

• 药物经济学 •

浅谈药物经济学研究方法的比较分析

刘炳波¹, 郭爱新¹, 何志高² (1. 山东省威海市立医院药剂科, 威海 264200; 2. 上海第二军医大学药学院, 上海 200433)

关键词: 药物经济学; 研究方法; 比较

中图分类号: F407.7

文献标识码: B

文章编号: 1006-0111(2000)02-0119-02

药物经济学是近年来发展起来的一门新兴的边缘学科, 其基本理论和基本概念已为广大的药物经济学研究人员所熟悉, 广大的研究人员也已开展了药物经济学的实际研究。药物经济学作为一门应用性的学科, 其研究的结果应能反映临床实际情况, 这就要求研究人员在进行药物经济学研究时尽可能从实际出发设计研究方法。

目前在进行药物经济学研究时, 一般常采用 3 种研究方法, 一是随机临床试验 (randomised controlled trial, 简称 RCT); 二是观察性研究 (observation study); 三是实际临床试验 (pragmatic clinical trial, 简称 PCT)。为了便于对这三个方法进行比较分析, 有必要明确功效和效果这两个概念之间的差别。众所周知, 药物经济学常用的研究方法之一是成本-效果分析, 其英文名称为 cost-effectiveness analysis, effectiveness 国内目前常将其翻译成效果, 从理论上讲, 它与 efficacy(功效) 是两个完全不同的概念。一般认为效果是在药物的临床实际使用条件(即自然状态)下, 特定人群中患有特定疾病的个体接受药物治疗后可能获得的效益; 美国技术评估办公室(Office of Technology Assessment)认为功效是在药物的理想使用条件下, 特定人群中患有特定疾病的个体接受药物治疗后可能获得的效益。从功效和效果的定义中, 我们可以认为效果是药物经济学研究所需要的, 它最能反映临床实际情况。

1 随机临床试验

它以某个时间点为起点向前进行研究, 要

求所有试验对象均随机分配到实验组和对照组, 按照试验设计的要求对个体进行药物治疗、检查。在随机临床试验中, 不论是实验组还是对照组, 研究个体除了所使用的药物不同外, 其他应相同(包括所作的各种检查、其他治疗手段等), 临床医生不能随意修改治疗方案, 如给药剂量、给药次数等。随机临床试验有三大优点: 一是均衡, 试验对象随机分配到各组, 消除了分配偏倚; 二是便于组间比较, 因为随机化消除了设计中未直接考虑而在试验中存在的干扰因素可能产生的偏倚; 三是能有效地对各处理组间进行统计的显著性检验。缺点是研究经费较高、费时。前瞻性随机临床试验是研究药物功效的一种方法, 用于评价新药的功效确实不失为目前最好的方法, 但由于其可能存在过高估计药物治疗成本, 从而掩盖研究药物与对照药物之间原本存在的成本差异的缺陷, 因而在用于评价药物的经济学效果时并不是最理想的方法。

2 观察性研究

观察性研究是基于回顾性数据的一种研究方法, 它主要用于评价药物的效果, 实际操作时按照研究设计的要求, 以某个时间点为研究的终点, 收集过去某个时间范围内满足研究要求的所有病例作为研究对象。该法的主要优点是研究结果反映的是临床实际情况, 同时省钱、费时少。缺点是存在分配偏倚, 造成研究组和对照组病人间的基本特征不一致, 进而影响研究结果的准确性。对于样本数足够大的研究, 可以采用分层或配对的方法来消除非随机分组所

带来的研究组和对照组之间的不一致,即偏倚。

3 实际临床试验

它与随机临床试验一样,以某个时间点为起点向前进行研究,将所有试验对象随机分配到实验组和对照组;不同的是它不要求对研究组和对照组作相同的检查或采用其他相同的治疗手段等,它允许临床医生根据自己的临床经验修改治疗方案,如改变药物的用量、用药次数等。实际临床试验除了拥有随机临床试验的三大优点外,它还反映了临床药物使用的实际情况;缺点是研究经费较高、费时。实际临床试验主要用于评价药物的效果。

4 讨论

RCT 因其能有效消除药物经济学研究中存在的偏倚,目前是药物经济学研究中用的一种方法,有人甚至把它看作是药物经济学研究的金标准,但从功效和效果及药物经济学应用于实践的特性的角度来看,只有基于药物效果而不是药物功效的药物经济学评价才更实用,更能为广大医药工作者所接受。采用随机临床试验的方法获得的药物经济学结果属于功效研究,只能看作是成本功效分析,不能被认为是成本效果分析;另外它可能会过高估计药物

治疗的成本,不能反映真实世界(real world)(临床实际)里的成本情况。PCT 是一种在真实世界下评估药物效果的一种方法,与 RCT 相比有了大的进步,应该说是一种比较好的药物经济学研究方法,但由于其拥有与 RCT 某些相同的缺点,如费时、费钱、样本数偏少及随访期短等,目前该法用的并不多,远远少于 RCT。相比之下,基于回顾性数据的观察性研究倒不失为进行药物经济学研究的一个行之有效的方法,由于观察性研究省钱,费时少,只要拥有适当的样本数和足够的统计能力(statistic power),就能确保样本的代表性和研究对象间的一致性。

本文对药物经济学研究常用的 3 种方法进行了比较,希望能有助于提高我国药物经济学研究的质量和水平,各研究者可根据研究的实际情况选择自己认为合适的研究方法。当然,药物经济学的研究方法并不限于以上 3 种方法,我们还可以运用其他的方法,如模型模拟的方法等。可以预见,在未来的十年,药物经济学研究将在控制药品费用中起到十分重要的作用。

收稿日期:1999-11-26

药物经济学和结果研究中心成立

由第二军医大学药学院和上海罗氏制药有限公司共同发起的“药物经济学和结果研究中心”于近日成立。中心是一个集研究、教育和服务于一体的非盈利性开放机构。其宗旨在于宣传药物经济学和结果研究的最新研究成果和理论,增强与国际间的交流与合作,促进药物经济学在中国的发展,使药物经济学的研究成果早日应用于实践。欢迎全国有志于从事药物经济学和结果研究的单位和个人加入本中心,成为中心的一员。中心将定期给中心成员免费提供有关药物经济学和结果研究的最新资料,不定期组织学术交流活动。中心目前在 Internet 上建有自己的网站(网址: <http://www.chcpor.net>),辟有知识介绍、网上论坛、国内外最新进展、站点导航、网员入会等栏目,欢迎访问、欢迎加入。

中心地址:上海市国和路 101 号第二军医大学药学院 200433

联系人:何志高

E-mail: chcpor@chcpor.net