



# 药价生死战

随着对药品支出控制需求的增加，  
新的药品定价方法变得至关重要。



# 制药业所面临的主要挑战已经发生了改变



首先，在过去十年里，专利到期的重磅药物数量空前之多，而部分制药企业未能迅速推出新的替代的创新药物。这导致一些制药公司的销售和利润增长从两位数下降至很低的个位数。尽管许多企业进行了积极的并购和整合，再加上国外一些市场重量级品牌的价格同比大幅上涨，掩盖了这种不景气的情况，但行业的整体前景仍令人沮丧。

与此同时，也有一些好消息：随着新分子实体药物（NMEs）获得监管批准，在研产品的产出得以恢复，这些新分子实体药物等同于甚至超过了90年代繁荣时期上市的新药数量。与此前的重磅药品的区别在于这些新分子实体药物大多是专科特药，针对少数患者更为复杂的病情。在这些特殊药物中，近一半针对的是罕见病或孤儿病患者，另有25%用于治疗不一定罕见但非常复杂，以至于需要由免疫学、肿瘤学、神经学、内分泌学和心脏病学等领域的专科医师合力进行治疗的疾病。

这些药物研究和开发的费用是个天文数字——根据最近的估计，平均每种产品耗资26亿美元。<sup>1</sup>为了收回成本，制药企业推向市场的药品价格已经从每个患者每年的几百美元飙升到了数万美元。在肿瘤学方面，每年药物治疗的价格超过10万美元已经司空见惯。而且，某些孤儿病的药物价格可能在20万美元到50万美元之间。因此，据美国市场营销协会(AMA)的数据显示，虽然专科特药仅占医药处方的12%，但其销售额却占药品总支出的72%，这也就不足为奇了。<sup>2</sup>

进入市场的第二大挑战：在过去，未被满足需求的概念有着不可逾越的地位。政府和个人愿意（或者别无选择）为高昂的价格买单。由于接受治疗的疾病非常严重，患者数量又很少，以至于任何一种昂贵的专科治疗对整个制药业预算的财政影响都很小。

在目前的环境下，这样的情况已经不存在了。随着价格过高的特效药疗法的激增，其中许多药物被用于针对复杂疾病进程的联合疗法，药物定价开始受到支付方的严格审查。支付方能够对药品施加降价压力。造成这种改变的原因是什么？制药企业倾向于抱团组队，比如紧跟科学发展——通常源于学术实验室和公立研究机构，并开发类似的针对相同适应症的创新药物。因此在单一的药物类别甚至是罕见病药物中也有多种药物治疗可供选择。

尽管这种变化并非刚刚开始，但即将到来的特药预算危机促使支付方采取更加积极的控费措施。支付方正在通过产品间的竞争获得更低的支付价格。然而，定价上的折扣仅仅是个开始。全球越来越多发达市场的支付方采用其国家医疗政策框架内允许的价格控制机制，以强制促使每年药物降价或某种药物被批准用于新的适应症后进行降价。此外，支付方也越来越依赖于“带量采购，独家中标”的模式，在药物具有同等功效的情况下，授予价格最低的企业近乎独家的使用权。

当不能直接管理价格时，支付方可以在某些情况下对治疗方案的选择进行限制，甚至对于某些医生治疗的偏好主导的疾病也是如此。例如，美国的一些商业保险公司目前采取了奖励措施激励医疗服务提供方，鼓励其选择某些特定肿瘤学和免疫学药物。并且，在医学界意见领袖的指导下，各类支付方甚至对在复杂治疗方案中使用的药物的顺序或组合施加影响。

这些变化让制药公司意识到，目前的特药定价方法已经难以为继。仅仅因为疾病罕见或复杂而要求支付高昂的创新费用的日子已经屈指可数，或者早已成为了过去时。如今，大多数药品研发企业认识到，应对支付方审查的解决方案是可以有效和透明地将药品价格与价值挂钩的定价模型。当然，寻求新的定价模式，并同时兼顾继续为患者及医疗机构提供其所需的增值服务以改善治疗效果，十分具有挑战性。然而，至少到目前为止，事实证明采取更有效透明的定价模式极具挑战性。

为了帮助制药企业在这样一个充满挑战的环境下制定药品定价和准入策略，本文涵盖了以下内容：

- 支付方和药企在定价、报销和准入方面的观念冲突
- 为什么完全基于结果的定价或价值导向合约还不可行？
- 深入研究制药企业目前可用的过渡阶段的定价模式
- 在向更公平和透明的定价模式的演进过程中，对企业应该采取的首要措施的指导

# 支付方与制药公司观点相互冲突

在全球范围内，随着支付方重新思考如何管理药品支出等医疗费用，多个利益相关方受到冲击。美国的私立医疗机构为了降低医疗系统的成本，各医疗机构之间进行了整合，以实现规模效益。在公共医疗方面，政府正在对药品成本与效益进行评估，并要求医生在为特定类型的患者处方时执行统一标准。

在欧洲，由于对降低费用的重视，各国及区域卫生系统通过采用更严格的卫生技术评估（HTA）方法，药品定价更加严格，病人获得药品的机会也受到了限制。后者旨在将新的创新的定价和与现有标准治疗方案相比产品可带来的额外利益联系起来。最主要的是现如今的支付方有更大的议价权力，并要求其选择报销的新药有显著的优势。

大多数药品生产企业认识到，新的创新必须在价格和为患者提供的价值之间实现更大的一致性。然而，对定价压力的本能反应往往是提高结果导向定价的可能性，不然就是所谓的按效果付费或价值导向的合约。据联邦基金会

（Commonwealth Fund）的一项研究显示，截至2017年9月，美国各细分市场中25种药物与支付方签署了不同类型的结果导向方案。<sup>3</sup> 问题在于对于有标准治疗方案的疾病和单一适应症的药物方案主导的疾病，特别是骨质疏松症、糖尿病和丙型肝炎，这些模式的适用性似乎受到了限制。到目前为止，结果导向的定价模式似乎对完全融入了医疗服务（即支付方与服务提供方形成闭环医疗系统或一体化的服务网络）的支付方最具吸引力。

在欧洲，特别是英国和意大利，政府支付方与制药业签订了风险共担协议。这些协议在肿瘤领域中最为常见，试图通过药物治疗是否有效来确定价格，控制支付方的成本风险。然而，事实证明，这些模式要么管理起来过于复杂，要么与传统的降价或打折模式相比，并未将药品定价与价值联系得更紧密。值得注意的是，当涉及到特药和孤儿药物时，结果导向定价目前面临着太多壁垒。（请参阅后面两页获得有关结果导向定价壁垒的详细信息。）



## 结果导向的定价壁垒：

- **技术和数据基础障碍**— 一方面，已有的患者海量大数据、直观的患者疗效报告工具、社交媒体平台、物联网和电子健康记录（EHRs）应使治疗结果量化结果更具可行性。然而，制药企业还没有掌握获取真实世界证据（RWE）的方法。这些证据可持续、实时反应药品的效用及经济价值。而这远远超出了通常意义上研发得到的临床数据要求。此外，制药企业或支付方究竟谁更适合牵头数据收集和分析尚无定论，更不用说随时间推移而产生的管理数据的成本。
- **患者隐私限制**— 结果导向定价模型试图以最简单纯粹的方式将药物定价与个体患者的实际治疗结果联系起来。这意味着需要对患者层面的数据进行收集、分析和保护。患者隐私一直是医疗领域的热门话题，然而引入《通用数据保护条例》（GDPR）可能会严重限制结果导向定价的患者数据使用。今年欧洲新出台了法律政策，并对跨国公司的欧洲业务造成影响。此外，该法律中有关数据限制的条例将很快对美国生效。考虑到其风险性，在制药公司确定患者数据可使用的范围之前，不宜过多研究结果导向的支付方式。
- **不明确的激励机制**— 制药企业将结果导向支付看作自己从竞争中脱颖而出的方式，然而支付方却并没有这样的动机来接纳这种模式。对于支付方而言，利用企业间竞争获取折扣仍然是最简单的手段。此外，因支付方的预算和人力有限，额外的成本和管理难度使得根据不同药品制定独特的定价方案通常是不可能的。

## 现在真实世界证据的投入是为了实现明日更加透明的定价机制

随着生命科学行业愈加关注罕见疾病和个性化医疗，为临床试验招募足够的入组患者十分困难。

使用临床证据，基于短期发现对长期获益的推断几乎是不可能的。相反，制药企业愈发需要依靠真实世界证据（RWE）确定这些治疗方案的价值。在这种情况下，价值不仅包括药物的有效性，还体现在能否改善生活质量和减轻疾病负担。<sup>4</sup>

不管整体还是其中某些部分，对于治疗方案的真实世界证据，达到对其价值进行量化分析的水平极为复杂。因此，制药企业应投入大量时间及资源来探索这一问题。由于企业无法过多控制的药品在治疗体系中的使用方式，该分析必须考虑到不同的情况以及每种情况下的药品报销方式。最终，目标是让整个体系共同协作，以解决导致真实世界证据（RWE）收集及分析效率低下的问题。

## 互通性的好处

医药行业普遍遵循的监管政策中关于效果导向定价的假设目前正处于变革阶段。例如，药行业正花费大量精力实现《药品供应链安全法案》（DSCSA）的要求——药品供应链各环节相关方和美国食品药品监督管理局（FDA）在2023年前能够通过互通性系统对产品进行实时追踪。随着时间的推移，这些努力将在特定患者使用特定药物的药效追踪中发挥重要作用。然而，仍需数年时间才能实现。

- **陈规旧例**—监管环境掌控着制药企业和支付方的互动，在设计结果导向合同时往往面临着挑战。尽管支付方通过使用结果导向支付方式有可能看见高价药品的价值，他们制定协议所期望基于的特定临床终点，药品通常不会在临床试验中进行研究。通常情况下，除非数据在产品说明书上标出，否则它无法作为协议的依据。此外，如果制药企业在未实现约定结果的情况下通过免费或大打折扣的方式提供产品，则面临着监管风险。这些监管能够确保某些政府支付方得到最优惠的折扣（例如，美国医疗补助计划Medicaid中的“最优惠价”规定），或保证患者享有均等的接受获批药物治疗的机会。
- **支付方类型的差异**—因支付方及其报销政策之间存在差异性，实现结果导向的定价的承诺无法遵循统一方式。全球各地支付方的医疗支出预算的使用优先顺序存在着明显差异。甚至对特定药物疗法价值的定义也能成为争论的主题，价值因支付方的类型不同而变化。这意味着，对于制药企业而言，即便有可能在各个国家中推广使用结果导向的合同方案，这一过程也将十分艰难。想象在一个世界中，面向国家市场中的每个区域的支付方、乃至每家医院预算负责人的每种药物，都将拥有各自不同的结果导向的定价模型，即使是技术最娴熟的制药公司也会对这种复杂性感到难以置信。



# 折中方案

制药企业可以采取更实际的步骤，确保药品定价反映出药品所具有的价值，而不是过早跨越到结果导向定价。首先，因为大多数药物往往针对不止一种适应症，制药企业应区分出特定药品如何针对一些潜在疾病发挥功效，并对哪些患者群体有效。其次，鉴于治疗患者时并非孤立地使用药物，制药企业应分析治疗组合中，该药物不同于其他药物或非药物因素（比如医药设备、诊断程序）产生价值的机制。最后，创新型制药企业应提高药品信息的透明度，说明具体药品成分会产生怎样的治疗效果和可能失效的原因。其他方面的考虑包括采取直接医疗干预手段、治疗支持技术、医疗服务最佳实践，以及其他为患者提供良好体验的解决方案。

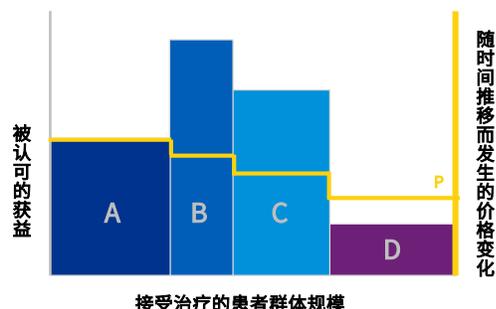
上述工作并不轻松，需要制药企业做出巨大的努力。不过制药企业可以通过采取不需要大规模改变系统的药品价值定价方案，开始行动计划，解决效果透明性的问题。需进一步探索思考目前制药企业常用的如下三种方法：

## 1 按应用付费或基于适应症的定价

**什么是基于适应症的定价？** 基于适应症定价（ISP）方式就是指，药品价格是基于其优于标准治疗方案的临床和经济价值，根据不同适应症来定价。采取该定价方式的目的是将治疗支出和药品价值挂钩，确保创新药品在药品生命周期中任何阶段都能得到公平回报。

**采用该定价方式的原因有哪些？** 基于适应症定价是结果导向定价的基础，针对不同适应症或同一大适应症下不同细分病人群体，设定不同的价位。目前，全球绝大多数的医疗系统没有充分意识到单一的创新药品可以通过不同方式产生价值。同一药品统一定价的模式逐渐导致成本低效率，因为患者不论疗效如何，为治疗不同适应症对同一种药物支付相同的费用。更加低效的是，当后上市适应症需要10倍于之前上市适应症的治疗剂量时，支付方只能承担10倍的价格。

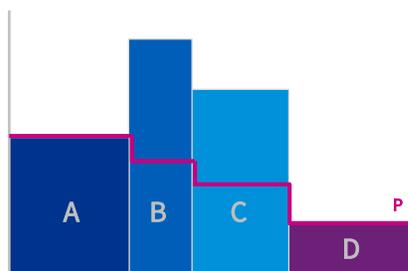
### 生命周期定价的典型阶段性趋势



通常在与现有药品比较的基础上，针对先上市适应症而设立药品总价，但是随着时间的推移，因为适应症扩充而导致药品临床使用增加，药品总价下降。

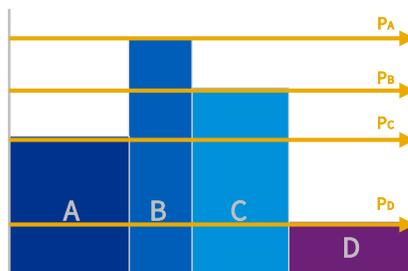
注意：“P”表示“价格”

### 生命周期定价的未来可能发展趋势



随着适应症扩充，药品使用量增加，支付方在管理药物价格方面更加积极。在主要市场中，这往往意味着随着时间的推移，药物净价会大幅下降，这通常与药物给后续上市适应症带来的价值一致。

### 基于适应症的定价给生命周期定价带来的益处



基于适应症的定价提供了一个价值导向的方法，保证后续上市适应症治疗时价格。

## 按应用付费或按适应症的定价（接前文）

支付方对药物成本效益低早已见惯不怪。在欧洲，按适应症的定价方式更加成熟。大多数医药行业的相关方都认同，应该有一种方式来反映这样一个事实，即多种适应症的药物对某一适应症可以带来更好治疗效果，而对其它适应症

的治疗效果有限。说明按不同适应症预测药物效用的价格加权平均的定价模式并不完善，但是这种模式为讨论定价与价值的联系提供了好的开始，为将来发展结果导向定价奠定基础。



### 欧盟采用按适应症的定价模式的经验教训：为什么投入

可利用的欧盟按适应症定价的模式

大多数主要欧盟市场都采用了某种形式的按适应症定价的模式，可以作为进一步模式优化的起点：  
IT / ES 管理准入协议  
英国患者用药可及性方案  
DE / FR 加权平均法

已在欧盟验证的按适应症定价的好处

欧盟的支付方、医疗服务提供方和患者找到将药品定价与公平价值联系起来共同出发点  
被视为结果导向支付模式的基础  
真实世界证据和可应用数据生成的来源  
有助于降低对预算的影响和不确定性

欧盟针对按适应症定价的困难提出的解决方案

部分市场采取第三方解决方案有助于减轻支付方的管理负担。  
按适应症定价被视为回顾性亚组分析的补充，以判断药物价值。  
在药物用量预测的基础上设定的加权平均定价是在同一适应症内将价格和价值联系最紧密的模式。



## 按应用付费或按适应症的定价（接前文）

**如何确定价格？** 药价测算方法须考虑多方面的因素，比如治疗病情的严重程度、该药物的功效是治愈疾病还是仅仅缓解症状、市面上是否有可替代的治疗方法，以及治疗不同适应症的药物用量是否有明显变化。加权平均定价模式是目前使用最广泛的模式。然而，随着人们逐渐使用电子病历和其他数据库，将药物使用量与诊断代码联系起来，人们很有可能开发出基于实际使用的更复杂模型。

**目前加权平均定价模式适用于哪些方面？** 尽管按用量计价付费可适用于治疗囊肿性纤维化、罕见的肌肉萎缩症和高胆固醇血症等症状的药物，<sup>5</sup>但许多制药企业的都是从肿瘤领域开始尝试的。据艾美仕市场调研咨询公司（IMS Health）<sup>6</sup>称，鉴于50%的治疗肿瘤的药物有不止一种适应症，肿瘤是进行项目试点研究的合理领域。参见如下例证：相关数据表明，相比治疗晚期头颈部癌，抗癌药物西妥昔单抗治疗直肠癌更加有效。因此，根据基于适应症的定价，治疗直肠癌的药物的估价为10320美元，而治疗头颈部癌的价格只有470美元。<sup>7</sup>

## 按应用付费或按适应症的定价（接前文）

**为了推广该定价方案，医药行业需要解决的首要问题是什么？** 在任何情况下，制药企业都必须确定，是要将一种药物推向治疗价格较低的适应症市场还是价格较高的适应症的市场，哪个市场更有意义。将最有可能对临床结果产生积极影响的适应症先推向市场，将会产生较早的投资回报，从而为研究该药物在其他疾病方面的药效奠定基础。

为确保按适应症定价能够更好地推广应用，制药企业需要注意以下几点。比如，市面上同一种药物有两种不同的价格，购买方可能倾向于购买低价的药物，用于该药物定价高的适应症。再比如，如制药企业利用这一机制，重新将一个主流药物引入治疗某个罕见病而获得高定价，这样的操作可能会促使监管方制定更加严格的标准，规范同一种药物治疗多种病情的情况。<sup>8</sup>

## 影响价格优化的适应症扩展的几个因素



### 后上市适应症的经济性变量

- 患者群体规模
- 剂量大小
- 治疗时长
- 单一用药与联合用药的对比



### 后上市适应症的临床变量

- 未满足需求的程度
- 较适应症标准治疗方案的劣势
- 临床和价格参照标准
- 数据的可靠性

## 2 疗法组合定价

**什么是治疗方案组合定价？** 治疗方案组合定价是一种将多种药物联合方案的各方面的费用捆绑到一起的定价方式。这种方式能有效显示出每种药物带来的治疗效果的价值，并按照不同的价值定价。

**采用该定价方式的原因有哪些？** 更多情况下，这种方式无法量化单一药品本身的药用价值。当科学家发现由多种疾病因素造成的疾病时，在发病过程中采取如包含2种或2种以上的药物的联合治疗等治疗措施多次进行干预，比单一药物治疗更重要。

然而多数多种药物组合方案都含有突破性新药，因此这种联合治疗非常昂贵，患者每年须花费10万至30万美元不等。

**如何确定联合治疗的价格？** 治疗方案组合定价最困难的地方在于提出相应算法，计算出联合治疗方案中哪种药物的价值最高。联合治疗方案是否含有一种或两种新型药物，方案是否有一种或两种在当下成熟的医药市场中作为单一药物治疗或其他联合治疗的组成部分，以及方案是否含有相当长时间内享有专利保护的一种或两种药物，这些都会影响到药物的价值。<sup>9</sup> 而且药物来自不同制药企业的可能性会让这个问题更加复杂。和与多家制药企业协商定价及药物价值相比，独家制药企业为自己生产及所有的药物组合议价相对简单。

### 治疗方案组合定价需要克服的困难

如下所示，支付方对采用新的治疗方案组合定价方式动力不足。因此制药企业应解决困难，推动有意义的改变。



#### 衡量方案价值

缺乏可以量化联合治疗中不同药物价值贡献的证据：基于目前多数的临床证据，制药企业无法展示出具体到每种药物各自的价值，尤其当组合方案具有协同效应时。



#### 区分单药价值

支付方缺乏区分药物间差异化价值的动力：比起联合治疗方案中每种药物的临床增值，支付方往往对联合治疗方案的整体效果和总支出更为关注。



#### 公开分享价值

制药企业对公开分享价值持谨慎态度：没有相应的机制、指引或规章制度规定要求或管理不同的联合治疗方案和制药公司间价值的分享。并且生产核心药物的企业没有动力迁就于辅助和协同治疗的药物。



#### 主要观点：

在没有制药企业推动可行的对联合治疗价值导向定价机制的情况下，支付方很可能会固守现状，仍只要求价格下调。

## 治疗方案组合定价（接前文）

**目前治疗方案组合定价适用于哪些领域？** 当前肿瘤患者已经广泛采用联合治疗方案。但是化疗的结果相对容易度量，而且所用药物价格不贵。未来将逐渐催生为复杂疾病昂贵的联合治疗制定价格方案的需求。联合治疗主要用于肿瘤学领域，同时也用于免疫学、罕见神经障碍等需要不同的机制药物来延缓疾病进展的其他领域。

**为推广这一定价方式，医药行业需要解决的首要问题是什么？** 制药企业采用高级数据分析法，通过定量建模来

预测不同的定价策略的结果。这种分析法能揭示一种定价策略优于另一种的各种条件，还能说明选择不同策略的风险。<sup>10</sup> 通过采用这样的分析法来优化企业独有的联合治疗方案定价策略已经成为可能。然而，针对更常见的情况，联合疗法涉及多家制药企业和药物疗法，且包含处于生命周期不同阶段的药物时，如何应用高级数据分析法是必须解决的问题。

## 外部策略VS内部策略

### 寻求创新定价并与外部伙伴合作的模式



在以下情况下，这将会是个成功策略……

- 联合治疗方案中组合药物临床数据的优势，必须生产核心药物的企业参与合作。
- 能够通过分析联合治疗方案的价值，说服支付方放弃传统降价模式。
- 监管机构能够意识到放宽对制药企业合作的限制可以降低整体医疗成本。
- 医疗过程中IT和其他策略实施方面的问题，能够通过制药企业和支付方合作来解决。

### 企业内部管理联合治疗方案中的药物组合



在以下情况下，这将会是个成功策略……

- 建立的价格标准的第一个上市的或目前最优核心疗法的地位，不能因上市的联合用药方案而改变。
- 能从研发管线产品获得了大量多样化作用机制的药物，来确保内部药物创新联合疗法不断发展，而不再需要外部合作。
- 支付方仍然看中直接降价模式操作的简便，抵制多家制药企业定价上的合作。
- 价格谈判机制的监管政策调整不够快，导致多家制药企业对治疗方案组合定价的合作面临更高的政策风险。

## 为制药企业自身产品组合采用治疗方案组合定价策略： 企业需要明确的问题



### 多家制药企业的困境

当多家制药企业生产不同的药物时，不管药物何时上市，应将联合疗法的价格平均分配到所有组合药物上。但是支付方没有能实现这个想法的工具。

- 在对定价合作有监管限制的情况下，如何管理两个企业的定价？
- 应要求外部合作伙伴合作中具有何种程度的排它性？
- 如何以合规的方式与其它制药企业分享产品价值信息？



### 核心药物的困境

诸如哪些是生产核心药物的制药企业，哪些是生产附加药物的制药企业，联合治疗方案中是药物的首个适应症还是后上市适应症，以及是否有任何药物的专利到期等问题让情况更加复杂。

- 如何发现理想的核心药物合作伙伴，并如何与之合作？
- 是否应在内部开发核心药物，而不是寻求外部合作？
- 怎样在与理想的外部核心药物合作伙伴协商时，增加谈判的筹码？



### 企业自身困境

虽然相比多家制药企业合作，独家专利疗法能更有力地管控价格，但是专利疗法在产品特征优势性和竞争差异持久性方面都存在问题。

- 是否已有最好的联合治疗方案？
- 怎样对分阶段布局单一药物和组合治疗方案的先后顺序，以此优化定价和市场准入？
- 如何在联合治疗方案中利用单个药物的优势，实现商业价值最大化？

### 3 患者导向策略

**什么是患者导向？** 该策略又称为“患者和医疗服务提供方（HCP）支持项目”，解决各种问题，比如医疗利益相关方在影响治疗依从性方面，需要了解治疗实施方案，以及医生预约和治疗的可获得性等。该策略认为价值来自治疗的方方面面，从最佳治疗场所，到循证的医疗干预、到治疗进步，到使用的医疗设备，再到开具的药物以及用药顺序。

**为什么要采用患者导向策略？** 在医疗行业消费者驱动发展趋势下，作为消费者的患者参与决策已成必然。因此，医药行业人士在开始探索结果导向定价前，必须解决患者治疗方式、治疗场所以及治疗时间方面的严重低效率问题。正如之前“超越药物本身”方案中所阐述的，直接药物治疗并不是唯一影响患者治疗效果的因素。医

疗系统和包括制药企业在内的系统创新伙伴，在非直接药物治疗方面的努力同样重要。非药物治疗因素包括致力于提高药物治疗依从性和治疗方式重新设计的患者支持项目，以确保患者能在恰当的时间、恰当的地点接受合适的治疗。

**价格如何确定？** 将药价和患者治疗整体方案匹配一致，首先需要解决治疗地点分散，不能协同数据分享的问题。最后需要将药物使用需要和复杂定价分析联系起来，包括诊断、住院治疗以及其他治疗事件。

**患者导向策略适用于哪些领域？** 虽然肿瘤领域在循证为基础的治疗方案创建方面取得了最快的进展，将用药决策融入到更大范围的治疗方案重新设计中，很明显这项举措也能应用到免疫学、院内获得感染性疾病、心衰等其他医疗专科领域。

#### 从传统的“超越药物本身”方案到真正的患者导向方案的转变



##### 过去： 初级解决方案

- 药品属性、获得渠道以及合理使用的  
基本信息
- 医生和患者所需搜寻信息的静态且被  
动的资源
- 仅一次性解答问题，缺乏长期关注
- 无论何种药物和病症，患者体验没有  
差异



##### 未来： 创新型解决方案

- 有关解决患者情绪、社会以及经济方  
面问题的资源和资料
- 积极主动地预估患者的需求
- 个性化方案，患者可选择全面参与
- 在生命周期内，根据患者需求和市场  
态势变化随时调整
- 参与度高、持续互动
- 有品牌特点的独特形象和感受

## 患者导向策略（接前文）

为了推广该方案，医药行业需要解决的首要问题是什么？针对诊断相关分组（DRG），临床医师一定广泛采用了基于循证的治疗标准。临床路径应规定每日医疗时刻表、治疗方式、预期住院时间、推荐检测以及最佳药物治疗方法。这些因素都将在不同程度上影响临床期预期效果。

### 基于医生及患者需求的患者导向模式

全新升级治疗项目	医疗机构服务支持（传统/替代方案）	准入和报销指导	患者激励计划	患者激励计划
阐释价值主张和解决其应用障碍的数据和内部资源	采购流程支持，选择采购模式和药品订购	与报销、编码、计费费和采购医疗福利相关的教材	阐明疾病治疗预期效果，评估疗效，并说明治疗如何对结果/生活质量产生积极影响的线上资源	教材，例如：治疗周期指南、缺乏依从性的影响、改善依从性的策略等。
医生和患者对治疗体验的反馈	关于用药的指南/视频，对护士进行药品制备、用药、编码和开单的培训	自助服务工具，例如：在线数据库、财务援助和项目招募支持	患者自我监测和计划工具，例如：病情和治疗结果在线追踪器、可打印的目标制定/治疗计划工具	治疗管理工具，例如：医院及可选医疗机构定位器、可打印日历、治疗计划提示、更广泛的疾病管理资源
医生支持工具，例如：在线医生定位器，患者对话指南	药品储存教学指南和医护人员排班工具	对患者的经济支持，例如：对药物自付部分（OOP）的支持	知名的、可选择性加入的虚拟患者社区，可以增加病患间治疗中的情感联系和经验分享	自陈式诊疗预约追踪，可以通过在线门户网站或应用程序推送提醒及通知
患者服务初学者工具包和自行车药虚拟支持	解决临床问题的问题解决热线	报销服务热线	—	持续治疗相关疑难解答热线

## 患者和医疗服务提供方接受患者导向方案的驱动因素

### 患者情况

- 常常伴有多种合并症，每日遭受极大的病痛折磨
- 通过可衡量的症状追踪及评估治疗进展
- 多种替代疗法的可及性和/或不治疗的可行性
- 激烈的竞争推动处方覆盖范围和/或患者自付费用（OOP）负担的相当大的变化
- 因给药方式、新治疗方法带来的不良反应事件而产生的高度焦虑
- 频繁循环使用竞争药物的情况普遍

### 医疗服务提供方的情况

- 新疗法较标准治疗方案带来的工作复杂度显著增加（比如报销模式的转变和药物配送的要求）
- 作用机理或给药途径改变之外的治疗模式的巨大转变（比如肉毒杆菌在偏头痛的预防性治疗里的应用）
- 因为能力或经济因素，不希望参与，并将患者推到其他医疗机构治疗

# 制药企业 现在可以 做的包括



1

**与支付方长期接触：** 制药企业应承诺与支付方进行长期的双向对话，目的是完善基于适应症的定价模式，实现互利。

2

**收集真实世界证据：** 随着社交媒体平台、物联网和电子健康记录（EHRs）的激增，收集药物对患者实际的疗效证据更为便捷。所有迹象表明，支付方对真实世界证据（RWE）持开放态度，国际药物经济学与结果研究协会<sup>11</sup>最近的一项研究也证明了这一点。在接受调查的支付方中，有78%表示，他们“有时”制定处方药政策时会考虑真实世界证据，尤其在确定药物临床应用范围和应用管理过程中。

3

**分享最具说服力的证据：** 制药企业应参与行业内关于如何定义药物成功的讨论，例如：治疗总支出降低、超适应症用药情况减少等。承接合约设计试点项目；并向全行业分享经验教训。

4

**进行人口健康研究：** 支付方和制药企业都需要进行研究以便更深入了解患者如何照顾自己、坚持药物治疗的障碍，以及哪些类型的患者更愿意接受门诊和家庭护理（而非医院）等。

5

**收集商业案例：** 由于确定按适应症定价商业利益最大化的时间点是一个复杂的过程，制药企业应适时投资试点项目，并将基于适应症定价纳入产品组合规划过程。

6

**开始思考沟通问题：** 随着制药企业转向按适应症定价和其它新的定价模式，内部和外部沟通将变得至关重要：随着价格的确定，支付方和制药企业应考虑如何最好地告知购买者相关理由——特别是药品价格调整会导致患者承担更多费用或对医疗机构提出新的管理要求（例如：事先授权）时。部分医疗机构在必须承担跟踪特定适应症患者用药情况的管理负担时，可能会畏缩不前。但他们应该明白，此法将最终产生更详细的结果记录和更丰富的医疗数据。<sup>12</sup>

7

**游说政策改变：** 如果有政策支持，向按适应症定价和最终按治疗结果定价转变的步伐将会加快。医药行业应与政府沟通，鼓励改变药物报销模式的政策，消除为低价是取模式对按适应症定价的影响，并实现特定适应症患者的费用分担。此外，各组织应保持与高级学术学会携手共进，推动政策改变。



## 结论

我们希望本论文是一个起点，各企业可据此开始采取措施，为各利益相关方提供公平的药品和医疗服务定价。从制药企业的角度来看，如果每个适应症药品的定价更加精细，该药品很可能会被批准用于更多适应症。从支付方的角度来看，实现清晰定价将更容易为高价值创新提供资金，又会更好地推动行业发展。并且对于医疗服务提供方和患者来说，将药物和治疗与特定条件联系起来将产生有价值的患者医疗数据，可用于识别医疗资源和服务投入不足的人群，创造新的药物，提高整体医疗质量。

# 毕马威可以提供的支持包括

毕马威协助制药企业权衡市场准入战略的可行性和优先级，将支付方的观点纳入研发和商业流程中，对政府支付方和商业保险公司的发展做出预判和应对，确保产品很好的市场定位，并取得可靠证据支持其相关治疗成本。我们与各公司合作，通过将商业模式设计（战略）和运营模式实施（执行）联系起来的九个价值杠杆方法，改变各公司处理

市场准入、新产品开发和投资组合管理的方式。我们经验丰富的咨询顾问致力于数据和分析、研发和商业战略、监管事务、风险咨询和并购咨询，毕马威内部各部门紧密合作的工作模式确保我们拥有从战略到最终实施结果的全企业视角。

## 典型项目流程：

- 首先诊断评估客户来自支付方的压力，以及对不同定价方法的需求。
- 根据产品组合的性质和企业面临的压力类别，确定所需应对的最大挑战。
- 成立拥有跨职能专业知识的工作组。
- 在全球、国家、区域和地方层面，对支付方实行新的定价和市场准入的手段。
- 协助支付方谈判，投入专门资源处理具体问题和解决管理难题。
- 专门的团队管理行业内部和跨行业的合作，例如：艾美仕数据库开发联盟、行业协会和政策影响者。
- 管理与第三方服务提供商的伙伴关系，以支持按适应症定价管理。

---

# 关于作者

**Peter Gilmore**, 毕马威战略部负责人, 拥有超过15年的经验, 为领先的制药、医疗器械和消费者健康公司的高级管理团队提供咨询。Peter为医药行业客户提供转型和优化服务, 重点关注与资源组合管理、商业模式创新、市场准入、签约、产品开发和产品上市规划相关的商业和研发问题。他使用先进的估值模型和决策分析方法, 评估了30多个疾病类别的众多产品许可和收购交易。Peter毕业于达特茅斯学院。

**Amy Hunckler**, 毕马威战略部总经理, 拥有近10年在生物制药、医疗器械和诊断公司主要领导团队的经验。Amy在一系列转型和优化问题上为只要企业客户提供咨询, 特别是在市场准入、产品开发和产品组合决策方面。Amy的工作已横跨数十个治疗领域, 重点关注包括肿瘤学、免疫学、神经病学和罕见疾病在内的核心专业市场。Amy毕业于布朗大学。

---

## 尾注

<sup>1</sup>J. DiMasi, H. Grabowski, R. Hansen等(2016): “制药业的创新: 研发成本新估算”, 《卫生经济学杂志》, 第47期: 第20-33页。

<sup>2</sup>A.S. Kesselheim, J. Avorn, A. Sarpatwari等(2016): “美国处方药的高成本: 改革的起源和前景”, 《美国医学会杂志》, 第316期第8卷: 858-71。

<sup>3</sup>E. Seeley, A.S. Kesselheim等(2017): “基于成果的医药合同: 美国药品支出高的答案?”, 英联邦基金。

<sup>4</sup>N. Davies(2016): “药品定价、报销和市场准入的未来”, 《医药信》。

<sup>5</sup>S.J. Tribble, S. Lupkin等(2017): “治疗罕见疾病的药物已经形成垄断”, NPR。

<sup>6</sup>S.D. Pearson, B. Dreitlein, C. Henshall等(2016): “美国医疗保健系统特定适应症药品定价”, 临床与经济评论研究所。

<sup>7</sup>M. Flume, M. Bardou, S. Capri, O. Sola-Morales, D. Cunningham, L. Levin, N. Touchot等(2016): “基于特定价值定价在欧盟主要国家的可行性和吸引力”, 《市场准入和卫生政策杂志》。

<sup>8</sup>S.J. Tribble, S. Lupkin等(2017): “治疗罕见疾病的药物已经形成垄断”, NPR。

<sup>9</sup>D. Greber, V. Srikant等(2014): “定价组合疗法的挑战”, 波士顿咨询公司观点。

<sup>10</sup>D. Greber, V. Srikant等(2014): “定价组合疗法的挑战”, 波士顿咨询公司观点。

<sup>11</sup>D.C. Malone, S.G. Avey, C. Mattson, J. McNight等(2016): “在支付方决策中使用真实世界证据: 事实还是虚构?”, 国际药物经济学与结果研究协会。

<sup>12</sup>P.B. Bach (2014). “癌症药物的特定适应症定价”, 《美国医学会杂志》。

## 联系我们

---

### 胡丽芬

主管合伙人，生命科学行业  
毕马威中国  
电话：+86 21 2212 2603  
邮件：[lifern.woo@kpmg.com](mailto:lifern.woo@kpmg.com)

### 于子龙

合伙人，战略咨询  
毕马威中国  
电话：+86 10 8553 3588  
邮件：[cz.yu@kpmg.com](mailto:cz.yu@kpmg.com)

## 全球联系人

---

### Peter Gilmore

战略部负责人  
毕马威美国  
电话：703-343-2392  
邮件：[pgilmore@kpmg.com](mailto:pgilmore@kpmg.com)

### Amy Hunckler

战略部总经理  
毕马威美国  
电话：212-758-9700  
邮件：[ahunckler@kpmg.com](mailto:ahunckler@kpmg.com)

[kpmg.com/cn/socialmedia](https://kpmg.com/cn/socialmedia)



如需获取毕马威中国各办公室信息，请扫描二维码或登陆我们的网站：

<https://home.kpmg.com/cn/en/home/about/offices.html>

本刊物由毕马威国际出版。

本刊物所载资料仅供一般参考用，并非针对任何个人或团体的个别情况而提供。虽然本所已致力提供准确和及时的数据，但本所不能保证这些数据在阁下收取本刊物时或日后仍然准确。任何人士不应在没有详细考虑相关的情况及获取适当的专业意见下依据本刊物所载资料行事。

© 2019毕马威企业咨询(中国)有限公司 — 中国外商独资企业，是与瑞士实体 — 毕马威国际合作组织(“毕马威国际”)相关联的独立成员所网络中的成员。版权所有，不得转载。

毕马威的名称和标识均属于毕马威国际的商标或注册商标。