

## 海南与国家医保局携手探索真实世界数据在医保领域创新应用

# 探索良药入保新方案

■ 本报记者 陈子仪 特约记者 何颖

新华社·延伸

真实世界数据  
为何会进入  
医保决策的视野  
扫一扫看海报



总策划:曹健 张杰 齐松梅  
执行总监/主编:许世立  
版面设计:张昕  
检校:王振文 苏建强  
海报文案:许世立  
海报制作:杨千懿

“ 医保谈判桌上的激烈交锋,让许多人印象深刻。近年来,我国加快医保谈判节奏,推动集中带量采购,让越来越多的药械以适宜价格纳入医保,切实减轻了老百姓的就医负担。

事实上,将何种药品纳入医保,确定什么样的价格,并非简单的挑选和计算。既要保障更多群众的医疗权益,也要确保医保基金的可持续性,才能真正用好这笔人民群众的“救命钱”。

近日,海南省政府与国家医保局签署合作备忘录,支持海南深入开展真实世界数据在医保领域的理论研究和创新应用试点,推动医保事业高质量发展,助力海南自由贸易港建设。这也是国家医保局成立以来,首次与省级政府签署真实世界数据医保创新应用方面的合作协议。

什么是真实世界数据?如何支持医保领域创新应用?将给老百姓的看病就医带来怎样的变化?2023年12月28日在博鳌召开的中国(海南)第一届真实世界数据医保创新应用大会上,近千名专家学者建言献策。在医保改革的进程中,摸着石头过河的海南,正带来诸多启示。

## A 为何需要真实世界数据?

医保目录调整,近年来受到社会各界广泛关注。越来越多的抗癌药、罕见病用药被纳入医保,为许多重症家庭带去了希望。国家集中带量采购的心脏支架、人工关节等高价医用耗材,平均降价超80%,进一步减轻了群众看病就医的负担。

对于百姓而言,当然希望有更多的药品被纳入医保。但选择哪些药品,却是一个十分复杂的过程。

这个过程是医保决策的一部分。医保决策,是指在医疗保险领域中做出的各种决策,涉及到医疗保险的覆盖范围、报销比例、支付方式、医保费用等方面。简单来说,医保决策将影响到患者去医院看病,能否使用医保来支付部分或全部医疗费用。

医保决策的目的,不仅是要尽可能保障参保人的医疗权益,同时也要控制医疗费用的增长,确保医保基金的可持续性。而这些,都需要足够科学客观的证据作为支撑。

近几十年来,循证医学方兴未艾。在进行医疗决策时,循证医学更强调依据现有的、最好的科学研究结果。因此,作为循证医学最高等级的临床证据,随机对照试验(RCT)被药监和医保部门广泛采用。它是通过随机分配研究对象到不同的治疗组或对照组,并对其进行比较和分析,以评估治疗方法的效果,被认为是评价药物安全性和有效性的“金标准”。

但在辅助医保决策上,随机对照试验有其局限性。这是因为,其试验对象一般不包括老人、小孩、孕妇等,不能充分代表医保所要覆盖的目标人群,而且试验也难以在特定疾病领域实施,如罕见病等。此外,随机对照试验也需要高昂的时间和金钱成本。加上临床试验无法反映患者用药后,因并发症、不良反应等带来的额外医疗消耗等,这些都与医保决策的实际需求存在差异。

“所有的医保支付、医疗行为不会发生在‘真空’里,也不会发生在非常严谨的试验条件下。”国家医疗保障局医药服务管理司司长黄心宇表示,在当前新环境新形势下,医保目录调整面临着

不小挑战。新药上市和纳入医保的速度加快,不少药品依靠单臂二期、三期临床试验上市,用于医保决策的证据不够充分。

因此,作为循证医学的后起之秀,真实世界数据如今受到全球各方的关注。

真实世界数据,是指来自现实医疗环境的、传统临床试验以外的数据,能较为科学地反映实际诊疗中患者健康状况和医疗服务过程。

目前,在美国、英国等国家,已有借助真实世界数据辅助医保决策的探索。如美国对于已经获食品药品监督管理局(FDA)批准上市,但尚无足够证据支持国家医保报销决定的药品、医用耗材与诊疗技术,可进一步开展真实世界数据研究,明确医疗产品的实际疗效与经济价值以支持是否纳入医保目录。英国对于可能具有潜在成本效益但尚无足够证据支持全国医保目录准入的抗癌创新药,在其上市后可获得临时报销补偿,在癌症药物基金(CDF)管理下使用,但要求企业继续收集真实世界临床使用数据进行再评价,为癌症创新药的临床疗效和成本效益提供更丰富的信息,以判断该药品是否达到医保报销目录的准入要求。

国家医疗保障局副局长黄波介绍,真实世界数据是现实世界的客观数据,反映着真实世界的情况,更接近于现实世界的本来面目,真实世界数据尤其是医保、医疗、医药方面的真实世界数据有着良好的现实性、及时性和客观性。

“作为随机对照试验的另一面,真实世界数据在医保决策中有很大的潜力。”海南医学院管理学院院长王朝昕表示,医保局作为代表参保群众的价值购买方,必然希望购买到公平可及、安全有效、性价比高的产品和服务,而真实世界数据研究应用能够为医保的战略购买提供数据支撑,同时,多维度评估药品等在真实应用场景下的临床价值、经济价值等,能够为医保药品目录调整、集采谈判药品评价、中医药质量疗效评价等提供参考依据。

如何解释

### | 真实世界研究 |

真实世界研究,即在真实世界环境下收集与患者有关的数据,通过分析,获得医疗产品的使用价值及潜在获益或风险的临床证据的研究过程。

### | 真实世界数据 |

真实世界数据,是指来自现实医疗环境的、传统临床试验以外的数据,能较为科学地反映实际诊疗中患者健康状况和医疗服务过程。

### | 医保决策 |

医保决策,是指在医疗保险领域中做出的各种决策,涉及到医疗保险的覆盖范围、报销比例、支付方式、医保费用等方面。

## B 为什么是海南?

实际上,“真实世界数据+医保应用”在我国已有实践先例。

国家医保局曾组织开展集中带量采购中选仿制药疗效与安全性的真实世界研究,全国16个省份40余家医疗机构参与,全病程跟踪28万病例。这一研究主要为了确认集采仿制药的疗效和安全性,真实世界数据证明,这些中选仿制药与原研药具有相同的成分和疗效,让广大患者吃下了“定心丸”。

在海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区,也已有借助真实世界研究,加速全球创新药械在海南落地应用的实践。

但要将真实世界数据转化为辅助医保决策的证据,仍需要大量专业深入的分析和研究。从数据到证据,一字之差,背后是一套规则和标准的建立。就如同烹饪食物,数据只是原材料,通过严谨的烹饪,才能够变成美食。如果方法不够严谨,数据不仅无法支持决策,还有可能误导决策。

在并无太多经验可借鉴的情况下,国家医保局和海南携手,正扮演着引路人的角色。依托真实世界研究,探索真实世界数据在医保领域的创新应用。

“国家医保局与海南的牵手有其必然性。”在海南省真实世界数据研究院理事长、温州医科大学眼视光医学部主任瞿佳看来,海南有着独一无二的政策优势,国家赋予乐城先行区“先行先试”特许经营政策,进口药械可以在乐城先行使用,加上国家将全国唯一的临床急需进口医疗器械和药品使用的审批权下放给海南,推动海南成为全国首个开展临床真实世界数据应用试点区域。

依托政策优势,海南已经搭建了国内首个区域性真实世界数据平台——海南省真实世界数据平台。该平台通过采集乐城先行区内医疗机构信息化系统、特药器械追溯管理平台等系统的数据,经标准化的数据采集、治理和管理后,形成满足药械注册研究所需的真实世界数据,为开展真实世界数据医保创新应用提供支持。

为解决数据质量不高、数据流通不畅等问题,2020年海南启动三医联动改革信息化建设,建成的医保信息平台于2022年通过国家医保局验收,海南成为全国首个通过国家医保局验收的省份。医保信息平台的上线,解决了医保信息系统标准不统一、数据不互认、系统分割、难以共享、区域封闭等弊端,将一座座数据的孤岛连接起来。

在乐城产生的真实世界数据,如国外已上市国内未上市的特许药械使用数据等,是国内其他地方无法获得的,加之数据平台的建设,为真实世界数据的科学规范使用提供了有力支持。这一系列硬件基础,让海南在探索真实世界数据在医保领域的创新应用方面,有着其他地方不可比拟的优势。

开展真实世界数据研究,离不开人才的支撑。海南省医疗保障局局长李文秀表示,目前,国家药监局联合四川大学华西医院成立了海南真实世界数据研究与评价重点实验室。同时,我省还组建了由北京大学、浙江大学、复旦大学、清华大学等国内顶尖院校知名专家组成的跨学科专家团队,为真实世界数据研究提供智力支持。

## C 怎样“过河”?

通过真实世界研究,全球创新药械加快了在中国上市的速度,但老百姓是否用得起,费用如何负担,仍然是一个待解题,这也是真实世界数据辅助医保决策的研究方向。

作为我国首个临床真实世界数据应用试点区域,乐城先行区自2019年启动试点工作以来,已有13个产品通过真实世界数据辅助临床评价,获得国家药监局批准上市。

“乐城先行区积累了丰富的真实世界研究经验,为进一步扩大真实世界数据在医保等领域的应用奠定了坚实的基础。”乐城先行区管理局党委书记、局长贾宁表示,真实世界数据在药品评价、医保价值购买、卫生临床技术应用等方面都有很大应用空间,乐城先行区将继续做好先行先试的工作,并协同医保部门、医疗机构等相关研究部门做好试点产品的数据采集工作,助力真实世界数据辅助医保决策。

走在前列的海南,实际上一直动作不断。

2023年,海南医保局公开征选真实世界数据医保应用相关技术规范、指导原则等11个课题,为开展真实世界数据医保应用谋划顶层设计,预计这批课题将于2024年6月前结题。此外,2023年12月初,海南省政府与国家医保局共同制定了有关方案,为海南推进真实世界数据医保应用明确了实施路径。

在中国(海南)第一届真实世界数据医保创新应用大会开幕式上,海南真实世界数据医保创新中心正式揭牌。这是我国首个在医保领域开展真实世界研究的机构,未来该中心将开展真实世界数据在医保领域创新应用的理论研究、技术开发、推广应用等工作。

在王朝昕看来,2023年2月,海南省医保局发布的《关于推进真实世界数据医保创新应用的若干意见》,填补了真实世界数据用于医保制度设计的空白,为医保应用创新从评价方法上另辟蹊径,对医保理论体系建设起到了很大的推动作用。这是海南充分发挥自由贸易港制度集成创新优势,指导真实世界数据医保应用落地而进行的先行先试。

“此外,海南可以向河北、浙江等数据大省借鉴学习。”王朝昕表示,海南可以鼓励人才通过参与标准制定、数据管理与治理、数据质量控制以及数据分析与挖掘等工作,强化数据专业人才培养建设,提高医保数据的质量和可信度,支持医保管理和决策的科学化和精细化,进一步提升医保服务的质量和效率。

作为海南真实世界数据研究的深度参与者,瞿佳表示,中国(海南)第一届真实世界数据医保创新应用大会集聚了医保部门、专家学者、药械企业等各方资源,海南可充分利用这一平台,形成机制化会议,为真实世界数据医保创新应用集思广益。

作为先行者,海南“摸着石头过河”仍在继续。李文秀表示,未来,海南将积极做好医保数据结构化与标准化治理,加快构建真实世界数据库及管理规则,试点开展乐城特许药械医保准入工作,为中国医保改革提供更多来自海南的智慧和经验。

(本报博鳌1月9日电)