



## 药物经济学的成本-效用分析

蒯丽萍, 张 钧(第二军医大学药学院, 上海 200433)

中图分类号: R956

文献标识码: B

文章编号: 1006-0111(2005)05-0316-05

随着疾病谱的改变, 心脑血管疾病、肿瘤等慢性病取代传染病成为人类健康的大敌, 这类疾病往往不能根治, 患者又不会在短期内死亡, 一般需要长期的治疗以控制病情的发展, 不仅造成个人的痛苦和经济损失, 更耗费大量的社会卫生资源<sup>[1]</sup>。现代医学发展日新月异, 但对慢性病的治疗仍然对策有限, 这给医学技术评估提出新的问题: 评价治疗效果应当以何为标准? 如何在不同的治疗手段中选择最佳方案? 如何从全社会角度评价治疗效果的经济性? 为此, 经济学领域在以上社会背景和需求下产生了新的评价卫生干预措施的研究方法——成本-效用分析(Cost-utility analysis, CUA)。

成本-效用分析出现于20世纪80年代后期, 目前已成为国外药物经济学研究的热点并日益受到政府医疗卫生部门的关注, 如澳大利亚在本国的药物经济学评价指南中提出<sup>[2]</sup>, 在进行药物经济学评价方法的选择时, 政府提倡用成本-效用分析, 同时, 政府部门参考专家意见, 公布认可的健康指标及成本-效用比值作为决策依据(即成本-效用比值低于某一参数时, 该种药品可以列入政府医疗保险目录)。

成本-效用分析的结果与生命质量密切相关, 它在成本测算及效果评价指标的计算中注意到了病人对生活质量的关注, 采用效用函数变化, 即常用单位是生命质量调整年(quality adjusted life years QALY), 因此在结果评价上比其他药物经济学方法更具有现实意义, 符合卫生保健和药学保健的要求。

成本-效用分析常用于评价那些延长生命但伴有严重不良反应的医疗方案(如癌症病人的治疗方案), 只降低发病率而不是死亡率的医疗方案(如关节炎的治疗方案)。由于效用指标较难量化, 例如, 不同疾病影响病人生活的不同方面, 通用的生活质量指标不能反映疾病的特殊性, 还有不同社会及个人对生命的价值观存在差异等, 因此, 药物经济学研究界对于如何合理应用成本-效用分析尚有争议。

### 1 成本-效用分析的定义和运用时机

#### 1.1 定义 成本-效用分析是评价医疗保健服务功

效的一种经济学方法。它是一种把生命数量和质量的结果加以综合研究, 比较项目投入成本量和经质量调整的健康效益产出量的经济学评价方法。可以说, 它是一种特殊形式的成本-效果分析, 因为在成本-效用分析中, 效果量度就是效用或偏好调整的结果。但是, 与成本-效果分析不同, 成本-效用分析在评价结果时, 不仅分析有关的货币成本, 而且分析病人因不舒适或功能改变或满意度变化所增加的成本。例如, 在成本-效果分析中, 对于肿瘤病人接受化学治疗而产生的副作用(血细胞减少、呕吐等), 则要计算处理这些副作用而花费的治疗成本。但如对此方案进行成本-效用分析, 则不仅要考虑增加的治疗成本, 同时还要计算这些副作用对病人生命质量产生的不良影响。显然, 成本-效用分析更全面、更真实地反映了成本与结果之间的关系。

#### 1.2 运用时机 Drummond 等人提出最适合使用成本效用分析的几种情况<sup>[4]</sup>。

1.2.1 当生命质量是研究的重要结果时。例如, 当比较不同方案对病人的死亡率没有明显的作用(如慢性风湿性关节炎), 而对病人生命质量(生理功能、社会功能和心理功能等方面)产生潜在的影响时。

1.2.2 当生命质量是研究的某项重要结果时, 如心肌梗死或癌症的治疗, 不仅死亡率是一种重要的结果, 而且被挽救的病人(康复程度不同)的生命质量也是一项重要的结果。

1.2.3 当治疗方案不仅影响病人的患病率而且影响死亡率, 研究人员希望结合两种结果进行分析时。如雌激素治疗妇女绝经期症状, 不仅可以改善患者生命质量(如消除绝经期综合征所致的不适感), 也可减少某些情况下(如心脏病)的死亡率, 但可能增加其他情况(如子宫内膜癌)的死亡率。

### 2 效用的概念与度量单位

2.1 效用的概念 效用(utility)是经济学及心理学上的概念。它是指人们对一个特殊结果的一种选择和偏好(preference)<sup>[5]</sup>, 换一种角度来说, 它是指产

品或服务满足人们欲望和需要的能力和程度<sup>[6]</sup>。所以,效用是人自身的一种主观评价。在药物的治疗过程中,会对病人的身体、生理、精神产生作用,引起病人疾病状况的恶化、改善或治愈,病人在用药前后也会产生不同的主客观感受。所以,效用也指药物治疗和服务满足人们对一种特定健康状况的期望和偏好程度。效用往往受两类因素的影响:一类是药物使用后的客观指标,如血压、呼吸、心率等,它直接影响效用的大小和方向;另一类是使用药物后,病人的主观感受,如症状减轻、疼痛消失、功能改善、精神好转等。在实际操作过程中,药物的效用可以用健康效用来衡量。健康效用是健康状况处于某一水平或有所改善时的值,按照社会 and 个体偏好程度来量度。通常健康效用是一个相对值,即社会成员处于各种健康状态时的相应值,可以通过效用量度来确定。

## 2.2 效用的度量单位

**2.2.1 生命质量的效用值**是反映个体健康状况的综合指数,取值范围在 0~1 之间,如以理想的健康状况表示为 1,死亡表示为 0,非健康状态(疾病所致的不良影响)的效用值可表示为 0~1 之间的一个数值,如果健康状况比死亡还糟,则给予一个负值,如植物人。效用测量是通过完全健康和死亡状况的假定,让评价者在健康标尺作出权重,以效用表示偏好。

**2.2.2 生命质量调整年**可以将生命的质量和数量结合在一起,作为效用的量度单位。生命质量调整年是指用健康满意的生活年数来衡量病人实际的生命年数,例如,病人由于疾病或残疾造成生活痛苦,活过 1 年的时间可能仅相当于完全健康人的生活 1 年的一半,即半年。这就是人们通过自己的价值观念给生命估值。生命质量调整年已在成本效用分析中作为评价指标而应用,它通过患者的生活质量的效用测量获得某一健康状况下的效用值,用来计算生命质量调整年。计算公式表达为:获得的 QALYS = 健康改进的生活质量效用值 × 健康改善的维持时间 × 健康改善的人群数量。

## 3 效用的评价方法

**3.1 评价标尺法 (rating scale, RS)** 评价标尺法可以画成不同的样式:①以一条线作为标尺,将标尺分为几个距离相等的小格,最低标点处的小格表示最理想的健康状态,而最高处表示最不理想的健康状态(当然反之亦可)。比较典型的是答卷者读了一个病例的情况,按十分制打分,0 分表示死亡,10 分表示无症状的健康状况。②画一个温度计,以温

度代表健康状态。③在同一行上画上 9 个大小相同的面孔,并保持眼部相同,只是改变嘴的形状,使其由最悲伤状态逐渐改变到最高兴的状态。

**3.2 量值评估法 (magnitude estimation, ME)** 此方法主要是让评价人比较两种健康状态的理想程度,即比较两个状态中哪个更糟或更好。但在比较过程中必须表明一个状态比另一个状态差多少。在量值评估中,一个特定的状态被选为标准,指定一个特殊的数值,然后其他状态相对于标准进行打分。例如,假定标准状态数值是 10,如果一个状态被认为只有标准的一半,那么该状态就打 5 分;如果这个状态高于标准的 2 倍,那么该状态就打 20 分。最后根据评价对象,将所有答卷者的打分都标准成为一个常用尺度,用几何平均数进行合计。

**3.3 标准博弈法 (standard gamble, SG)** 该方法一般是给评价人提供两种可选择的方案。第一方案的实施能够产生两种结果:①通过治疗,病人得到康复并健康地生存一定的年限(概率为 P);②但若是治疗无效病人会立即死亡(概率为 1-P)。第二个方案:没有治愈的可能性,但此方案能百分之百保证病人在某种健康状态(如残疾状态,定义为 M 状态)下生存若干年。研究人员不断地改变前面讲的概率值(P)值,并且让评价人在两种选择中挑选其一,直到评价人选择两种方案的倾向性相等为止,此时得到的 P 值即为 M 状态的希望值。例如,如果评价人认为 P=0.65 时,选择第一方案和选择第二方案没有差别,那么某种健康状态的效用就是 0.65。

**3.4 时间权衡法 (time trade-off, TTO)** 此为标准概率法的替代方法。该法给评价人两种选择指标:生命时间和健康状态。此方法有一个基本假设,即若只能在两种方案的选择的条件下,为了改善自己的健康状态,人们宁愿牺牲掉剩下的生命年限中的一部分。评价人一般给定两种可能的结果;一种为健康地生存 X 年后立即死亡,另一种则为在某种状态(如某种残疾,称为 M 状态)下生存 Y 年后死亡,这里 Y>X。不断地改变 X 值,直到评价人认为两种选择方案的倾向性相等为止,此时求得的 X/Y 值即为 M 状态的希望值。时间权衡法说明:在某种残疾的情况下生存,不如生命缩短若干年而过正常健康人生活的一种偏好。

**3.5 人数权衡法 (person trade-off, PTO)** 该法需要评价人回答如下问题:“现在患有疾病 A 的有 X 人,患有疾病 B 的有 Y 人”,由于某种条件的限制(如时间、医药人员、药品、医疗器械等),你只能解决其中的一组,请问应该解救那一组?“我们可以改变 X 和 Y 值,直到解救两组的愿望相等,X/Y 值

即为疾病 A 相当于疾病 B 的希望值”。该法为选择决策提供了信息。

**3.6 健康测量量表 (instruments)** 是目前评价健康效用最常用的方法之一。一个完善的健康测量量表应符合世界卫生组织关于“健康不仅仅是没有疾病或虚弱,而是身心健康和社会幸福的总体状态”的健康概念。因此,健康测量量表应包括与健康有关的各个方面,如身体状况、精神状况、社会交往状况、个人对自己健康状况的总体感受等。然而,在成本-效用分析中,主要分析研究的是药物治疗对人健康的影响。因此,健康测量量表应集中于与药物治疗有关的、影响疾病的主要问题。实践中需要分别设计不同的量表,常用的量表分为两类:通用量表和专用量表。通用量表包含与健康有关的一般状况;专用量表包含与特定疾病有关的影响健康的特殊情况。测量量表根据研究的目的不同,可由医生填写,也可由病人填写。目的是客观、准确地反映因药物治疗而引起的生命质量的变化。

上述几种方法所求到的结果不尽相同。在阅读发表的文章或进行药物经济学研究时,应明确所用的方法。不同的社会及个人对生命的价值评价不同,于是研究所用的评价人(数据来源)对结果影响较大。另外,医药人员在应用分析结果时也应该考虑不同社会对生命价值的差异。

#### 4 成本-效用比

治疗方案之间的评价通过成本效用比(cost utility ratio, CUR)或增量成本效用比率(incremental cost utility ratio, ICUR)来判定。CUR 表示方案每获得一个单位的生命质量调整年所消耗的或增加的成本量。 $CUR = \text{成本} / \text{效用}$  (单位:元/QALY)。

在很多情况下,如不采用增量成本效果分析或考虑空白方案就进行决策,有时会产生误导,需要应用 ICUR 指标。例如,假设有 I、II、III 三种药物治疗方案, I 方案成本投入 100 000 元,获得 10QALYS, II 方案成本投入 120 000 元,获得 11QALYS, III 方案成本投入 135 000 元,获得 12QALYS。

如果上述三个方案是独立的被选方案,从方案的成本效用比值看, I 方案被认为最优。但假设原来有一个 I 方案的前提下,而且决策者认为只要每获得 1QALY 成本不高于 20 000 元,便可以增加成本的投入。此时,考虑实施 II 方案或 III 方案,结果的比较就不同了。不考虑增量成本效用比,仅从 II、III 两个方案独立的成本效用比看,一般会认为 II 方案 10 909 元/QALY 优于 III 方案 11 250 元/QALY;然而

考虑增量成本效用比, II 方案比 I 方案多获得 1QALY,需要多投入 20 000 元,还是值得的; III 方案比 I 方案多获得 1QALY,需要多投入 17 500 元,而且 III 方案比 II 方案多获得 1QALY,也仅需要多投入 15 000 元,同样也是值得的。因此,决策者如果能追加投资, II、III 两个方案中应选择方案 III 实施而不是方案 II。

ICUR 的计算公式为:

$$ICUR = \frac{A \text{ 药物成本} - B \text{ 药物成本}}{A \text{ 药物效用} - B \text{ 药物效用}} \quad (\text{单位:元/QALY})$$

#### 5 成本-效用分析的基本步骤

**5.1 提出问题并确立研究者的角度** 在成本-效益分析和成本-效果分析的介绍中已经提到,对于同一个问题,研究人员的研究角度不同,就有可能采取不同的研究方法,同时,即使采用同一种方法得出的结果,也可能由于研究的出发点不同而作出不同的决策。因此,研究者必须确立观察问题的角度,以便确定合适的研究方法。通常来说,成本-效用以病人为中心,首先考虑的是药物治疗方案是否对病人的健康有利,其次从社会的角度出发,看哪种方案更合理,更适合广大的病患使用。与其他药物经济学研究方法一样,成本-效用分析解决的是医疗或药学保健中的实际问题,例如某种药物对病人的生命质量影响有多大,成本是多少,对不同的人群治疗结果是否相同等等。因此,在开展研究之前,因确立本次研究需要解决的问题。

**5.2 收集相关资料并确定研究方案** 为了确立研究目标及实施方法,必须收集相关资料,如果已有类似的研究,可参考其结果。信息与资料通常散在各地,有时甚至相互矛盾,因此不可直接用到研究中来,必须通过综合和分析,这样才可以获得有关方法学的信息及可用的数据。例如,某种药物的不良反应发生率,对于某种疾病的治愈率等等,都可以用于决策分析和敏感性分析。在参考国外现成的研究方法及数据时,必须考虑我国的国情,因为各国的物质生活条件和风俗习惯有很大的差异,人们对生活质量的认知也有明显的区别。

**5.3 核算成本** 由于经济学研究一般以“全社会”为着眼点,因此成本应该理解为为社会研究方案所付出的全部费用,如计算病人的工资损失,应理解为计算社会的机会成本。成本核算的方法与药物经济学的其他方法基本相同。根据研究开始时确立的观察角度计算资源的消耗时,应注意成本不仅包括治疗方案本身的所有资源消耗,还应包括方案实施所造成的其他方面的经济损失,如不良反应、意外死亡

等。但有时为了研究的方便,常可忽略或粗略的计算一些成本,特别是那些不容易获得的或难以转化成货币单位的成本,如间接成本和隐性成本等

**5.4 进行效用测量获取结果指标** 成本-效用分析与其他药物经济学方法的主要区别在于其结果指标反应的是病人对健康状况的偏好,即需要对健康质量进行效用测量。根据不同的研究对象,常常要选择不同的效用测量方法。一般认为,如果有可以参照的效用值标准,则测量较为简便;如果没有可参照的效用标准,可采用总体评估法如评价标尺法、标准博弈法和时间权衡法等进行效用测量。如果有足够的时间和研究经费,而且样本较小,可先考虑用后两种方法(标准博弈法和时间权衡法)。有时为了提高测量的可靠性,常常同时采用几种效用测量法,如同时使用评价标尺法和标准博弈法测量同一对象的生命质量,以便对测量的效度和信度进行检验,借以加强结论的说服力。有时为了克服效用测量的不足,可附加特殊健康测量量表对生命质量进行测量,用以鉴别不同方案的临床效果。在获取效用值以后,便可以进行结果指标如生命质量调整年的计算:生命质量调整年 = 健康改进的效用值 × 健康改进的维持时间。

**5.5 结果贴现** 按照经济学的观点,不同方案的成本和效用应该在同一时点进行比较,以使方案之间的比较较为合理,所以在不同时间消耗的成本和获得的效用应进行贴现。在成本-效用分析中,贴现是指把将来的价值换算到现在的价值,其换算的比率称之为贴现率。贴现率是银行利率和物价指数的综合指标,一般在3%~5%之间。对于生命质量调整年进行贴现是非常重要的,因为病人的生命质量并不是某一时点的表现,而是某一时段健康状况的体现。如果研究跨越的时间较长(如几年),则必须对成本和效用进行贴现,即把将来不同时间的成本和结果指标通过适当的贴现率进行折算,统一换算成现在这一时点上的价值,以便方案之间进行合理的比较。

**5.6 计算成本-效用比和增量效用** 进行决策分析使用成本-效用比和增量效用比率的公式来进行

计算,通常为了避免误导,需要计算增量成本效用比,并与空白方案进行比较。如果备选方案较多,则在研究开始就需建立决策树模型,要计算决策树的每一终端节点的成本与效用(即生命质量调整年),再进行贴现,便可以进行决策分析了。

**5.7 进行敏感性分析** 得出结论 成本的指标具有变动成分,而健康指标的不确定因素也显而易见,因此,敏感性分析可用于检验这些不确定因素对评价结果的影响。如果这些不确定因素的变化对最终结论的影响不大,那么决策是比较可行的;相反,如果影响很大,那么该研究方案所得结果的适用性就值得考量了。

## 6 小结

由于许多医疗保健活动有多种产出的,而成本-效果分析则不适用于产出(效果)之间的比较,越来越多的研究者开始关注成本-效用分析。但是,应用这个方法时有许多问题,这主要是由于生命质量内含的广泛性和欠操作性,导致其效用测量不能象临床生物指标一样进行精确的测定,给实际应用带来较大的困难。同时,对于单个病人来说,要确定代表健康状况的指数是很困难的,人们对健康的看法不同,而且随着时间的变化,这种看法也会改变。所以,成本-效用在实际应用中具有一定的局限性,随着药物经济学研究的发展,其理论体系特别是效用的评价体系还需进一步完善。

## 参考文献:

- [1] <http://www.sccpc.com.cn/guanyuwomen/qi-kan/14/002.htm>.
- [2] <http://www.casad.ac.cn/2005-4/200546110047.htm>.
- [3] 孙树华,蔡宇.药物经济学与医药产业[M].北京:科学出版社,2004,8.
- [4] 吴永佩,张钧.医院管理学—药事管理分册[M].北京:人民卫生出版社.
- [5] 胡善联.药物经济学与药品政策研究[M].云南:云南科技出版社,2000,2.
- [6] 陈洁.药物经济学[M].成都:成都科技大学出版社,2000,6.

收稿日期:2005-08-25

## 药物经济学成本-效用分析试题

1. 澳大利亚在本国的药物经济学评价指南中提出,在进行药物经济学评价方法的选择时提倡使用:
  - A. 成本-效益分析
  - B. 成本-效果分析
  - C. 最小成本分析
  - D. 成本效用分析
2. 成本-效用分析出现于: