

# 国内外心力衰竭治疗药物经济学研究的差异比较<sup>Δ</sup>

申锐加<sup>1,2\*</sup>, 杨晓或<sup>1</sup>, 孙德锋<sup>2</sup>, 李伟娅<sup>1</sup>, 赵振营<sup>1#</sup> (1. 天津市人民医院/南开大学第一附属医院药学部, 天津 300121; 2. 天津医科大学药学院, 天津 300070)

中图分类号 R956 文献标志码 A 文章编号 1001-0408(2026)05-0626-07

DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2026.05.13



**摘要** 目的 为我国心力衰竭治疗药物经济学研究接轨国际提供依据。方法 定性比较国内外心力衰竭药物经济学研究在研究方法、模型应用、研究视角与终点指标、数据来源与参数选择、政策转化与实践影响四方面的差异。结果与结论 国外研究多采用长期动态模型、全社会视角、真实世界数据融合并直接支撑医保决策;国内研究多偏短期简化分析、采用卫生体系单一视角、依赖文献数据且多限于个体用药建议。建议国内研究向长周期动态建模转型,依托大数据构建本土专病效用数据库,建立与医保挂钩的闭环机制,并深化多学科协作,以优化医疗资源配置。

**关键词** 心力衰竭治疗药物;药物经济学研究;国际经验;成本-效果分析;成本-效用分析;真实世界数据;本土化;医保决策

## Comparison of the differences of domestic and foreign pharmacoeconomic research on heart failure medications

SHEN Ruijia<sup>1,2</sup>, YANG Xiaoyu<sup>1</sup>, SUN Defeng<sup>2</sup>, LI Weiya<sup>1</sup>, ZHAO Zhenying<sup>1</sup> (1. Dept. of Pharmacy, Tianjin People's Hospital/the First Affiliated Hospital of Nankai University, Tianjin 300121, China; 2. School of Pharmacy, Tianjin Medical University, Tianjin 300070, China)

**ABSTRACT** **OBJECTIVE** To provide a basis for aligning Chinese pharmacoeconomic research on heart failure (HF) with international standards. **METHODS** A qualitative comparison of domestic and global HF pharmacoeconomic studies was conducted across four dimensions: research methods and model application, research perspectives and endpoints, data sources and parameter selection, and policy translation and practical impact. **RESULTS & CONCLUSIONS** Global studies predominantly utilize long-term dynamic models, societal perspectives, real-world data integration, and directly inform reimbursement decisions. Conversely, domestic research often relies on short-term simplified models, a single healthcare system perspectives, literature-derived data, and individual medicine recommendations. Future domestic studies should transition to long-term dynamic modeling, develop localized disease-specific utility databases via big data, establish reimbursement-linked closed-loop mechanisms, and foster multidisciplinary collaboration to optimize healthcare resource allocation.

**KEYWORDS** heart failure medications; pharmacoeconomic research; international experience; cost-effectiveness analysis; cost-utility analysis; real-world data; localization; health insurance decision-making

心力衰竭(以下简称“心衰”)作为全球重大公共卫生挑战,其疾病负担正随人口老龄化持续加重。全球约6 430万心衰患者中,每年有200万人死于相关并发症<sup>[1]</sup>。在我国,≥25岁人群的心衰标准化患病率为1.10%,≥35岁人群的心衰标准化患病率为1.38%;心衰患者年住院次数约432万次,直接经济负担高达1 689.4亿元<sup>[2-3]</sup>。随着新型心衰治疗药物如钠-葡萄糖耦联转运体2(sodium-glucose linked transporter 2, SGLT2)抑制剂、血

管紧张素受体脑啡肽酶抑制剂(angiotensin receptor-neprilysin inhibitor, ARNI)的临床应用,如何在有限的医疗预算下公平且高效地分配医疗资源已成为亟待解决的问题。在此背景下,药物经济学研究通过量化成本与健康产出的关系,已成为全球评估治疗价值、优化医疗资源配置的核心工具<sup>[4]</sup>。然而,国内外心衰治疗药物的经济学研究在模型方法、数据来源、效用测量及政策转化等维度上均存在显著差异,深入分析这些差异对提升我国相关研究水平具有重要意义。鉴于此,本研究整合国内外文献,系统对比了国内外心衰治疗药物经济学研究的上述差异;同时,结合近年来医疗大数据与真实世界证据的应用趋势,探讨国内研究在效用评估与本土化建模方面的优化路径,以期为推动我国心衰治疗药物经济学研究与国际接轨提供理论依据。

Δ 基金项目 天津药中青年科研项目(No. TJYX2023-04, No. TJYX2024-04)

\* 第一作者 硕士研究生。研究方向:临床药学。E-mail: shenruijia@tmu.edu.cn

# 通信作者 主任药师,硕士生导师,博士。研究方向:医院药学、系统生物学与中药现代化、人工智能与健康医疗大数据。E-mail: clinpharmzhao@163.com

# 1 研究方法

## 1.1 纳入与排除标准

本研究的纳入标准为:(1)研究类型——公开发表的、对心衰治疗药物进行经济学评价或价值评估的文献(包含原始研究与系统评价)。(2)研究对象——明确定义的心衰患者,不限定是否合并其他疾病。(3)干预措施——至少一组干预措施为心衰相关治疗药物(如ARNI、SGLT2抑制剂、 $\beta$ 受体阻滞剂、伊伐布雷定、铁剂等),对照措施可为安慰剂、常规治疗措施或其他药物。(4)结局指标——研究需报告药物经济学相关结局,如增量成本-效果比(incremental cost-effectiveness ratio, ICER)、增量成本-效用比、质量调整生命年(quality-adjusted life year, QALY)或成本-效果比等。(5)语言限定——仅纳入中文和英文文献。本研究的排除标准为:(1)会议摘要、评论、指南及方法学类文章;(2)重复发表或数据重叠的研究,仅保留信息最完整或最新的一篇;(3)非中文或非英文文献/报告;(4)无法获取全文或缺乏关键成本、效用数据的研究。

## 1.2 文献/报告检索策略

计算机检索PubMed、Web of Science、Embase、Cochrane Library、中国知网、维普网、万方数据等中英文数据库,检索关键词为“成本-效果分析”“成本-效用分析”“药物经济学”“心力衰竭”“cost-effectiveness analysis”“pharmacoeconomics”“heart failure”“cost-utility analysis”。检索时间范围为2014年1月至2025年10月。

## 1.3 比较分析框架与指标确定

为系统评估国内外心衰治疗药物经济学研究的差异,本研究建立了定性比较分析框架,涵盖4个核心维度:研究方法、模型应用、研究视角与终点指标、数据来源与参数选择、政策转化与实践影响。各维度具体测量指标如下。

(1)研究方法:包括各研究使用的经济学模型类型(如Markov模型、分割生存模型、微观仿真模型等)、模型结构(疾病健康状态与过渡状态的设置)、模拟时限(短期观察或终身模拟)及循环周期。

(2)研究视角与终点指标:包括研究采取的经济学分析视角(如全社会视角、卫生体系视角等),以及效用测量工具和核心产出指标[如ICER、QALY、需治疗人数(number needed to treat, NNT)等]。

(3)数据来源与参数选择指标:包括关键模型参数(如状态转移概率、成本明细、效用权重等)基于真实世界数据(real-world data, RWD)与大型随机对照试验(randomized controlled trial, RCT)多源融合的比例及本土化程度。

(4)政策转化与实践影响指标:包括宏观预算评估的系统性,以及研究成果向临床指南与医保目录转化的实际情况。

# 2 结果

## 2.1 文献筛选结果

共检索得到相关文献135篇(包括中国知网28篇、维普网13篇、Web of Science 10篇、万方数据27篇、Embase 9篇、PubMed 32篇、Cochrane Library 16篇);排除重复项后获得文献97篇;阅读标题和摘要后排除会议摘要、Meta分析、无有效药物经济学数据指标等的文献45篇,阅读全文后排除无法提供相关药物经济学结局指标等有效数据的文献32篇,最终纳入20篇文献进入本研究。

## 2.2 纳入文献的基本特征

纳入的研究对象包括中国、美国、英国、荷兰等多个国家的心衰患者。在研究视角方面,以卫生体系视角的研究居多。纳入文献的基本特征见表1。

表1 纳入研究的基本特征

作者	发表年份	国家	研究视角	药物经济学模型/方法
胡善联等 <sup>[3]</sup>	2019	中国	医疗保障支付方	Excel决策树模型;敏感性分析评估ICER
Dong等 <sup>[4]</sup>	2022	中国	卫生体系	Markov模型;成本-效果分析
吴晶等 <sup>[5]</sup>	2024	中国	医疗保障支付方	机器学习预测模型;政策评估中的双重差分模型、间断时间序列模型;成本-效果分析
Ramos等 <sup>[6]</sup>	2017	荷兰	卫生体系	成本-效果分析;PARADIGM-HF试验数据的健康经济模型
吴晶等 <sup>[7]</sup>	2019	中国	卫生体系	比较效果研究框架;倾向评分分析、多元回归等统计模型
Ward等 <sup>[8]</sup>	2023	英国	卫生体系	Markov队列模型;成本-效用分析
McEwan等 <sup>[9]</sup>	2023	欧洲五国	医疗保障支付方	Markov模型;成本-效果分析
Zueger等 <sup>[10]</sup>	2018	美国	卫生体系	Markov模型;成本-效果分析
陈琮琤等 <sup>[11]</sup>	2024	中国	卫生体系	Markov模型;成本-效用分析
何江江等 <sup>[12]</sup>	2017	中国	全社会	无特定模型和方法(综述性研究,汇总其他研究模型和方法)
万一鸣 <sup>[13]</sup>	2022	中国	卫生体系	Markov模型;蒙特卡洛概率敏感性分析
游如旭等 <sup>[14]</sup>	2017	中国	卫生体系	Markov模型;单因素敏感性分析
胡兴茂 <sup>[15]</sup>	2020	中国	卫生体系	决策树模型;成本-效果分析
刘若斌 <sup>[16]</sup>	2022	中国	医疗机构	主要采用NNT分析,未使用复杂模型
陈宜峰等 <sup>[17]</sup>	2022	中国	医疗保障支付方	Markov模型;二阶蒙特卡洛概率敏感性分析
李彬 <sup>[18]</sup>	2015	中国	医疗机构	未使用模型;成本-效果分析、最小成本分析
Escobar等 <sup>[19]</sup>	2025	西班牙	医疗机构	Markov模型;成本-效用分析
Oh等 <sup>[20]</sup>	2025	韩国	医疗保障支付方	分割生存模型;成本-效用分析
Naves等 <sup>[21]</sup>	2024	巴西	卫生体系	Markov队列模型;成本-效用分析
Kuan等 <sup>[22]</sup>	2025	马来西亚	卫生体系	三状态Markov模型;成本-效用分析

## 2.3 研究方法与模型应用差异

### 2.3.1 国外研究:复杂模型驱动的全周期评估

国外心衰治疗药物经济学研究在模型构建上普遍呈现出高复杂度和长周期的特征,用以全面评估新型药物(如SGLT2抑制剂、ARNI)及相关干预措施的长期价值。其核心特征主要体现在以下两个维度:

其一,国外药物经济学模型在结构设计上趋于精细化,且普遍纳入了多维度的评估视角。国外研究极少采用简单的决策树模型,而是普遍构建多状态Markov队列或分割生存模型,并高度重视对特定疾病进展路径及广泛成本视角的捕捉。例如,欧洲关于羧基麦芽糖铁的研究<sup>[9]</sup>突破了单一国家限制,构建了五国特异性Markov模型,详细纳入了急性心衰出院后缺血患者的疾病进展路径;Ramos等<sup>[6]</sup>在评估沙库巴曲缬沙坦的经济性时,进一步将模型拓展至全社会视角,精细纳入了生产力损失与非正式护理成本等间接费用。Escobar等<sup>[19]</sup>与Oh等<sup>[20]</sup>的研究则分别利用堪萨斯城心脏病问卷总症状评分和

真实世界生存曲线构建模型,实现了对疾病复杂转归的动态模拟。

其二,国外研究的模拟时限普遍涵盖了患者的全生命周期,并应用了严密的不确定性分析来验证结果。国外研究多将模拟时限设定为10~20年甚至终身,以完整刻画药物对长远结局的改善。例如,Naves等<sup>[21]</sup>在评估达格列净的经济性时采用了终身时限的Markov模型,将老龄化进程中递增的非心源性死亡率等动态参数纳入考量;Ward等<sup>[9]</sup>针对帕替罗默长期价值的评估,同样采用了全生命周期来推算终身QALY。更重要的是,这类长周期模型普遍配备了严密的不确定性评估手段。如上述多项国外研究普遍结合了概率敏感性分析(如蒙特卡洛模拟),验证了模型关键参数与结构性假设的稳定性。综上,这种涵盖长期模拟与不确定性分析的评价框架,为心衰相关治疗方案在各国既定支付意愿阈值下的临床推广提供了极具说服力的经济学依据。

### 2.3.2 国内研究:简化模型与短期效应导向

相较于国外成熟的全周期建模,国内研究在过去较长一段时间内呈现出模型相对简化与短期效应导向的特征,其具体表现在以下两个方面:

其一,评估维度偏向短期临床观察与静态测算。国内部分研究多聚焦于6个月至1年甚至更短期的成本-效果,未涉及长期的预后模拟。例如,李彬<sup>[18]</sup>的研究仅观察了28 d临床指标,主要采用最小成本分析法;胡兴茂<sup>[15]</sup>则重点分析住院期间成本,未引入动态模型模拟疾病的长期进展。此外,部分研究虽采用了NNT分析(如刘若斌<sup>[19]</sup>对预防心血管事件的评估),但由于未涉及动态疾病转移概率与贴现率计算,难以有效评估长期的卫生资源节约效应。

其二,动态模型的基础状态设置存在局限,且参数本土化程度有待提升。在应用Markov等动态模型时,国内研究常存在结构简化或参数依赖外部数据的情况。例如,游如旭等<sup>[14]</sup>建立的四状态Markov模型虽将模拟周期设定为10年,但未纳入心衰管理中关键的“住院”状态,且模型转移概率高度依赖欧洲人群的试验数据。尽管如此,国内研究在模型应用上也在不断进步。例如,万一鸣<sup>[13]</sup>和Dong等<sup>[4]</sup>在心衰相关药物的经济学评估中构建了包含多状态的Markov模型,体现了方法学的深入。近年来,国内研究正逐步向“微观仿真+真实世界证据”过渡,如Zou等<sup>[23]</sup>利用我国心衰真实世界人群构建了微观仿真模型,为复杂疾病转归提供了动态评估手段,但在数据支撑的广度与时间跨度上仍与国外存在一定差距。国内外心衰治疗药物经济学模型构建特征比较见表2。

表2 国内外心衰治疗药物经济学模型构建特征比较

维度	国外研究	国内研究
模型复杂度	包含住院过渡状态、年龄动态参数、多循环周期	只有基础状态转移,缺乏过渡状态建模
时间维度	10~20年终身模拟,纳入老龄化进程	5~10年短期分析,忽略生命周期成本
敏感性分析	概率敏感性分析(1 000次模拟)+旋风图	单因素分析为主,未涉及参数联合分布

## 2.4 研究视角与终点指标差异

### 2.4.1 国外研究:患者价值与系统效益的整合

国外心衰治疗药物的经济学研究不再局限于单一的药品费用,而是致力于构建全成本评估体系与多维度的终点指标。其核心特征主要体现在以下两个方面:

其一,国外研究普遍采用全社会或多方视角,构建覆盖直接、间接与无形成本的全成本评估框架。国外研究在计算成本时,除直接医疗费用外,还会高度重视将患者的误工损失、家庭非正式护理成本(间接成本)以及患者因病痛导致的生活质量下降成本(无形成本)纳入模型。例如,巴西学者Naves等<sup>[21]</sup>在评估达格列净的经济性时,将多维度的门诊与住院成本进行了全面整合;韩国学者Oh等<sup>[20]</sup>的真实世界研究则直接依据理赔数据,精确核算了全系统的医疗资源占用情况,从而实现了对疾病经济负担的立体化测算。

其二,终点指标从单一临床获益向“临床事件、患者效用与医疗资源消耗”的三维整合转变。国外研究的效用评估以标准化量表为核心,普遍将临床事件转化为QALY或伤残调整生命年(disability-adjusted life year, DALY)等国际通用指标。例如,欧洲关于羧基麦芽糖铁的经济性评估不仅关注患者寿命的延长,更将缩短住院天数、减少DALY作为核心终点<sup>[9]</sup>;韩国关于ARNI的真实世界研究在估算终身QALY的同时,将“避免的心衰再住院次数”作为独立的重要系统性结局指标<sup>[20]</sup>。这种评价体系不仅直观反映了患者的生活质量获益,还对医疗系统负担的缓解程度进行了量化,为医保支付方提供了高价值的决策依据。

### 2.4.2 国内研究:以成本-效果分析为主,向本土多维效用评估拓展

相较于国外成熟的价值评价体系,国内研究在研究视角与终点指标的选择上曾长期呈现出单一化的特征,但近年来正借助数据科学的发展实现突破,具体表现在以下两个方面:

其一,国内研究主要局限于卫生体系单一视角,侧重于直接医疗成本的核算。现有多数研究以直接产生的药费、检查费等为重点,极少涉及间接成本与无形成本的测算。在效用评估方面,部分研究由于缺乏国际通用工具,常依赖于主观设定的临床指标。例如,胡兴茂<sup>[15]</sup>在对注射用益气复脉(冻干)和心脉隆注射液进行经济学评价时,主要采用心功能分级和射血分数等临床替代终点,未进一步转化为QALY或引入生存质量量表,这在一定程度上限制了研究结果的国际可比性与综合评判价值。

其二,效用测量正逐步打破常规局限,向基于大数据的本土多维效用评估拓展。虽然国内长期缺乏基于大数据的本土效用常模,多依赖文献二次挖掘或主观指标,但随着医疗大数据的推进,这一短板正被迅速填补。近年来,欧洲五维度五水平健康量表(EuroQol 5-Dimension 5-Level Questionnaire, EQ-5D-5L)中国常模<sup>[24]</sup>与中国心血管疾病健康相关结局量表(China Health Related

Outcomes Measures-Cardiovascular Disease, CHROME-CVD)<sup>[25]</sup>相继开发完成,这为未来在国家医保信息平台等RWD源中规模化嵌入患者报告结局奠定了坚实基础。反观国外,其评价体系已实现基于电子病历和医疗大数据的自动化多维效用值追踪;国内目前虽然在将大数据驱动的效用指标转化为医保准入直接证据方面仍处于起步阶段,但本土化健康测量工具体系的构建,标志着我国心衰治疗药物的经济学研究正加速与国际价值评估标准接轨。国内外心衰治疗药物经济学研究视角与终点指标比较见表3。

表3 国内外心衰治疗药物经济学研究视角与终点指标比较

维度	国外研究	国内研究
研究视角	全社会多视角,普遍纳入间接成本(误工、护	卫生体系等单一视角,主要聚焦直接医疗成本(药
终点体系	理)与无形成本的全成本评估	费、住院费等),极少涉及间接与无形成本
	QALY/DALY+临床事件+资源消耗三维整合	以ICER或NNT为主,部分研究忽略效用维度

## 2.5 数据来源与参数选择差异

### 2.5.1 国外研究:多源数据驱动的精准建模

国外研究在数据获取上已跨越了单一试验的局限,其核心优势体现在数据类型的多元化与参数的动态捕捉能力上,具体表现在以下两个方面:

其一,采用国际多中心RCT与RWD深度融合的策略。国外研究普遍基于大型临床试验(如DAPA-HF、DELIVER等试验)确立核心临床结局的相对风险,并广泛结合本国卫生统计数据进行严谨的本土化校准。例如,欧洲关于羧基麦芽糖铁的经济学研究整合了多国流行病学RWD,通过专家共识对患病率和市场渗透率进行校准<sup>[9]</sup>;西班牙与巴西研究均结合了本国寿命表、实际药品价格和住院成本,并采用本国健康偏好权重估算效用值,确保了模型参数与目标人群的高度契合<sup>[19,21]</sup>。同样,韩国针对沙库巴曲缬沙坦的成本-效用分析,在依托PARADIGM-HF试验确立核心相对风险的基础上,专门提取了本国真实世界的回顾性心衰住院成本,引入了基于韩国普通社会人群测量的欧洲多维健康量表(Euro-Qol 5-Dimension Questionnaire, EQ-5D)效用权重,并结合本国特定年龄和性别的寿命表测算非心血管死亡率,实现了深度的本土化校准<sup>[26]</sup>。

其二,依托医保大数据建立动态参数更新机制。国外研究高度重视数据的时效性与心衰治疗药物在真实诊疗环境下的表现。例如,韩国针对沙库巴曲缬沙坦的真实世界研究,直接利用本国医保理赔数据库的长期纵向数据,实时追踪患者在真实世界中的资源消耗与临床结局<sup>[26]</sup>。这种基于大数据的实时数据抓取,确保了经济学模型能够精准反映真实世界治疗模式的动态演变。

### 2.5.2 国内研究:从文献二次分析向多源RWD过渡

相较于国外多源数据驱动的成熟体系,国内研究在数据获取上尚未形成多元融合的机制,目前正处于从高度依赖公开文献向多源RWD过渡的阶段。其主要局限性与发展趋势体现在以下两个方面:

其一,传统模型对公开文献的二次挖掘依赖度较

高,参数的时效性与本土化面临挑战。在状态转移概率的设定上,部分国内研究曾直接引用国外试验数据,未充分调整中国人群的并发症风险与基线控制率差异<sup>[14]</sup>。成本数据的获取常面临一定的时滞性,难以像欧洲研究那样动态捕捉集中带量采购政策带来的药品价格持续波动,且成本核算维度较少覆盖不良反应的精细化处置费用,这对长期的宏观预算评估造成了一定限制。

其二,随着医疗大数据的发展,国内研究正逐步与真实世界证据融合。近年来,国内已有个别高质量研究开始尝试打破单中心与文献数据的局限,在经济学评价中引入本土大样本RWD。例如,Zou等<sup>[23]</sup>利用我国心衰真实世界队列的个体患者数据构建了微观仿真模型,为复杂疾病转归提供了本土化的动态评估手段;Jiang等<sup>[27]</sup>也在探索将我国医疗体系的真实费用与寿命表更深度地融入SGLT2抑制剂的评价参数中。这表明,基于本土真实世界队列和医保大数据的经济学建模在我国已具备初步可行性,正努力缩小与国际多源数据建模的差距。国内外心衰治疗药物经济学研究数据来源与参数选择比较见表4。

表4 国内外心衰治疗药物经济学研究数据来源与参数选择比较

维度	国外研究	国内研究
数据类型	RCT+RWD+医保大数据多源验证	以公开发表文献二次提取为主,多源RWD整合处于起步阶段
本土化程度	采用国家特异性参数,具备动态更新机制	通用参数,成本数据常面临一定时滞性,忽略了地区差异

## 2.6 政策转化与实践影响差异

### 2.6.1 国外研究:指南与医保的双向互动及宏观预算测算

国外心衰治疗药物的经济学研究已形成成熟的转化机制,可直接服务于医疗卫生系统的宏观决策。其核心优势体现在以下两个方面:

其一,研究结果与临床指南制定及医保目录准入深度联动。国外的高质量经济学证据能够直接支撑临床路径的优化与医保支付标准的制定。例如,关于欧洲羧基麦芽糖铁的经济评价<sup>[9]</sup>证实了其显著的长期成本节约效应,直接推动了铁剂治疗被纳入欧洲心脏病学会心衰指南的重点推荐;Ramos等<sup>[9]</sup>对沙库巴曲缬沙坦、Ward等<sup>[8]</sup>对帕替罗默的研究结论,均成为相关药物被纳入医保报销目录或获得特定用药推荐的重要依据。此外,Hellenbart等<sup>[28]</sup>的研究也显示,经济学证据正不断拓宽伊伐布雷定等心衰药物的适应证边界。

其二,将预算影响分析作为影响政策制定的重要常规工具。国外研究在微观成本-效用分析的基础上,普遍配套开展了宏观层面的预算影响分析,以量化政策实施的长期系统性效益。相关模型常通过测算特定干预措施在未来(如5年内)对国家或地区医疗总支出的累积影响,推动医保政策向高价值或简化的治疗方案倾斜,从而在控制整体费用的同时优化医疗资源配置。

### 2.6.2 国内研究:临床指导与政策衔接不足

相比之下,国内研究在政策转化与实践影响方面存

在一定的局限性,但也正面临着利用新技术实现破局的契机。

其一,研究结论多侧重临床微观指导,与宏观政策体系衔接不足。国内部分研究(如对传统降压药、 $\beta$ 受体阻滞剂的经济评价<sup>[14,16]</sup>)的结论多停留在“推荐优先选择某种药物”的临床用药建议层面,较少涉及医保支付标准谈判、医院药占比管理或与国内权威心血管指南的联动等方面。这种微观评价与宏观决策的脱节,导致研究结果难以高效转化为医保部门的政策实践。

其二,宏观卫生经济学评估与中长期预算影响分析相对缺失。国内研究目前缺乏国外那样的中长期预算影响分析模型,难以量化特定政策实施的宏观长期效益。例如,若在全国范围内大规模推广新型心衰治疗药物,对于庞大的患病人群需投入的具体医保基金成本及可节省的长期住院费用,尚缺乏成熟的本土化预测模型支持。但是,这一短板正成为国内药物经济学研究方法创新的突破口。未来,依托国家医保结算大数据库,开展基于真实世界证据的长期政策仿真模拟(如动态预算影响分析与医保基金压力测试),将成为填补国内医保决策宏观经济预测空白、推动心衰治疗药物经济学研究全面接轨国际政策转化标准的关键。国内外心衰治疗药物经济学研究政策转化与实践影响比较见表5。

表5 国内外心衰治疗药物经济学研究政策转化与实践影响比较

维度	国外研究	国内研究
政策对接	直接影响医保目录调整、指南推荐等级	多限于临床用药建议,较少直接参与政策制定
评估维度	全生命周期预算影响(如5年累积效应)	侧重短期成本-效果评估,缺乏宏观层面影响及长期效益预测

### 3 讨论

#### 3.1 方法学升级路径

在方法学层面,国外药物经济学研究普遍采用长期动态模型,能够较为准确地刻画心衰患者随时间推移的疾病转归、费用与健康效用变化。这类模型常结合多中心临床数据与真实世界证据进行敏感性分析和不确定性评估,确保结论的稳健性。相比之下,我国部分研究仍停留在成本最小化或短期成本-效果分析阶段,缺乏对长期健康收益的系统建模与模型假设的透明化披露。究其根源,一方面在于国内现有的RCT随访周期普遍较短,限制了复杂疾病过渡状态的精细化建模;另一方面,国内尚缺乏统一的间接成本测算标准,且临床决策往往更侧重于解决短期的医疗干预需求,导致研究容易忽略患者的全生命周期成本与无形成本。因此,未来我国心衰治疗药物经济学评价应在方法学层面实现以下提升:其一,推动模型向长周期与精细化转型。国内研究应借鉴欧洲羧基麦芽糖铁研究<sup>[9]</sup>的20年模拟框架,由短期分析转向长周期Markov模型,通过纳入年龄分层死亡率、并发症概率及半周期校正技术减少误差。在评估SGLT2抑制剂等新药时,应构建“稳定-心衰恶化-住院-死亡”四状态模型,模拟至预期寿命终点,以准确刻画全生命周期成本与产出。其二,强化参数本土化校准。应规范模型验证流程,提升研究的标准化与可重复性。在

参数设定上,应参考Dong等<sup>[4]</sup>的实践,纳入本土人群的血压控制率、并发症风险等关键数据,以提升政策适用性;并借鉴国外多维度评估框架<sup>[6,8]</sup>引入间接成本,以增强国际可比性。其三,推进效用评估体系本土化。应引入中华生存质量问卷(如CHQOL-14)等工具,取代单一的主观指标,科学量化治疗方案对QALY的影响<sup>[29]</sup>。同时,结合标准生命质量量表(如EQ-5D)建立符合我国人群特征的产出评价体系,为医保决策提供严谨证据。

#### 3.2 数据体系建设

在数据来源方面,国外研究已充分利用医保数据库、国家疾病登记系统、电子健康记录及真实世界证据平台,为药物经济学分析提供了坚实基础;通过患者层面的动态追踪与高质量数据联通,研究者能够估算药物在不同亚群体和治疗阶段的成本-效用差异。这种优势主要得益于国外较为完善的数据开放共享机制与健全的国家级卫生统计体系。反观国内,虽然RWD的体量庞大,但在实际研究中仍面临获取受限、不同层级与区域间医疗数据存在严重碎片化等壁垒。目前我国仍缺乏针对心衰人群的全国性专病效用数据库,现有研究多沿用欧美EQ-5D或试验队列效用值,或基于小样本调查,导致经济学模型的外推性和稳健性不足<sup>[14-18,27]</sup>。虽然最新全国调查已建立中国一般人群EQ-5D-5L常模<sup>[24]</sup>,但按心功能、纽约心脏病协会心功能(New York Heart Association, NYHA)分级及地区分层的心衰特异性效用值仍属空白。因此,未来可从两方面推进:其一,基于EQ-5D-5L常模开展多中心调查,按照射血分数谱系和NYHA分级系统采集EQ-5D-5L、CHROME-CVD等量表数据,构建中国心衰专病效用表<sup>[23-25]</sup>;其二,在心衰专病效用表和国家医保信息平台中嵌入中国健康相关结局测量普适性量表等本土偏好型量表,实现“诊断-用药-费用-效用-结局”联通<sup>[23,30]</sup>。在此基础上,还可测算不同地区、不同层级的效用与成本参数,支持更精准的区域资源配置和医保决策。

#### 3.3 政策衔接机制

在确定意愿支付阈值及衔接相关政策时,国外普遍依赖RWD和本土效用值作为药物准入及医保谈判的重要依据。这种深度联动的根源在于,药物经济学评估在部分发达国家已成为医保决策的法定必经环节,且这些国家的卫生系统高度注重长期的宏观成本控制。而在我国,药物经济学证据目前在很大程度上仍作为医保准入的参考性辅助工具,加之医保基金管理具有较强的年度预算导向,使得新药的长期成本-效果评价难以迅速转化为落地政策。针对我国药物经济学评价与医保支付环节存在的脱节问题,未来应着力构建以下衔接机制:其一,构建“国家级心衰真实世界评估框架”。针对目前缺乏利用国家医保结算数据开展大规模药物经济学评价的现状,应整合本土微观仿真研究和试验+Markov模型实践<sup>[23]</sup>,并结合EQ-5D-5L中国常模与CHROME-CVD等工具<sup>[24-25]</sup>,来填补本土数据空白。该框架旨在提供符合我国人群特征的意愿支付阈值,推动

RWD与药物经济学评价的深度融合,从而为医保资源分配提供精准依据。其二,建立全过程证据反馈与动态调整机制。改变当前评估标准不一的过渡状态,建立涵盖“医保准入前-谈判中-谈判后”的闭环证据体系,将药物经济学评价结果直接挂钩医保目录的动态调整,构建基于价值的支付体系,确保新药准入与支付标准制定的科学性。其三,开展谈判导向型研究与临床转化应用。建议针对ARNI、SGLT2抑制剂等新药构建“模型-预算-政策”三位一体框架,如模拟达格列净在射血分数降低的心衰患者中的成本-效果,若ICER小于1.5倍人均国内生产总值,可建议在医保谈判时设置价格上限<sup>[31-33]</sup>。同时,推动NNT分析与临床路径结合,将研究结果转化为基层可视化的指南,如明确“β受体阻滞剂用于预防高血压伴房颤:每治疗24例患者可预防1例房颤事件的发生,所需成本为2.9万元”,以提升基层医疗决策的经济性<sup>[34-36]</sup>。

### 3.4 跨学科协作模式

从研究趋势与前沿方向来看,心衰治疗药物经济学研究正逐步向RWD分析、人工智能辅助建模及患者报告结局融合的多维框架发展。大数据、机器学习与仿真技术的引入,可显著提高成本-效用估算的精度与预测能力。例如,利用人工智能算法可自动识别影响成本-效用差异的关键因素,支持决策部门进行个性化医保支付模拟。此外,应进一步加强临床医学、药学、经济学及数据科学等学科的交叉合作,构建“模型-数据-政策”闭环体系,促进研究结果向临床实践和医保管理的有效转化。借鉴国外研究的多学科模式(心内科医生+卫生经济学家+数据科学家),在高校设立“心血管药物经济学”交叉学科方向,培养既懂临床诊疗规范,又掌握模型构建与政策分析的复合型人才,确保药物经济学研究的临床合理性与方法严谨性。如恩格列净药物经济学研究团队应包含心脏病专家、卫生经济学者和统计学家等,这种协作模式可进一步保障所建模型的质量以及所得研究结果的准确性和专业性。

### 3.5 本研究的局限性

本研究仍存在若干局限。首先,在文献纳入方面,仅纳入20篇中英文文献,未涵盖其他语种,这可能引入一定的选择偏倚和发表偏倚;且样本数量有限,难以充分代表不同国家和地区的整体研究水平,尤其是国内研究本身存在区域发展不均衡、单中心小样本占比高等特点,少量文献难以全面反映我国心衰治疗药物经济学研究的真实全貌。其次,在方法学比较方面,本文主要从模型类型、时间范围、敏感性分析等维度对国内外研究进行描述性对比,未能系统展开对模型参数校准方法、关键假设合理性以及模拟结果内部和外部验证的深入分析,对“模型选择如何影响结论稳健性”的量化评估仍显不足;国内研究多聚焦短期住院成本或1年内结局,而国外研究强调长期动态建模,本研究尚未通过统一的技术框架系统评估这一差异可能导致的偏倚。第三,在数据与政策转化方面,本研究重点梳理了国外RCT+

RWD+医保大数据融合的证据体系,以及国内研究依赖文献二次数据和单中心住院数据的现状,但未能利用实际医保数据库或多源链接数据进行实证分析,也未对不同国家医保决策流程、谈判机制的制度性差异进行系统比较。因此,关于“药物经济学证据如何在政策层面落地”的讨论仍停留在概念性层面,缺乏具体操作路径和量化示例。

## 4 结语

国外心衰治疗药物经济学研究在全周期建模、多维度评估及政策联动方面已趋成熟,而国内研究在模型复杂性、数据整合及政策转化上仍有提升空间。本研究作为对这一现状的“方法与方向性”总结分析,指出医疗大数据技术为弥补上述国内外差异提供了新路径,但相关结论尚需基于我国医保大数据的真实世界成本-效果研究进行进一步检验与细化。未来,我国应致力于研发本土健康测量工具,构建多维度价值评估框架,并通过“模型-数据-政策”的深度融合,推动心衰治疗药物经济学研究与国际接轨,为优化医疗资源配置提供坚实的科学依据。

## 参考文献

- [1] MCDONAGH T A, METRA M, ADAMO M, et al. 2021 ESC Guidelines for the diagnosis and treatment of acute and chronic heart failure. developed by the task force for the diagnosis and treatment of acute and chronic heart failure of the European Society of Cardiology (ESC). With the special contribution of the Heart Failure Association (HFA) of the ESC[J]. *G Ital Cardiol (Rome)*, 2022, 23 (4 Suppl.1):e1-e127.
- [2] 冯依曼,丁锦希,李伟,等. 单臂试验药物医保准入评估的方法学思考[J]. *中国医疗保险*, 2022(8):10-16.
- [3] 胡善联,何江江,孙恬,等. 我国采用伊伐布雷定治疗心力衰竭对医保基金的预算影响分析[J]. *中国药房*, 2019, 30(8):1094-1099.
- [4] DONG X Y, HE X N, WU J. Cost effectiveness of the first-in-class ARNI (sacubitril/valsartan) for the treatment of essential hypertension in a Chinese setting[J]. *Pharmacoeconomics*, 2022, 40(12):1187-1205.
- [5] 吴晶,贺小宁,张嘉会. 新质生产力视角下医疗大数据驱动的医药经济学研究[J]. *中国卫生经济*, 2024, 43(7):10-13.
- [6] RAMOS I C, VERSTEEGH M M, DE BOER R A, et al. Cost effectiveness of the angiotensin receptor neprilysin inhibitor sacubitril/valsartan for patients with chronic heart failure and reduced ejection fraction in the Netherlands: a country adaptation analysis under the former and current Dutch pharmacoeconomic guidelines[J]. *Value Health*, 2017, 20(10):1260-1269.
- [7] 吴晶,朱玄,刘程宇. 基于医疗大数据的比较效果研究设计要点述评与应用[J]. *中国药物经济学*, 2019, 14(5):26-30.
- [8] WARD T, LEWIS R D, BROWN T, et al. A cost-effectiveness analysis of patiromer in the UK: evaluation

- of hyperkalaemia treatment and lifelong RAASi maintenance in chronic kidney disease patients with and without heart failure[J]. *BMC Nephrol*, 2023, 24(1):47.
- [9] MCEWAN P, HARRISON C, BINNIE R, et al. Impact of ferric carboxymaltose for iron deficiency at discharge after heart failure hospitalization: a European multinational economic evaluation[J]. *Eur J Heart Fail*, 2023, 25(3):389-398.
- [10] ZUEGER P M, KUMAR V M, HARRINGTON R L, et al. Cost-effectiveness analysis of sacubitril/valsartan for the treatment of heart failure with reduced ejection fraction in the United States[J]. *Pharmacotherapy*, 2018, 38(5):520-530.
- [11] 陈琮玲, 吴韩, 周洁, 等. “新四联”背景下伊伐布雷定治疗CHF的药物经济学评价[J]. *中国药房*, 2024, 35(1):63-68.
- [12] 何江江, 张敏, 杨燕, 等. 托伐普坦治疗低钠血症的药物经济学评价研究进展[J]. *临床药物治疗杂志*, 2017, 15(3):5-9.
- [13] 万一鸣. 恩格列净治疗射血分数降低的心力衰竭的药物经济学评价[D]. 郑州: 郑州大学, 2022.
- [14] 游如旭, 刘金玉, 张玉, 等. 应用Markov模型对厄贝沙坦和比索洛尔治疗高血压伴心衰的长期药物经济学评价[J]. *中国药理学杂志*, 2017, 52(24):2209-2213.
- [15] 胡兴茂. 注射用益气复脉(冻干)对比心脉隆注射液治疗慢性心力衰竭的药物经济学评价[D]. 石家庄: 河北医科大学, 2020.
- [16] 刘若斌. 常用抗高血压药物预防房颤及主要心血管不良事件的NNT分析和经济学评价[D]. 石家庄: 河北医科大学, 2022.
- [17] 陈宜锋, 林璐, 张厚静, 等. 达格列净联合常规心力衰竭治疗方案的药物经济学评价[J]. *中国现代应用药学*, 2022, 39(16):2151-2155.
- [18] 李彬. 基于证候要素辨证组方治疗慢性心衰的临床研究及成本-效果分析[D]. 北京: 北京中医药大学, 2015.
- [19] ESCOBAR C, PASCUAL-FIGAL D, GUIU-SEGURA J M, et al. Cost-utility analysis of dapagliflozin for the treatment of symptomatic chronic heart failure in Spain[J]. *BMC Health Serv Res*, 2025, 25(1):974.
- [20] OH B C, CHO D H, CHOI J, et al. Real-world cost-effectiveness of angiotensin receptor-neprilysin inhibitor in heart failure with reduced ejection fraction in Korea[J]. *Korean Circ J*, 2025, 55(10):907-920.
- [21] NAVES M C X, AMATO A A, ZIMMERMANN I R, et al. Dapagliflozin for the treatment of heart failure with reduced ejection fraction in Brazil: a cost-effectiveness analysis[J]. *Lancet Reg Health Am*, 2024, 42:100968.
- [22] KUAN W C, ADEMI Z, LEE S W, et al. Cost-effectiveness analysis of angiotensin receptor neprilysin inhibitor compared with angiotensin-converting enzyme inhibitor among patients with heart failure with reduced ejection fraction in Malaysia[J]. *Value Health Reg Issues*, 2025, 48:101118.
- [23] ZOU X Y, HE X C, SHI Q Y, et al. Time-varying cost-effectiveness analysis of sodium-glucose cotransporter-2 inhibitors in Chinese patients with heart failure and reduced ejection fraction: a microsimulation of the real-world population[J]. *Front Pharmacol*, 2025, 16:1527972.
- [24] LI D L, WANG Z T, NIE X Y, et al. EQ-5D-5L population norms for China derived from a national health survey[J]. *Value Health*, 2024, 27(8):1108-1120.
- [25] LI X, ZHAO K, LI K X, et al. China Health Related Outcomes Measures (CHROME): development of a descriptive system to support cardiovascular disease specific preference-based measure for the Chinese population[J]. *Qual Life Res*, 2023, 32(9):2463-2476.
- [26] PARK S K, HONG S H, KIM H, et al. Cost-utility analysis of sacubitril/valsartan use compared with standard care in chronic heart failure patients with reduced ejection fraction in South Korea[J]. *Clin Ther*, 2019, 41(6):1066-1079.
- [27] JIANG Y H, ZHENG R J, SANG H Q. Cost-effectiveness of adding SGLT2 inhibitors to standard treatment for heart failure with reduced ejection fraction patients in China[J]. *Front Pharmacol*, 2021, 12:733681.
- [28] HELLENBART E L, GRIFFIN T, DIDOMENICO R J. Beyond heart failure and ischemic heart disease: a scoping review of novel uses of ivabradine in adults[J]. *Pharmacotherapy*, 2020, 40(6):544-564.
- [29] 党媛, 张小芹, 张光鹏, 等. 基于系统动力学的我国执业(助理)医师需求预测模型研究[J]. *中国卫生经济*, 2023, 42(11):44-49.
- [30] CUDNEY E A, BARU R A, GUARDIOLA I, et al. A decision support simulation model for bed management in healthcare[J]. *Int J Health Care Qual Assur*, 2019, 32(2):499-515.
- [31] 刘莹, 贺小宁, 刘佳, 等. 无锚定匹配调整间接比较方法简介及实例应用[J]. *中国循证医学杂志*, 2023, 23(9):1096-1101.
- [32] 中华医学会心血管病学分会心力衰竭学组, 中国医师协会心力衰竭专业委员会, 中华心血管病杂志编辑委员会. 中国心力衰竭诊断和治疗指南2018[J]. *中华心力衰竭和心肌病杂志(中英文)*, 2018, 2(4):196-225.
- [33] 朱铭来, 王恩楠. 医保支付方式改革如何减轻道德风险: 来自医保基金支出的证据[J]. *保险研究*, 2021(4):75-90.
- [34] NEUMANN P J, WILLKE R J, GARRISON L P Jr. A health economics approach to US value assessment frameworks: introduction: an ISPOR special task force report[J]. *Value Health*, 2018, 21(2):119-123.
- [35] 李丽清, 赵玉兰, 袁诗懿, 等. 系统动力学在我国卫生服务领域中的应用及动态演进分析[J]. *中国卫生经济*, 2020, 39(3):8-11.
- [36] 刘明波, 何新叶, 杨晓红, 等. 《中国心血管健康与疾病报告2023》概要: 心血管疾病流行及介入诊疗状况[J]. *中国介入心脏病学杂志*, 2024, 32(10):541-550.

(收稿日期:2025-10-22 修回日期:2026-02-14)

(编辑:胡晓霖)