

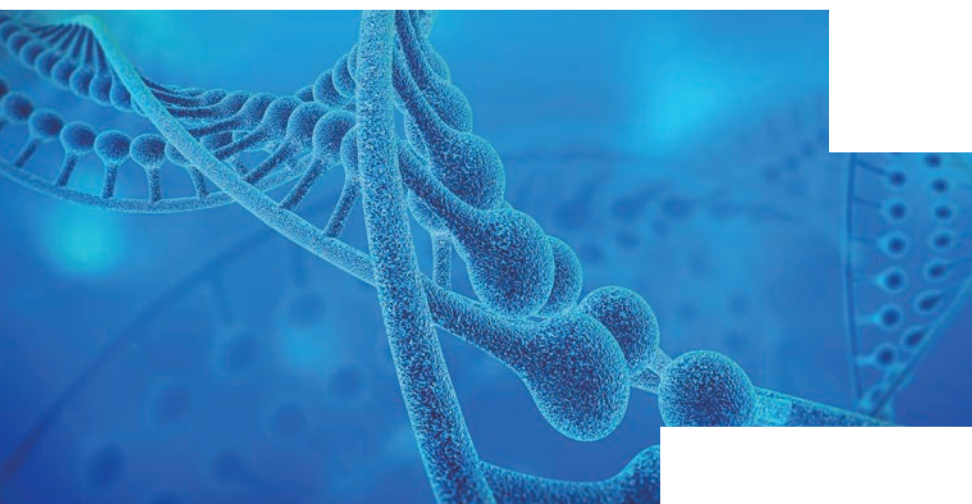


医保目录动态调整背景下

完善创新药 准入评估的建议

本报告由中国劳动和社会保障科学研究院
北京医药卫生经济研究会与艾昆纬真实世界洞察团队 合作撰写

2020年1月



目录

背景：加快医保目录更新速度已经成为进一步提高新药可及性的关键	1
总结：建立医保目录动态调整机制的主要建议	3
第一部分：医保目录动态调整的基本框架	5
一、建立医保目录动态调整机制亟需明确的问题	5
二、医保目录分类准入的基本思路	6
三、医保目录动态调整的组织机构及其职能.....	8
第二部分：创新药谈判准入的实施步骤	15
一、拟谈判药品确定	15
二、谈判邀请和资料递交	21
三、专家评审.....	23
四、医保与企业谈判前沟通.....	29
五、正式谈判.....	29
六、合同签订.....	30
七、结果公示.....	32
第三部分：实施创新药谈判时需解决的关键问题	34
致谢	37
参考文献	38

背景

加快医保目录更新速度已经成为进一步提高新药可及性的关键

改革开放 40 年来，中国经济快速发展，综合国力和国际影响力得到显著提升、人民生活水平明显改善，为进一步活跃社会创新能力、实现人民美好生活奠定了坚实的基础。党的十八大以来，以习近平同志为核心的党中央把全民健康作为全面小康的重要基础，强调把人民健康放在优先发展的战略地位。2016 年 10 月，中共中央、国务院印发了《“健康中国 2030”规划纲要》，提出从经济社会发展全局统筹规划加快推进“健康中国”建设，确立了强化覆盖全民的公共卫生服务、完善和健全医疗保障体系、提供优质高效的医疗服务、加强重点人群健康服务、推动健康科技创新、促进医药产业发展、深化体制机制改革等重要目标。

经过 20 年的努力，中国已经建立了覆盖全民的社会医疗保险体系，大大提高了人们对基本医疗服务的可及性。随着社会经济发展和医疗保障制度的完善，人们对新药的需求也逐步与国际接轨。2015 年以来，随着药监部门的新药审批进程提速，新药进入中国市场的步伐加快；药品一致性评价的开展，将显著提高仿制药的整体质量水平。在这一背景下，公众对医保药品目录的更新速度提出了更高的要求。

尽管，1999 年劳动和社会保障部发布的《城镇职工基本医疗保险用药范围管理暂行办法》提出《国家基本医疗保险目录》的更新频率为：原则上每两年调整一次，新药增补工作每年进行一次。但是，实际工作远比设想的复杂，药品目录调整未能达到原来设定的频率。2000 年制定第一版《国家基本医疗保险目录》以来，分别于 2004 年、2009 年、2017 年和 2019 年进行了修订，修订的时间间隔分别为 4 年、5 年、8 年和 2 年。之前医保药品目录修订的频率较低，跟不上人民群众需求的提高，也跟不上日新月异的医药科技的发展。2017 年后，这一现状得以改善。

2017 年 4 月，人力资源和社会保障部发布《关于公开征求建立完善基本医疗保险药品目录动态调整机制有关意见建议的通知》，邀请研究机构、学术团体和各界人士就医保目录的动态调整提出建议。该《通知》列出了医保目录动态调整中需要重点考虑的问题，包括：“如何平衡兼顾临床需求、支持创新与医保基金承受能力”、“新批准的药品、专利药、非独家品种等应分别采取怎样的办法和规则来进行医保准入评估”、“如何充分运用药物经济学等评价手段支持专家评审机制”、“如何与支付标准相衔接”、“如何实现药品注册审批、生产流通、临床应用、医保支付等环节的有效衔接”等。

值得关注的是，2017 年、2018 年和 2019 年国家医保进行了三次创新药品的谈判，通过谈判的药品价格降幅超过 50%，患者经济负担大幅下降，得到社会各界的欢迎。2018 年，国家医疗保障局组建后，医保部门同时承担了药品采购和价格管理的职能，这意味着医保部门可能采用更多的手段作为目录准入的条件，例如价格、支付标准，以及各种采购条件，从而签订更加多样化的谈判合同。

这三次创新药医保谈判是国家层面成规模地对创新药品进行的准入机制探索，其采用的方法和路径，为未来我国创新药品的医保准入机制奠定了实践基础，也表明创新药进入中国医保目录已经提速。同时，从当前谈判流程和执行情况来看，一些细则设计尚待规范，一些配套政策待进一步完善。

本研究就前三次创新药谈判与研发型企业、卫生经济学专家、医学和药学专家等进行了深入访谈，将创新药谈判放在医保目录动态调整的大背景下，来探讨创新药谈判与医保目录遴选的衔接、谈判中需要进一步规范的问题、谈判所需要的技术支撑、谈判合同多样化的形式，以及落实谈判结果的具体策略。本研究整理了英国、德国、加拿大、澳大利亚、法国、日本、中国台湾等国家和地区关于创新药医保准入和价格形成的资料，为中国提供经验借鉴。

总结

建立医保目录动态调整机制主要建议

- （一）明确创新药一年一次的调整频率、将创新药谈判设为常规模块、明确企业参与的环节和渠道、通过完善专家回避制度进一步确保决策程序的公正性。
- （二）将创新药谈判作为目录动态调整的组成部分分类准入：（1）评审专家根据创新性评审结果将申请药品分为创新药和非创新药两大类；（2）对于创新药，评审专家根据经济性评估结果定为具有经济性和不具有经济性；（3）根据表决组织投票遴选结果确定非创新药、具有经济性的创新药是否纳入目录；缺乏经济性的创新药是否进入谈判范围，是则进行价格谈判。
- （三）建议进一步优化组织结构，尽快成立第三方评审机构，并明确行政机构、评审机构、评审专家组、表决组织和谈判组的职责分工。
- （四）建议创新性评价综合考虑创新价值、临床价值、患者价值和社会价值等主要维度，并借助定量和标准化的评估工具。对于不同创新级别的产品，建议参考国际经验采用区别化的医保支付标准评估方法和评估标准。
- （五）建议经济性评价借助标准化、定量的工具对新药的成本-效果进行科学和精准的测算，综合考虑临床获益和成本变化。在使用国际参考价格作为定价工具时需深度了解不同国家影响实际价格的复杂因素，合理确定适用于我国的计算外部参考定价的具体方法。
- （六）为促进谈判双方就药品的相关证据达成共识，建议进一步完善评审意见形成后正式谈判前的沟通机制，对企业提交的补充资料给予正式反馈。
- （七）为避免组间差异导致价格过低的情况、从长远保护企业积极性，建议在当前价格谈判规则中加设最低价保护机制。

- （八）建议采用更多元化的合同签订形式，如国际上普遍使用的量价合同、买赠合同、疗效风险合同等，可能有利于价格达成。首次谈判的签订合同中可以约定续约的条件，以及续约的价格变动机制和退出机制。
- （九）建议参考国际实践，谈判结果以适当形式向社会公开，提高政府决策的公正性和透明度。
- （十）创新药谈判的顺利落地依赖于多部门之间形成共识，加强数据共享与医疗系统基础数据建设，制定配套的落地保障政策。

医保目录动态调整的基本框架

2017 年和 2019 年医保目录调整的经验已经表明，创新药谈判是整个医保目录调整的组成部分：通过专家遴选直接决定了大部分药品是否纳入医保目录，同时产生了建议谈判的高价创新药的清单，然后再对需要谈判的药品进行细致的评价和谈判。实践证明这一做法是行之有效的，但有些方面还需进一步完善。

一、建立医保目录动态调整机制亟需明确的问题

2004 年以来的 4 次药品目录调整以及 3 次创新药谈判已经为目录动态调整建立了基本框架，为了提高评审和遴选的效率、促进流程的规范性，从而提高目录调整的频率，基于原有的框架，建议重点明确以下几个问题：

明确目录调整频率，并体现“动态”性

医保目录的准入需要经过严格的评审和专家遴选过程，创新药还需要进行谈判，总的来看，完成一次医保目录的调整，估计需要 8-9 个月，其中创新药的谈判需要 3-4 个月。从目前的情况来看，创新药可以实现每年调整一次；可以考虑由企业实时提交申请，以体现“动态”的特征。

将创新药谈判作为目录动态调整的组成部分分类准入

创新药和非创新药采取分类准入的方式。大部分药品为非创新药，它们在市场竞争中面临许多可替代的药品，因此可以按现有的药品遴选的程序进行；然而，少数创新药的价格很高，并且是临床必需，难以被已有的药品所替代，这时为了让其进入目录，需要医保方与制药企业进行谈判，只有接受谈判价格的情况下才能进入目录。

明确企业参与目录动态调整过程的环节和渠道

短期内医保目录可每年进行一次调整，企业按规定提交相关资料；在国际经验参考中大部分国家允许企业自主递交纳入医保的申请，因此在我国医保管理能力不断加强的情况下，如允许企业实时自主提交医保准入申请资料，将有助于缓解专家集中评审的时间压力。申请

材料包括产品基本特征、创新性、经济性等信息，从而支持循证决策。对于需要谈判的药品，则需要更加详细的经济性资料。并且，允许参加谈判的企业就药品的相关证据与医保部门进行沟通，让谈判双方就相关证据形成共识。

强调评审过程的客观、公正、透明

医保目录评审是一种公共决策的过程，因此需要一系列规范，如资料递交规范、专家回避制度、信息披露制度等来保证其程序的科学、公正、透明。

国际经验借鉴

在已经建立起医保药品目录动态调整机制的国家和地区，动态调整的频率相当高（图 1），如澳大利亚药品福利咨询委员会（PBAC）每年举行 3 次例行会议投票表决新进入目录的药品^[1]，加拿大药品专家评审委员会（CDEC）每年举行 12 次例行会议^[2]，中国台湾全民健康保险医疗服务给付项目及支付标准共同拟定会议（PBRS）一年至少举行 6 次会议^[3]。

图 1：代表国家 / 地区医保目录调整会议频率示例



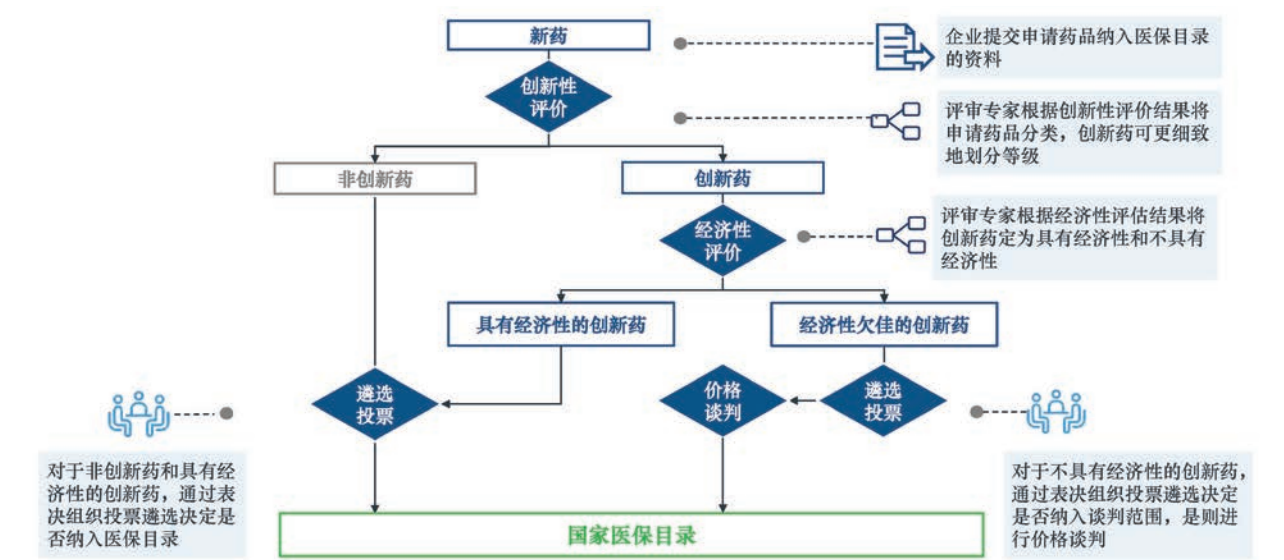
数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

二、医保目录分类准入的基本思路

在目录动态调整中，创新药与非创新药可以在一个过程中进行，但是两者的经济性评价特点和价格形成的方式有很大差异，因此可以考虑采用分类准入的思路（图 2）。

医保目录动态调整的基本框架

图 2：建议医保目录动态调整中的药品分类准入



数据来源：IQVIA 分析总结

在医保目录动态调整中，分类准入的思想体现如下：（1）评审专家根据创新性评审结果将申请药品分为创新药和非创新药两大类，对于创新药还可以更加细致地划分等级；（2）对于创新药，评审专家根据经济性评估结果定为具有经济性和不具有经济性；（3）根据表决组织投票遴选结果确定非创新药、具有经济性的创新药是否纳入目录，缺乏经济性的创新药是否进入谈判范围，是则进行价格谈判。

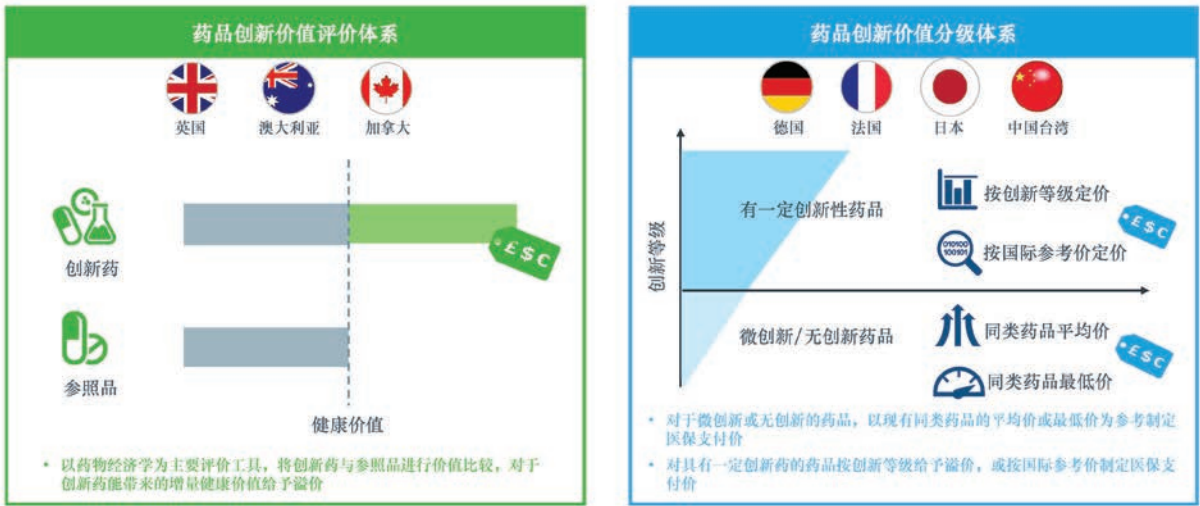
之所以将创新药和非创新药分类准入，是因为对于非创新药，医保目录内已经存在可以有效替代的同类产品，这类药品尽管从成分上来说可能是“新药”，但是其功效并无显著创新，可促进同类药品的价格竞争。对于创新药，由于在医保目录内不存在具有类似功效的药品，因此无法按照现有同类药品的价格来确定医保支付价。并且，这类创新药在市场中常处于无竞品状态，可能价格相对较高，如果直接将其纳入医保目录，可能对医保基金造成重大冲击。因此，参考其他全民医保国家和地区对于创新药的做法：在价值评价的基础上，根据

新药相对参考品的价值相应地给予一定的溢价，并由医保部门与生产企业就具体价格和支付方式进行谈判。

国际经验借鉴

英国、澳大利亚、加拿大、德国、法国、日本、中国台湾等都建立了药品创新价值评价体系（图 3）。英国、澳大利亚、加拿大将创新药与参照品进行价值比较，对于创新药能带来的增量健康价值给予溢价。法国、日本、中国台湾对创新药进行了等级分类，对于微创新或无创新的药品，以现有同类药品的平均价或最低价为参考制定医保支付价，而对具有一定创新药的药品给予溢价，或按国际参考价制定医保支付价。

图 3：国外药品创新价值评价 / 分级体系示意



数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

医保目录动态调整的基本框架

三、医保目录动态调整的组织机构及其职能

可以大致上参照当前目录调整的组织结构，建立目录动态调整的组织，同时要进一步明确各方的责权（图 4）。

图 4：建议医保目录动态调整中建立主要的组织机构及职能



数据来源：IQVIA 分析总结

行政机构（跨部门的领导小组）

国家医疗保障局是负责药品目录调整（包括创新药谈判）的行政机构，在原有的国家医保目录调整过程中，已经设立了由医保部门牵头的跨部门的领导小组，包括卫生、财政、药监、中医药、发改等相关部门。领导小组负责药品目录调整的最终决策，评审和实施过程中的总协调工作，批准药品目录咨询专家组、遴选专家组、谈判专家组成员名单，以及沟通相关政府部门和地方医保部门等。行政机构内可设立专门的办公室，负责处理以上目录调整中的相关事务。

从其他国家的经验来看，决策机构的职能也主要由医保行政部门承担。例如，德国的联邦联合委员会（G-BA）、法国的国家疾病基金会（UNCAM），日本的中央社会保险医疗委员会（Chuikyo）。

评审机构（工作协调机构）

在现有的医保目录调整中，并没有常设的评审机构，其职能主要由行政机构内设的临时性办公室承担。为了支持医保目录调整的常态化，需要建立一个专门的评审机构，该机构对行政机构负责，其职能是：制定药品调入调出的筛选原则、递交资料的格式、药品医疗保险谈判规则、价格形成规则等，经行政机构批准后生效；受理、传递材料，审核材料完整性；组织专家进行评审，并为专家组提供相关的医保基础数据；协调申请人、专家组及领导组的沟通工作；向行政机构给出评审结论等。

该机构的职责类似于英国的国家卫生与临床优化研究院（NICE）、澳大利亚的药品福利咨询委员会（PBAC）、加拿大的药物和卫生技术局（CADTH），德国的卫生保健质量和效率研究院（IQWiG）、法国的透明委员会（CT）、韩国的健康保险审核和评估服务局（HIRA）等。

评审专家组

由评审机构按照评审药品的治疗领域召集临时性的评审专家组，评审专家组由临床、药学、药物经济学、医疗保险等方面的专家构成，成员由相关学术团体和行业协会推荐产生，为作风正、业务强的相关领域学术带头人。某些专业领域的评审，如药物经济学评审，依据公开合理的程序，也可以委托给专业机构进行。

评审专家组的主要职能为：（1）对申请人提交的资料进行评审，评判其真实性和科学性，并提出补充证据的要求；（2）提出某个药品是否纳入医保目录，或是否需要谈判的建议；（3）对同类药品进行分组，提出同类药品参考价建议；（4）评审药品的创新性和创新的价值，并提出价格建议。

评审专家组的职能类似于当前目录评审和谈判中的“咨询专家组”，但在目录动态调整中，要更加侧重于评审，提出更加规范化的评审建议。所有评审专家严格实行回避制，在以下几种情况下需要回避：

医保目录动态调整的基本框架

- 在申请企业或其关联企业任职
- 申请药品的研发者
- 制作企业申请资料的主要参与者
- 企业提交资料中如果有重要的数据引自专家的研究结果，专家需要声明这项研究是否接受了企业资助，如果接受了企业资助，也需要回避
- 直系亲属在相关企业任职，近两年内接受过企业课题资助者，持有相关企业股票，也需要回避

表决组织

表决组织相当于当前目录动态调整中的“遴选专家组”，但是当前的“遴选专家组”过于庞大，人数多达数千人，涉及各个省份，导致表决的时间过长，是实行动态调整的重要阻碍因素。并且，遴选专家组主要是来自医疗机构的医生，缺乏其他背景（如经济学、统计学、人文学科）的代表，以及参保人和参保单位的代表。因此，建议表决组的代表来源多样化，包括临床、药学、药物经济学、医保等领域的学者，以及参保人代表，但是人员不必太多，根据其他国家（地区）的经验，有数十人即可。表决组的专家可以有一定任期，参保人代表可以临时推荐。

谈判组

从国际经验来看，谈判组一般由行政机构直属的办公室兼任。在我国 2018 年的肿瘤药谈判和 2019 年创新药谈判中，建立了主要由地方医保部门代表牵头的谈判小组，这种做法可以体现在谈判中地方与中央共同决策的理念，因此这一机制建议继续保留。该小组的主要职能是：根据评审专家组提出的建议，与谈判企业进行细致的价格谈判，最终形成谈判合同。

国际经验借鉴

在本研究参照的国家和地区，医保药品目录调整过程中涉及 4 类组织机构：决策机构、工作协调机构、评审机构、表决机构（图 5）。

图 5:

国家/地区	决策机构	评审机构	表决组织	谈判机构
澳大利亚	卫生部	药品福利咨询委员会 (PBAC)	药品福利咨询委员会 (PBAC)	卫生部
德国	联邦联合委员会 (G-BA)	卫生保健质量研究院 (IQWiG)	联邦联合委员会决策委员会 (G-BA Plenum)	法定医疗保险基金全国协会 (GKV-SV)
法国	卫生部及国家疾病基金会 (UNCAM)	卫生最高执行委员会 (HAS)	透明委员会 (CT) 及经济和公共卫生委员会 (CEESP)	卫生产品经济委员会 (CEPS)
加拿大	各省医保部门	药品和卫生技术评价局 (CADTH)	药品专家评审委员会 (CDEC)	泛加拿大药物联盟 (pCPA)
韩国	卫生部	医疗保险审核与评估机构 (HIRA)	药品福利评估委员会 (PBC)	国家医疗保险公团 (NHIS)
台湾	中央健康保险署	中央健康保险署	共同拟定会议 (PBRs)	共同拟定会议 (PBRs)
英国	国家卫生服务部 (NHS)	国家卫生和临床研究院 (NICE)	国家卫生和临床研究院 (NICE)	患者用药可及性方案联络单位 (PASLU)

数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

国际经验借鉴

- **行政机构。**决策机构为各国负责医保或价格的行政机构，如英国的国家卫生服务部（NHS）、德国的联邦联合委员会（G-BA）、法国的国家疾病基金会（UNCAM），日本的中央社会保险医疗委员会（Chuikyo）。
- **评审机构。**评审调机构为隶属于政府部门或政府拨款建立的专门机构，如英国的国家卫生与临床优化研究院（NICE）、澳大利亚的药品福利咨询委员会（PBAC）、加拿大的药物和卫生技术局（CADTH），德国的卫生保健质量和效率研究院（IQWiG）、法国的透明委员会（CT）与经济和公共卫生评估委员会（CEESP）、韩国的健康保险审核和评估服务局（HIRA）。

医保目录动态调整的基本框架

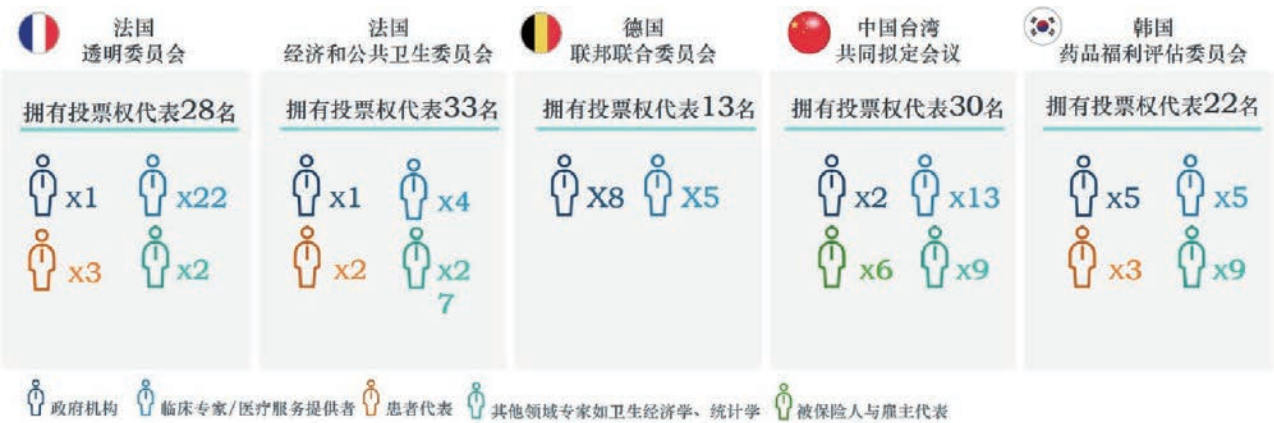
- **评审专家组。**评审专家组由评审机构召集，其人员主要来自专业学术机构或协会推荐的专家，也有评审机构的自雇人员。另外，对于企业提交的某些资料的审核工作，则可能委托给专业的研究机构。
- **表决机构。**表决机构根据评审机构给出的结果投票表决某个药品是否可以进入医保目录，表决机构由决策机构组织建立，具有比较广泛的代表性（图 6），有一定的任期。要求半数以上投赞成票，才能通过。一般会公布投票代表的名单和投票结果，但是不公布每个代表具体投票情况。
 - 法国的透明委员会 (TC) 设有投票权的代表 28 名，包括专科医生、全科医生、药剂师、患者代表、统计学家^[4]。法国的经济和公共卫生评估委员会 (CEESP) 设有 33 名拥有投票权的代表，原则上包括 1/3 的经济学家，1/3 的公共卫生专家（公共卫生专家，流行病学家，医生），1/3 的社会学和人类学专家^[5]。TC 和 CEESP 的代表均任期 3 年，可最多连任 2 次。
 - 德国联邦联合委员会 (G-BA) 进行附加效益评价的主体 (Plenum) 设 13 名拥有投票权的代表^[6]，由 3 名独立成员及来自德国卫生系统四大主导组织的代表构成：联邦医保基金协会 (GKV-SV)、德国医院联盟 (DKG)、国家法定健康保险医师协会 (KBV) 和国家法定健康保险牙医协会 (KZBV)^[7] 分别提名 5 名、2 名、2 名、1 名代表，成员任期为 6 年^[8]。

国际经验借鉴

- 中国台湾制定医保目录和支付价的全民健康保险医疗服务给付项目及支付标准共同拟定会议设有投票权代表 30 名，包括：台湾健保署 (NHI) 及台湾食物药物管理署 (TFDA) 代表各 1 人，专家学者 9 人（其中具有专科医学背景者至少 4 人），被保险人代表 3 人，雇主代表 3 人，医疗服务提供者代表 13 人，任期 2 年，期满可续^[3]。

- 韩国健康保险审核和评估服务局 (HIRA) 下属药品福利评估委员会 (Pharmaceutical Benefits Committee) 共有 22 名代表，其中 13 名为固定代表，分别来自 HIRA（3 人）、食品药品安全部（1 人）、卫生和福利部（1 人）、患者群体代表（3 人），医药协会代表（5 人）；另有 9 名机动出席的代表，从 58 名学术专家中随机选择^[9]。

图 6：代表国家 / 地区表决组织成员构成示例



- 谈判机构。代表支付方进行谈判的组织 / 机构通常独立于评审机构，如法国价格谈判由卫生产品经济委员会 (CEPS) 负责，德国由法定医疗保险基金全国协会 (GKV-SV) 负责，韩国由国家医疗保险公团 (NHIS)，澳大利亚 2014 年起卫生部直接承担 PBS 药品价格谈判工作，加拿大价格谈判以省为单位，由泛加拿大药物联盟 (pCPA) 负责代表加拿大各省与制药厂商进行品牌药价格的联合谈判。负责谈判的人员从参与时即签署保密协议，有充裕的时间审阅卫生技术评估机构出具的报告。

创新药谈判准入的实施步骤

中国当前的医保准入中创新药谈判可以分为 7 个阶段：拟谈判药品的确定、谈判邀请和资料提交、专家评审、医保与企业沟通、谈判及价格形成、合同签订、结果公示。这一流程已基本形成、建议继续遵循，并在操作细节上进一步完善。

一、拟谈判药品确定

1、新药进入医保的申请

在目录动态调整程序中，逐步建立新药实时主动申请进入医保的渠道，由企业向医保评审机构提交申请书和格式化的申请资料。评审专家组根据企业提交资料的信息、实践经验以及其他来源的信息，评定药品是否具有创新性。新药进入医保的申请资料可采用以下格式：

（1）意愿申请书（建议 500 字以内）

申请人表达目录外药品纳入国家医保目录的意愿。

（2）产品资料

描述产品的资质、市场信息和临床证据，包括以下内容：

- 药品资质（建议 2500 字以内）

对药品的适应症、药理、临床使用方案、疗效、安全性、专利情况做简要描述。附上说明书和专利证书的复印件。

- 市场信息（建议 2000 字以内，列表形式）

采用列表形式显示药品在最近 3 年全国使用人数、年销售额、当前出厂价格。采用列表的形式显示目前纳入省级医保目录的情况。

- 临床证据（建议 5000 字以内，列表形式）

以列表的形式显示所有关于该药品的临床研究结果，包括公开发表的和未发表的临床注

册研究报告，国内外文献均要列上。要求所有列表中的研究均要设有对照组，可以是安慰剂对照或空白对照。临床证据列表包括以下内容：

- 引用数据源，是否公开发表
- 研究单位、研究人员名单、研究时间、赞助单位
- 干预对象、样本量及来源
- 研究组和对照组的治疗方案
- 研究指标
- 主要结果

列入表中的研究文献，附上全文；如果注册临床研究报告尚未发表，附上报告全文。

2、拟谈判药品的确定

由于谈判药品为创新药，在中心城市的高等级医疗机构使用的临床和药学经验更丰富，因此建议确定拟谈判药品的评审专家组主要由中心城市的高等级医疗机构临床专家、药学专家以及公共卫生专家构成，且建议为相应治疗领域的学术带头人。医保目录遴选阶段以药品的创新性综合评估为决策标准。

关于创新性的评定主要看新药相对与现在医保目录内的药品是否具有不可替代性，或者在一些重点关注的指标上是否带来显著的改善。从我国医保管理的角度，新药的创新性评估可以从以下几个主要维度衡量：（1）创新价值：如新药物作用机理满足临床空缺、不可替代的治疗地位；（2）临床价值：包括临床疗效提升、严重不良反应的减少、使用方便性提高等；（3）患者价值：包括生存期延长、生命质量提高，重点考虑但不仅限于罕见病和防治严重危及生命的情境；（4）社会价值：包括减少疾病流行、改善疾病负担、带来中长期社会整体获益；在带来临床和患者价值的基础上促进整体行业的良性发展，如作用机制上带来创新、在科学研究上具有实际临床意义的更进一步等。

创新性评价的证据可以来自多种渠道，包括药理实验、临床试验、专家意见等。同时，对于新药临床价值的评价合理参考药监部门在药品上市审批过程中形成的审评意见，如对临

创新药谈判准入的实施步骤

床急需、具有明显临床价值、被授予优先审评审批资格的新药，在医保准入时建议考虑设置一致的“绿色通道”（图 7）。

图 7：建议药品创新性评价维度及证据来源



数据来源：IQVIA 分析总结

为了比较全面和精确地反映专家进行创新性评价的过程，可以借助定量、标准化的工具，例如采用德尔菲法将以上关于创新性的指标赋予权重并进行定量打分，或者对主要观察终点指标（如生存时间、生命质量年）进行定量分析。

由于新药的创新价值在第一阶段经过了临床、患者、产业和社会等多维度评估，建议经济性评价专家组以药物经济学和医保测算专家为主，借助标准化、定量的工具对新药的成本-效果进行更科学和精准的测算。药物经济学评价作为辅助公共卫生决策的工具在国际上已经得到了广泛应用，可以科学地对药品的“增量成本-效果比”（ICER）进行评估，综合考虑新药带来的临床获益和成本变化。同时，在设置政府支付意愿阈值时权衡公平性和伦理考虑，对如罕见病有效治疗药物予以特殊考量。

国际经验借鉴

各国家和地区衡量药品的创新价值通常从以下几个方面考量：①临床疗效；②安全性；③患者生命质量；④经济性；⑤社会效益（疾病未满足需求、作用机制突破性等）。

德国将创新药附加效益（即创新的价值）评定为 6 个等级：1 级（重大附加效益）、2 级（显著附加效益）、3 级（轻微附加效益）、4 级（不可定量的附加效益）、5 级（无附加效益）、6 级（劣于参考品）^[8,10]。其中，前 4 个等级都被称为“具有附加效益的创新药品”。对于前 3 个等级，德国卫生保健质量和效率研究院（IQWiG）从全因死亡率、病情症状、不良反应、生命质量来评价^[11]，见表 1。

表 1：IQWiG 评估药品具有附加效益需满足的要求

附加效益打分	结局指标类型/患者相关的结局			
	全因死亡率	病情症状	不良反应	生活质量
重大附加效益	极大提高患者生存期	能够长期去除严重病情症状（或晚期感染）	极大程度地避免了严重不良反应事件的发生	极大地提高生活质量
显著附加效益	显著提高患者生存期	减轻严重的病情症状（或晚期感染） 显著减轻非严重的病情症状（或晚期感染）	能够减少严重不良反应的发生 显著地避免其他非严重不良反应事件的发生	显著提高生活治疗
轻微附加效益	能够提高患者生存期	缓解严重的病情症状（或晚期感染），并具有统计学意义； 能够缓解非严重的病情症状（或晚期感染）	减少严重不良反应事件的发生，并具有统计学意义 能够减少其他非严重不良反应事件的发生	能够提高生活治疗

数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

创新药谈判准入的实施步骤

国际经验借鉴

另外，IQWiG 利用相关临床结局指标的相对风险值 RR 和 OR 并计算出双侧 95% 置信区间，来定量确定药品的附加价值^[11]，见表 2。

表 2：IQWiG 附加效益评估采用的阈值

附加效益打分	全死因死亡率	患者相关结局	
		严重的症状、不良反应事件及患者生活质量	非严重的症状及不良反应事件
重大附加效益	0.85	0.75 且 风险 $\geq$ 5%	n/a
显著附加效益	0.95	0.90	0.8
轻微附加效益	1.00	1.00	0.9

数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

国际经验借鉴

法国主要从疗效提升和耐受性提升两个方面来评价新药相对于现有方案的临床疗效改善状况（ASMR），分为 5 个等级：I 级，有重大的治疗疗效提升，例如对严重疾病的死亡率有重大改善；II 级，在治疗疗效 / 耐受性上有明显的提升；III 级，在治疗疗效 / 耐受性上有中等的提升；IV 级，在治疗疗效 / 耐受性上有微小的提升；V 级，没有治疗疗效提升^[12]。其中，前 3 个等级被认为具有一定的创新价值，其价格参照国际价格来形成；后两个等级被认为（几乎）没有创新价值，其价格参照国内同类药品的价格来形成^[13]。对于企业自评 ASMR I-III 级且年度预算影响超过 2000 万欧元的药品，企业向透明委员会（TC）提交评估材料的同时需向同为 HAS 下属的经济和公共卫生评估委员会（CEESP）提交经济性评估材料^[14]。

日本主要从创新价值（疗效的改善）和市场价值（填补未满足需求）两个方面来评价新药的价值，以此来确定加价比例。其中，前者可有 5-120% 的溢价空间，后者可有 5-20%

的溢价空间^[15]。日本将创新药分为三大类：无参照药品的创新药、有参照品但显著创新的药品、创新不显著的药品。其中，第一类实行按成本定价，第二类按疗效和市场价值进行加价，第三类则参照同类药品的价格定价^[15]。对于第二类创新药，主要的评价指标见表 3。

表 3：日本对有参照品但显著创新的药品的价值评价

指标	定义	加价幅度
创新性	满足以下所有条件： - 新的临床作用机制 - 比现有的同类药品更有效或安全 - 对明确适应症的治疗有所改善	70-120%
有用性（1）	满足以上3个条件中的两个	35-60%
有用性（2）	满足以上3个条件中的1个，或者能够： 通过配伍的改善，能够比现有的同类药品带来更大的收益	5-30%
市场性（1）	满足下面两个条件： - 主要适应症是罕见病 - 医保目录内没有同类价格的参照药品	10-20%
市场性（2）	满足下面两个条件： - 主要适应症属于“日本标准商品分类”中的“小市场” - 医保目录内没有属于“小市场”的同类价格的参照药	5%
儿科用药	满足以下两个条件（必须在日本进行儿科临床试验）： - 为儿科使用而研发 - 医保目录内没有同类价格的参照药品 注：如果同时满足本类和市场性（2），则仅按照本类别加价。	5-20%
先驱导入	满足以下所有条件： - 有别于日本、美国、英国、德国、法国所有现有药品的新的作用机制 - 在日本先于其他任何国家被批准 - 在日本上市后，还将在其他国家上市 - 符合有用性（1）的条件	10%

数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

中国台湾将纳入全民健康保险的新药按创新程度分为 1 类新药和 2 类新药。1 类新药为临床疗效有明显改善的突破性创新药。2 类新药又分为 2A 和 2B 类：前者为与现行最佳常用药品比较，显示临床价值有中等程度改善的新药；后者为临床价值相近于参考药品的新药^[16]。1 类新药以十国药价中位数核价，2 类新药以十国药价中位数为上限，从十国药价最低价、原产国药价、国际药价比例法、疗程剂量比例法中择一核价^[16]。

英国主要从可获得的生命质量、满足特殊（如罕见病）人群的需求、对终末期患者生存时间的影响等方面来评价创新药的价值。在英国，NICE 推荐的增量成本 - 效果阈值（ICER）

创新药谈判准入的实施步骤

一般为 2-3 万英镑 /QALY^[17]，然而对于终末期疾病，可提高准入阈值至 5 万英镑 /QALY^[17]，对于罕见病的特定医疗技术，准入阈值可提升至 10-30 万英镑 /QALY^[18]。

二、谈判邀请和资料递交

经过遴选后，需要进行谈判的药品，由医保部门向企业发出谈判邀请函，同时附上需要递交的资料清单。在近 3 年谈判中，医保部门给出的谈判资料清单已经比较详细，但是内容有待规范，建议从以下几个方面对谈判资料进行改进：(1) 制定相对固定的提交模版，并详细、清晰地界定提交内容；(2) 允许企业使用医保部门掌握的有关数据，以便尽快就基础数据达成共识；(3) 尽可能避免使用保密资料，例如国外市场保密价格；(4) 对于预期要进入谈判流程的药品，允许企业向医保部门申请早期沟通，沟通主要内容包括对照品、模型的选择、评价方法等；(5) 递交资料前明确材料的评审规则和测算依据。同时，正式谈判开始前，建议适当增加医保与企业面对面沟通的机会，在前期有效协调对于谈判结果的预期。

经咨询专家组审核后，拟纳入谈判的药品，需要补充提交谈判证据资料，来支持经济性评价，包括以下内容：

1、对医保目录申请资料中药品资质、市场信息、临床和经济性证据，这三方面材料的补充。

2、药物经济学系统综述（建议 8000 字以内）

建议企业提交针对产品的药物经济学系统综述，如包括中国研究数据更好。有助于审核专家的审核，有利于提高谈判证据的科学性。

药物经济学评价的对照组可以是以医保目录内可比药品、原临床标准治疗药品、国际 III 期临床研究对照药品等为对照，如果没有合适的对照品，则可以选择安慰剂对照或空白对照。选择竞争品的总体原则是具有相同或相似的治疗目标、已纳入医保目录最新的治疗方案，尽量避免选取医保目录中疗效较差的治疗方案作为对照。

药物经济学评价的方法可以采用：成本 - 效果分析、成本 - 效益分析、成本 - 效用分析或最小成本法。建议尽量提交成本分析或者成本效益分析的结果。

3、国际和国内价格信息（建议 2000 字以内，列表形式）

以列表的形式提供谈判药品在指定的国家（地区）的价格信息，包括：到岸价、出厂价、终端销售价（注明是否含税）、上市时间、医保报销情况。指定国家（地区）包括主要的全民医保国家（地区）。提供国内不同地区的价格，至少包括：全国最低中标价、最高中标价、销售金额最大省份的中标价格；并且折算成日费用、年费用和每疗程费用。

4、谈判价格方案的建议（建议 2000 字以内）

提出进入报销目录后药品价格调整方案、目标患者、治疗方案、医保支付建议等。

5、预期销量影响和对医保基金的预算影响分析（建议 3000 字以内）（递交 EXCEL 计算表）

假设纳入医保报销后，未来三年，每年的目标患者数量，总销售量、总销售金额预测，以及对医保基金支出可能造成的影响。

本部分资料需要同时递交预算影响分析的 EXCEL 计算表，要求内部结构和计算机代码向使用者开放，并允许使用者调整关键参数，查看分析结果。

6、可能会出现的新适应症及超说明书使用情况（建议 1500 字以内）

国际经验借鉴

各国（地区）卫生技术评估机构发布了针对申请流程的指导性文件、申请材料清单和申请材料模板等，以增加透明性，降低企业的准备资料的成本。

关于申请材料的指导性文件有两大类：一是药物经济学研究指南，规定研究的操作方式；二是提交给医保部门的资料清单及格式模版。英、加、澳、德、法等国家以及中国台湾的评价机构均发布了这两类指导性文件（表 4）。

创新药谈判准入的实施步骤

表 4：代表国家 / 地区申请材料的提交要求示例

	英国	加拿大	澳大利亚	德国	法国	中国台湾
						
卫生技术评估机构	NICE	CADTH	PBAC	IQWiG	HAS	NHITA
系统化综述						
对纳入的临床研究是否要求系统综述	✓	✓	✓	✓	✓	✓
对纳入的临床研究是否进行质量评价	✓		✓	✓	✓	✓
对纳入的经济学研究是否要求系统化综述	✓				✓	
对纳入的经济学研究是否进行质量评价	✓				✓	
经济学模型						
是否有经济学模型的指南	✓	✓	✓		✓	
预算影响分析						
是否有预算影响分析的提交指南	✓	✓	✓		✓	
是否有预算影响分析的模板	✓	✓	✓		✓	✓

数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

三、专家评审

专家评审包括三个方面：一是企业提交资料的质量；二是药品的经济性（成本 - 效果）；三是对医保基金的预算影响。最后给出评审组的建议，包括价格建议。

1、资料质量审核

评审专家首先审核企业提交资料的质量，即证据的科学性和真实性。专家组需要审核企业提交资料是否符合医保规定的规范，对系统综述纳入的研究质量进行评价，还需要根据其他来源的信息验证企业提交资料的可信性，最后决定企业提交的资料是否可以采信。

2、成本 - 效果评审

通过质量审核的资料才能进入经济性评审，专家组根据企业提交的资料以及其他来源的信息，评审药品的经济性。经济性评价的指标是“增量成本 - 效果比”（ICER），其含义是：多获得一个质量调整生命年（QALY）所需要花费的成本。

在质量调整生命年指标不可得的情况下，也可以采用临床指标作为健康产出指标，但是需要建立临床指标与生命质量之间的关系，或者临床指标与治疗成本之间的关系。当质量调整生命年指标和临床指标均不可得的时候，也可以采用最小成本法进行评价，此时成本包含多方面的信息，包括：（1）新药对原有治疗方案的替代，导致成本的变化；（2）疗效的提高，导致治疗成本的变化；（3）不良反应减少导致成本的变化等。

3、预算影响评审

对于成本效果较好的产品，再进行预算影响评价，分析其对医保基金的预期影响。在预算影响模型中，考虑我国实际使用剂量和直接医疗费用的节省情况（如减少因疾病恶化住院、照护费用）。针对预算影响较为显著的药品，专家组可以在使用范围、价格、医保支付比例、支付方式等方面提出建议。

专家评审给出最终的评审组建议，对企业提交资料的质量和药品的经济性进行说明，并给出适用人群、价格、支付等方面的建议。为了让专家意见清晰地展示，评审结果也需格式化。

在专家组建议中，价格往往是最受各方关注的，因此需建立明确的价格决策依据和规则。一般来说，价格形成的依据主要来自三个方面：一是国际价格，一般参照其他全民医保的国家（地区）。对于国际价格参考，除了参考价格本身，还需综合参考纳入适应症种类数量、报销比例等多重因素。在使用国际参考价格作为定价工具时需深度了解不同国家影响实际价格的复杂因素，合理确定适用于我国的计算外部参考定价的具体方法。对于创新级别高的产品，建议放宽国际参考价的标准，取算数平均值或中位值。二是基于价值评价形成价格，在价值评价中，以经济性评价为主，同时参考英国、日本、台湾等国家 / 地区的经验，考虑其他维度的价值，例如对于能带来显著生命终末期价值、减少疾病传染和流行的具有重大公共卫生价值的治疗方案、或针对罕见病等缺乏有效治疗方案的疾病相关治疗药物予以综合考虑。三是基于对医保基金的影响，在医保基金支出阈值的限制下，形成价格。三个方面形成依据获得的价格未必是最低价格作为建议价格。

为了节约谈判资源，如果企业自行申报的价格已经明显低于专家组建议的价格，建议经医保行政机构审定后，以企业申报的价格为医保支付标准，不再进行谈判。

创新药谈判准入的实施步骤

国际经验借鉴

英国 NICE 规定了新药的成本 - 效果阈值，通用阈值一般为 2-3 万英镑 /QALY。当测算的 ICER 值小于 2 万英镑 /QALY 时，该新药被认定为具有高性价比，推荐广泛使用；当测算的 ICER 值为 2-3 万英镑 /QALY 时，被认定为性价比一般，需有限制地使用；当测算的 ICER 值大于 3 万英镑 /QALY 时，被认定为不具性价比，需严格限制使用^[17]。在实践过程中，英国可能对能够极大提高质量调整生命年、延长生命终末期的生存时间，以及针对罕见病的用药放宽准入标准。例如，对于期望寿命短于 24 个月的终末期疾病，如果新药可以延长 3 个月以上的生命，那么准入的阈值可以提高到 5-12.5 万英镑 /QALY^[17]，对于适用于超罕见病药物（目标适应症患病率低于 1/50,000）的高度专业技术（Highly Specialized Technology, HST）评估模式，准入阈值可提升至 10-30 万英镑 /QALY^[18]，其中对于能够显著提高生命质量的新药，如果增量的 QALY 小于 10，则阈值不超过 10 万英镑 /QALY，如果增量的 QALY 达到 10-30，那么阈值可达到 10-30 万英镑 /QALY，如果增量 QALY 超过 30，那么阈值为 30 万英镑 /QALY。（图 8）

图 8：NICE 不同技术评估支付意愿阈值的变化



数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

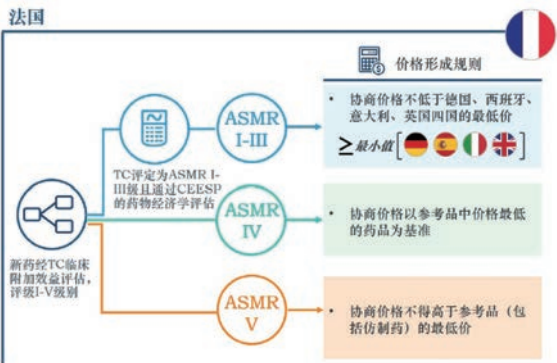
其他国家并没有像英国那样规定比较明确的成本 - 效果阈值，但根据这些国家的评价机构向医保部门推荐的药品的成本 - 效果分析结果，可以大致上推测出它们所认为的一般阈值。例如，过去几年，加拿大的 CADTH 推荐纳入医保的药品增量成本效果比中位值为 50,000 加元 /QALY，提示 50,000 加元 /QALY 可能是 CADTH 考虑的一般阈值^[19]；同样可以推测，澳大利亚的 PBAC 考虑的阈值范围可能在 45,000-60,000 澳元 /QALY^[20-21]，韩国的 HIRA 考虑的阈值可能为 1 倍的人均国民生产总值^[22]。

法国、德国、日本，以及中国台湾等规定了增量价值与价格之间的计算规则。在法国，临床疗效改善状况（ASMR）评级与药品价格之间的关系由卫生产品经济委员会（CEPS）和法国医药行业协会（Leem）每三年签订的框架协议规定^[13]。据 2016-2018 年的框架协议规定，被评估为 ASMR I-III 级且通过药物经济学评估的药品，其协商后价格不低于德国、西班牙、意大利、英国四国的最低价；被评估为 ASMR IV 级的药品，协商价格以参考品中价格最低的药品为基准；被评估为 ASMR V 级的药品，协商价格不得高于所有参考品（包括仿制药）的最低价格^[13]。

国际经验借鉴

由于近年来大部分新药被评定为 ASMR IV-V 级，2018 年 7 月经过磋商，法国决定对于 ASMR 评级为 IV 级的药品，不再参考品的最低价作为唯一依据^[23]。对于企业自评 ASMR 级别为 I-III 级且预计上市后第二年起任意一年预算影响超过 2000 万欧元的药品，需要提供成本效用分析，作为价格协商的参考材料之一^[14]。

图 9：法国价格形成规则示意



数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

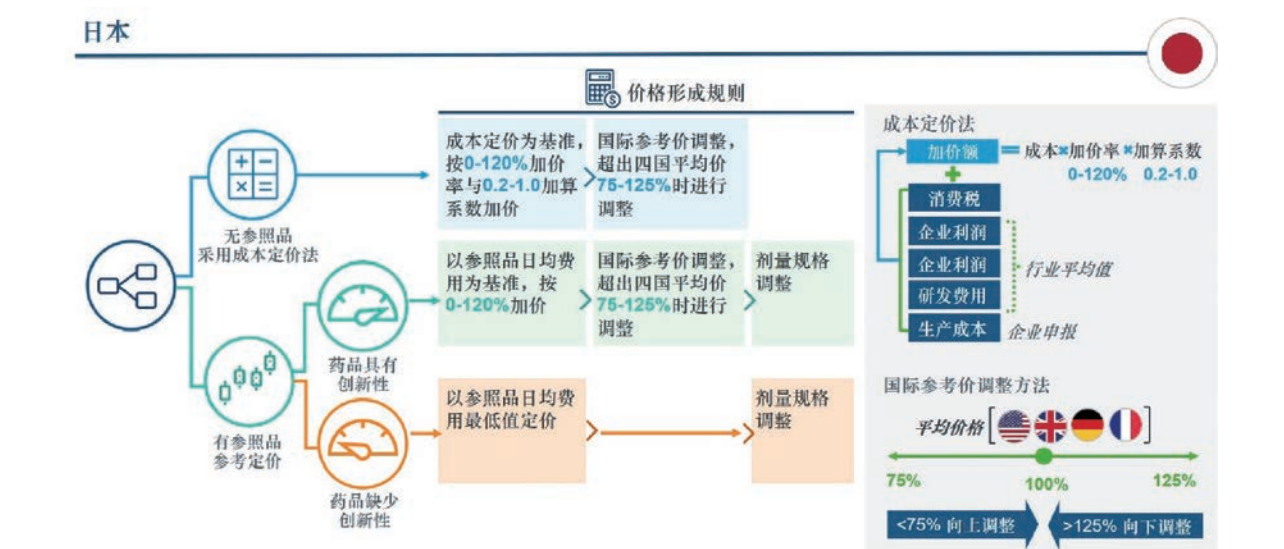
创新药谈判准入的实施步骤

日本将创新药分为三大类：无参照药品的创新药、有参照品但显著创新的药品、创新不显著的药品。其中，无参照药品的创新药使用成本定价法，通过生产成本加合理利润和费用的方法制定价格。成本定价法首先需要生产企业提供完整详细的成本及相关信息，包括企业在生产和销售环节发生的所有成本费用以及生产流程参与劳动的人数和时间等，定价机构重点参考行业标准对企业生产成本进行调查和评估，部分费用或利润项目可参考行业平均系数（系数由日本政策投资银行或厚生劳动省医政局经济课根据行业调查和研究结果定期发布）来调整，最后还会根据药品的创新性、有效性和安全性的程度，在营业利润率 -50 ~ +100% 的范围内浮动。有参照品但显著创新的按照价值评估的结果进行溢价加算，具体见上文表 3。

国际经验借鉴

最后，日本还要根据国际参考价（超过 1.25 倍时下调，低于 0.75 倍时上调）和规格进行调整^[15]。日本采用美、英、德、法药品零售价格的算术平均值来确定国际参考价格。对于创新不显著的药品，则先与过去几年的类似药药价相比较，设定为最低价格，再按照国际参考价格进行调整（不超过 1.25 倍）。

图 10：日本价格形成规则示意

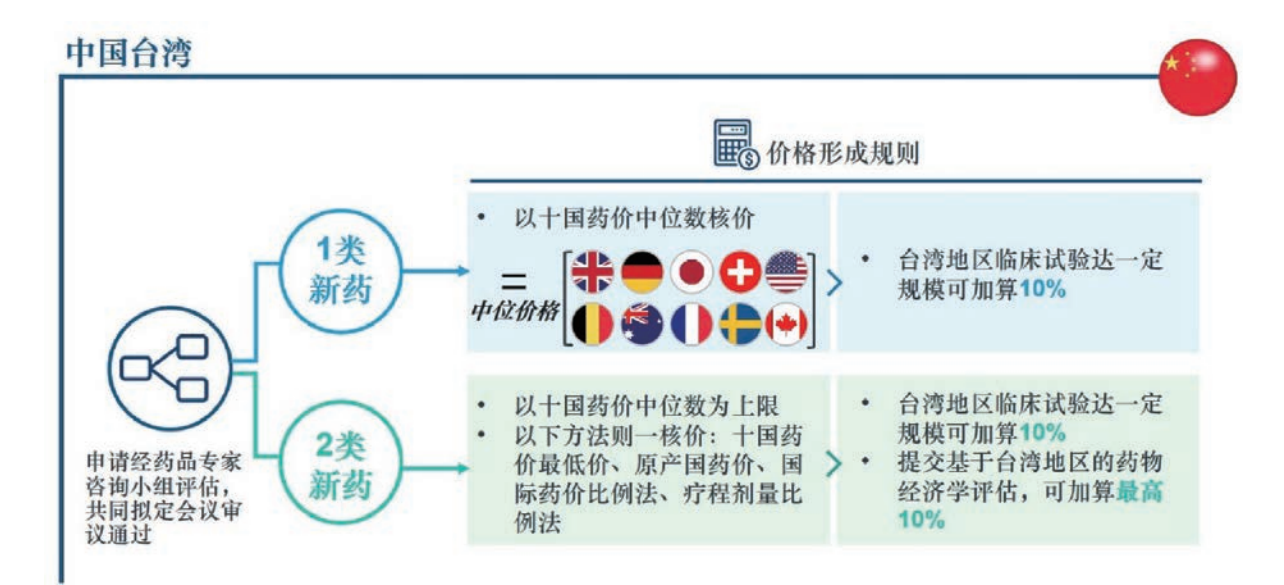


数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

国际经验借鉴

中国台湾也制定了比较透明的医保支付价形成规则，方便企业进行价格预判。对于第 1 类新药（突破性创新药），以十国药价（英国、德国、日本、瑞士、美国、比利时、澳洲、法国、瑞典、加拿大等十国药价）中位数核价，在台湾地区临床试验达一定规模可给予 10% 溢价^[16]。对于 2 类新药，以上述十国药价中位数为上限，依其临床价值改善情形，从下列方法择一核价：十国药价最低价、原产国药价、国际药价比例法、疗程剂量比例法，通常取不同核价方式结果的最低价为基准。若在台湾本土开展临床试验，达一定规模可给予 10% 价格溢价；提交基于台湾地区的药物经济学评估，最高可溢价 10%^[16]。现阶段，台湾地区对药物经济学报告的评审重点是方法是否合理，参数设定是否反映了台湾地区的实际情况等，而并不重视增量成本 - 效果（ICER）值，实际加算比例在 4-6%。

图 11：中国台湾价格形成规则示意



数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

创新药谈判准入的实施步骤

四、医保与企业谈判前沟通

为促进谈判双方就药品的相关证据形成共识，建议在专家评审意见出来后，评审机构与企业就评审专家的意见进行一次沟通，让企业有机会对专家评审中的问题进行回答或补充新的材料，对评审结果进行回应。

在当前的创新药谈判中，已经建立了医保部门与企业就专家评审意见的沟通机制，但是这种沟通机制还有改进的余地，包括以下方面：（1）更加公开透明规范化的沟通流程；（2）交给企业的专家评审意见需为格式化的文档，让企业能够清晰明了的了解专家意见；（3）专家意见中需明确需要企业说明的问题，并让企业有机会进行补充说明或补充证据；（4）如果企业的补充说明或补充证据被采纳，评审专家需修改评审意见。将最终的专家评审意见作为形成谈判底价的最重要依据。

国际经验借鉴

国际上对于提高评审过程的透明化有广泛的讨论^[24]，普遍遵循的原则包括：（1）评审规则透明，利益相关方参与的流程公开透明；（2）设置评审结果的复议机制；（3）评估结果与最终医保准入决定之间的关系公开透明；（4）政府对于评估技术的优先级设定公开透明。

五、正式谈判

在谈判过程中，当前的谈判规则是：由企业进行2次报价，如果两次报价均高于底价15%，则谈判失败；否则，进入细致的谈判阶段，直至达成双方都可接受的价格。这一规则下，医保谈判组掌握了更多的主动权：由于企业方不知道底价，有可能企业方报价已经低于医保方底价的时候，医保方仍然要求降价，这时谈判价格受谈判组专家的人为因素影响较大，有些谈判组可能会把谈判价格压得过低，从长远来看不利于保护企业创新积极性。建议谈判专家准许谈判人员能够给出明确的价格提示，引导谈判达成。为了避免谈判组间差异导致的价格过低的情况，建议设置最低成交价格保护机制，以期得到更加稳定的结果，例如设定最低价不低于底价15%。

2019年谈判中尝试采取竞争性谈判，在没有出现仿制药的情况下，竞争性谈判加速了专利药的快速进入衰老期。类似同类同适应症创新药品谈判，建议慎重评估采用竞争性谈判。

国际经验借鉴

有研究显示，韩国2007-2013年经国家医疗保险公团（NHIS）谈判后价格相比HIRA完成卫生技术评估后的建议价格进一步降低13.1%^[25]。日本在价格形成机制上应用外部参考定价，以美国、英国、德国、法国四国的平均价格的0.75倍-1.25倍为价格区间指导，确保最终给定一个合理的价格区间^[15]。

六、合同签订

2017年和2018年国家层面创新药谈判的合同形式比较单一，即简单的价格合同，并公开发布。但是，国际经验以及我国地方创新药谈判的实践中，还有更多形式的合同可供参考，可能有助于价格达成，甚至进行价格保密，比如：

- “量价”合同，即谈判双方设定一定时期内的总用量，如果实际的总用量超过设定量，则超过部分进行适当降价。这种合同可以避免医保基金受到过大的冲击，并且也可以制约厂家过度推销药品。
- “买赠”合同，即对于每个患者来说，先由医保或患者购买一定时间的用药，然后再由企业赠送一定时期。这种合同可以在保证厂商原有利益的情况下，促进厂商更大地让利。
- “疗效风险”合同，即对于临床有效的病例情况进行全额付费，而对于无效的病例不付费或打折扣；也可以采用总有效率来表示，例如有效率达到一定水平后，全额付费，否则打折扣。这种合同要求有明确的指标来反映是否临床有效。

以上三种合同不仅有助于医保方与企业风险共担，使得企业对市场环境有更好的预期，同时这三类合同便于价格保密，对市场标价的影响也较小，有助于跨国企业维护国际市场价格，促进其参与谈判的积极性。

创新药谈判准入的实施步骤

2019 年谈判鼓励企业提出风险分担方式下的意向支付标准，不同合同形式包括量价挂钩（梯度降价）、按疗效付费、按人头付费方案相继提出。由于准备时间不足和实施操作难度，均未被考虑。建议提早与企业沟通风险共担方案，给与企业充分时间准备和与谈判专家协商。

另外，首次谈判的签订合同中可以约定续约的条件，以及续约的价格变动机制和退出机制，例如：（1）建立续谈合同期内实际用量和预测用量差异与续谈底价确定联动机制；对于有多个适应症的品种，部分适应症医保覆盖，部分适应症医保未覆盖，续签时合同期内实际用量基于医保已覆盖的适应症，并在签订合同时与企业沟通基金预算影响统计口径和测算逻辑；（2）建立续谈品种扩展适应症的机制，允许协议期内增加适应症并调整支付标准；（3）约定续谈产品的退出机制，退出包括两个方面，一是在满足一定的条件下，如合同周期结束后，品种总金额未超过当时谈判时预期总销售金额或者满足 10-15% 的降价比例，自动纳入医保乙类报销；二是在合同期内新的临床证据出现，在疗效和安全性上没有达到预期效果，或者对医保基金影响过大，续谈中价格未达到双方的均衡点，可采取逐步退出机制。（4）对于续约品种在提交材料和谈判流程方面予以简化，以节省谈判资源；（5）对于能够进一步提供真实世界临床或经济获益证据的产品可以考虑维持原有支付标准；（6）考虑产品周期因素，维持合理稳定的利润有助于企业持续投入创新。

另外，对于谈判失败的药品，建议医保部门建立与企业沟通机制，明确失败原因，并补充相关资料进行说明，尽量避免多次重复的尝试。

国际经验借鉴

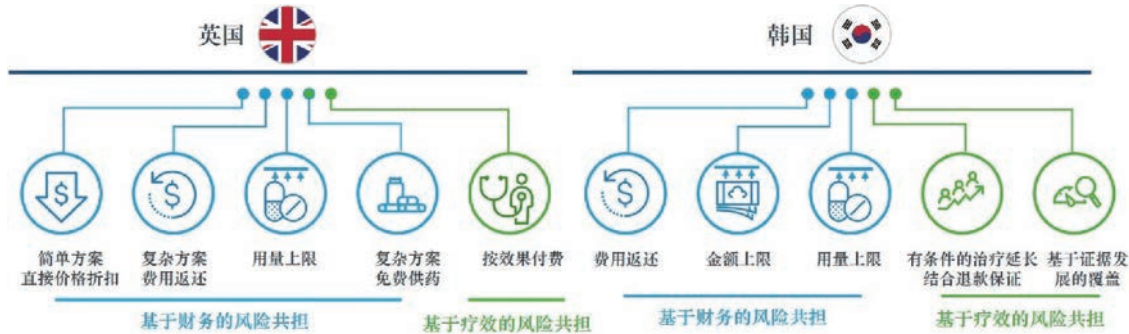
在英国、德国、澳大利亚、加拿大等国以及中国台湾，如果基于价值评价规则形成价格，则价格直接对外公布，医保方与企业不额外签订合同。如果需要进一步进行价格折扣或者要实施各种风险分担机制，则双方需要签订协议，并且对价格保密。

英国基于药物经济学分析结果与企业进行“有关患者用药可及性方案（PAS）”的谈判。谈判合同可分为直接价格折扣和更复杂的风险共担，包括费用返还、用量上限、按疗效付费等

^[26]。公开数据显示，截止至 2018 年 12 月，在 NICE 网站公开的 156 项 PAS 中有 136 项（87%）为企业与政府签署保密价格折扣的形式^[27]。

韩国自 2013 年 12 月起针对用于治疗重大疾病且无其他治疗选择的肿瘤药物或罕见病药物及其他被认为有必要进行价格谈判的药物纳入风险共担协议的实施范围，目前共提出了五种协议方式，包括费用返还、金额上限、用量上限 / 人均用量上限、有条件的治疗延长结合退款保证（Conditional Treatment Continuation + Money Back Guarantee）、“疗效风险”合同等^[28]。截止到 2018 年 1 季度，韩国已经有 26 个药品签订了不同形式协议，集中于肿瘤和罕见病领域，多数采用了费用返还或医保支付上限的合同形式^[29]。

图 12：代表国家 / 地区的风险共担协议类型分类示例



数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

七、结果公示

目前国家医保谈判仅公布最终的谈判价格（价格保密的除外），但是未向公众披露对企业提交材料的审核意见和价格形成的主要依据。为提高政府决策的公正性和透明度，提升社会公信力，可考虑对评审专家的审核意见、价格形成的主要依据等以适当形式公开（除保密内容外），并公布参与评审的专家组名单、以加强责任机制。对谈判确定的支付标准申请保密的品种，协议期间相关部门不得在公开途径中公布其支付标准，在药品交易系统内均不显示价格。

创新药谈判准入的实施步骤

国际经验借鉴

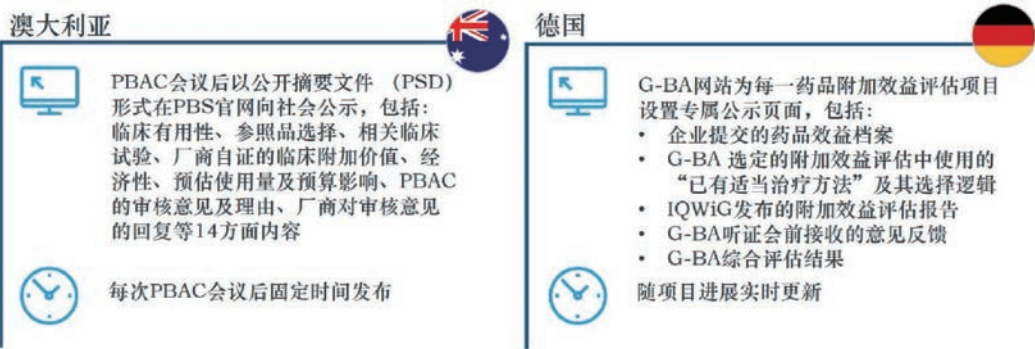
本研究的参照国家（地区）通常会以文件形式及时向社会公布新药的卫生技术评估审核意见。英国和澳大利亚披露的审核意见主要包括对企业提交的药品临床价值、经济价值及证据质量的评估，对社会、伦理等因素的考量，及基于提交证据做出的决策建议。例如澳大利亚的药品福利咨询委员会（PBAC）向社会发布的文件比较全面，共包含 14 部分：药品申请目的、审批情况、申请的适应症及限制应用条件、临床有用性、参照品选择、相关临床试验、厂商自证的临床附加价值、经济性、预估使用量及预算影响、PBAC 的审核意见及理由、厂商对审核意见的回复等内容^[30]。

国际经验借鉴

如果签署了风险分担协议，则医保实际支付价格一般不对外公示。从英国和澳大利亚的实践来看，结果公示时会披露医保是否与厂商签署风险分担协议及协议类型，但隐去风险分担协议下医保实际支付的药品价格。同时企业提交材料中尚未公开披露的临床试验信息、药物经济学模型中可用于推断出医保实际支付价格的信息也将隐去。

德国的 IQWiG 完成评审报告后，即刻由 G-BA 在官网发布，在规定时间内 G-BA 接受企业、学术界及社会的意见反馈，意见需以 G-BA 规定的模板填写，并辅以对应的研究文献全文佐证，通过 G-BA 网站在线提交或以电子邮件方式提交，意见提交方可以注册参与对应的 G-BA 听证会^[31]。

图 13：代表国家 / 地区的结果公示形式示例



数据来源：案头研究，IQVIA 分析总结

实施创新药谈判时需解决的关键问题

医保目录调整（包括创新药谈判）涉及卫生、财政、药监、工业等众多部门，因此创新药谈判的顺利实施需要在部门间形成共识，做好相关信息共享，需要与药品价格、采购和使用有关的政策要保持协调一致，另外，还需要一些技术支持，并且需要建立实施目录动态调整工作（包括创新药谈判）的专门机构。

部门间信息共享、加强医疗系统基础数据建设

创新药谈判过程中需要多来源的数据进行支持，这需要部门间信息的共享，包括：（1）来自药监部门的关于药品安全、有效的数据；（2）来自产业部门和药监部门的有关药品创新性的数据；（3）来自卫生部门的合理用药建议，以及有关基本药物遴选的信息；（4）来自医疗机构的药品使用现状数据。

同时，建议从统筹规划和顶层设计层面进一步加强公共卫生信息化系统建设，促进全国层面的医保数据治理、各级各类医疗卫生机构信息化等，尽快建立医疗健康大数据质量管理机制，出台相关配套法律法规，从而统筹推进医疗大数据标准化、规范化进程，促进医疗大数据在公共决策领域的更广泛应用。

促进谈判结果的落实

为了让国家医保谈判的成果及时落实，需要相关部门的政策协调，以及中央和地方医保政策的协调，需要明确以下几个方面：

- 1、将通过国家谈判的药品纳入医保制度的法定待遇包，地方医保按规定纳入报销，不得以任何理由（如医保基金无力支付等）拒绝纳入医保报销，也不得要求再次谈判。
- 2、通过谈判的药品视同全国“中标”，直接纳入到各省的集采平台，医疗机构即可采购，不再要求其参加各省举办的集中招标采购，谈判价格即为“中标价”。

实施创新药谈判时需解决的关键问题

- 3、明确谈判合同期即为市场独占期。合同签订时间长短需参考国际通行实践、国内招标合同设定，提出合理的建议的合同期限。一般谈判合同期为 2 年，也可以超过 2 年，对于预期 2 年内会有仿制药或可替代性药物上市的新药，可在合同条款中保留国家根据仿制品上市情况调整医保支付标准的约定。
- 4、合同有效期内新的适应症获批会带来患者人群的扩大，需综合考虑新适应症的创新价值，遵循创新性价值评估方法，在价格调整中合理体现产品新的价值。
- 5、明确谈判合同到期后的价格政策。谈判药品的合同到期后，对于仍在专利期内的药品，建议参考对照品的价格变化或国际市场的价格变化实行“等比例”价格调整；对于已经过了专利期的药品，则参照临床可替代的同类药品价格形成医保支付价。
- 6、医保局会商国家卫健委委员会，对谈判药品采取事前事后审核管理，重点监测，明确医疗机构使用谈判药品不受医保基金总额控制、药占比、医院药品总数、准入窗口和处方金额等因素限制；要求其根据临床需求和诊疗能力及时配备谈判药品、定期上报使用情况。
- 7、提高创新药物的用药可及性。部分品种医院储存成本高，往往不愿意在院内药房储存这些药品。建议借鉴部分城市的经验，在每个城市集中建立“双通道”，并纳入医保基金支付，考虑适当提高报销比例和封顶线等。另外，许多创新药可以在门诊使用，从而替代了住院，节约医疗资源和医疗费用，建议将这些产品及时纳入门诊大病报销。
- 8、加强基于真实世界证据的医保决策和政策回顾机制。由于新药的疗效和安全性是一个不断认知的过程，建议在进行医保准入评价时强调使用基于中国人群的真实世界疗效和安全性证据。同时，建议对于纳入医保的药品进行基于真实世界使用情况的再评价。

支持价值评估技术的发展

价值评价是创新药谈判中应用的核心技术，医保部门可以根据当前专业机构发布的经济性评价指南或技术标准，来制定医保谈判中应用的经济性评价技术标准以及评价报告的格式。

价值评价还需要一些基础条件的支持，包括：流行病学数据、疾病进展模式、不同疾病状态下的患者生命质量、不同治疗方案的成本数据等。建议医保部门协调相关部门提供信息，并且支持一些基础性研究，获取价值评价中所需要的基础信息。

组织机构建设

医保目录动态调整启动后，创新药谈判将成为一项常态化的工作，因此需要比较稳定的专职机构来从事这一工作。按照国际经验，由政府建立专门的、独立的第三方评审机构来承担这项工作，如德国的卫生保健质量和效率研究院德国的卫生保健质量研究院（IQWiQ）、英国的国家卫生和临床研究院（NICE）、澳大利亚的药品福利咨询委员会（PBAC）、加拿大的药物和卫生技术局（CADTH）等。

评审机构在创新药谈判和评价中主要起到组织、协调和支持作用，评审机构可以成立专家组或委托专业机构（如大学或研究机构）来评审企业提交的资料。另需建立为企业提供相关的咨询服务的专家或机构的回避和惩罚机制。

致谢

本研究报告的顺利完成得益于多方专家和单位的鼎力支持，在此表示由衷的感谢。

在讨论中国创新药医保准入机制的焦点小组会议上，来自不同领域的专家学者与我们分享了深刻的行业洞察。感谢董昭晖研究员、范长生先生、谢洋博士、邵蓉教授、史录文教授、吴久鸿教授、贾方红教授、陈昊教授、吴晶教授、冯文猛教授、冷家骅教授、赵冠宏教授、郝春鹏先生、耿成亮先生、刘军帅先生、颜建周教授、傅鸿鹏教授、王丽莉女士等专家学者，为完善我国医保目录调整中创新药的准入评估机制提供了真挚的建议和修改意见。

也感谢在研究中接受访谈的企业，分享了作为实际参与者在过去医保准入工作中的所见所得，为改进当前创新药医保准入评估方式提供了思路和实践指导。

参考文献

1. PBAC.Meeting Agenda[EB/OL]. [2019-02-19].<http://www.pbs.gov.au/info/industry/listing/elements/pbac-meetings/agenda>
2. CADTH. Canadian Drug Expert Committee (CDEC) Meeting Schedule[EB/OL].[2019-02-19]. <https://www.cadth.ca/collaboration-and-outreach/advisory-bodies/canadian-drug-expert-committee-cdec/cdec-meeting-schedule>
3. 全民健康保险药物给付项目及支付标准共同拟订办法 [EB/OL]. [2019-02-19]. <https://law.moj.gov.tw/LawClass/LawAllf.aspx?PCode=L0060030>
4. HAS. Transparency Committee(TC) composition [EB/OL]. [2019-02-19]. https://www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1729421/en/transparency-committee
5. HAS.Economic and Public Health Evaluation Committee(CEESP) composition[EB/OL]. [2019-02-19].https://www.has-sante.fr/portail/jcms/c_2036304/en/commission-for-economic-and-public-health-evaluation
6. G-BA.Introduction of The plenum [EB/OL]. [2019-02-19]. <https://www.g-ba.de/institution/struktur/plenum/>
7. 吕兰婷，付荣华 . 德国卫生技术评估决策转化路径及方法探析 [J]. 中国卫生政策研究，2017，10(4): 51-56.
8. Florian Jantschak. Pricing and Reimbursement Decisions in Germany[EB/OL]. [2019-02-19]. <https://cddf.org/files/2017/09/1720-Florian-Jantschak.pdf>
9. HIRA. Pharmaceutical Positive List System in Korea: Lessons from the 10 years experience. [2019-02-19]. http://www.kobia.kr/skin/bbs/downloads_e2/download.php?tbl=policy_report&no=403
10. 张玉丽，徐睿鸿，吴晶 . 德国新上市药品医疗保险支付标准制定的规则与流程 [J]. 中国药物经济学，2018 (2): 7.
11. IQWiG. General Methods Version 5.0[EB/OL]. [2019-02-19]. <https://www.iqwig.de/en/methods/methods-paper.3020.html>
12. 卢碧香，关轶茹，张方 . 法国药品临床疗效和临床疗效改善评级管理及其借鉴启示 [J]. 中国药物应用与监测，2018,15(2):113-117.
13. CEPS. Annual Activity Report 2017-2018 [EB/OL]. [2019-02-19].https://solidarites-sante.gouv.fr/IMG/pdf/ceps_rapport_d_activite_2017_20181029.pdf
14. Toumi M, Rémuzat C, El Hammi E, et al. Current process and future path for health economic assessment of pharmaceuticals in France[J]. Journal of market access & health policy, 2015, 3(1): 27902.
15. Hiroaki Mamaya, Update of Drug Pricing System in Japan[EB/OL]. [2019-02-19]. <https://www.mhlw.go.jp/content/11123000/000335166.pdf>
16. 全民健康保险药物给付项目及支付标准 [EB/OL]. [2019-02-19] <https://law.moj.gov.tw/LawClass/LawAllf.aspx?PCode=L0060035>
17. NICE. Guide to the methods of technology appraisal 2013[EB/OL]. [2019-02-19].<https://www.nice.org.uk/process/pmg9/chapter/the-appraisal-of-the-evidence-and-structured-decision-making#decision-making>

参考文献

18. NICE. Interim Process and Methods of the Highly Specialised Technologies Programme. Updated to reflect 2017 changes. [EB/OL]. [2019-02-19]. <https://www.nice.org.uk/Media/Default/About/what-we-do/NICE-guidance/NICE-highly-specialised-technologies-guidance/HST-interim-methods-process-guide-may-17.pdf>
19. Griffiths EA, Vadlamudi NK. CADTH's \$50,000 cost-effectiveness threshold: fact or fiction? [EB/OL]. [2019-02-19] <https://tools.ispor.org/ScientificPresentationsDatabase/Presentation/69112?pdfid=46912>
20. Wang S, Gum D, Merlin T. Comparing the ICERs in Medicine Reimbursement Submissions to NICE and PBAC—Does the Presence of an Explicit Threshold Affect the ICER Proposed?[J]. Value in Health, Elsevier, 2018, 21(8): 938–943.
21. Roche Products Pty Ltd. Access to oncology medicines in Australia, Roche response to Medicines Australia Oncology Industry Taskforce report. [EB/OL]. [2019-02-19] [medicinesaustralia.com.au/files/2013/07/131021_OIT_Roche_response_FINAL_.pdf](https://www.medicinesaustralia.com.au/files/2013/07/131021_OIT_Roche_response_FINAL_.pdf).
22. Bae E Y, Kim H J, Lee H J, et al. Role of economic evidence in coverage decision-making in South Korea[J]. PloS one, 2018, 13(10): e0206121.
23. Jean-Marc Frybourg. In France, the value equation may change (a little) [EB/OL]. [2019-02-19] <https://inbeeo.com/2018/07/31/in-france-the-value-equation-may-change-a-little/>
24. Pichon-Riviere A, Soto N C, Augustovski F A. Health Technology Assessment For Decision Making In Latin America: Good Practice Principles[J]. International Journal of Technology Assessment in Health Care, Cambridge University Press, 2018, 34(03): 241–247.
25. Kwon H-Y, Godman B. Drug Pricing in South Korea[J]. Applied Health Economics and Health Policy, 2017, 15(4): 447–453.
26. 常峰, 崔鹏磊, 夏强. 英国患者用药可及性方案实施经验及对我国的启示 [J]. 中国卫生政策研究, 2016, 9(7): 60-65.
27. NICE. Patient access schemes and the NICE Patient Access Liaison Unit [EB/OL]. [2019-02-19] <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/patient-access-schemes-liaison-unit#list-of-arrangements>
28. Hye-Lin Kim, et al. How Can Risk-Sharing Agreements In Korea Be Improved? [EB/OL]. [2019-02-19] https://www.ispor.org/docs/default-source/presentations/793.pdf?sfvrsn=b6e06c4c_1
29. Choi MH, Ghosh W, Brooks-Rooney C. The Impact Of Risk-Sharing Agreements On Drug Reimbursement Decisions In South Korea. [EB/OL]. [2019-02-19] <https://tools.ispor.org/ScientificPresentationsDatabase/Presentation/82841?pdfid=55587>
30. PBAC. Public Summary Documents Explained - In Depth Structural Information[EB/OL]. [2019-02-19] <http://www.pbs.gov.au/pbs/industry/listing/elements/pbac-meetings/psd/pbac-psd-struct>
31. G-BA. Geschäftsordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [EB/OL]. [2019-02-19] https://www.g-ba.de/downloads/62-492-1751/GO_2018-11-22_iK-2019-01-22.pdf



中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会

地址：中国北京市朝阳区东三环北路 8 号 北京亮马河大厦 1 座 506 室

邮编：100004

电话：8610-6590 7696

传真：8610-6590 7697

网址：www.rdpac.org

