

超药品说明书用药药物经济学评价专家共识

(广东省药学会 2016 年 9 月 28 日印发)

超药品说明书用药(以下简称“超说明书用药”)又称“药品说明书外用法”、“药品未注册用法”,是指药品使用的适应证、给药方法或剂量不在药品监督管理部门批准的说明书之内的用法。具体包括给药剂量、适应人群、适应证或给药途径等与药品说明书不同的用法^[1]。

根据国内外调查报道,临床上超说明书用药较普遍存在^[1-4]。我国政府部门先后制订了《药品管理法》、《医疗机构药事管理规定》、《处方管理办法》和《药品不良反应报告和监测管理办法》等多部规范药品使用的法规,但没有关于超说明书用药的法律法规。

广东省药学会(以下简称本会)从 2010 年至今印发了四份超说明书用药专家共识^[5-8],明确提出了超说明书用药的五大原则:1、在影响患者生活质量或危及生命的情况下,无合理的可替代药品;2、用药目的不是试验研究;3、有合理的医学实践证据;4、经医院药事管理与药物治疗学委员会(或药事管理委员会)及伦理委员会批准;5、保护患者的知情权。同时还不断更新了《超药品说明书用药目录》。这些共识在一定程度上指导了临床用药,标志着我国专业学会在该方面的大胆探索尝试,不但在全国起到了引领作用,也得到国际同行的高度认可和关注^[9]。

上文所指超说明书用药的“不可替代性”除指安全性、有效性不可替代外,经济上的不可替代性也是超说明书用药的主要原因之一。即超说明书用药除对其进行安全性、有效性评价外,还应包括药物经济学评价。超说明书用药药物经济学评价是通过成本效果分析法(Cost Effectiveness

Analysis, CEA)、成本效用分析法 (Cost Utility Analysis, CUA)、成本效益分析法 (Cost Benefit Analysis, CBA) 以及模型模拟法 (Modeling Simulation, MS) 如构建 Markov 模型、离散事件模型 (Discrete Event Simulation, DES) 等药物经济学与卫生技术评估的常规方法, 比较超说明书用药治疗方案的成本投入与临床产出变化及患者偏好改善等来评估该方案短期、长期的临床产出和经济性。

超说明书用药经济学评价的必要性体现在以下几方面: 1. 该方法作为比较效果研究 (Comparative Effectiveness Research, CER) 的一部分, 是证据产生过程的重要组成部分^[10]; 2. 临床合理用药的三大原则包括安全性、有效性和经济性, 其中经济性也是衡量所有治疗方案是否合理的重要指标。另外, 超说明书用药可能没有经过严格的药物临床试验, 其风险须充分预估, 经济学评价应包括因此可能产生的额外费用; 3. 在有限的医疗卫生资源与日益增长的医疗卫生需求冲突加剧的今天, 政策制定者、医疗服务购买者、医保基金管理及经办方如何高效利用、合理配置卫生资源, 事关国计民生。有研究报道某医疗机构肿瘤治疗领域超说明书用药的医疗费用激增, 其原因就是缺乏引入药物经济学方法对超说明书用药方案的经济性进行评价, 部分费用昂贵的药物被扩大适应证滥用^[11], 而一些经典廉价的老药、好药却冷落, 或者一些相对廉价的有效方案存在超说明书用药的法律风险。

有国家将贝伐单抗治疗新生血管黄斑变性 (AMD) 纳入医保报销目录, 正是基于其经济学的优势。2011 年 Group CR 等^[12]发表在 NEJM 的研究结果证实了贝伐单抗超说明书用药与雷珠单抗说明书内治疗 AMD 的临床疗效没有显著性差异。Stein JD 等^[13]的经济学评价结果也显示贝伐单抗治疗 AMD 比雷珠单抗具有显著的经济学获益。

本共识基于药物经济学基本理论及方法学，在综合共识专家的经验 and 意见的基础上，达成以下共识：

1. 在某些情况下，通过全面的有效性、安全性和经济性评价，超说明书用药可能比说明书内用药更符合患者利益；

2. 将药物经济学方法创造性的运用于超说明书用药评价体系，能在保证超说明书用药安全有效的前提下，大大提高医疗资源利用效率；

3. 全面的超说明书用药评价指标体系应该包括该用法的安全性、有效性及经济性三方面的推荐等级评估。

在此共识基础上，本会即将陆续按科分类、开展针对各科疾病超说明书用药的药物经济学评价。如通过 Markov 或者 DES 等模型对心脑血管疾病、肿瘤、风湿免疫疾病等的发生转归进行模拟，以建立该疾病领域超说明书用药药物经济学评价模型等。

参考文献

[1] Radley D C, Finkelstein S N, Stafford R S. Off-label prescribing among office-based physicians[J]. Archives of Internal Medicine, 2006, 166(9): 1021-1026.

[2] Conroy S, Choonara I, Impicciatore P, et al. Survey of unlicensed and off label drug use in paediatric wards in european countries[J]. British Medical Journal, 2000, 320(7227): 79-82.

[3] 黄红兵,刘韬,陈倩超等. 3 种抗肿瘤靶向治疗药物的临床应用状况调查[J]. 新医学, 2009, (07): 461.

[4] 张波,赵彬,张钰宣等. 我院“药品说明书之外的用法”现状调查和探讨[J]. 实用药物与临床, 2014, 05: 661-665.

- [5] 广东省药学会. 关于印发《药品未注册用法专家共识》的通知[J]. 今日药学, 2010, (4): 1-3.
- [6] 广东省药学会内分泌代谢用药专业委员会. Dpp-4 抑制剂超药物说明书用法专家共识[J]. 今日药学, 2013, (12): 777-782.
- [7] 广东省药学会风湿免疫用药专业委员会. 风湿免疫疾病(系统性红斑狼疮)超药品说明书用药专家共识[J]. 今日药学, 2014, (09): 630-636.
- [8] 广东省药学会. 医疗机构超药品说明书用药管理专家共识[J]. 今日药学, 2014, (12): 841-843.
- [9] Zheng Z, Yang M, Zeng Y, et al. Changing the perspective of off-label drug use in China. BMJ (Blog), January 12, 2016; <http://blogs.bmj.com/bmj/2016/01/12/zhihua-zheng-et-al-changing-the-perspective-of-off-label-drug-use-in-china/> (access May 15, 2016).
- [10] Luce BR, Drummond M, Jonsson B, et al. Ebm, hta, and cer: Clearing the confusion[J]. Milbank Quarterly, 2010, 88(2): 256-276.
- [11] de Souza JA, Alexander GC. Unsupported off-label use of cancer therapies: New challenges in the era of biopharmaceuticals[J]. Expert Review of Pharmacoeconomics& Outcomes Research, 2011, 11(5): 495-498.
- [12] Group CR, Martin DF, Maguire MG, et al. Ranibizumab and bevacizumab for neovascular age-related macular degeneration[J]. N Engl J Med, 2011, 364(20): 1897-1908.
- [13] Stein JD, Newman-Casey PA, Mrinalini T, et al. Cost-effectiveness of bevacizumab and ranibizumab for newly diagnosed neovascular macular degeneration[J]. Ophthalmology, 2014, 121(4): 936-945.

广东省药学会文件

粤药会〔2016〕95号

关于印发《超药品说明书用药药物经济学评价专家共识》的通知

各医疗机构:

药物经济学将经济学基本原理、方法和分析技术运用于临床药物治疗过程,从全社会角度展开研究,以求最大限度的利用现有医药卫生资源。本会自2010年发布我国第一个超药品说明书用药规范——《药品未注册用法专家共识》以来,先后制定了多个超药品说明书用药专家共识,该项工作得到了行业和有关部门的认可和关注。

为进一步提高医疗质量和医疗安全,保障医生、患者权益,提高超说明书用药的安全性、有效性,以及通过经济学评价,提高患者用药可及性,本会组织有关专家编写了《超药品说明书用药药物经济学评价专家共识》,现予以印发,供各医疗机构参考。

各医疗机构在执行过程中遇到任何问题,请及时向本会反映。

联系电话:(020)37886326, 37886321 传 真:37886330

电子邮箱:gdsoyxh45@126.com

网址:<http://www.sinopharmacy.com.cn>

附件:1、《超药品说明书用药药物经济学评价专家共识》起草专家组
2、《超药品说明书用药药物经济学评价专家共识》(请在本会网站“下载专区”下载)



《超药品说明书用药药物经济学评价专家共识》

起草专家组

执笔:

蒋 杰 暨南大学药学院 教授
吴晓松 暨南大学附属第一医院 主任药师
杨 敏 广东省人民医院 主任药师

成员: (按姓氏拼音为序)

常惠礼 清远市人民医院 主任药师
陈 杰 中山大学附属第一医院 主任药师
陈 孝 中山大学附属第一医院 主任药师
陈吉生 广东药科大学附属第一医院 主任药师
陈文瑛 南方医科大学第三附属医院 主任药师
陈玉兵 暨南大学附属第一医院 副研究员
戴 冽 中山大学孙逸仙纪念医院 主任医师
冯 烈 暨南大学附属第一医院 主任医师
何光明 北京大学深圳市医院 主任药师
何艳玲 广州市妇女儿童医疗中心 主任药师
黄红兵 中山大学肿瘤防治中心 主任药师
金伟军 暨南大学附属第一医院 副主任药师
黎月玲 广州市红十字会医院 主任药师
李国豪 广州市第一人民医院 主任药师
李澎灏 深圳市第二人民医院 主任药师
林 岱 广州市番禺区何贤纪念医院 主任药师
林 华 广东省中医院 主任中药师
刘 韬 中山大学肿瘤防治中心 副主任药师
刘世霆 南方医科大学南方医院 主任药师
卢慧勤 广东省第二人民医院 主任药师
卢结文 广东省佛山市第一人民医院 主任药师
邱凯锋 中山大学孙逸仙纪念医院 副主任药师
沈勇刚 广东药科大学附属第一医院 副主任药师
司徒冰 广州医科大学附属第三医院 主任药师
唐洪梅 广州中医药大学第一附属医院 主任中药师

陶 玲	中山大学附属第三医院 副主任药师
汪 燕	南方医科大学第三附属医院 副主任药师
王 勇	南方医科大学珠江医院 主任药师
王 勇	广东省药学会学术部 副主任
王若伦	广州医科大学附属第二医院 主任药师
韦建瑞	广州市红十字会医院 教授
魏 理	广州医科大学附属第一医院 主任药师
吴 琳	广州市第一人民医院 主任药师
吴建龙	深圳市药学会 主任药师、秘书长
伍俊妍	中山大学孙逸仙纪念医院 主任药师
吴新荣	广州军区广州总医院 主任药师
徐安定	暨南大学附属第一医院 主任医师
夏苏建	暨南大学医学院 副教授
谢守霞	深圳市人民医院 主任药师
薛 梅	惠州市中心人民医院 主任药师
姚 晖	佛山市第二人民医院 主任药师
钟劲松	珠海市人民医院 主任药师
张尚斌	深圳市中医院 主任药师
张晓娟	广东省人民医院 副主任药师
曾英彤	广东省人民医院 主任药师
郑志华	广东省药学会 主任药师、秘书长

秘书:

张田甜	暨南大学药学院 讲师
徐 俊	暨南大学药学院 实验师