、辅助用药等方案)在临床的适用情形较多,其目标人群和市场份额的计算不仅需要处理庞大的数据,而且关键的临床流行病学数据容易缺失,导致目标人群和各干预方案的使用人数难以估算,使得部分BIA实证研究使用了低质量证据或者假设值来粗略预估目标人群和各干预方案的使用人数,直接影响了BIA结果的准确性^[5-7]。《中国药物经济学评价指南(2020)》没有对目标人群和各干预方案使用人数难以预估时如何开展BIA提供相关的操作细则,现有的国外BIA指南或者相关指导性文件也未给出明确的建议^[8-10],故解决目标人群和各干预方案使用人数的预估问题成为了BIA计算的关键。基于此,笔者拟以使用新干预措施的增量人数为切入点,设计新的计算方法,并分析新算法相较于常见算法的优势及潜在应用范围,以期对BIA研究和相关决策提供参考。

1 算法介绍

1.1 计算思路及计算过程

本研究参考《中国药物经济学评价指南(2020)》,设置对照情形和研究情形两种市场情形。具体而言,对照情形为新干预措施不进入支付范围,目标人群只使用当前市场上现有干预方案的状态;研究情形为新干预措施进入支付范围后,一定比例的目标人群开始使用新干预措施的状态^[1]。其中,纳入BIA研究的现有干预方案一般已被纳入支付范围,主要适应证与新干预措施相同且临床应用较多,通常被业内简称为“竞品”。

BIA常见计算思路是先确定不同市场情形下的目标人群、市场份额以及各干预方案的使用人数,再结合人均基金支出计算不同市场情形下的基金支出总量。由于在研究情形下使用新干预措施的增量人数来自不同的干预方案,且新干预措施对不同干预方案的影响程度不同,故可以推测,如果某些干预方案的使用人数及其在新干预措施使用人数增量中的占比已知,那么可以推算出剩余由干预方案转用新干预措施的人数,进而结合人均基金支出计算出不同市场情形下基金支出的变化情况(图1)。如图1所示,相较于常见算法,新算法不考虑各干预方案使用人数的不变部分,转而重点关注使用人数的变化部分,回避了目标人群和某些干预方案使用人数的估算。

1.1.1 对照情形 设单个患者的日用药量为 Q_d ,所有患者的平均用药时长为 t ,二者相乘可得人均用药量;某干

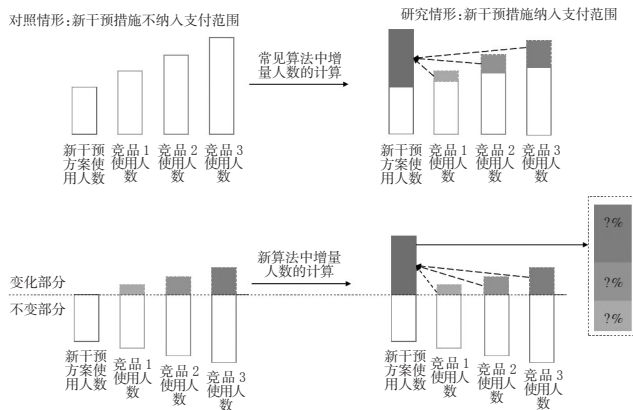


图1 常见算法与新算法思路示意图

Fig 1 Schematic diagrams of common algorithms and new algorithms

预措施某年的预测销售数量记为 Q_y ,该干预措施该年的患者使用人数记为 U_y ,则计算公式为:

$$U_y = Q_y / (Q_d \times t) \dots\dots\dots (1)$$

由于干预措施必须被符合相应支付条件的参保患者使用,才能影响基金支出并纳入BIA的考虑范围,故本研究分别计算了各干预措施的使用人数。设支付方的覆盖率为 R ,不同支付方的受众人群众占比为 P ,对照情形下采用该支付方式的各干预措施的使用人数记为 U_c ,则计算公式为:

$$U_c = U_y \times R_i \times P_i \dots\dots\dots (2)$$

1.1.2 研究情形 新干预措施进入支付范围后,每年以一定比例抢占不同竞品的使用人数。本研究假设新干预措施对各竞品的抢占比例相等,并将这一比例定义为抢占率,记为 R_s ,则各竞品每年的使用人数将以 $(100\% - R_s)$ 的比例减少。新干预措施进入支付范围的第 n 年,则抢占轮数为 n ,为方便计算, n 一般取整数。对照情形下各竞品的使用人数记为 U_{C1} ,研究情形下各竞品的使用人数记为 U_{R1} ,则计算公式为:

$$U_{R1} = U_{C1} \times (100\% - R_s)^n \dots\dots\dots (3)$$

由于新干预措施还将覆盖之前没有接受过有效治疗方案或接受其他类型治疗方案以及已经停止使用当前市场上现有干预措施的患者等(下文为方便表述,将这部分患者统称为“其他方案转用患者”),这部分患者构成较为复杂,具体数量难以计算。假设新干预措施抢占所有竞品的使用人数占新干预措施总使用人数增量的比例为 R_{T1} ,则覆盖其他方案转用患者人数 U_{RT} 占新干预措施总使用人数增量的比例为 $1 - R_{T1}$,其计算公式为:

$$U_{RT} = (\sum U_{C1} - \sum U_{R1}) \times (1 - R_{T1}) / R_{T1} \dots\dots\dots (4)$$

新干预措施在对照情形下的使用人数记为 U_{CN} ,在研究情形下的使用人数记为 U_{RN} ,考虑到上述两种类型的市场变化,则新干预措施总使用人数的计算公式为:

$$U_{RN} = U_{CN} + \sum (U_{C1} \times R_s)^n + U_{RT} \dots\dots\dots (5)$$

由此,依据各年各干预方案的预测使用人数以及人

均年基金支出可以算得两种市场情形下基金总支出的变化情况。算法示意图详见图2。

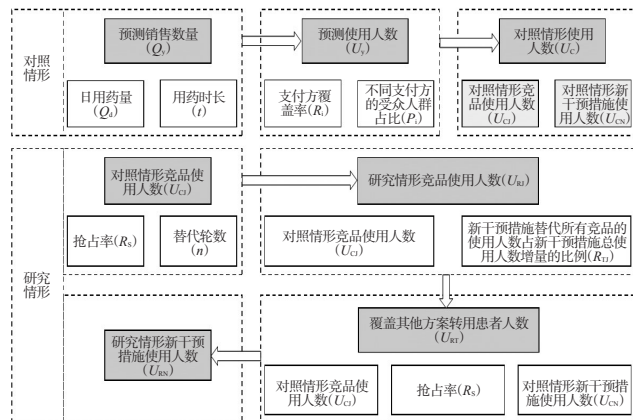


图2 两种市场情形下基金总支出变化情况的算法示意图

Fig 2 Algorithm diagram of changes in total expenditure of medical insurance fund under two market situations

1.2 关键参数的估算

由上文可见,抢占率 R_s 是新算法中最重要的参数。根据数据来源的公信力等级^[11],笔者首推根据临床指南或者以往类似药物的市场抢占情况来估计 R_s ;若无可供参考的临床指南,笔者建议由临床、流行病学、市场营销和药物经济学等相关领域的专家组成专家咨询小组,采用德尔菲法组织专家共同商议新干预措施对不同竞品的可替代程度。

新干预措施抢占所有竞品的使用人数占新干预措施总使用人数增量的比例 R_{π} ,是新算法中的另一个关键参数。专家深度访谈、德尔菲法和层次分析法等定量专家调查法均可以用于估测 R_{π} 。例如,运用层次分析法可逐步分解问题,依次确定新干预措施抢占不同竞品的比例并建立判断矩阵,由相关领域专家对该判断矩阵的要素进行赋值,进而计算出 R_{π} ^[12]。

值得注意的是,研究者在汇报BIA过程时,需要详细描述纳入专家的研究领域、获取专家意见的方式以及专家所使用的估计方法,并评定 R_s 和 R_{π} 预测的合理性。例如,若采用德尔菲法估计上述参数,应计算并汇报问卷回收的有效率、专家对问题的熟悉程度、专家意见的一致性程度等,以分析德尔菲咨询小组中专家的积极系数、专家的权威程度系数、专家意见的协调系数等^[13],进而评价所获取数据的科学性和有效性,以确保计算结果可靠、可信。

2 算法示例

本研究以新干预措施A为例,采用新算法计算其进入基金支付范围后对基金支出的影响。从支付方角度进行BIA,使用Excel 2016软件构建模型,以2020年为

基线年,研究时限为3年(2021—2023年),竞品为B、C、D等3种。若新干预措施在3年间不进入支付范围,市场竞争格局变化较小,可在某销售数据库历史销售数据的基础上,推算销量,根据公式(1)计算2021—2023年各干预方案的使用人数,结果见表1。

表1 各干预方案的使用人数计算

Tab 1 Calculation of the number of users of each intervention scheme

治疗方案	日用药量,盒	平均用药时长,d	销量,盒			使用人数		
			2021年	2022年	2023年	2021年	2022年	2023年
新干预措施A	1	7	665 000	700 000	735 000	95 000	100 000	105 000
竞品B	1	7	77 000	81 900	84 000	11 000	11 700	12 000
竞品C	1	7	3 710 000	3 920 000	4 130 000	530 000	560 000	590 000
竞品D	1	7	224 000	210 000	196 000	32 000	30 000	28 000

假定目标人群的支付覆盖率为96.74%,其中支付模式X的人数占比为24.31%,支付模式Y的人数占比为75.69%,目标地区的人口数在全国总人口中的占比为30.37%。根据公式(2),可以计算出对照情形下2021—2023年不同支付模式下各干预方案的使用人数。若新干预措施A进入支付范围,并将逐年以10%的抢占率抢占各竞品的使用人数。与此同时,新干预措施A还将覆盖其他方案转用患者。假设新干预措施A抢占所有竞品的使用人数占新干预措施总使用人数增量的比例为50%,则剩余50%的增长份额来自其他方案转用患者,2021—2023年两种市场情形下各干预方案的使用人数见表2。

表2 各干预方案在两种市场情形下的使用人数

Tab 2 The number of users of each intervention scheme under two market situations

支付模式	治疗方案	对照情形下的使用人数			研究情形下的使用人数		
		2021年	2022年	2023年	2021年	2022年	2023年
X	新干预措施A	6 785	7 142	7 499	49 293	77 289	104 996
	竞品B	2 587	2 752	2 822	2 328	2 229	2 057
	竞品C	124 643	131 698	138 753	112 178	106 675	101 151
	竞品D	7 526	7 055	6 585	6 773	5 715	4 800
	其他方案转用	13 476	26 886	40 151	0	0	0
Y	新干预措施A	21 126	22 238	23 350	153 474	240 643	326 909
	竞品B	8 054	8 567	8 787	7 249	6 939	6 406
	竞品C	388 079	410 046	432 013	349 271	332 137	314 937
	竞品D	23 431	21 967	20 502	21 088	17 793	14 946
	其他方案转用	41 956	83 710	125 013	0	0	0

根据不同市场情形下各干预方案的使用人数和人均年基金支出,可以计算出基金支出的变化情况。为了保证BIA结果的可靠性和科学性,支付方的覆盖率、不同支付方的受众人群众占比、新干预措施对各竞品的年均抢占率、新干预措施抢占所有竞品的使用人数占新干预措施总使用人数增量的比例等参数在实际运用中还需要进行敏感性分析以降低偏倚风险。

3 讨论

3.1 新算法的优势

算法所需数据及其来源是BIA质量的重要影响因素之一。常见算法利用患病率/发病率、诊断率、治疗率等临床数据进行目标人群的估计,使用小样本数据、类似疾病人群数据、外国人群数据或者假设值都会在一定程度上影响基金支出的预测结果^[5-7]。新算法直接根据销售数据对使用人数及其增量进行推算,这部分数据基本来自真实世界,可使计算结果的稳健性较高。

3.2 新算法的潜在应用范围

新算法需要在应用过程中进行灵活调整以适应不同的市场情形。如果新干预措施拥有多个临床适应证,单凭销售数据来反映干预措施的使用人数可能有失偏颇,那么就有必要查询临床文献或者咨询临床专家以确定所研究适应证的用药患者比例。新算法还可被推广运用到其他支付机制的准入情形。例如,设“某干预措施保留原价且仍在支付范围内”为对照情形,“某干预措施被调出支付范围”为研究情形一,“某干预措施降价续约且仍留在支付范围内”为研究情形二。在研究情形一中,该干预措施因被调出支付范围而被市场其他干预措施抢占了部分使用人数;在研究情形二中,该干预措施降价续约,抢占各竞品使用人数的同时还覆盖了其他方案转用患者,则上述两种情况均可采用本文的新算法进行BIA。

3.3 局限性

由于受相关数据及资料的可获取性和方法质量的限制,本研究还存在一定的局限性:第一,由于无法获得完整的市场规模数据,难以反映各种干预方案的具体使用情况;第二,部分数据来源于专家咨询,虽可以获取时效性强、权威性高、针对性强的信息,但可能结果一致性较差且带有一定的主观性,难以被非药学和药物经济学领域的专家理解;第三,从数据资源平台上获取的药品销售数据、药品使用信息和企业预期销售增长率不能准确评估某干预措施在全国市场内的销售数量,导致使用人数计算过程中不确定性因素较多。

4 结语

本研究以补充BIA计算框架为目的,针对新干预措施使用人数的增量分布构建新的BIA计算方法,其核心思路是根据新干预措施使用人数的增量分布来推算各干预方案转用新干预措施的人数。本研究所设计的新算法能够解决部分干预方案目标人群和市场份额难以计算的问题,而且在一定程度上能够解决常见算法对目标人群和市场份额预测不准确的问题。后续笔者将进一步开展实证研究,比较常见算法和新算法推算BIA结果的差异,并对比不同临床适用范围的干预措施使用不同算法进行BIA的效果差异。本文目前仅是初步探索,

希望能够为BIA提供一种新的研究思路,但还需要在后续研究中加以完善。

参考文献

- [1] 刘国恩.中国药物经济学评价指南:2020[M].北京:中国市场出版社,2020:87-96.
- [2] GHABRI S, MAUSKOPF J. The use of budget impact analysis in the economic evaluation of new medicines in Australia, England, France and the United States: relationship to cost-effectiveness analysis and methodological challenges[J]. Eur J Health Econ, 2018, 19(7):173-175.
- [3] 国家医疗保障局.基本医疗保险用药管理暂行办法:国家医疗保障局令第1号[EB/OL].(2020-07-30)[2021-02-05]. http://www.nhsa.gov.cn/art/2020/7/31/art_37_3387.html.
- [4] 柳鹏程,江欣悦,李灿,等.浅析医保谈判准入中预算影响分析相关研究所需数据及处理方法[J].中国医疗保险, 2020(5):57-62.
- [5] LANE W S, WEATHERALL J, GUNDGAARD J, et al. Insulin degludec versus insulin glargine U100 for patients with type 1 or type 2 diabetes in the US: a budget impact analysis with rebate tables[J]. J Med Econ, 2018, 21(2): 144-151.
- [6] 罗雪燕,袁泉,姚文兵.埃克替尼用于治疗晚期非小细胞肺癌的预算影响分析[J].中国新药杂志, 2018, 27(9): 973-977.
- [7] 谢丽,夏茹意,庄贵华.伴代偿期肝硬化乙肝相关肝癌患者根治性切除术后抗病毒治疗的预算影响分析[J].中国卫生经济, 2019, 38(9):64-68.
- [8] National Institute for Health and Clinical Excellence. Assessing resource impact process manual: guidelines[EB/OL].[2021-02-07]. <https://www.nice.org.uk/Media/Default/About/what-we-do/Into-practice/RIA-process-manual-guidelines>.
- [9] MAUSKOPF J, EARNSHAW S. A methodological review of US budget-impact models for new drugs[J]. Pharmacoeconomics, 2016, 34(11): 1111-1131.
- [10] Pharmaceutical Benefits Advisory Committee. Guidelines for preparing submissions to the pharmaceutical benefits advisory committee[EB/OL]. [2021-02-07]. <http://www.pbac.pbs.gov.au/content/information/printable-ffiles/pbac-book>.
- [11] 柳鹏程,方刚,王敏娇,等.基于关键数据要素的医疗保险预算影响分析质量评价体系[J].卫生经济研究, 2020, 37(7):22-25.
- [12] 王玉兰.基于层次分析法的数据资产评估模型研究[D].天津:天津商业大学,2018.
- [13] 张金华.亚健康评定量表的初步编制[D].广州:南方医科大学,2010.

(收稿日期:2021-03-11 修回日期:2021-10-12)

(编辑:孙冰)