

儿童药品临床综合评价机制现状及优化策略

解维琳, 马韶青*

北京中医药大学 人文学院, 北京 102488

摘要: 儿童药品临床综合评价作为上市后再评价的一种规范管理形式, 从多维度全面评价儿童药品的综合价值, 通过专家组打分进行指标赋分和分值计算, 最终形成推荐意见, 为儿童药品管理决策提供有力的支撑, 优化医疗资源的配置、保障儿童药品安全。目前我国儿童药品临床综合评价机制包括出台了专门的管理指南和评价技术指南, 采用多维度评价标准, 采用多种评价方法, 确立结构化的评审流程。我国儿童药品临床综合评价体系正在逐步构建和完善中, 存在立法不完善、评价维度不统一、临床创新性界定模糊、真实世界数据机制和评价结果转化机制不完善等问题, 导致评价工作与实际药品监管和药品供应保障之间脱节。为应对未来挑战, 应从加强立法、合理选择评价维度、完善儿童药品创新性评估体系、健全真实世界数据机制、建立有效的评价决策支持机制等方面完善儿童药品临床综合评价体系, 从而解决儿童用药保障问题、提升儿童健康水平。

关键词: 儿童药品; 药品临床综合评价; 评价维度; 真实世界数据; 上市后再评价

中图分类号: R97 **文献标志码:** A **文章编号:** 1674-6376(2025)05-1346-08

DOI: 10.7501/j.issn.1674-6376.2025.05.026

Current situation and suggestion of clinical comprehensive evaluation of children's medication

XIE Weilin, MA Shaoqing

School of Humanities, Beijing University of Chinese Medicine, Beijing 102488, China

Abstract: As a standardized management form of post-marketing reevaluation, clinical comprehensive evaluation of pediatric drugs conducts multi-dimensional assessment of their comprehensive value. Through expert panel scoring for indicator weighting and score calculation, it ultimately forms recommendation opinions. This process provides strong support for pediatric drug management decisions, optimizes allocation of medical resources, and ensures medication safety for children. Current clinical evaluation mechanisms in China include issuing specialized management guidelines and technical evaluation standards, adopting multi-dimensional evaluation criteria, utilizing various assessment methods, and establishing structured review processes. While China's clinical comprehensive evaluation system for pediatric drugs is gradually being established and improved, existing challenges include incomplete legislation, inconsistent evaluation dimensions, ambiguous definitions of clinical innovation, inadequate real-world data mechanisms, and imperfect evaluation result transformation systems. These issues lead to disconnections between evaluation practices and actual drug regulation/supply systems. To address future challenges, improvements should focus on strengthening legislation, rationally selecting evaluation dimensions, perfecting pediatric drug innovation assessment systems, optimizing real-world data mechanisms, and establishing effective evaluation decision-support mechanisms. This comprehensive approach aims to resolve pediatric medication security issues and enhance child health outcomes.

Key words: pediatric drugs; clinical comprehensive drug evaluation; evaluation dimensions; real-world data (RWD); post-marketing reevaluation

近年来, 我国儿童医疗需求持续上升, 儿童用药保障问题作为关乎儿童健康的重大议题, 正日益凸显其紧迫性和重要性。为引导促进安全、有效、经济、适宜的儿童药品的研发、生产和使用, 确保

收稿日期: 2024-12-03

基金项目: 北京市社会科学基金项目-北京共建共治共享的药品安全治理体系研究 (19GLB032)

作者简介: 解维琳 (1999—), 女, 在读硕士研究生, 主要从事药品管理法律方面的研究。E-mail: 13366533260@163.com

*通信作者: 马韶青 (1978—), 女, 博士, 教授, 主要从事药品管理法律、公共卫生法律方面的研究。E-mail: msq3113@163.com

儿童药品在临床应用中得到全面、准确的评价尤为关键。2014 年 5 月,国家卫生计生委等六部委发布《关于保障儿童用药的若干意见》,初步探索了将药品临床综合评价应用于儿童用药的特定领域。2019 年 1 月,中华人民共和国国家卫生健康委员会(以下简称国家卫健委)、国家中医药管理局确立了以基本药物为重点,优先考虑对儿童用药等开展评价。2021 年,我国儿童药品临床综合评价进入了规范实施阶段,随后发布的技术指南标志着儿童药品临床综合评价工作从规范评价管理走向规范评价技术。

儿童药品临床综合评价作为上市后再评价的一种规范管理形式,从多维度全面评价儿童药品的综合价值,通过专家组打分进行指标赋分和分值计算,最终形成推荐意见,为儿童药品管理决策提供有力的支撑,优化医疗资源的配置、保障儿童药品安全。与一般的药品临床评价不同的是,儿童生理发育特殊,对药品不良反应耐受性低,对吞咽难度的更高要求,评价重点更注重安全性、适宜性,并需特别关注药品对生长发育的影响,更具儿科用药特色。

目前我国儿童药品临床综合评价机制在立法体系、评价维度、真实世界数据(RWD)机制、评价结果转化机制等方面仍存在不足,导致评价工作与儿童药品供应保障之间脱节。如何走出儿童药品临床综合评价的困境是高效开展评价工作、加强医疗机构儿童药品遴选、促进儿童药品研发不可回避的挑战。本文分析总结我国儿童药品临床综合评价机制存在的问题,以问题为导向提出优化的建议,从而为完善儿童药品临床综合评价机制提供思路和启发,保障儿童安全合理用药、促进儿童健康水平提升。

1 我国儿童药品临床综合评价的现状

1.1 出台专门的管理指南和评价技术指南

目前,我国儿童药品临床综合评价体系正在逐步构建和完善中。自 2015 年起,国家卫健委就正式启动了儿科用药的临床综合评价及相关工作试点,并探索体系建设;2019 年,国家卫健委药政司发布了相关通知,委托评估中心开发儿童药品临床综合评价技术指南。2020 年 8 月国家药品监督管理局(NMPA)发布《真实世界研究支持儿童药物研发与审评的技术指导原则(试行)》,这是目前全球首个由药品监管机构发布的,专门针对真实世界研究在

儿童药品研发与审评中运用的指导性文件^[1]。

近年来,我国政府高度重视儿童药品临床综合评价,持续努力开展相关工作。2021 年,国家卫健委发布《药品临床综合评价管理指南(2021 年版试行)》,明确了药品评价工作的具体流程、内容与维度。2022 年 6 月国家药物和卫生技术综合评估中心发布《儿童药品临床综合评价技术指南(2022 年版试行)》(以下称《指南》),为卫生行业科学性和规范性地开展评价提供指导,儿童药品临床综合评价工作进入了规范实施阶段。2024 年,国家卫健委等 10 部门联合印发《关于推进儿童医疗卫生服务高质量发展的意见》,要求加强医疗机构儿童药品管理,提高合理用药水平。

1.2 采用多维度评价标准

2007 年世界卫生组织(WHO)公布了第一版《世界卫生组织儿童基本药物标准清单》,建立了儿童药品评价机制。此后,许多国家借鉴《儿童基本药物标准清单》中的药品遴选机制,以及儿童药品评价方法,构建了适合本国的儿童药品评价体系。国内学者在儿童药品临床综合评价体系构建与品种评价研究方面,均进行了有益的探索。截至 2024 年 6 月 1 日在中国学术期刊全文数据库(CNKI)通过关键词“儿童”和“临床综合评价”,共计检索到 122 篇文献,经筛选符合对儿童药品临床综合评价的有效研究共 17 篇,其中针对特定儿童药品的评价研究案例共 9 篇。

在《指南》的指导下,儿童药品临床综合评价主要围绕安全性、有效性、经济性、创新性、适宜性、可及性 6 个评价维度开展,并明确在对儿童药品实施的临床综合评价过程中,要充分考虑全面性和可实施性。在奥马珠单抗治疗儿童中重度支气管哮喘的临床综合评价^[2]中,从《指南》建议的安全性等 6 个维度对评价药品进行多维度评价。艾曲泊帕治疗儿童免疫性血小板减少症的临床综合评价^[3]中,从有效性、安全性、经济性 3 个维度开展评价。

1.3 采用多种评价方法

针对儿童药品临床综合评价的研究,在确定评价指标体系时参考的方法包括多准则决策(MCDA)、专家咨询法、头脑风暴法、文献调研法、成本效果研究、回顾性队列研究法、药物经济学模型研究法等;对指标体系进行筛选并确定权重时运用德尔菲法和层次分析法等;构建临床综合评价证据时适用的方法包括文献调研法、真实世界研究

法、问卷调查法等,通常首先通过系统地回顾文献来分析现有证据,如仍不满足评价需求,则增加临床研究等实证证据,提高了评价结果的准确性和可靠性;后续采用标准化法、专家评分等方法确定指标得分,乘以权重得到药品的综合得分,进而评价出综合性较好的儿童药品。

1.4 确立结构化的评审流程

我国儿童药品临床综合评价确立了结构化的评审流程,流程考虑多方面因素,有助于确保评价的科学性和有效性。当前的评价流程:根据目标药品从已建立的专家库中随机抽取建立专家组,评价实施者就整合的儿童药品多维度价值进行药品信息介绍,专家组对维度和指标审阅研判,专家组对维度与指标权重赋权,每位专家对每个指标赋分、每一指标分值相加计算待评药品综合得分,评价实施者对药品进行综合评判,形成推荐意见。

指标的界定采取“一事一议”的原则,每次针对不同儿童药品的具体指标可能存在差异。在组织评审活动时,专家首先需要对评审维度及指标进行认定,在指标赋分和综合评判阶段存在一定的主观性。推荐意见关系到相关政策结果转化的必要性、条件性和程度性。

2 我国儿童药品临床综合评价存在的问题

2.1 立法不完善

儿童药品临床综合评价的标准化、规范化,需要有法律和监管体系的支持,以确保其制定和执行过程的合法性和有效性。但《药品管理法》和《基本医疗卫生与健康促进法》中均未对儿童药品临床综合评价的实施进行规制,法律框架尚不健全,并不能系统地解决儿童药品综合评价现存的问题。《指南》进一步规范指导了儿童药品临床综合评价的基本规范和技术标准,但评价内容与维度、数据应用、质量控制、结果转化等方面还需对其进行研究和细化。缺少上位法支持和具体实施标准的指导,各地在组织儿童药品临床综合评价工作时缺乏统一管理,评价质量参差不齐、影响评价积极性,不利于我国儿童药品临床综合评价的实施和发展。

此外,相较于儿童药品研发和评价机制发展较发达的国家,我国与儿童药品临床综合评价发展相关的政策法规、指南体系尚处在探索发展阶段。例如,欧洲和美国法规体系设置“强制+激励”政策^[4],要求药品上市前必须进行儿科人群的相关研究,促进儿童药品的研发和评价。目前我国尚未建立完善

的儿童药品研发和评价机制来指导激励儿童药品临床综合评价的发展,不利于激发企业儿童药品研发的热情。

2.2 评价维度不统一

《指南》针对评价维度及指标选择方面,建议从安全性等多个维度进行综合考量,强调评价设计过程中不仅关注儿童药品的单一特性。目前我国各研究团队在构建儿童药品评价指标体系时,均基于所评价药品进行设计,确保了评价工作的灵活性,但实践中存在评价维度不统一的问题。

其一,现有研究多是选择部分维度开展药品临床综合评价。从品种评价研究案例来看,目前儿童药品临床综合评价主要以经济性、有效性、安全性 3 个维度为主,部分研究未涉及对于药品创新性、适宜性、可及性的评价^[5]。例如,评价达沙替尼治疗儿童费城染色体阳性急性淋巴细胞白血病时,从安全性、有效性和经济性 3 个维度开展临床综合评价^[6];评价头孢唑林与头孢呋辛用于儿童清洁手术预防用药时,因这 2 种药物均为上市多年的老药,故在创新性方面未进行评价^[7]。

其二,存在选择指南中 6 个基本维度以外的维度进行评价的情况。例如,儿科临床药师对吸入性糖皮质激素(ICS)展开临床综合评价时,从 14 个维度对 3 种 ICS(布地奈德、倍氯米松和氟替卡松)开展综合评价^[8]。评价维度的选择既要保证全面性、准确性又要基于临床需求和价值导向开展,评价维度不统一影响儿童药品临床综合评价结果的应用价值,需要对评价维度的选择进行规范和指导。

2.3 临床创新性界定模糊

我国儿童药品临床综合评价目前尚未就临床创新性这一维度达成共识,没有统一的标准定义。《指南》中对临床创新性的概念规定为“主要聚焦儿童用药需求的满足程度”,条文较为模糊,并未对临床创新性作出明确的定义,实践中存在不同的研究者对临床创新性的理解和定义不统一的情况。例如,评价小儿肺热咳喘口服液治疗小儿急性支气管炎时,对临床创新的定义为药品可用于治疗新的适应证^[9],具体表现为该药品除说明书的功能主治外,还可应用于荨麻疹,并有较好疗效,有一定的外溢效应。评价肺力咳合剂治疗急性支气管炎痰热犯肺证时,对临床创新的定义为可进一步提高临床治疗效果^[10],具体表现为该药品联合常规化学药可进一步提高临床治疗效果,进而得出结论:该药品与同

类药比较有一定临床创新优势。

目前,我国药品创新性的评价尚未形成统一的方法和标准,实践中研究者针对具体药品的评价所采用的视角和方法存在显著差异^[11]。临床创新性评价维度缺少统一定义,研究者对药品创新性的理解较为主观并存在差异^[12],从而影响评价的准确性,同时造成创新性维度评价困难,影响儿童药品临床综合评价的全面性,不利于评价结果服务国家药物政策决策,亟须对其进行研究和规制。

2.4 RWD 机制不完善

与随机对照试验(RCT)数据相比,RWD 能让研究人员有机会提出更多问题,了解更广泛、更多样化的人群。目前我国儿童药品临床综合评价研究中的证据主要来源为文献中的 RCT 数据,RWD 只占少数,且仅作为文献数据的补充^[13]。从品种评价研究案例来看,当前我国儿童药品临床综合评价所依据的数据主要来源于文献数据,9 项研究中仅有 1 项采用了 RWD^[14]。

我国 RWD 机制目前存在 3 方面问题。首先,在进行初次评价时,缺乏可靠的 RWD。由于这些评价是在药品获得监管部门批准后不久进行的,因此上市许可持有者可能没有足够的时间通过登记册或观察性研究来收集 RWD。其次,缺乏为卫生技术评估(HTA)目的纳入、分析和解释 RWD 的系统方法指导。由于非随机治疗分配,被比较患者组中已知和未知因素的不平衡可能会导致治疗效果的差异^[15],如表面治疗效果的差异可能归因于接受干预组研究的受试者在治疗前的风险因素差异^[16]。缺乏纳入、分析和解释 RWD 的系统方法指导将影响 RWD 质量和效用。再次,数据共享联动机制目前还未有效构建。我国儿童药品临床综合评价的文献证据数量有限,亟需临床数据补充,然而,多中心协同的数据来源难以形成,增加了评价工作的难度。数据壁垒导致各地针对共性评价问题的研究报告难以及时沟通和共享,不利于评价交流和证据传播应用,降低了评价效率,影响评价结果的全面性和科学性。

2.5 评价结果转化机制不完善

近年来,国家高度重视推动儿童药品临床综合评价规范开展,注重评价结果转化应用。随着儿童药品研发技术、创新药品的不断发展,利用儿童药品临床综合评价这一科学决策工具来优化儿童药品管理尤为关键。尽管评价工作为药品在实践中的

有效性和成本效益等方面提供亟需的洞察力,但目前我国儿童药品的临床综合评价结果转化为国家药物决策的机制还处于初步阶段,评价结果如何被纳入分析并影响后续的决策尚不明确。实践中,评价结果应用于药品遴选、药品目录制定、治疗方案选择、药品动态调整和优化等决策的数量仍然十分有限。

现阶段我国药品临床综合评价成果能成功向决策转化的案例较少,成果转化的机制还不够明确。在政策支持方面,目前国家尚未出台指导文件或技术指南对评价结果转化进行规制^[17]。对评价结果的高度重视不足,没有将其作为促进药品遴选、药品目录制定、治疗方案选择、药品动态调整和优化数据佐证。在规范实施方面,实践中较少对评价结果进行分析并给出综合意见,导致评价工作未能有效服务于决策,进而造成结果转化困难。评价结果转化机制在规范指导和激励支持等方面存在不足,评价结果面临束之高阁的困境。应当进一步研究和完善评价结果转化机制,以确保儿童药品的临床综合评价能够有效地服务于国家药物政策的制定和实施。

3 完善我国儿童药品临床综合评价机制的对策建议

3.1 加强立法

欧盟为了促进儿童药品的研发和使用,制定《儿科药品管理条例》(Paediatric Regulation, PR),为所有在欧盟销售的药品设定了统一的研究要求,大大提高了儿童药品的可及性,表明了国家政策在促进儿科药物开发方面的影响。我国应加强儿童药品临床综合评价的立法,在《药品管理法》和《基本医疗卫生与健康促进法》中增设儿童药品临床综合评价的原则性规定,为《指南》在实践中的应用提供上位法依据。

同时,出台专门的规章或规范性文件,并设置儿童药品研究计划制度。美国食品药品监督管理局(FDA)和欧洲药品管理局(EMA)分别颁布了《儿童最佳药物法案》(Best Pharmaceuticals for Children Act, BPCA)、《儿科研究平等法案》(Pediatric Research Equality Act, PREA)和《欧盟委员会第 1901/2006 号条例》(Regulation (EC) No 1901/2006),要求制药公司在研发阶段提交儿科适应证的临床研究计划(PIP),逐步建立了完善的儿童药品监管制度^[18]。该计划强制要求在药物开发的早期阶段就考虑儿童用药的需求,要求药品上市前必须开展针对儿童群体的相关研究。我国设置的儿

童药品研究计划,可由 NMPA 的药品审评中心(CDE)对研究计划进行评估,并向药品制造商提供科学建议,确保研究计划的科学性和合理性。制造商向 NMPA 进行备案,并按照研究计划进行研究。制造商提交药品上市申请时需提交研究结果,由 CDE 针对研究结果进行审评,NMPA 根据审评结果决定是否批准药品上市。

此外,药品监管部门应进一步完善技术指南与技术标准,针对评价内容与维度、数据应用、成果转化等方面进行细化。相关规范性文件需明确参与部门在监督和指导儿童药品临床综合评价过程中的职责分配。医疗机构负责儿童药品的临床试验、疗效评价、安全性监测等实际工作,为评价提供一手数据;药品监管部门负责药品的注册、审批、监管等,确保药品的合法性和安全性;卫生管理部门负责卫生政策的制定、实施和监督,确保评价过程符合相关政策法规。

3.2 合理选择评价维度

在对不同病症的药物进行评价时,每个疾病的关注点各有侧重,普适性的评价框架在评价内容上较为固化,直接应用于特定疾病的药物评价时,缺乏灵活性和针对性,导致无法充分体现出特定疾病药物价值^[19]。为契合儿童药品的研发和应用特点,提高儿童药品临床综合评价的全面性、灵活性和可操作性,应当在《指南》的框架内,规范选择合理的评价维度。

《指南》指出重点围绕安全性等 6 个维度进行定性及定量数据/证据整合分析。评价维度的选择应反映儿童药品在不同方面的性能和影响,确保评价的针对性和准确性。首先,应以 6 个维度为基础进行儿童药品临床综合评价,如有必要可以纳入新维度,例如,在构建中成药临床综合评价指标体系时,除 6 个基本维度外,增加“药品质量保障性”和“中医药特色”评价维度^[20]。其次,建议针对决策问题,选择具体纳入的评价维度。例如,针对超说明书用药,应当重点针对安全性和有效性进行评价。此外,儿童处于生长发育阶段,对药物的敏感性更高,对药品的安全性、有效性有更高的要求^[21]。因此,评价必须包含安全性和有效性维度,并建议选择评价维度时充分考虑儿科人群对药品需求的特殊性,增设儿童特色评价维度和指标。

3.3 完善创新性评价体系

2024 年 6 月 3 日国务院办公厅印发《深化医药

卫生体制改革 2024 年重点工作任务》,强调加大创新药临床综合评价力度,促进新药加快合理应用。应当重视对儿童药品创新性的关注,进一步明确临床创新性内涵,逐步完善儿童药品临床创新性价值的评价指标体系,深化儿童药品领域改革创新。《指南》将临床创新性维度指标设置为:第一,药品具备优于其他同类可替代药品的显著技术优势;第二,可满足其他临床药品未能满足的健康需求。针对特定儿童药品的临床创新性评价,应当围绕《指南》中的评价指标开展,在此基础上基于所评价药品灵活性地纳入新指标。

FDA 通过孤儿药、快速通道、加速审批、优先审查和突破性疗法等 5 种特殊审查途径,促进和加快未满足医疗需求的严重疾病的药物开发。有研究^[22]表明,与获得 FDA 批准的药物相比,通过特殊审查途径批准的药物(被称为“突破性药物”)更具创新性,临床疗效也更高。2023 年 FDA 批准了 55 种新型药物,并将新药分为同类首创药、孤儿药、快速通道、突破性疗法、优先审查、加速审批 6 个类别^[23]。我国国家药监局也建立了多种加快上市的通道,例如突破性治疗药物、附条件批准、优先审评审批程序等,用于罕见病药品申报。建议我国可考虑将是否通过特殊审查途径批准作为判断评价药品创新性的指标,规范和统一儿童药品临床创新性概念,进一步完善指标体系构建。

3.4 健全 RWD 机制

从药品的全生命周期视角来审视,RWD 具有不可替代的优势^[24]。系统、全面地收集和使用 RWD 是客观、充分评价的基础,也是 RWD 机制的关键环节。国外研究者通过研究构建了结构化 RWD/真实世界证据(RWE)分类法^[25],帮助用户确定指南和相关文献中列举的需要考虑的方法学因素,以及实践中出现的影响以往 HTA 可接受性的问题,特别是涉及到决策背景的问题,以促进 RWD 在 HTA 决策中的使用。结构化 RWD/RWE 分类法是对 HTA 中使用 RWD 常见的问题进行分类,并对用于回答问题的数据源类型和具体示例进行分类。帮助药品上市许可持有人规划在整个产品生命周期中更少依赖 RCT、更多依赖于真实世界研究的证据生成路径^[26]。

我国可构建适用于我国儿童药品临床综合评价的结构化 RWD 分类法,即通过“数据链接问题”的模式,指导数据的收集、分析和应用,健全 RWD

机制。首先,创建一个可以整理、修改,并随着更多“配对”的出现和对已识别“配对”使用经验的增加而进行补充的数据资源平台。其次,研究者向系统提交“配对”,平台在将其添加到数据库之前进行审查,确保其达到可接受的标准,实时进行资源库的扩充、促进 RWD 的收集和使用。通过系统化地组织不同类型的 RWD 和它们能够解决的问题,使用户能够快速识别符合他们期望“配对”的先前使用示例,同时帮助决策者能够快速找到相关信息。RWD/RWE 分类法的构建需要考虑以下方面:其一,识别数据来源:明确可用于儿童药品临床综合评价的 RWD 来源,如医院记录、医疗保险数据库等。其二,定义问题类型:根据儿童药品临床综合评价的具体需求,定义问题类型,如上市前后药品安全性、临床疗效等。其三,链接具体实例:将 RWD 的类型(数据来源)和用于解决的问题(问题类型)进行“配对”,每个“配对”链接到具体的使用实例、决策背景、结果以及相关的实践。其四,提交平台审核:平台出具审核意见,如不符合标准需说明理由。其五,持续更新与维护:确保分类法能够适应新的研究和实践,定期进行更新和维护。

3.5 建立评价决策支持机制

建议逐步建立一个基于儿童药品临床综合评价证据的国家药物政策决策体系,确保依据评价结果制定相关政策,为评价结果转化提供制度基础。山东省多家医院合作,共同制定了《集中带量采购政策下山东省调脂药物临床综合评价专家共识》,对 15 个调脂药物进行了临床综合评价,并根据评分结果划分了不同的推荐等级,帮助更加科学、合理地配置和应用调脂药物。以提高治疗效果和患者满意度。医疗机构利用评价成果来指导药品采购目录的编制、推动临床合理用药,并遏制不合理的药品开支,有助于调整改进医疗机构的药品配置,提升用药安全性和合理性。

政府在儿童药品临床综合评价决策过程中发挥关键作用,资金支持、保障措施和政策重视有利于促进评价决策体系的发展和完善。首先,建议对儿童药品临床综合评价项目研究提供考核激励机制。考核标准重点围绕评价结果转化设定,同时关注转化后决策的实际应用价值和成效^[27]。通过这样的措施,可以更好地鼓励和激发决策者和执行者的积极性,促进综合评价结果的有效利用。其次,建议国家在各地区定期举办儿童药品临床综合评价

相关培训项目,培养和强化儿童药品临床综合评价的专业人才队伍。有助于提升儿童药品评价工作的质量,进而促进评价结果在国家药物决策中的有效运用。再次,建议评价结果报告应详尽地包含 2 个核心部分:一是对药品价值的综合评价判断,二是基于评价结果提出具体推荐意见。如不能给出综合评价意见需说明原因及评价过程遇到的困境,以便后续研究优化,提高综合评价效率和资源利用率。基于推荐意见提出关于基本药物的遴选和动态调整、药品采购、临床合理用药的建议,优先推荐综合价值高的药品和治疗方案,以形成儿童药品临床综合评价环路,更好地推动评价结果转化应用于儿童药品决策。

4 结语

为促进药品回归临床价值,我国探索构建了儿童药品临床综合评价机制。通过多维度的评价儿童药品的临床综合价值,为儿童药品供应保障决策提供技术支持。但实践中,多个关键环节仍需进一步规范和完善。针对现存的不足,建议我国可以从加强立法、合理选择评价维度、完善儿童药品创新性评价体系、健全 RWD 机制、建立有效的评价决策支持机制等方面进行完善,推动我国儿童药品评价工作规范化,保障儿童药品的供应与合理使用。研究和完善儿童药品临床综合评价机制,对优化儿童药品的研发、巩固完善基本药物制度、促进儿童药品创新和加强药品监管都具有重要意义,未来将成为我国医药卫生领域面临的重点问题。

利益冲突 所有作者均声明不存在利益冲突

参考文献

- [1] 张豪,耿莹,孙艳喆,等.《真实世界研究支持儿童药物研发与审评的技术指导原则(试行)》起草背景及要点内容[J].中国临床药理学杂志,2021,37(2):197-200,208.
Zhang H, Geng Y, Sun Y Z, et al. Background and key elements of guidance of real-world research to support drug development and evaluation in children [J]. Chin J Clin Pharmacol, 2021, 37(2): 197-200, 208.
- [2] 周鹏翔,沙莉,刘玲,等.奥马珠单抗治疗儿童中重度支气管哮喘的临床综合评价[J].临床药物治疗杂志,2024,22(3):31-37.
Zhou P X, Sha L, Liu L, et al. Comprehensive clinical evaluation of omalizumab in the treatment of moderate-to-severe bronchial asthma in children [J]. Clin Med J, 2024, 22(3): 31-37.

- [3] 万勃, 尉耘翠, 曹旺, 等. 艾曲泊帕治疗儿童免疫性血小板减少症的临床综合评价 [J]. 实用药物与临床, 2024, 27(2): 91-96.
Wan B, Yu Y C, Cao W, et al. Comprehensive clinical evaluation of eltrombopag in the treatment of immune thrombocytopenia in children [J]. Pract Pharm Clin Remedies, 2024, 27(2): 91-96.
- [4] 李勇, 胡培杰, 张乐彤. 国内外儿童用药研发现状及激励政策比较 [J]. 中国药物评价, 2023, 40(1): 12-16.
Li Y, Hu P J, Zhang L T. International comparative analysis of research and development status and incentive policies of pediatric drugs [J]. Chin J Drug Eval, 2023, 40(1): 12-16.
- [5] 程瑶瑶, 宋沧桑, 李兴德, 等. 基于真实世界数据的药品临床综合评价研究进展 [J]. 中南药学, 2024, 22(2): 473-476.
Cheng Y Y, Song C S, Li X D, et al. Research progress in clinical comprehensive drug evaluation based on real world data [J]. Cent South Pharm, 2024, 22(2): 473-476.
- [6] 曹旺, 尉耘翠, 刘璐, 等. 达沙替尼治疗儿童费城染色体阳性急性淋巴细胞白血病的临床综合评价 [J]. 中国药物评价, 2021, 38(3): 183-190.
Cao W, Yu Y C, Liu L, et al. Comprehensive clinical evaluation of dasatinib in the treatment of children with Philadelphia-positive acute lymphoblastic leukemia [J]. Chin J Drug Eval, 2021, 38(3): 183-190.
- [7] 解鑫赫, 刘润红, 侯月秀, 等. 头孢唑林与头孢呋辛用于儿童清洁手术预防用药的临床综合评价 [J]. 中国现代应用药学, 2023, 40(22): 3129-3135.
Xie X H, Liu R H, Hou Y X, et al. Clinical comprehensive evaluation of cefazolin and cefuroxime in pediatric clean surgical prophylaxis [J]. Chin J Mod Appl Pharm, 2023, 40(22): 3129-3135.
- [8] 尉耘翠, 贾露露, 胡利华, 等. 儿科临床药师对吸入性糖皮质激素类药物应用的临床综合评价 [J]. 中国医院用药评价与分析, 2020, 20(10): 1260-1262, 1266.
Yu Y C, Jia L L, Hu L H, et al. Clinical comprehensive evaluation on the application of inhaled corticosteroids by pediatric clinical pharmacists [J]. Eval Anal Drug Use Hosp China, 2020, 20(10): 1260-1262, 1266.
- [9] 李梅芳, 胡思源, 牛丽青, 等. 小儿肺热咳喘口服液治疗小儿急性支气管炎(风热犯肺证)的临床综合评价 [J]. 药物评价研究, 2024, 47(6): 1326-1336.
Li M F, Hu S Y, Niu L Q, et al. Clinical comprehensive evaluation of Xiaer Feire Kechuan Oral Liquid in treatment of acute bronchitis in children(syndrome of wind-heat invading lung) [J]. Drug Eval Res, 2024, 47(6): 1326-1336.
- [10] 张强, 王志飞, 谢雁鸣, 等. 肺力咳合剂治疗急性支气管炎痰热犯肺证的临床证据与价值综合评价 [J]. 中国实验方剂学杂志, 2024, 30(15): 120-128.
Zhang Q, Wang Z F, Xie Y M, et al. Comprehensive evaluation of clinical evidence and value of feilike mixture in treatment of acute bronchitis with phlegm-heat invading lung [J]. Chin J Exp Tradit Med Form, 2024, 30(15): 120-128.
- [11] 朱碧帆, 胡嘉浩, 刘宇晗, 等. 药品临床综合评价创新性指标的构建: 以 PD-1/PD-L1 抑制剂为例 [J]. 中南药学, 2023, 21(4): 979-983.
Zhu B F, Hu J H, Liu Y H, et al. Construction of indicator system for innovation in clinical comprehensive evaluation: Taking PD-1/PD-L1 inhibition as an example [J]. Cent South Pharm, 2023, 21(4): 979-983.
- [12] 王钰, 韩玉玲, 王忠兰, 等. 国家集采药品孟鲁司特钠治疗儿童哮喘的临床综合评价 [J]. 中国医院药学杂志, 2024, 44(10): 1111-1117.
Wang Y, Han Y L, Wang Z L, et al. Clinical evaluations of montelukast sodium in the treatment of children with asthma [J]. Chin J Hosp Pharm, 2024, 44(10): 1111-1117.
- [13] Purpura C A, Garry E M, Honig N, et al. The role of real-world evidence in FDA-approved new drug and biologics license applications [J]. Clin Pharmacol Ther, 2022, 111(1): 135-144.
- [14] 刘抚瑶, 陈斌斌, 左宝建, 等. 我国药品临床综合评价的研究进展 [J]. 中国药物经济学, 2023, 18(5): 23-28.
Liu F Y, Chen B B, Zuo B J, et al. Thoughts on clinical comprehensive evaluation of drugs in China [J]. China J Pharm Econ, 2023, 18(5): 23-28.
- [15] Makady A, van Veelen A, Jonsson P, et al. Using real-world data in health technology assessment (HTA) practice: A comparative study of five HTA agencies [J]. Pharmacoeconomics, 2018, 36(3): 359-368.
- [16] Alemayehu D, Ali R, Alvir J M J, et al. Examination of data, analytical issues and proposed methods for conducting comparative effectiveness research using "real-world data" [J]. J Manag Care Pharm, 2011, 17(9 Supp A): 1-37.
- [17] 赵锐, 石秀园, 刘春平, 等. 基于因子分析法的药品临床综合评价决策转化影响因素分析 [J]. 中国卫生经济, 2021, 40(5): 61-64.
Zhao R, Shi X Y, Liu C P, et al. Investigation on influencing factors of drug clinical comprehensive evaluation decision transformation based on factor analysis [J]. Chin Health Econ, 2021, 40(5): 61-64.
- [18] Geng Y, Li Q, Sun Y Z, et al. Regulatory considerations for paediatric drug evaluation in China [J]. BMJ Paediatr

- Open, 2023, 7(1): e001666.
- [19] 戴泽琦, 景城阳, 吴雪, 等. 国内外药品临床综合评价指标体系研究的系统评价 [J]. 中国循证医学杂志, 2023, 23(7): 776-782.
- Dai Z Q, Jing C Y, Wu X, et al. Clinical comprehensive evaluation system of drugs: A systematic review [J]. Chin J Evid Based Med, 2023, 23(7): 776-782.
- [20] 潘婕, 朱文涛. 中成药临床综合评价指标体系及评价路径 [J]. 药物评价研究, 2024, 47(2): 221-229.
- Pan J, Zhu W T. Clinical comprehensive evaluation indicator system and path of Chinese patent medicine [J]. Drug Eval Res, 2024, 47(2): 221-229.
- [21] 胡思源, 马融, 李梅芳, 等. 多维度多准则儿童中成药临床综合评价指标框架的构建 [J]. 中草药, 2024, 55(5): 1427-1435.
- Hu S Y, Ma R, Li M F, et al. Construction of multi-dimensional and multi-criteria clinical comprehensive evaluation index framework for children's Chinese patent medicine [J]. Chin Tradit Herb Drugs, 2024, 55(5): 1427-1435.
- [22] Michaeli D T, Michaeli T, Albers S, et al. Special FDA designations for drug development: Orphan, fast track, accelerated approval, priority review, and breakthrough therapy [J]. Eur J Health Econ, 2024, 25(6): 979-997.
- [23] U.S. Food and Drug Administration. Advancing Health Through Innovation: New Drug Therapy Approvals 2023 [R/OL]. (2024-01-08)[2024-09-22]. <https://www.fda.gov/media/175253/download?attachment.pdf>.
- [24] 尉耘翠, 肖月, 刘克军, 等. 基于真实世界数据的儿童药品综合评价路径研究 [J]. 中国卫生信息管理杂志, 2023, 20(4): 520-524, 531.
- Yu Y C, Xiao Y, Liu K J, et al. Approach to comprehensive evaluation of children's medication based on real-world data [J]. Chin J Health Inform Manag, 2023, 20(4): 520-524, 531.
- [25] Akehurst R, Murphy L A, Solà-Morales O, et al. Using real-world data in the health technology assessment of pharmaceuticals: Strengths, difficulties, and a pragmatic way forward [J]. Value Health, 2023, 26(4): 11-19.
- [26] Makady A, Ham R T, de Boer A, et al. Policies for use of real-world data in health technology assessment (HTA): A comparative study of six HTA agencies [J]. Value Health, 2017, 20(4): 520-532.
- [27] 石秀园. 我国药品临床综合评价认知现状及决策转化影响因素研究 [D]. 昆明: 昆明医科大学, 2021.
- Shi X Y. Study on the cognitive status and influencing factors of decision-making transformation of clinical comprehensive evaluation of drugs in China [D]. Kunming: Kunming Medical University, 2021.

[责任编辑 刘东博]