

《“患者为中心”的互动交流——白皮书》完整版

使用说明：

本文件由 RDPAC 医学事务工作组（Medical Affairs Sub-Working Group）整理及撰写，仅供行业交流和参考，不当之处欢迎批评指正。

如需转发，请提前与 RDPAC 医学事务工作组取得联系。

《“患者为中心”的互动交流活动的白皮书》

目录

一、背景、目的与定义	3
二、“患者为中心”的互动交流活动的概览	4
(一) 患者未满足需求	4
1. 全球患者主要未满足需求	4
2. 国内患者群体面临的主要问题	4
(二) 全球视野	4
1. 国际“患者为中心”的互动交流活动的概述	4
2. 国际政策环境	5
(三) 国内现状	6
1. 国内“患者为中心”的互动交流活动的概述	6
2. 国内政策环境	7
三、患者事务和“患者为中心”的互动交流活动的基本原则	9
(一) 核心价值观	9
(二) 基本原则	9
(三) 职责	9
四、“患者为中心”的互动交流活动的细则	11
(一) “患者为中心”的互动交流活动的决策树	11
(二) 理解患者旅程	11
(三) “患者为中心”的互动交流活动的具体类型	13
1. 证据生成及交流	13
2. 寻求患者建议及洞见	14
3. 患者沟通/教育/倡导类型	17
4. 患者支持项目	22
5. 管控式用药	24
6. 其他形式	26
(四) 报销与报酬	26
(五) 与患者、患者权益代表和患者组织的沟通	28
1. 信息的性质	29
2. 信息的内容	30

3. 信息的表现形式	32
4. 审批.....	32
五、患者个人信息保护	33
六、结语	34
七、附件	35
(一) 术语与缩写.....	35
(二) 参考案例	36
1. 患者倾向性研究	36
2. 患者参与临床指南的产生	36
3. PAP-脊活新生-脊髓性肌萎缩症患者援助项目	37
4. PSP-Yi 路有你-白求恩·免疫相关疾病患者教育项目	37
5. 管控式用药.....	38
(三) 参考文献	39

一、背景、目的与定义

随着整个医药行业都在倡导“患者为中心”的工作理念的转变，各相关方，尤其是药/械企业，作为最重要的参与者，开展了诸多的以“患者为中心”的工作以及尝试。企业在推进与患者的合作的同时，也致力于规范与完善相关的制度与规范，或是制定基于具体项目的适用于我国的标准操作流程（standard operating procedures, SOPs），或者响应公司全球的号召和倡导。目前，国内尚缺乏行业共识的，为企业开展“患者为中心”的互动交流合作提供指导和参考的指导规范或原则。

中国外商投资企业协会药品研制和开发工作委员会（R&D-based Pharmaceutical Association Committee, RDPAC）坚持“以患者为中心”的价值，兼顾社会责任和行业发展。2022年，RDPAC率先在其《RDPAC行业行为准则》（2022年修订版）中新增了《与患者组织的互动》的章节，从范围、参与申明、书面文件和活动等四个方面制定了行为准则^[1]。同年7月，RDPAC医学事务工作组患者事务工作小组成立，集结了会员公司中经验丰富的医学部从事患者事务的同事，启动了我国行业首部《“患者为中心”的互动交流活动——白皮书》（下文简称《白皮书》）的撰写工作。工作小组通过梳理现状、确定框架、内容撰写、多轮修订、RDPAC审核，才最终迎来了《白皮书》的发布。《白皮书》总结了行业的宝贵经验，并借鉴国外相关指导原则和经验，旨在为企业开展患者相关工作的同仁们提供指导和参考，从而促进我国行业“患者为中心”的文化与理念的倡导，并推动“患者为中心”的互动交流活动的长足发展。

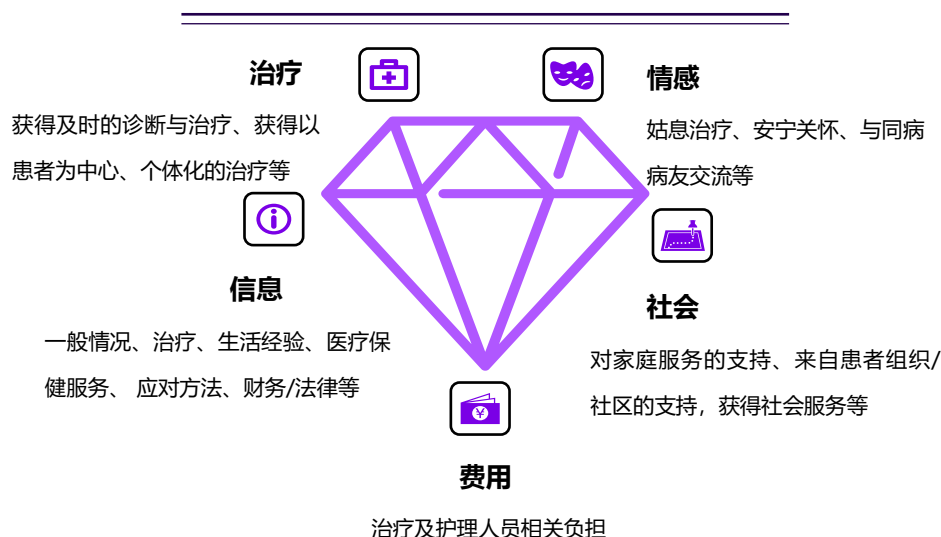
“患者”和“患者为中心”的互动交流活动的定义：《白皮书》中“患者”是指患者个体、患者的家属、监护者、看护者以及患者组织等；“患者为中心”的互动交流活动是指在疾病领域和/或产品生命周期（从研发、上市、定价及支付、治疗及可及性）各个阶段中一切与患者相关的项目，包括有患者直接参与和/或间接参与的互动交流活动。

二、“患者为中心”的互动交流现状概览

（一）患者未满足需求

1. 全球患者主要未满足需求

图 1：患者主要未满足需求 “Diamond Cut” [2-10]



2. 国内患者群体面临的主要问题

国内患者群体面临的主要问题表现为两个方面，一方面是医疗层面的，如可能面临缺乏有效治疗手段、优质医疗资源稀缺、医疗资源分布不均衡、疾病长期管理等困难；另一方面是经济负担沉重、心理压力巨大、家庭和社会支持不足、社会融入困难等经济、社会、心理等其他层面的挑战。

（二）全球视野

1. 国际“患者为中心”的互动交流概述

Patient Engagement Synapse (PES) 平台的报告显示，患者参与的项目所涉及的主要目的包括了研究、准入、组织/系统开发、患者教育等，还包括了差距分析、照护提供/照护路径、政策等其他目的；患者参与不断深入，从通知/告知、共同设计、到顾问；患者参与的范围也扩展到药物的全生命周期，包括了研究和开发、临床前、临床开发、注册审查与审批、以及上市后等^[11]。（如图 2 和图 3）

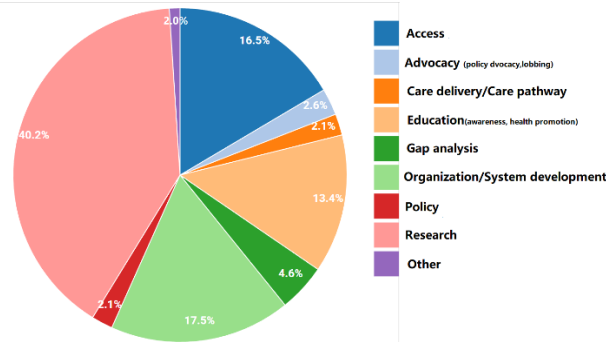


图2: PES患者参与项目涉及主要领域的分布 (353个项目)



图3: PES患者参与项目的患者参与程度和生命周期的分布 (353个项目)

2. 国际政策环境

药物研发过程中患者参与越来越受到重视。全球多国政府及相关监管部门出台了相应的指南以指导和规范药物研发全程从患者的需求出发，并积极引入患者参与，并成立相关专业委员会促进患者参与药物研发的执行以及最大限度地引入患者参与。在美国，美国食品药品监督管理局（U.S. Food and Drug Administration, FDA）颁发了多部聚焦患者的药物研发的指南和操作规范，指导企业在药物研发过程中更好地引入患者参与^[12, 13]；并成立了患者参与顾问委员会，通过与临床试验转型计划（Clinical Trials Transformation Initiative, CTTI）合作成立了患者参与合作机构，帮助企业在药物研发过程开展与患者的合作^[14]。在欧洲，欧洲药品监督局（European Medicines Agency, EMA）管理委员会和科学委员会管理机构——人用医药产品委员会（Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP）正在起草 EMA 与患者、消费者及其组织之间的互动框架，旨在概述患者和消费者参与机构活动的基础^[15]；国际人用药品注册技术协调会（International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ICH）也正在制定相关指南，计划提供一种在方法论上合理的、能同时满足受监管行业和监管机构目的的、全球统一的患者观点纳入的方式，来推进以患者为中心的药物治疗^[16]。

临床指南开发过程中患者参与也受到了相当的关注。英国国家卫生与临床优化研究所（National Institute for Health and Care Excellence, NICE）、苏格兰学院间指南网络（Scottish Intercollegiate Guidelines Network, SIGN）在临床指南与最佳实践的开发过程中，积累了很多引入患者参与的成功经验，并不断提高患者在工作组中的占比。

（三）国内现状

1. 国内“患者为中心”的互动交流概述

在国内，通过各相关方的不断尝试与实践，在已获批产品开展“患者为中心”的项目方面积累了丰富的经验。2022年辉瑞公司与IQVIA合作发布的《中国医药行业患者为中心理念指导下项目开展（获批后）现况调研报告（2021）》显示，国内“患者为中心”的项目主要涉及扩大目标患者群、提高患者支付能力、维持患者依从性、提高药品可及性、提供治疗认可度等五大互动目标；活动类型包括了患者教育、生存现状及疾病负担调研、患者管理、互联网医院以及科普文章发表、患者组织培育等共13种^[17]。

国内的患者参与药物研发虽起步较晚，但已有相关指导规范的发布以及一些成功经验^[18]。2019年，蔻德罕见病中心（Chinese Organization for Rare Disorders, CORD）便发布了《患者社群组织如何推动药物研发——全球经验》报告，该报告通过研究分析我国罕见病患者组织参与促进药物研发的现状，结合全球经验，为推动我国患者组织与科研人员及医药产业界在药物研发方面建立合作提供了一份详实、严谨、客观的指导参考意见^[19]。2022年7月6日，国家药品监督管理局药品审评中心（Center for Drug Evaluation, CDE）发布了关于公开征求《组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则（征求意见稿）》意见的通知^[20]，同年11月《组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则（试行）》发布^[21]。《指导原则》指出，在药物研发过程，倾听患者感受，关注患者视角，有助于确保获取来自患者的体验、需求和区分优先级，这些信息可作为临床试验关键质量要素之一，纳入整体药物研发计划；并强调了患者的意见在药物研发的所有阶段都能体现其重要意义和价值。《指导原则》为组织患者参与药物研发工作明确了基本原则、组织工作的各阶段目的、基本因素考虑、组织后工作，以及注意事项，并提供了参考示例等，以指导国内的患者参与药物研发的开展。

在早期开发阶段，目前国内已上市和在研的几款罕见病脊髓性肌萎缩症药物都是患者及患者组织积极倡导并参与的经典案例。在临床研究阶段引入患者参与方面，信达公司程序性细胞死亡蛋白-1（programmed cell death protein 1, PD-

1) 治疗复发自然杀伤细胞/T 细胞淋巴瘤 (natural killer/T-cell lymphoma, NKTL) 的研究就是一个非常好的案例。在这个研究中，淋巴瘤之家首次作为患者组织呼吁发起并全程参与，从试验早期方案设计、入组招募、研究中心选择等，促进了研究快速并成功的完成，也积累了我国患者参与药物研发的宝贵成功经验。与此同时，企业也可通过与患者组织的充分交流与合作，改善患者对疾病治疗和临床试验的认知，提升患者参与临床试验的满意度，以推进全球新药在中国的注册临床申请及上市，加速全球新药中国首发^[22]。

2. 国内政策环境

2.1 国内患者组织及合作的现状

患者组织一词来源于欧美社会广泛存在的 patient organization (PO)，直译过来就是患者组织；类似的还有 patient group (PG，患者团体)，patient community (PC，患者社群)，patient advocacy group (PAG，患者倡导团体) 等^[23]。

我国患者组织起步相对较晚，国内 91% 的罕见病患者组织是在 2010 年以后成立的^[24]。随着患者主体意识的提升，我国患者组织如雨后春笋般发展起来。相关利好政策的相继推出，如 2014 年党的十八届四中全会首次提出“加强社会组织立法，规范和引导各类社会组织健康发展”^[25]，同年《关于促进慈善事业健康发展的指导意见》发布^[26]，2016 年《“健康中国 2030”规划纲要》提出“注重发挥群团组织以及其他社会组织等的作用”，为患者组织在我国的发展提供了良好的制度保障^[27]。

目前我国患者组织尚无统一的定义，且患者组织的分类有待研究。传统的患者组织是指由某一种或一类疾病的患者或家属发起成立，代表和维护患者群体利益，进行患者和家属自助互助的非营利组织。随着患者组织数量和规模的增加，功能定位的扩展，综合性患者组织、由服务提供方建立的患者组织、为中小患者服务的平台型患者组织等非传统患者组织也不断涌现。根据服务对象覆盖范围可将患者组织简单分为三类：一是特定疾病的患者组织，即传统型患者组织，这是目前数量最多的一类患者组织；二是综合性患者组织，即综合性患者权益保护组织，其关注问题广泛，包括医疗健康服务的质量、可及性和医疗健康提供方的反应性等；三是患者组织服务平台，该类组织除了发挥保护患者合法权益的作用外，还对其他形式的患者组织起到支持、培育和保护作用^[23]。

我国患者组织基于服务患者人群的特点和需求开展多维度的患者服务，包括疾病科普、病友服务、公众宣传、药物研发合作、政策倡导推动，以及对更多初创患者组织的孵化扶持等。

2.2 开展“患者为中心”的互动交流应遵守相关的法律、法规及内外部准

则

“患者为中心”的互动交流活动的开展需遵循相应的法律、法规、准则及流程，包括，但不限于：

- ① 通用的：《中华人民共和国宪法》、《中华人民共和国民法典》、《知识产权保护法》等；
- ② 运营相关的：《中华人民共和国广告法》、《中华人民共和国反不正当竞争法》、《中华人民共和国慈善法》、《中华人民共和国公益事业捐赠法》等法律，互联网医疗相关规定，《RDPAC 行业行为准则》，公司相关 SOPs 等
- ③ 数据信息相关的：《中华人民共和国数据安全法》、《中华人民共和国个人信息保护法》、《肖像权》等
- ④ 患者项目可参考的监管部门指导原则：《组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则（试行）》、《以患者为中心的临床试验获益-风险评估技术指导原则（征求意见稿）》、《以患者为中心的临床试验实施技术指导原则（征求意见稿）》、《以患者为中心的临床试验设计技术指导原则（征求意见稿）》等

实际工作中，需要结合每个项目的具体情况进行详细的评估。

三、患者事务和“患者为中心”的互动交流活动基本原则

（一）核心价值观

“患者为中心”是患者事务团队的核心价值。

患者事务团队的终极目标是为患者提供更好的产品和疾病服务，改善患者生活质量及生存质量，延长患者的寿命，最终造福患者。

（二）基本原则

1. 尊重患者意愿与独立性
2. 获得患者知情同意
3. 保护患者隐私
4. 保证患者参与透明度
5. 与患者平等沟通
6. 保守商业秘密
7. 明确责任主体
8. 公正客观
9. 非推广性质
10. 共同发展

（三）职责

1. 企业内部主要职责

内部主要职责包括：

- ① 打造和增强企业内部“患者为中心”的文化，承担对内“患者为中心”理念及价值的倡导与传递；
- ② 参与企业内部患者互动策略的制定，整合企业内部资源制定“患者为中心”的互动交流活动计划；
- ③ 为企业提供患者端的建议与洞察，协助其他部门实现“患者为中心”理念与项目设计的整合等；
- ④ 促进企业“患者为中心”互动交流活动相关流程与文件的建立和完善；确保其负责的“患者为中心”互动交流活动的设计、实施和存档等符合监管与审计的要求。

2. 企业外部主要职责

外部职责主要包括：

- ① 与患者社群/患者组织建立长期稳定的战略合作，树立企业在患者心目中值得信赖的合作伙伴关系；
- ② 与外部合作伙伴密切协作，共同设计“患者为中心”的互动交流互动，并推进项目落地执行；
- ③ 辅助和推动生态圈共建，构建以患者为中心的医疗生态圈。

四、“患者为中心”的互动交流活动的细则

（一）“患者为中心”的互动交流活动的决策树

最初由 Valerie Billingham 在 1998 年萨尔茨堡全球研讨会上提出的 "Nothing about me without me", 已经成为许多患者倡导者的集结号, 并开启了一个不断发展和模式转变的实践, 即“患者为中心”的医护和赋权^[28]。“患者为中心”的互动交流活动的因项目目的、活动发起方、有无直接回报、是否关联企业治疗领域、涉及产品是否已获批或已上市、有无资金支持等多方面情况而各有不同, 需要结合项目实际情况来综合判断。

“患者为中心”的互动交流活动的类型多样, 《白皮书》基于项目的主要目的, 将“患者为中心”的互动交流活动的分成五大类型, 并结合实际工作经验在每种类型下列举了常见的项目种类, 从而构成了“患者为中心”的互动交流活动的决策树(如图 4), 方便项目执行者能快速定位所要开展的项目以及对应的指导建议或参考案例。(此决策树为工作小组经验的总结, 其列举的项目并非穷尽, 实际工作中会存在不被包括的项目, 请结合实际情况再斟酌)。

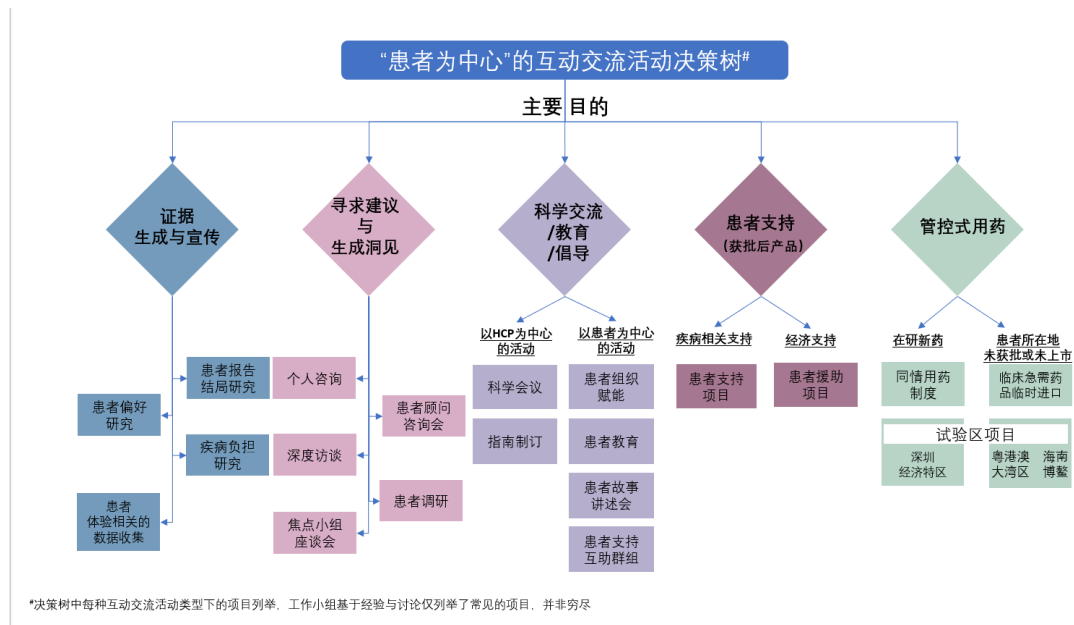


图 4：“患者为中心”的互动交流活动的决策树

（二）理解患者旅程

为了更好地了解患者可能需要的支持, 更好地设计患者互动交流活动的, 需要首先理解患者旅程。患者旅程是指从患者意识到治疗需求, 到治疗需求得到解决之间的时期。对于某些患者, 可能涵盖患者的整个生命, 有些只是一段人生

经历。对于患者旅程，重要的是能从中捕捉所有利益相关者的互动行为，从而对患者经历有 360 度的理解，从中发现未满足的需求，这也是设计患者活动的根本出发点。患者旅程通常可被分为如下四个阶段。（如图 5）



图 5: 患者旅程的四个阶段

1. 意识

在这个阶段，患者首先意识到自己的病情和症状，通常会进行线上检索和教育，向社交媒体或家人或朋友提出问题，并寻求医药专业人士的评估等。

应探讨早期行动和对行为的影响，例如，健康事件的类型、可用的非处方药、信息来源和关于误学或误工的态度。

考虑任何会形成对病情或患者需求的潜在态度的影响，例如文化、家族史或社会污名。

2. 诊断

医疗卫生专业人士（healthcare professional, HCP）根据他们与患者的互动来诊断病情。由谁来执行检测？需要什么设备？检测是如何进行的？为什么要执行特定的诊断步骤？

HCP 对疾病、状况或症状发作的认识不足或缺乏专门培训可能会延迟诊断和/或治疗。

考虑这些因素，以更好地了解可能影响诊断的空白以及可以采取哪些措施来帮助填补这些空白。

3. 治疗

哪些医疗健康指南或标准会影响治疗？HCP 是否遵循公认的指南和标准定义的适当治疗目标？

探索任何影响治疗选择的因素，例如可及性障碍、给药困难、相关的社会

心理问题以及可能影响依从性的因素。

探索治疗最初几天对患者的影响，并考虑处方者提出的治疗计划对患者期望和生活方式考虑的影响，例如，起效、疗效证据、副作用管理和给药或给药困难。

HCP 对疾病的更广泛影响或症状的出现缺乏了解；当前治疗的副作用或给药问题可能导致患者对治疗的期望不切实际，导致依从性变差。

4. 结局

多年来，制药行业一直关注产品的疗效、安全性和耐受性。但是，当我们采取“以患者为中心”的方法时，对大多数患者来说最终重要的是他们的生活质量和体验。当然，疗效、安全性和耐受性对于最佳的患者健康和体验至关重要。为患者创造个性化的服务和体验需要超越制药公司传统的以产品为中心的方法。我们需要采取更全面的方法，通过确定未满足的需求领域并在整个患者旅程中提供具有价值的解决方案来增强患者体验。需要考虑的事项包括：

① 探索影响患者达到最佳结局的任何障碍，并确定减少此类障碍和改善结局的潜在机会。

② 了解任何正在进行的状况监测程序，并考虑是否需要对患者进行教育，如果需要，需要什么类型的教育。

③ 探索治疗变化的触发因素，例如病情进展、不可接受和无法忍受的副作用、依从性差、对特定疗法产生耐药性等，或支持干预措施，例如营养补充剂、助行器、患者教育计划等。

④ 优秀的患者旅程的力量在于结合了定性和定量数据，并为组织执行提供了理想的患者体验。

真正了解患者体验最终还是患者自己，所以一个优秀的患者旅程必须与患者和照护者共同创建。

（三）“患者为中心”的互动交流活动的具体类型

1. 证据生成及交流

此处特指患者参与的其他类型研究，除外传统的评价药物疗效及安全性的临床研究，例如患者报告结局 (patient-reported outcomes, PRO) 研究、患者倾向性研究、患者对相关疾病治疗预期、疾病负担研究、任何患者体验相关的数据收集等。

1.1 患者报告结局研究

定义：指直接来自患者的关于自身健康状况和治疗结果的报告，是一种没有医生或其他人影响所进行的患者自身对疾病或健康状况临床结局的测量^[29]。它包含临床实践中的许多项内容，如健康相关生活质量 (health-related quality of life, HRQoL)、健康状态测量工具、患者满意度和治疗体验、心理困扰、疼痛和自我效能等^[30]。

目的：PRO 从患者的角度，为临床研究和临床实践提供了独特的评价治疗效果指标，越来越受到医生及监管部门的认可及提倡。

1.2 患者倾向性研究

定义：指使用特定的方法，为患者提供真实或假设的治疗选择，试图了解患者对特定治疗和属性的偏好，并探索在治疗的益处和风险上做出权衡。此类研究可以提供三种类型的信息（如表 1）：

表 1：患者倾向性研究提供的信息类型及衡量点

类型	衡量
属性	什么是重要的
相对重要性	有多重要
权衡	患者愿意在利益、危害和其他方面之间做出什么权衡

目的：结合临床指南、患者的偏好为选择治疗方案和定制干预措施提供了方向。患者的偏好也有助于在科学尚未为医疗保健问题提供主导解决方案的临床决策中做出选择。

注意事项：随着患者为中心的药物治疗（Patient-focused Drug Development, PFDD）的理念和实践的不断发展，在药物全生命周期中获取患者体验、见解、需求等数据并将其有效地融入到药物的研发和评价中日益受到重视^[31]。中国国家药监部门也先后发布多个临床指导原则，以推动“以患者为中心”的药物治疗在中国的落地。我们相信此类研究是传统临床研究之外，药物治疗价值的重要补充，将成为医患共同决策的依据。但与此同时，整体上此类项目都涵盖在研究范畴内，相关流程及操作建议相对清晰，须按照药物临床试验管理规范（Good Clinical Practice, GCP）、良好出版管理规范（Good Publication Practice, GPP）等开展，本指导原则不再详述。

2. 寻求患者建议及洞见

患者在疾病及治疗方面的洞见非常具有价值，并且贯穿于整个产品生命周期，从未满足需求的发掘，优化临床研究方案，提供研究招募的建议，构建或验证患者旅程，到患者教育材料的易读性验证等等。为获得上述患者建议及洞见，

可以根据目的、结果的呈现方式（定性或定量）、内外部资源情况等，酌情采用不同活动形式。

2.1 患者顾问咨询会：

定义：与 HCP 咨询顾问会一样，企业可发起或组织针对某些问题向患者的咨询。首先，患者顾问咨询会亦应遵守 HCP 顾问会的通用原则，例如会议地点、会议时长、内外部参会人的数量及职能限制，确保每位参会人员的贡献，会议内容须科学、合理、平衡，不带有推广性质、不良事件（adverse event, AE）/产品技术投诉（Product Technical Complaint, PTC）的上报，会后应有会议记录产生并存档等。同时，患者顾问咨询会还应包括如下内容：

目的：通常会处于以下目的发起患者顾问咨询会，包括但不限于：

- ① 患者对需求的观点
- ② 疾病治疗
- ③ 患者教育材料优化
- ④ 药物可及性
- ⑤ 定义企业和患者群体的共同利益
- ⑥ 完善患者旅程

注意事项：

- ① **参会人：**针对会议目的，能够回答相关问题，提供意见或洞见的人员，可以包含但不限于：
 - 患者本人或家属
 - 疾病照护者
 - 患者组织代表
 - 医疗卫生专业人士（混合顾问咨询会）
- ② **参会人的邀请渠道：**包括但不限于：
 - 患者倡导团体的提名
 - 从患者组织识别患者
 - 来自患者支持项目（Patient Support Program, PSP）的患者
 - HCP 的推荐
 - 非推广性质的社交媒体
 - 患者招募机构/供应商
- ③ **顾问费的支付：**参考本章节第三部分：**报销与报酬**
- ④ **会后跟进：**确保患者和患者倡导者在咨询委员会之后收到跟进和反馈，并附上感谢信，以表达对他们向我们提供建议的感谢，还需与提

供患者顾问的相关患者组织、医疗保健专业人员或试验研究者进行跟进。

2.2 个人咨询：

定义：向个体患者提出的咨询，通常受邀的个体患者应具备代表性，可为患者组织负责人，对于问题的回复能够代表更广泛群体的意见或建议。

目的：针对以下情况可发起个体患者咨询，例如：通常出于针对某些疾病或患者层面问题的初步了解；展开更广泛咨询前的试行等。

注意事项：

优点：操作简单，资源投入少，能较快收集到所需信息。

缺点：个体患者的代表性较差。

2.3 深度访谈：

定义：针对特定主题或话题，由掌握高级访谈技巧的调查员与被访者进行一对一的、有目的性的、深入的问答交流，以获取更为详细全面的信息和见解。

目的：通常用以揭示患者对某一问题的潜在动机、态度和情感。

注意事项：

优点：探讨的话题可以相对较深入、访谈的内容相对较多、能避免公开讨论敏感性的话题或可能引起尴尬的情况。

缺点：对高素质、高层次的患者人群较难成功预约，不能确定所选取的被访者是否具有典型意义。

2.4 焦点小组座谈会

定义：邀请一组具有代表性的参与者，由经过研究训练的调查者主持，采用半结构方式（预先设定部分访谈问题）进行小组讨论，通过参与者们的互动，了解他们真实的看法、态度以及行为等。

目的：通常是深入地了解某一类患者对一种产品、治疗、疾病的看法，例如治疗动机、决策过程、使用态度等。

注意事项：

优点：

- ① 在自由、互相激励的环境下，患者能够畅所欲言
- ② 在互动关系的效应下获得更有深度、广度的信息，尤其对于深层的动机和产品形象的描绘，具有较好的效果

缺点：

- ① 样本量小
- ② 单次访谈的内容相对较少

③ 无法进行数据误差的评估以及数据间的相关分析或推断总体

2.5 患者调研：

定义：通过患者自己填写问卷而进行的一种洞见收集方法。问卷可通过网络送达受访者，也可通过纸质问卷进行，但总体问卷时间不宜过长，问题不宜过多。

目的：通过设计良好的、结构化的问卷，获得患者对于某些问题的想法，结果可支持定性或定量分析。

注意事项：

优势：

- ① 覆盖区域广，可线上线下同时进行
- ② 支持大样本的数据收集，执行成本低
- ③ 执行效率高、速度快

缺点：

- ① 需考虑问卷发送渠道导致的人群偏移
- ② 参与问卷的人群身份难以追踪，所获信息的准确性和真实性难以判断

上述各种形式的患者洞见获取方式都应取得患者的知情同意，患者应被告知所收集的信息会被如何使用，并且知情同意的获得应该在任何实质性的互动之前。

无论采用何种活动形式，确保合适的患者提供了正确的信息是至关重要的，以下建议供参考：

首先，确认参与的患者对表达经历和分享见解感兴趣；

其次，医生对于自己治疗的患者比较熟悉，可以帮助确认某个具体患者是否适合参与活动；

最后，多种渠道可以帮助确认目标患者，例如公司的社交媒体平台，其他组织例如合同研究组织（Contract Research Organization, CRO）、临床机构管理组织（Site Management Organization, SMO）、患者组织等。

3. 患者沟通/教育/倡导类型

3.1 患者参与科学会议

近年来，患者参与科学会议的做法逐渐常见，部分原因来自于患者群体自身的积极倡导，此外更因为患者主动参与自己的疾病管理已被证明对于提升治疗体验、鼓励乐观看待和改善健康结果皆有积极正面的影响。同时其他非患者

的参与者也有机会学习从患者的视角看待与了解疾病对病人及其照顾者带来的社会和人文影响，以及在面对患病过程中出现的各种情况的考虑观点和情感忧虑。

目的：对于患者群体来说，参与这类活动可以让他们更多地了解自己的疾病，从而更好地理解 and 认识自身情况，并赋能自己在健康相关决策过程中所需的疾病知识和坚强信念。此外在参与此类活动的过程中，患者也可以通过与其他患者和更广泛的支持体系成员的互动和联系，建立连结、探寻支持并获得归属感。

患者参与医学会将为所有参加者带来宝贵的互相学习和丰富参会的经验，并体现了各界“以患者为中心”的不断反思和发展的实践，逐渐构成了健康科学生态系统的核心信念。

医学大会

过去，医学会议和医界年会传统上只关注临床医生的观点，较少探索病人的观点或他们独特而有价值的看法。近年来，在这些场合中越来越多地观察到患者的参与，尽管大多数情况下仍是作为辅助角色，例如担任模拟患者支持医事人员的持续学习活动，或者仅仅作为被动参会者。

但这种情况正在发生变化，主要得益于跨学科人士的支持和患者群体的不懈倡导。越来越多的人认为，以更加充实和综合的方式让患者参加会议，可以改变思维定式，为增强医患彼此学习机会和相互丰富的合作伙伴关系打开大门。

患者参与医学会议的积极作用与价值

① 患者的视角

病人不再被视为仅仅是接受治疗或被手术的患病者。他们的亲身经验越来越被认可是深化了解疾病或病症对身体损伤、情绪困扰和社会影响的宝贵信息，并由于这些经验为疾病护理方法的规划、提供和改进带来多层面的见解。

② 协作关系

将患者视为自己疾病旅程和治疗决策的“伙伴”的想法，在十多年前起始于医学界。由有远见的临床医生和有倡导意识的患者领导播下的合作种子已经从治疗扩展到教育和宣传领域。近几十年来，专业运营的 PAG 在某些治疗领域的兴起和随后的稳定建立，使患者的考虑、担忧、偏好和愿望能够通过一致的渠道进行发声，受到医疗界和行业的明确欢迎。这些令人振奋的发展有助于提高患者群体作为其医疗提供者和医药行业合作伙伴的地位，使其处于更公平的地位，并具有协作声量，有助于在所关注的问题上实现重大而有效的改善。

③ 倡议的机会和其影响

科学会议是一个有效的跨角色平台，在此患者倡导者的关键作用可以得到

认可和扩展。更广泛的医疗保健利益相关者群体和患者倡导者之间的密切合作有助于帮助患者及其照护者获得关于其疾病和治疗方案的准确、可靠和及时的信息；除了获得高质量的医疗信息外，患者倡导者通常利用这些机会与其他关键利益相关者实体展开对话，以就建设性的实践转变和有影响力的政策变化进行对话和讨论。

④ 媒体关注

患者参加科学会议也提供了媒体报道的机会。从媒体的角度来看，向社会传播积极的医患关系是一个独特的角度，因为患者倡导者的立场肯定与他们的医生一致。只有患者倡导者才能将治疗的现实和将研究转化为医学会议的需要，因为他们拥有与疾病相关的独特知识和亲身体会^[32]。

患者在医学会议中的角色

患者在医学会议策划中的角色取决于会议的目的、目标受众、举办会议的协会以及会议核心的医学专业。

患者可能的角色包括，但不限于：

- ① 出席者
- ② 会议专题讨论组成员
- ③ 演讲者
- ④ 发表者
- ⑤ 会议筹备组成员
- ⑥ 患者组织的参展者

注意事项：当把患者视为科学会议的核心筹备伙伴，积极承担内容生成或演讲的责任时，必须让患者了解该会议部分的总体目标，同时尊重他们的自由决策权与自主权，由患者决定分享的内容。对于那些不仅仅是与会者的患者讲者，应该视同医师或其他参会讲者，向其充分介绍会议目的和受众，并提供任何必要的流程支持。总的来说，当考虑将医疗专业领域以外的患者纳入规划过程和议程设置时，有必要评估各利益相关方的需求和预期目标，以达成一个合作和价值平衡的决定。

3.2 患者参与临床指南制订

患者参与临床实践指南的制定受到全球多家机构的推荐，包括 NICE、SIGN 和世界卫生组织 (World Health Organization, WHO) 等。针对指南的研究及评估工具也包含了专门针对患者在指南制订过程中参与度评估的特定部分，如指南研究开发和评估 (Appraisal of Guidelines for REsearch & Evaluation II, AGREE II) 工具^[33]。在我国，更新版的《中国制订/修订临床诊疗指南的指导原则（2022

版)》对患者参与临床指南制订有相关的描述^[34]。

目的：关键利益相关者（包括患者和公众）参与指南制订的过程，对于确保指南适用于所有将使用或受其影响的人非常重要。患者和公众参与 (patient and public involvement, PPI) 被广泛认为能提高医疗保健研究和交付的价值和影响，也包括临床指南的制订。

注意事项：国外相关综述发现，一半的临床实践制订都涉及到不同程度的患者参与，且随着时间的推移，有患者参与的指南的数量不断增加^[35]。自 2010 年以来，患者能更早地参与到指南的制订中，在指南规划阶段就加入，并且参与度也更高，作为参与者加入到工作组和咨询委员会。综述指出组织可以考虑从以下五种策略增加患者参与：

- ① 让患者参与制订治疗范围问题
- ② 让患者参与推荐的撰写
- ③ 考虑弱势群体的需求
- ④ 使用患者参与人员进行招募患者参与所有发展阶段
- ⑤ 记录患者的精确贡献

在我国，患者参与临床指南制订也越来越引起重视。更新版的《中国制订/修订临床诊疗指南的指导原则（2022 版）》指出，我国的指南制订过程存在局限性，包括未考虑患者的价值观和偏好，并在指南制订的多个阶段增加的关于患者参与的描述^[34]。（如表 2）

表 2：指南制订各阶段中患者参与

指南制订阶段	患者参与
撰写计划书	患者意愿调研
成立工作组	参与制订指南的人员，应纳入患者代表等
形成推荐意见	同时考虑患者偏好与价值观、公平性和可及性等多方面的因素
撰写和发表	针对患者版本的指南

相关案例：

参见《白皮书》第七章——附件

3.3 患者组织赋能

目标：通过搭建不同发展阶段患者组织之间相互交流和学习的平台，支持患者组织建设科学高效的内部管理体系，加强患者组织专业能力（如何参与临床研究，数据库的设计和搭建等）的提升，探索共享经验模式，为多方合作创

造机会，为中国患者提供更专业的服务和支 持，助力实现健康中国。

注意事项：

- ① 密切关注国内关于患者参与的各项政策以及国际患者参与的最新动态及进展
- ② 关注不同阶段患者组织的发展需求
- ③ 把患者组织需求与公司发展需求有机结合，从而实现长期战略性合作

3.4 患者教育

定义：是指以患者为中心，针对患者而组织的有目标、有计划的教育活动，向患者介绍疾病、检查、治疗方案等知识，以促进患者对疾病的认知、理解、接受和控制，从而改善疾病的状况。患者教育是疾病治疗必要组成部分。

目的：

- ① 通过疾病知识的传播，帮助患者获得完整的健康知识，使患者能对自身疾病有更多的了解，有助于患者建立良好的治疗计划，从而改善患者的疾病状况，减少疾病的并发症；
- ② 通过让患者能够掌握疾病治疗的知识，从而激发患者自我管理和自我治疗的能力，提高患者的病情控制能力。

注意事项：

随着医疗由传统的“医生为中心”发展为“患者为中心”，患者教育的内容也由早期的知识和生物医药基础的建议，发展为尊重和考虑患者的偏好、需求、价值等，满足患者个性化需求的定制化内容。

科技的发展为患者教育提供了更多的可能性。智能手机帮助患者更便捷地接收和查看相关的健康信息；平板电脑可结合视频会议，实现远程健康教育，让患者能够远程咨询专家；网络技术建立患者健康数据库，以实现全面的患者数据管理，为患者健康教育提供有效支持；大数据和人工智能（artificial intelligence, AI）的应用更是质的飞跃，可根据患者的健康数据分析患者的病情，从而更好地开展患者教育，并结合虚拟现实（virtual reality, VR）技术，实现虚拟病房，让患者以虚拟的形式参与治疗，从而更好地理解疾病；还可建立智能知识库，为患者提供个性化的健康知识和护理服务。以 ChatGPT（Chat Generative Pre-trained Transformer, 生成型预训练变换模型）3.0 为例，作为一种基于聊天机器人技术的话术模型，可以实现智能话术的自动生成。ChatGPT 3.0 将其在患者教育领域可发挥的作用归纳如下：1. 实现智能患者自助服务，从而为患者提供及时的咨询服务，提高患者教育的效率；2. 根据患者的健康数据，建立患者个性化模型，以智能话术的形式，回答患者的提问，为患者提供个性化的健康咨询；3. 根据患者的健康数据，智能追踪患者的病情，定期发送提醒

信息，以确保患者遵循医嘱；提醒患者注意休息，保持良好的生活习惯等，从而更好地改善患者的病情，等。

3.5 患者故事讲述会

目标：所有医疗保健决策者和行业相关者皆认识到，患者的经历自述可以为讨论增加独特得价值，此为数据所不能。

注意事项：虽然数据的价值是无可争议的，但讲述患者故事的艺术却很少被讨论。部分原因是由于人们理解患者的经验应得到尊重，而不是像政策辩论那样被质疑或检视。还有一个普遍认识是不应挑剔患者的话语或曲解他们的谈话和分享。每一位患者都是对自己的疾病、治疗以及管理疾病所需知识的专家。

然而，越来越需要认识到情况的复杂性——FDA 会议、政策论坛、保险支付讨论、立法思辩——患者皆被邀请讲述自己的故事和疾病管理旅程。

多年来，行业对患者经历自述的重视和应用已经超越了单纯的营销参与，使其逐渐在具有关键的商业行动中发挥重要的影响力，例如策略制定、项目革新和创新患者参与。

3.6 患者支持互助群组

患者互助支持群组将正在经历或经历过类似经历的人聚集在一起。例如，这种共同点可能是癌症、慢性疾病、罕见病、成瘾、丧亲之痛或护理。

目标：互助支持群组为人们提供了一个机会来分享个人经验和感受、应对策略或有关疾病或治疗的第一手资料。

对许多人来说，与健康有关的支持团体可以填补医疗和情感支持需求之间的空白。一个人与医生或其他医务人员的关系可能无法提供足够的情感支持，而一个人的家人和朋友可能不理解疾病或治疗的影响，一个有共同经历的人组成的支持小组可以作为医疗和情感需求之间的桥梁。

注意事项：行业支持口碑良好的患者互助支持团体的机制通常是通过无限制条款的教育基金。明确界定的行业资助的目的和界限意味着任何提供资助的商业实体都必须尊重接受资助的实体的运作和决策的独立性，并且商业实体在任何情况下都不得对其施加影响。

4. 患者支持项目

患者支持项目价值：

放眼全球，人民健康已经处于世界发展议程的中心位置，成为衡量经济社会发展和人民幸福的重要标尺。受医药学科发展等多种因素影响，针对恶性肿瘤、罕见病等重大疾病的治疗成本高昂，而中国面临人口老龄化加速，慢性病、

重大疾病患者数量愈发庞大。如何对慢性病、重大疾病患者进行管理、保障和援助，是每个国家都需要面对的重要议题。我国在“全民医保”的基本医疗保障基础上，通过联合政府、行业学/协会、企业、医疗卫生专业机构，在患者的疾病管理上进行援助，从而帮助更多患者受益，为实现健康中国 2030 的目标助力。

定义：

患者支持项目（Patient Support Program, PSP）：是指支持患者使用公司产品治疗计划的项目，包括但不限于对疾病管理的支持（如患者依从性、疾病的认知和教育），用于帮助改善患者健康状况。

患者援助项目（Patient Assistance Program, PAP）：是指慈善组织依据慈善理念统筹、管理、设计和运营，并用公益的方法和原则，将企业基于慈善目的自愿无偿提供的药品和/或资金，捐赠给需要的患者，帮助其获得药物或资金的一种活动。

复合型患者项目（Combined Patient Program, CPP）：是指至少包含了一个 PSP 和一个 PAP 项目元素的患者项目。

PSP, PAP 与 CPP 的对比描述（如图 6）

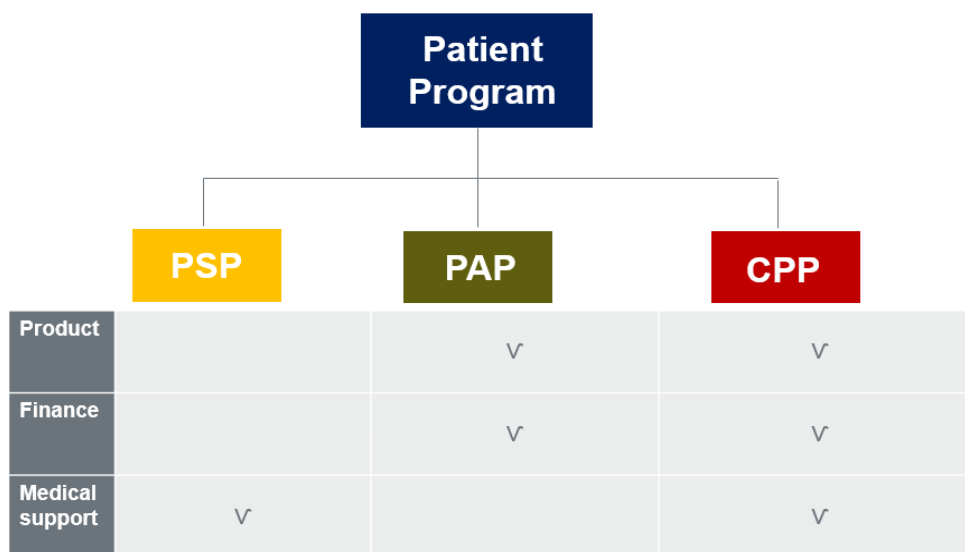


图 6：PSP、PAP 与 CPP 的对比

活动目的

患者支持或者援助项目是以改善患者疾病管理结果或者援助患者疾病管理为目的的一系列项目/活动。这些项目/活动的开展也必须始终符合最高的伦理标准、适用于中国的法律法规以及国际法规。

注意事项

项目总体原则

- ① 患者支持/援助项目不得以意图推动制药企业产品处方为目的

- 以满足目标患者群体未被满足的需求为目的开展
 - 不得用于评估制药企业产品的疗效与安全性为目的
 - 必须遵守中国的法律法规和行业规范（包括但不限于数据隐私、药品安全报告等相关法律条款）
 - 应是经过所在制药企业审批部门审批的，包括但不限于法务、合规、医学、药物警戒等部门以保证项目的科学性
- ② 项目参与方相关
- 患者参与项目应在患者知情并签署患者知情同意书之后
 - 对患者的资助请遵循所在制药企业的政策。当向患者团体提供支持时，必须由各方签署书面协议，协议应包括但不限于概述目标，公司与患者团体/患者的角色，以及相关的任何信息（如财务，非财务）
 - 参与项目的 HCP 不得以推荐患者参与项目而获得酬劳
 - 服务提供方应为经注册的第三方供应商（比如具有相关资质的专门机构或有组织的线上社会团体或医疗卫生机构/医学及科学协会）
- ③ 数据保护相关
- 处理的数据应与项目目的相关，并有恰当的收集理由。指导原则应该是只按照需求的最低限度收集个人数据，并建议在互动交流之前确定数据的收集及其使用目的，符合《个人信息保护法》和国际上相关的法律法规
 - 在进行个人数据的收集之前，任何患者都应被充分告知并明示同意所收集资料的目的和预期使用
 - 收集到的数据应该仍然可以由有限数量的相关人员在一段时间内访问，该段时间需基于项目所需时间以及当地法律法规的要求
 - 患者支持/援助项目应遵照药物警戒规定进行上报和存档
 - 数据的归档时间不应超过满足数据收集目的的必要期限，具体以每个项目目的和性质为准

相关案例：

参见《白皮书》第七章节——附件

5. 管控式用药

管控式用药 (Managed Access Program, MAP)：在全球很多国家和地区，MAP 是一种为满足临床急需患者的药品可及而建立起的机制，为患者提供一条使用在研新药或本地未获批或未上市药械的新路径，旨在解决患者急难病情，拯救生命。MAP 使得符合条件的患者可以以 MAP 方式有条件地使用未在本国

获批的治疗方案^[36]。

国外有管控式用药政策的国家或地区，MAP 的名称与形式不尽相同，但他们的共同特征是：① 针对未上市药品；② 临床急需；③ 用于临床试验以外的患者，例如，美国 EA (Expanded Access)^[37]；法国 EAP (Early Access Programs)^[38]；加拿大 SAP (Special Access Programs)^[39]；欧盟 CUP (Compassionate Use Programmes) 和 NPPs (Named Patient Programmes)^[40]；澳大利亚 SAS (Special Access Scheme) 和 AP (Authorized Prescriber) 等^[41]。在我国，相关同情用药的法律法规也正在逐步建立和完善。2017 年，原食品药品监管总局药品审评中心组织起草了《拓展性同情使用临床试验用药物管理办法》（征求意见稿）^[42]；2019 年，新修订的《中华人民共和国药品管理法》第二十三条规定：正在开展临床试验的用于治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病的药物，经医学观察可能获益，并且符合伦理原则的，经审查、知情同意后，可以在开展临床试验的机构内用于其他病情相同的患者；第二十六条对治疗严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病以及公共卫生方面急需的药品，药物临床试验已有数据显示疗效并能预测其临床价值的，可以附条件批准，并在药品注册证书中载明相关事项^[43]；2020 年 11 月 25 日，国家市场监督管理总局、国家药监局、国家发展改革委等 8 部门印发《粤港澳大湾区药品医疗器械监管创新发展工作方案》（下称《方案》），提出到 2022 年，将基本建立粤港澳大湾区内地医疗机构使用港澳上市药品医疗器械的体制机制，到 2035 年将建成全国医药产业创新发展示范区和宜居宜业宜游的国际一流湾区^[44]。2021 年 6 月 29 日，国家卫生健康委、国家药监局联合发布《临床急需药品临时进口工作方案》，进一步完善药品供应保障政策，满足群众特定临床急需药品需求^[45]。同时，海南博鳌也相继出台了地区政策，例如博鳌模式经特殊审批后，可使大陆患者最快在博鳌用上在海外上市一个月左右的新药^[46]；2023 年 1 月 6 日《深圳经济特区细胞和基因产业促进条例》公布，拟于今年 3 月 1 日正式实施^[47]。该《条例》进一步细化细胞和基因药物拓展性临床试验用药制度，规定开展细胞和基因药物拓展性临床试验的，应当已经完成支持新药品上市注册的临床试验阶段，药物注册申请人已经向国家药品监督管理部门提交上市许可申请，并按照国家规定申请开展拓展性临床试验且获得批准，以提升药品的可及性和安全性，推动了我国拓展性临床试验用药制度落地。

国内在管控式用药方面已取得成功经验供大家参考，从 2019 年米托坦片的临时进口的一次性采购到 2022 年氯巴占的临床急需药品临时进口（如图 7）。

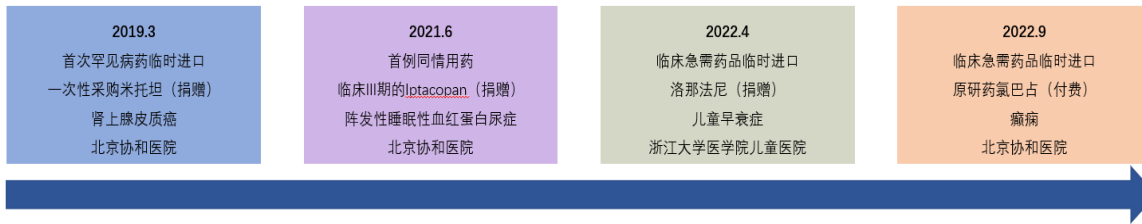


图 7：国内管控式用药成功经验

相关案例描述请参见《白皮书》第七章节——附件。基于前期针对工作组成员所在公司的调研，发现各家针对 MAP 均有比较完善的全球性及地方性规章制度与标准流程，具体项目的申请和执行应遵循国际和当地相关法律法规的要求，并结合企业自身规章制度与标准流程。

6. 其他形式

企业可以以志愿者/义工团形式与患者组织互动：企业会通过组织开展志愿者/义工团等形式，参与社会活动，践行企业的社会责任。一方面，响应患者组织的倡导，发挥医药/械企业的特长；另一方面，企业可以通过组织开展与患者组织的互动，增进企业对患者组织及患者的了解，促进企业“患者为中心”文化的建立和宣传。企业组织开展此类活动须遵循各企业相关 SOPs 以及互动患者组织的相关规定与准则。

（四）报销与报酬

在开展“患者为中心”的互动交流活动中，可能会有患者个人、患者权益代表或患者组织向公司提供服务，例如演讲或咨询服务等。全球咨询过程表明行业和学生已准备好接受与制药公司互动的患者相关报酬的全球原则。

国际上已有相当的组织、机构发布的与患者互动相关的指南或指导规范中对患者报酬的原则进行了描述。包括 2018 年 10 月，欧洲癌症患者倡导网络工作组 (Workgroup of European Cancer Patient Advocacy Networks, WECAN) 在更新版的《Guiding Principles on Reasonable Agreements between Patient Advocates and Pharmaceutical Companies》中规范了患者报酬和差旅报销的指导原则^[48]。

（如表 3）

表 3: WECAM 《Guiding Principles on Reasonable Agreements between Patient Advocates and Pharmaceutical Companies》提出的与患者报酬与差旅报销的指导原则

9 条原则	
<ul style="list-style-type: none"> • 按照公平市场价格报酬 • 体现总的投入时间 • 尊重拒绝报酬的权力 • 尽可能提供合作伙伴的选择 • 应该包括合理的差旅费用 	<ul style="list-style-type: none"> • 长飞行距离需要更高级的飞机舱位 • 应包括合理的三程公务差旅费用 • 应允许多日宣传职责的中途停留 • 30 天内完成付款

2019 年 6 月，患者组织代表和研发型制药行业与欧洲制药工业和协会联合会 (European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations, EFPIA) 的患者智库共同制定了《Working Together with Patients. Principles for Remunerating Patients, Patient Organization Representatives & Careers for Work Undertaken with the Pharmaceutical Industry》，旨在为支付报酬提供原则和客观的标准。该《原则》强调患者和制药行业之间适当和有效的合作有可能共同创造和共同开发更好的健康结果。合作必须基于适用于任何合作服务的 4 条一般原则和 8 条基本原则^[49]（如表 4）。

表 4: EFPIA 《Working Together with Patients. Principles for Remunerating Patients, Patient Organization Representatives & Careers for Work Undertaken with the Pharmaceutical Industry》

提出的为患者支付报酬的一般原则与基本原则

4 条一般原则	8 条基本原则
<ul style="list-style-type: none"> • 合法需求的确定 • 所需服务的定义 • 书面协议的签署 • 可交付成果接收 	<ul style="list-style-type: none"> • 有权获得公平的报酬 • 无歧视 • 尊重 • 非推广 • 透明 • 付款合适 • 一致性 • 有权拒绝报酬

2020 年 2 月，国际制药商协会联合（International Federation of Pharmaceutical Manufacturers and Associations, IFPMA）在更新版《IFPMA Note for Guidance on Fees for Services (2020 update)》中也提出了多条有助于确保服务费用安排符合要求的标准，并确保相关信息可供评估提案使用^[50, 51]。

近年来，行业和患者更多关注在解决如何确定公允合理的报酬。美国国家健康委员会 (National Health Council, NHC) 发布了最新的《Principles for Compensating Patients for Patient Engagement Activities》^[52]，并基于提出的公平市场价（fair market value, FMV）需要考虑的多个相关患者互动的因素，例如患者参与类型、一般报酬、行政/后勤、时间承诺、差旅和报销注意事项等，开发了线上 FMV 计算器，并提供了配套使用指导、在线培训等方便参考和应用。（详见图 8）

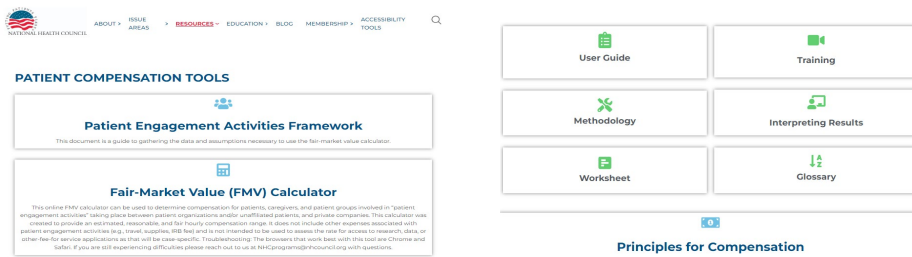


图 8：美国国家健康委员会患者报酬工具页面截图（Patient Compensation Tools - National Health Council）

PFMD (Patient Focused Medicines Development) 是一个非营利性的合作倡议组织，旨在与患者一起设计以患者为中心的医疗系统，促进患者和健康利益相关者双向受益。由 PFMD 开发的患者互动指引工具集，PEM (Patient Engagement Management) Suite，发布了《Global Principles for remunerating the patient community for interactions with the pharmaceutical industry》后^[53]，其相关方法学的《Global Remuneration and Methodology & Frameworks》正在筹备中，并计划在今年推出配套的《Global Fair Remuneration Digital Tool》，届时将为患者公平市场报酬提供更多可参考的内容。（如图 9）

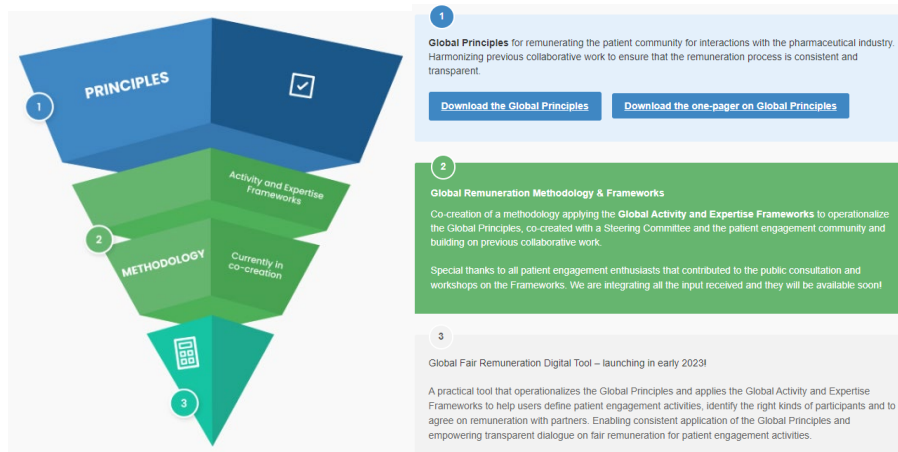


图 9：PEM Suite 患者报酬全球原则、方法学及公允报酬数字工具

我国当前尚缺乏患者服务报酬相关的指南或规范。通过对工作小组成员的调研发现，仅个别企业有全球范围使用的患者服务相关报酬的 SOPs 和 FMV 计算器，但尚缺乏本地应用经验。

《白皮书》认为企业开展“患者为中心”的互动交流活动中原则上需为患者提供相应的补偿，具体需要基于患者的经验与实际贡献等给患者支付合理的报酬作为劳务补偿。具体支付方案，需经多方共同商议，包括患者组织、患者代表、企业等，并结合我国实际情况，达成一致。

（五）与患者、患者权益代表和患者组织的沟通

以患者为中心是医疗保健的核心价值。为了持续在行业内倡议“以患者为

中心”的文化，行业同行越来越有兴趣更好地了解让患者成为真正合作伙伴的过程，并专注于将患者置于所有行动和决策的中心。

由医疗沟通研究所（Institute for Healthcare Communication, IHC）首创的 E4 沟通模式 (E4 Model of Communication)^[54]，已成为纳入各医疗学科的患者沟通模式之一^[55]。该模式不仅概述了促进临床医生与患者互动经验的原则，而且为建设性的沟通循环铺平了道路，在这个过程中，临床医生参与者会逐渐熟练掌握医疗沟通技巧，并适应患者的需求和关注。因此，值得业界人士探索 E4 沟通模式，并思考如何将“以患者为中心”的沟通原则逐一推导出来，以优化业界与患者群体之间的沟通。

E1: 与患者互动 (Engage with patients): 正如非语言线索在面对面的互动中对传达一个人的精神状态起着至关重要的作用一样，在了解患者偏好和经验的沟通方式中，非书面渠道也占了很大的比重。在此方面，行业有各种工具可供采取，从客观的社会倾听 (social listening) 到探索患者偏好和优先事项的研究项目，而这些患者参与工作的核心是探索和倾听患者的声音——即每位患者对于疾病的独特经历与感受。

E2: 与患者共情 (Empathize with patients): 共情包括关怀和同理。科学证据表明，共情沟通可提高患者满意度、依从性和健康结局。

E3: 教育患者 (Educate patients): 患者教育构成了行业指导下的患者沟通努力的大部分。事实上，这样的教育接触，如果进行得恰当有效，对双方都有益处，因为充分的患者教育旨在处理患者的困惑、误解甚至疏忽，而所有这些不佳的患者心境都被证明极可能导致依从性低落、不良后果、患者不满或其他与治疗相关的风险。有效的患者教育措施通过加强病人的自我效能能力和技能来增强他们的能力，进一步助力患者明智决策的能力。

E4: 争取患者成为合作伙伴 (Enlist patients as partners): 对患者真实想法的深入探索是在医疗从业人员和其他相关合作伙伴（如行业）的投入和支持下实现患者为中心目标的基础。由此产生的医患共同决策存在于具有相同目标的伙伴之间，表现为合作而非指令，这是提高患者自主参与和实现最佳健康结果的关键。

1. 信息的性质

大量研究表明，当患者获得适当、量身定制和及时的健康相关信息时，他们更有可能与医护人员建立信任、关系和信心，进而遵循其提供的健康信息与建议^[56, 57]。最终，“以患者为中心”的有效沟通的目标不仅仅是传递疾病知识和治疗信息，还应该有助于促进患者的积极性，鼓励患者在自己的健康追求中发挥主导作用，并助力患者在围绕其健康和福祉的议题上做出明智的决定。

结合患者教育方面的学术研究和来自一线医疗工作者实践的见解，

“PATIENT”原则提供了以患者群体和更广泛的公众都能接受的方式分享健康信息的指南^[58]。

特制优化(Personalized): 应努力了解目标患者群体的信息需求和偏好，并以此制作内容深度、呈现方式和发布渠道皆适宜的沟通材料。以同理、关怀和尊重的态度进行沟通，并认识到文化敏感性和潜在的沟通障碍。

明确表达(Articulate): 以合乎逻辑的方式呈现患者沟通的内容，预先宣布关键点，并善用格式对比强调重点，确保将较长的内容分解为逻辑上易理解的小部分，并配备适当的分层、文意简明的结构和吸引人的视觉设计。应适时加入图表，以提高清晰度并帮助信息吸收。

及时更新(Timely): 随着信息越来越容易获取，并且几乎不断通过互联网更新，患者寻求并期望获得最新信息以帮助决策。

实用信息(Informative): 教育材料的设计应以患者为中心，用清晰、简单、平实的语言书写，避免使用术语、技术词汇或具有多种含义的词语（例如，监控 (surveillance)、进展 (progression)、积极/消极 (positive/ negative)）。认识到阅读数字、风险和某些科学或数学概念给患者带来的认知负荷^[59]。

吸引关注(Engaging): 当以文字为主的信息伴随着音频讲述时，人们通常吸收得更好，互动也会增加参与度并保持参与者兴趣。建议以一系列吸引人的形式提供内容，包括视听部分或互动功能，让患者代表参与到共同创作过程中，并收集用户反馈，确保在内容开发中掌握患者的考虑和观点。

启发行动(Next-step): 如果建议不能推动行动，它的价值就会被削弱。为病人提供与他们健康息息相关且简明扼要的行动指南，无论是诊断性的还是治疗性的，都会大大提升沟通工作的效果。清楚地描述采取行动的好处，以强化患者对自身状况的掌握和自主意识。

善用科技(Technology): 应尝试以多种形式（如文本、视频、音频、动画或图像）提供信息，以适应不同的学习方式。通过与目标受众的可及性和熟悉程度相一致的渠道提供内容，媒体渠道和社会媒体不应该被完全回避，可考虑利用于进行大众宣导或倡议。

2. 信息的内容

专门为非专业人士撰写的医疗和治疗信息应该简明扼要，结构逻辑清晰，并考虑到目标受众的健康素养水平。健康素养，又或称“健康识能”或“健康知能”，被广泛定义为认知和社会技能，这些技能决定了个人获得、理解和使用信息和服务的动机和能力，从而促进和保持良好健康，并为健康相关的决策和行动提供依据^[60, 61]。

健康素养是催化和转变患者沟通的关键措施。健康素养的培养将使患者更加了解和参与有关治疗方案的讨论，并更可能遵循药物的最佳使用和提高依从

性。着眼于健康素养能够给个人和社会带来的积极影响，行业应将提高健康素养作为一项势在必行的战略。

个人了解健康相关信息并据此做出明智决定的能力可以进一步从两个方面进行阐述：**健康识能 (health literacy)** 和**健康数能 (health numeracy)**。

2.1 健康识能

当人们接受信息时，他们会根据自己的文化水平、原有的倾向和潜在偏误来处理 and 解释信息。因此，在向受众传达科学或医学信息时，必须考虑和解决这些因素。

以下列出了医疗情境中常见的公众倾向和偏见^[62]：

- ✓ **对专家的期望和不确定性带来的挑战：**大多数非专业人士希望有经验和资历的专家能够提供明确的、规范性的信息。不了解科学方法的非专业人士无视支撑健全科学的动态和迭代机制，如假设测试、自我修正和逐步优化，如果新的可用证据表明情况与以前的理解有偏差，他们会很快感到沮丧或不认可。
- ✓ **代表性偏差：**人们有时可以利用他们对物体类别的隐性知识和刻板印象来对物体本身做出判断。
- ✓ **锚定调整偏差：**人们往往被他们看到或想到的第一个数字所“锚定”；他们随后做出的任何调整都会受到这个初始值或“锚”的强烈影响。
- ✓ **相关性表示因果关系：**人们有一种强烈的倾向，认为如果两类事件是相关的，那么其中一件必定由另一件所导致。

2.2 健康数能

- ✓ 健康数能与个人对定量信息的理解和执行健康相关算术处理的能力有关。日常生活单位的转换、营养计算、症状导向剂量调整和对风险的理解都属于健康数能的范畴。
- ✓ 患者沟通的原则(the PATIENT principles)有助于对抗日常信息解释和数据处理中普遍存在的固有倾向和偏见。除了采用患者沟通的最佳做法外，了解和预测可能混淆或甚至破坏沟通尝试的认知障碍和情绪波动的来源类型也是至关重要的。顽固偏见的存在会严重损害对原本无害或中性信息的解释；因此，至关重要的是，沟通者要认识到易产生偏见倾向的沟通环境。
- ✓ 通过承诺向患者和护理人员提供健康信息，以最大程度地理解和知情选择，该行业可以帮助确保患者能够从医疗突破中受益，并实现最佳健康结果。

3. 信息的表现形式

无论沟通何种渠道（网站、应用程序或社交媒体等），面向患者的健康信息通常以下列三种形式产生：

- ① **文本型的书面材料：**例如，知情同意书、使用说明、患者版药品说明书等
- ② **动态制作：**例如，动画、视频、其他互动型产出等
- ③ **图像：**例如，图文教具 (visual aids), 信息图卡，全息图等

健康素养是一个不断发展的概念，与健康的整个过程相关，包括从预防保健到疾病筛查工作、医疗服务的提供、药品和药物信息的获取、日常疾病管理、疾病随访等。通过确保信息不仅是可获得的，而且是可理解的和启发行动的，行业各组织将公平地助力个人能够肩负自己的健康塑造和福祉实现。

4. 审批

对于行业而言，落实与患者和患者组织互动对于实现为患者提供治疗的商业目的至关重要，这些治疗可以显著改善患者的生活。行业成员致力于以承认并帮助解决患者独特需求和挑战的方式与患者和患者组织接触。此外，行业以相互建设性的共同目标对待患者和患者组织的参与，以获得患者的洞见，并促进患者及其照护者的权益。

一般而言，在审查和批准所有患者导向的沟通时，应遵守以下指导原则：

- 遵守法律、公司政策和程序以及行业标准
- 相互尊重与各自独立
- 利益冲突检视、申报或回避
- 透明

病人沟通是“以患者为中心”的医疗服务的最前沿。有效的患者沟通是一个支柱，围绕这个支柱，“以患者为中心”的照护精神使这些有价值的目标得以实现：引出患者对疾病的看法，了解患者的社会心理环境，并根据患者的价值观达成共同的治疗目标^[63]。

正如医疗保健体系已经适应并成长为接受“以患者为中心”的沟通作为健康管理的久经考验的措施一样，作为医疗保健生态系统的一部分，制药行业也越来越认识到与患者群体进行对话的前所未有的机会，在新兴的直接接触渠道和逐渐活跃的角色推动下，患者被赋予了在自己的医疗旅程中承担责任的权力。

五、患者个人信息保护

合理的患者个人信息的收集、储存、访问、使用以及患者知情同意应全面遵守我国的个人数据保护相关法律和法规要求，必须获得负责机构的授权。

收集的数据必须与项目目的相关，并有恰当的收集理由，指导原则应该是按照需求的最低限度收集。

应当在互动交流之前确定数据的收集及其使用目的，符合个人数据收集的地方性和国际性法律和法规。

在进行个人数据的收集之前，任何患者都应被充分告知并明示同意所收集资料的目的和预期使用。避免患者对我们收集数据或使用数据的方式不知情或者未予以事先同意。

应当控制数据收集，公司内部使用和访问的需求，以确保数据的正确使用和充分安全。

六、结语

本《白皮书》是国内首部企业与患者开展互动交流活动的白皮书，吸取了在患者项目开展比较有经验的头部企业的精华，借鉴了国际其他组织机构的指导原则和规范等，但不可避免地存在很多的不足。伴随整个《白皮书》的诞生，工作小组发现，除了在部分具体内容上存在讨论与争议外，也看到了各公司在项目开展中的不同操作模式，以及在患者这个主题上探索的广度和深度的不一致性，但各公司都在探索，并深信“患者为中心”这个方向的正确性。相信随着时间的推移以及经验的不断丰富，必将推动行业《白皮书》内容的不断完善、深入和精进，更好地为行业开展“患者为中心”的互动交流活动提供指导和参考，对我国“患者为中心”的医疗行业积极的影响。

RDPAC 医学患者事务工作组成员（按拼音顺序）：

潘晓颖 罗氏医学沟通与患者合作肿瘤领域负责人
沈爱玲 赛诺菲资深患者解决方案经理
石丹妮 辉瑞中国罕见病医学部负责人
徐晴波 辉瑞中国医学患者事务顾问
赵 静 拜耳患者参与交流总监
周丽雯 赛诺菲患者解决方案经理
钟 铮 赛诺菲医学部患者事务和医学运营及效率负责人

特别指导（按拼音顺序）：

曹峻洋 辉瑞全球生物制药商业集团中国区首席医学事务官&副总裁
谷成明 赛诺菲大中华区医学部负责人
李 滨 罗氏中国医学部和个体化医疗副总裁
李 瑶 拜耳副总裁&医学部负责人

七、附件

(一) 术语与缩写

缩写	全称	中文
AE	adverse event	不良事件
AGREE II	Appraisal of Guidelines for REsearch and Evaluation II	指南研究开发和评估
AI	artificial intelligence	人工智能
AP	Authorized Prescriber	
CDE	Center for Drug Evaluation	国家药品监督管理局药品审评中心
ChatGPT	Chat Generative Pre-trained Transformer	生成型预训练变换模型
CHMP	Committee for Medicinal Products for Human Use	人用医药产品委员会 (欧洲药品监督局)
CORD	Chinese Organization for Rare Disorders	蔻德罕见病中心
CPP	Combined Patient Program	复合型的患者项目
CRO	Contract Research Organization	合同研究组织
CTTI	Clinical Trials Transformation Initiative	临床试验转型计划
CU	Compassionate Use	同情用药制度
CUP	Compassionate Use Programme	同情用药计划
DCE	discrete choice experiment	离散选择实验
EA	Expanded Access	
EAP	Expanded Access Program	
EAMS	Early Access to Medicines Scheme	药物早期可及计划
EFPIA	European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations	欧洲制药工业和协会联合会
EMA	European Medicines Agency	欧洲药品监督局
EU	Expanded Use	拓展性使用
FDA	U.S. Food and Drug Administration	美国食品药品监督管理局
FMV	fair market value	公平市场价
GCP	Good Clinical Practice	药物临床试验管理规范
GPP	Good Publication Practice	良好发表惯例
HCP	healthcare professional	医疗卫生专业人士
HRQoL	health-related quality of life	健康相关生活质量
ICH	International Council for Harmonization of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use	国际人用药品注册技术协调会
IFPMA	International Federation of Pharmaceutical Manufacturers and Associations	国际制药商协会联合会
IHC	Institute for Healthcare Communication	医疗沟通研究所
MAP	Managed Access Program	管控式用药
MDT	multidisciplinary team	多学科团队
NEJM	New England Journal of Medicine	新英格兰医学杂志
NHC	National Health Council	美国国家健康委员会
NICE	National Institute for Health and Care Excellence	英国国家卫生与临床优化研究所
NKTL	natural killer/T-cell lymphoma	自然杀伤细胞/T细胞淋巴瘤
nmCRPC	non-metastatic castration-resistant prostate cancer	非转移性去势抵抗性前列腺癌
NPP	Named Patient Programme	命名患者用药计划
OS	overall survival	总生存率
PAG	patient advocacy group	患者倡导团体
PAP	Patient Assistance Program	患者援助项目
PD-1	programmed cell death protein 1	程序性细胞死亡蛋白-1
PEM Suite	Patient Engagement Management Suite	

PES	Patient Engagement Synapse	
PFDD	Patient-focused Drug Development	患者为中心的药物治疗
PNH	Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria	阵发性睡眠性血红蛋白尿症
PPI	patient and public involvement	患者和公众参与
PRO	patient-reported outcome	患者报告结局研究
PSP	Patient Support Program	患者支持项目
PTC	Product Technical Complaint	产品技术投诉
RDPAC	R&D-based Pharmaceutical Association Committee	中国外商投资企业协会药品研制和开发工作委员会
SAS	Special Access Scheme	
SIGN	Scottish Intercollegiate Guidelines Network	苏格兰学院间指南网络
SMA	Spinal muscular atrophy	脊髓性肌萎缩症
SMO	Site Management Organization	临床机构管理组织
SOP	Standard Operating Procedure	标准作业程序
VR	virtual reality	虚拟现实
WECAN	Workgroup of European Cancer Patient Advocacy Networks	欧洲癌症患者倡导网络工作组
WHO	World Health Organization	世界卫生组织

（二）参考案例

1. 患者倾向性研究

患者倾向性研究：在肿瘤领域，总生存率（overall survival, OS）通常被认为是最重要的治疗目标，是评价不同治疗方案的重要指标，也是医生方案选择的重要考虑因素，但对于患者最关注的治疗目标是否也是 OS，或者患者对 OS 的关注程度研究较少。一项横断面研究，对来自中国 10 个城市的 86 名非转移性去势抵抗性前列腺癌 (non-metastatic castration-resistant prostate cancer, nmCRPC) 患者和 87 名照护者进行了线上离散选择实验（discrete choice experiment, DCE）调查。结果表明：在众多属性中，患者最看重严重骨折、严重跌倒和意识障碍，延长生存仅排第四位。患者甚至愿意付出 15.9 个月的 OS，以减少严重骨折的发生。有意思的是，通过相同的研究方法询问医生，医生看重的属性排序为：延长生存、严重骨折、严重跌倒和延迟疼痛。由此可见，在治疗目标的设定上，患者和医生有可能出现不一致，而一个优秀的治疗方案应该兼顾医患双方的需求^[64]。

2. 患者参与临床指南的产生

由膝关节炎运动治疗临床实践指南编写组于 2020 年发表在中国医学杂志的《膝关节炎运动治疗临床实践指南》。该指南项目注册于 2017 年，指南制定过程在面会讨论会和文献检索基础上，引入了对 84 例膝关节炎患者进行面对面访谈和问卷调查的患者偏好调查，并结合证据质量、可行性以及患者偏好对指南中具体推荐进行匿名投票达成共识，例如推荐的运动频率，疼痛管理，以

及随访时间等^[65]。

3. PAP-脊活新生-脊髓性肌萎缩症患者援助项目

脊髓性肌萎缩症（spinal muscular atrophy, SMA）又称脊肌萎缩（以下简称“SMA”），是一种罕见的遗传性神经肌肉疾病，可导致运动功能丧失和呼吸衰竭。对于两岁以下的婴幼儿，SMA 是头号遗传病杀手，平均每 6,000 至 1 万名新生儿中就有一名会患上 SMA，目前我国约有 3 万到 5 万名 SMA 患者。2019 年 2 月，首个 SMA 治疗药物诺西那生钠注射液通过优先审评审批程序在中国获批，但因其单只 70 万元的高昂定价及别国的差异化价格问题引发争议，引发了广泛的社会讨论。其实，诺西那生钠注射液在美国的售价也高达 80 万人民币，但是经过医保体系报销后，个人的自付部分的费用仅 200 元。然而在中国，如果将首年药费 400 万的诺西那生钠纳入医保，需要占用近 8,000 位居民的医保缴费。医保基金取之于民，用之于民，要尽可能照顾更多人群，如果一味将高价药纳入医保，则可能因为为医保体系带来较大负担而无法真正需要帮助的人群，有违医保设立的初衷。因此，为解决因家庭经济原因无法承担诺西那生钠注射液治疗费用的民生问题，帮助其获得规范化治疗，减轻生活负担，2019 年 5 月 31 日中国初级卫生保健基金会联合渤健公司设立的“脊活新生-脊髓性肌萎缩症 SMA 患者援助项目”（以下简称“脊活新生”）正式启动。该项目在渤健公司的支持下，为新患者在负荷剂量年度内提供最多 1（评估）+5 瓶西那生钠注射液，为维持剂量治疗阶段的患者，在 12 个月内为其援助最多 1（评估）+2 盒诺西那生钠注射液。通过该患者援助项目，患者年个体治疗费用得到大幅降低，患者第一年个体治疗费用由 400 万元约降至约 266 万元，捐赠比例超过 30%。之后的治疗疗程每年个体治疗费用由 200 万元降至约 100 万元，相当于约一半的药品费用由企业无偿捐赠^[66]。

4. PSP-Yi 路有你-白求恩·免疫相关疾病患者教育项目

在中国，免疫相关疾病的发病率高，类型多样，诊断和治疗过程复杂。免疫疾病的发病机制复杂，有可能会累及到其他器官，比如肾脏、骨骼、皮肤等，一部分肾脏受累患者甚至会发展至终末期肾脏病，患者仅能通过透析或移植来维持生存。免疫相关的疾病如果不能及时发现，有效控制，后果会非常严重，甚至会危害生命。因此，基于免疫疾病发病、诊断以及治疗的复杂性，疾病管理的重要性对于免疫相关疾病的患者教育十分有必要。2021 年北京白求恩公益基金会开展了“Yi 路有你-白求恩·免疫相关疾病患者教育项目”一期，针对免疫相关疾病患者进行线上线下患教科普活动，吸引众多患者参与，使患者更方便地与医生进行疾病相关知识的沟通、交流，帮助患者了解更多疾病知识、药物使用注意事项等信息，为患者提供了实际的所需和帮助。为使更多免疫相关疾

病患者受益，北京白求恩公益基金会于 2022 年 3 至 5 月继续开展“Yi 路有你-白求恩·免疫相关疾病患者教育项目。本项目以线上与线下相结合形式，在全国 75 家医院开展患者教育系列活动，会议主题包括疾病介绍和治疗、日常生活管理，疾病护理，长期规范治疗的重要性等。项目计划开展 230 场“健康讲堂”小型线下患教会议，每场会议 20 分钟以上，且每场不少 10 位患者。项目参与医院医生在患教活动平台注册，申请会议。通过“小溪关爱”微信公众号为患者提供值得信赖的网上健康科普信息。每月发布 2 篇高质量微信公众号推送，内容包括免疫疾病领域相关资讯、康复相关信息以及项目相关信息。项目计划开展 12 场“医生面对面”线上患教会议，使患者能更方便的和医生进行线上交流，帮助患者了解疾病知识、药物使用注意事项等信息，为患者提供所需的帮助^[67]。

5. 管控式用药

5.1 Iptacopan 同情用药案例：

2021 年 3 月 23 日，阵发性睡眠性血红蛋白尿症 (paroxysmal nocturnal hemoglobinuria, PNH) 同情用药想法萌生。经过两个多月来多方不懈努力，完成了同情用药的多学科团队 (multidisciplinary team, MDT) 会诊讨论、患者知情同意、同情用药申请、伦理审批和同情用药申报等流程；6 月 11 日，药品从瑞士寄出；北京海关 13 日晚加班清关直至深夜；14 日上午 10 点，药物已从海关运出，并做完消杀，向北京协和医院奔赴而来；当天患者张女士通过拓展性同情使用临床试验用药的方式，申请到新药 Iptacopan 的使用。该药还处于三期临床试验阶段^[68]。

5.2 氯巴占作为临床急需药品临时进口案例：

2021 年 12 月 6 日，齐鲁晚报对氯巴占事件进行报道，引发社会广泛关注；2022 年 3 月 29 日，国家卫健委发布《临床急需药品临时进口工作方案》和《氯巴占临时进口工作方案》公开征求意见的公告，向全社会公开征求意见；6 月 29 日，国家药品监督管理局发布《关于印发〈临床急需药品临时进口工作方案〉和〈氯巴占临时进口工作方案〉的通知》，明确将由北京协和医院牵头，联合全国各省市自治区共 50 家医院共同向国家药监局发起氯巴占原研药临时进口申请；在国家卫健委、国家药监局，氯巴占厂家等多方努力下，9 月 22 日，作为临床急需药品临时进口的原研药-氯巴占在北京协和医院开出全国第一张处方^[69]。

(三) 参考文献

- [1] 中国外商投资企业协会药品研制和开发工作委员会 (RDPAC). RDPAC 行业行为准则(2022 年修订版) [Available from: <http://www.rdpac.org/index.php?r=site%2Fresource>.
- [2] Ioannou P, Foster DL, Sander JW, Dupont S, Gil-Nagel A, Drogon O'Flaherty E, et al. The burden of epilepsy and unmet need in people with focal seizures. *Brain Behav.* 2022;12(9):e2589.
- [3] Cheng Q, Xu B, Ng MSN, Duan Y, So KW. Effectiveness of psychoeducational interventions among caregivers of patients with cancer: A systematic review and meta-analysis. *Int J Nurs Stud.* 2022;127:104162.
- [4] Vreman RA, Heikkinen I, Schuurman A, Sapede C, Garcia JL, Hedberg N, et al. Unmet Medical Need: An Introduction to Definitions and Stakeholder Perceptions. *Value Health.* 2019;22(11):1275-82.
- [5] Wee LX, Tan PST, Chen HC. Experiences and Needs of Families Caring for Children and Adolescents With Chronic Kidney Disease: A meta-Synthesis. *J Pediatr Nurs.* 2022;63:52-63.
- [6] Hart NH, Crawford-Williams F, Crichton M, Yee J, Smith TJ, Koczwara B, et al. Unmet supportive care needs of people with advanced cancer and their caregivers: A systematic scoping review. *Crit Rev Oncol Hematol.* 2022;176:103728.
- [7] Molassiotis A, Wang M. Understanding and Supporting Informal Cancer Caregivers. *Curr Treat Options Oncol.* 2022;23(4):494-513.
- [8] Chan FHF, Lin X, Griva K, Subramaniam M, Celic I, Tudor Car L. Information needs and sources of information among people with depression and anxiety: a scoping review. *BMC Psychiatry.* 2022;22(1):502.
- [9] Silverberg JI, Feldman SR, Smith Begolka W, Johnson MB, Stanojev C, DiBonaventura M, et al. Patient perspectives of atopic dermatitis: comparative analysis of terminology in social media and scientific literature, identified by a systematic literature review. *J Eur Acad Dermatol Venereol.* 2022;36(11):1980-90.
- [10] Breen LJ, Huseini T, Same A, Peddle-McIntyre CJ, Lee YCG. Living with mesothelioma: A systematic review of patient and caregiver psychosocial support needs. *Patient Educ Couns.* 2022;105(7):1904-16.
- [11] Landscape Overview: Patient Engagement Synapse; 2023 [Available from: <https://patientengagement.synapseconnect.org/reports/landscape-overview>.
- [12] FDA Patient-Focused Drug Development Guidance Series for Enhancing the Incorporation of the Patient's Voice in Medical Product Development and Regulatory Decision Making: U.S. Food & Drug Administration; [updated April 6, 2023. Available from: <https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/fda-patient-focused-drug-development-guidance-series-enhancing-incorporation-patients-voice-medical>.
- [13] Chalasani M, Vaidya P, Mullin T. Enhancing the incorporation of the patient's voice in drug development and evaluation. *Res Involv Engagem.* 2018;4:10.
- [14] Patient Engagement Collaborative: U.S. Food & Drug Administration; 2023 [updated May 17, 2023. Available from: <https://www.fda.gov/patients/learn-about-fda-patient-engagement/patient-engagement-collaborative>.
- [15] Cavaller-Bellaubi M, Faulkner SD, Teixeira B, Boudes M, Molero E, Brooke N, et al. Sustaining Meaningful Patient Engagement Across the Lifecycle of Medicines: A Roadmap for Action. *Ther Innov Regul Sci.* 2021;55(5):936-53.
- [16] ICH reflection paper - proposed ICH guideline work to advance Patient Focused Drug Development (PFDD) Domenico Scarlattilaan 6, 1083 HS Amsterdam, The Netherlands [updated 24 June 2021. Available from: https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/ich-reflection-paper-proposed-ich-guideline-work-advance-patient-focused-drug-development-pfdd_en.pdf.
- [17] 辉瑞中国医学部, 艾昆纬 (IQVIA) 中国. 中国医药行业“患者为中心”理念指导下项目开展(获批后)现状调研报告 [updated August 26, 2022. Available from: https://mp.weixin.qq.com/s?_biz=MzI4MTU2OTEyNQ==&mid=2247529024&idx=2&sn=7d4b41c6125ba04044b27e3705a7e55d&chksm=e5a5004adcd2895c7f42590796f409e6615af6bd9f0b4933f630f1b50e7884129366963333ec&scene=27.
- [18] 吴云. 药物全生命周期中的患者参与: 以患者为中心的行业实践. 1 ed: 科学技术文献出版社; 2023 2023-04-01.
- [19] 蔻德罕见病中心 (CORD). 患者社群组织如何推动药物研发—全球经验. 第八届中国罕见病高峰论坛 September 20, 2019.

- [20] 国家药品监督管理局药品审评中心. 组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则(征求意见稿) [updated 2022年 7 月 6 日 Available from: <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/2981a587ba89aa3368130ac1565fb04f>.
- [21] 国家药品监督管理局药品审评中心. 国家药监局药审中心关于发布《组织患者参与药物研发的一般考虑指导原则（试行）》的通告（2022年第46号） [updated 2022年11月21日 Available from: <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/41c7a683e4d0dcca28bccadc47096d2a>.
- [22] 李潇潇. 摸着石头过河的中国患者组织：从渡已到渡人：澎湃新闻；May 13, 2022 [Available from: https://www.thepaper.cn/newsDetail_forward_18071647.
- [23] 齐文安, 肖月. 患者组织发展任重道远[J]. 英国医学杂志中文版. 2020;10:585-8.
- [24] 肖磊. 患者组织在罕见病和孤儿药研发中的作用[J]. 国际药学研究杂志. 2017;44(2):209-14.
- [25] 肖鹏. 人民日报论法：推进社会组织立法 2015 [updated 2015年01月28日19版. Available from: <http://opinion.people.com.cn/n/2015/0128/c1003-26464179.html>.
- [26] 国务院印发《关于促进慈善事业健康发展的指导意见》 [updated 2014-12-18. Available from: https://www.gov.cn/xinwen/2014-12/18/content_2793569.htm.
- [27] 中共中央 国务院印发《“健康中国 2030”规划纲要》 [updated 2016-10-25. Available from: https://www.gov.cn/zhengce/2016-10/25/content_5124174.htm.
- [28] Barry MJ, Edgman-Levitan S. Shared decision making--pinnacle of patient-centered care. N Engl J Med. 2012;366(9):780-1.
- [29] Focus Area: Patient-Reported Outcomes and other Clinical Outcome Assessments: U.S. Food & Drug Administration; [updated September 6, 2022. Available from: [https://www.fda.gov/science-research/focus-areas-regulatory-science-report/focus-area-patient-reported-outcomes-and-other-clinical-outcome-assessments#:~:text=Patient%2Dreported%20outcomes%20\(PROs\)%3A,such%20as%20a%20pain%20scale](https://www.fda.gov/science-research/focus-areas-regulatory-science-report/focus-area-patient-reported-outcomes-and-other-clinical-outcome-assessments#:~:text=Patient%2Dreported%20outcomes%20(PROs)%3A,such%20as%20a%20pain%20scale).
- [30] 刘砚燕、陈如男、姚静静等. 患者报告结局的国内外研究进展. 现代预防医学. 2013;40(12):2268-71.
- [31] Patient Perspectives Must Meaningfully Inform Healthcare Value Measurement: Innovation and Value Initiative; 2018 [updated November 23, 2018. Available from: <https://www.ajmc.com/view/patient-perspectives-must-meaningfully-inform-healthcare-value-measurement>.
- [32] Apostolidis K. The evolving role of patient advocates at medical congresses December 12, 2014 [Available from: <https://pharmaphorum.com/views-and-analysis/the-evolving-role-of-patient-advocates-at-medical-congresses>.
- [33] Appraisal of Guidelines for REsearch and Evaluation II: AGREE II Instrument The AGREE Next Steps Consortium; May 2009 [updated September 2013. Available from: http://www.agreetrust.org/wp-content/uploads/2013/10/AGREE-II-Users-Manual-and-23-item-Instrument_2009_UPDATE_2013.pdf.
- [34] 陈耀龙、杨克虎、王小钦等. 中国制订/修订临床诊疗指南的指导原则（2022版） [J]. 中华医学杂志. 2022;102(10):697-703.
- [35] Zhao G, Kennedy C, Mabaya G, Okrainec K, Kiran T. Patient engagement in the development of best practices for transitions from hospital to home: a scoping review. BMJ Open. 2019;9(8):e029693.
- [36] Charting the Managed Access Program Landscape: ICON; [Available from: <https://www.iconplc.com/insights/patient-centricity/charting-the-managed-access-program/>.
- [37] Expanded Access | Keywords, Definitions, and Resources: U.S. Food & Drug Administration; 2022 [updated November 14, 2022. Available from: <https://www.fda.gov/news-events/expanded-access/expanded-access-keywords-definitions-and-resources>.
- [38] Authorisation for early access to medicinal products: HAS assessment doctrine: Haute Autorité de Santé (HAS); 17 June 2021 [Available from: https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2021-08/authorisation_for_early_access_to_medicinal_products_has_assessment_doctrine.pdf.
- [39] Health Canada's special access programs: Overview: Health Canada; [updated 2023-02-15. Available from: <https://www.canada.ca/en/health-canada/services/drugs-health-products/special-access.html>.
- [40] GUIDELINE ON COMPASSIONATE USE OF MEDICINAL PRODUCTS, PURSUANT TO ARTICLE 83 OF REGULATION (EC) No 726/2004: Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP), European Medicines Agency; 19 July 2007 [Available from: <https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural->

guideline/guideline-compassionate-use-medicinal-products-pursuant-article-83-regulation-ec-no-726/2004_en.pdf.

- [41] Special Access Scheme (SAS) and Authorised Prescriber (AP): Department of Health and Aged Care, Commonwealth of Australia; [Available from: <https://www.tga.gov.au/products/unapproved-therapeutic-goods/special-access-scheme-sas-and-authorised-prescriber-ap>].
- [42] 国家食药监总局: 公开征求拓展性同情使用临床试验用药物管理办法(征求意见稿)意见: 中国经济网 2017 [Available from: <http://finance.china.com.cn/roll/20171220/4480110.shtml>].
- [43] 中华人民共和国药品管理法: 国家药品监督管理局; 2019-08-26 [Available from: https://www.gov.cn/xinwen/2019-08/26/content_5424780.htm].
- [44] 《粤港澳大湾区药品医疗器械监管创新发展工作方案》印发 内地 9 市可有条件使用港澳上市药品及医疗器械: 广东省人民政府; 2020-11-26 [Available from: http://www.gd.gov.cn/zwgk/zcjd/gnzcscd/content/post_3135084.html].
- [45] 临床急需药品临时进口工作方案: 国家卫生健康委 国家药品监督管理局; 2022 年 06 月 23 日 [Available from: https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/2022-06/30/content_5698580.htm].
- [46] 海南自由贸易港博鳌乐城国际医疗旅游先行区: 海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区管理局; [Available from: <http://www.lecityhn.com>].
- [47] 深圳市人民代表大会常务委员会. 深圳市第七届人民代表大会常务委员会公告(第八十二号) 2023 年 1 月 6 日 [Available from: http://www.szrd.gov.cn/rdlv/chwgg/content/post_930935.html].
- [48] Guiding Principles on Reasonable Agreements between Patient Advocates and Pharmaceutical Companies 23 October 2018 [Available from: https://wecanadvocate.eu/wp-content/uploads/2019/03/Guiding-Principles_final-document6.2_clean.pdf].
- [49] Principles for Remunerating Patients, Patient Organisation Representatives & Carers for Work Undertaken with the Pharmaceutical Industry: EFPIA Patient Think Tank; June 2019 [Available from: https://www.efpia.eu/media/413114/workingtogetherwithpatients_patient-remuneration-principles.pdf].
- [50] IFPMA. IFPMA Note for Guidance on Patient and Patient Organization Interactions January 31, 2020 [updated March 16, 2020. Available from: <https://www.ifpma.org/publications/ifpma-note-for-guidance-on-patient-and-patient-organization-interactions/>].
- [51] IFPMA. IFPMA Note for Guidance on Fees for Services (2020 update) January 24, 2020 [updated February 4, 2020. Available from: <https://www.ifpma.org/publications/ifpma-note-for-guidance-on-fees-for-services-2020-update/>].
- [52] Principles for Compensating Patients for Patient Engagement Activities: National Health Council; Updated June 2021 [Available from: https://nationalhealthcouncil.org/wp-content/uploads/2021/06/NHC-_FMV_Patient-Engagement-Compensation_Principles-final_.pdf].
- [53] Global Principles for remunerating the patient community for interactions with the pharmaceutical industry: PFMD Patient Engagement Management Suite; 2022 [Available from: https://pemsuite.org/wp-content/uploads/2022/02/PFMD_Global-Principles-for-remunerating-the-patient-community-for-interactions-with-the-pharmaceutical-industry.pdf].
- [54] Keller VF, Carroll JG. A new model for physician-patient communication. *Patient Educ Couns.* 1994;23(2):131-40.
- [55] Tongue JR, Epps HR, Forese LL. Communication skills. *Instr Course Lect.* 2005;54:3-9.
- [56] Paterick TE, Patel N, Tajik AJ, Chandrasekaran K. Improving health outcomes through patient education and partnerships with patients. *Proc (Bayl Univ Med Cent).* 2017;30(1):112-3.
- [57] Cutilli CC. Excellence in Patient Education: Evidence-Based Education that "Sticks" and Improves Patient Outcomes. *Nurs Clin North Am.* 2020;55(2):267-82.
- [58] Tang PC, Newcomb C. Informing patients: a guide for providing patient health information. *J Am Med Inform Assoc.* 1998;5(6):563-70.
- [59] Everyday Words for Public Health Communication: Centers for Disease Control and Prevention; 2016 [Available from: <https://www.cdc.gov/other/pdf/everydaywordsforpublichealthcommunication.pdf>].
- [60] Health Literacy in Healthy People 2030: Healthy People 2030; [Available from: <https://health.gov/healthypeople/priority-areas/health-literacy-healthy-people-2030#:~:text=Health%20literacy%20is%20a%20central%20focus%20of%20Healthy,this%20video%20to%20learn>].

%20more%20about%20health%20literacy%3A.

- [61] How do the principles of Clear Health Communication apply to written communication? : Pfizer; [Available from: <https://www.pfizer.com/health/literacy/healthcare-professionals/clear-health-communication>.
- [62] Making Data Talk: A Workbook: National Institutes of Health; [Available from: <https://www.cancer.gov/publications/health-communication/making-data-talk.pdf>.
- [63] Hashim MJ. Patient-Centered Communication: Basic Skills. Am Fam Physician. 2017;95(1):29-34.
- [64] Luo JD GX, Xie LP. Preferences for Non-metastatic Castration-Resistant Prostate Cancer Treatments: A Discrete Choice Experiment Among Patient and Caregiver in China. 42nd Congress of the Société Internationale d'Urologie Montreal, Canada2022.
- [65] 膝骨关节炎运动治疗临床实践指南编写组. 膝骨关节炎运动治疗临床实践指南[J]. 中华医学杂志. 2020;100(15):1123-9.
- [66] 中国患者援助联盟、德勤中国. 2021 年中国患者援助年鉴 2021 年 11 月 1 日 [Available from: <https://www2.deloitte.com/cn/zh/pages/life-sciences-and-healthcare/articles/yearbook-of-patient-assistance-2021.html>.
- [67] 北京白求恩公益基金会. Yi 路有你-白求恩·免疫相关疾病患者教育项目 2021 [Available from: <https://www.bjqejh.org.cn/mobile.xmshow?mid=83&id=105>.
- [68] 陈明雁. 北京协和医院携手中国罕见病联盟用行动践行人民至上 2022 年 11 月 28 日 [Available from: <https://paper.pumch.cn/content/2022-11/28/002955.html>.
- [69] 王璐、陈明雁. 协和开出难治性癫痫药物氯巴占国内首方 2022 年 10 月 17 日 [Available from: <https://paper.pumch.cn/content/2022-10/17/002868.html>.