

# WHO 和部分国家基本药物遴选与退出标准对我国的启示

颜建周\* 丁瑞琳 邵蓉

中国药科大学药品监管科学研究院 国家药品监督管理局药品监管创新与评价重点实验室 江苏南京 211198

**【摘要】**目的:为我国基本药物遴选标准的优化提供思路与参考。方法:通过文献研究、对比研究等方法,梳理与对比 WHO 与部分国家的基本药物遴选与调整标准。结果:肯尼亚、巴西、印度和泰国在形成基本药物遴选标准的思路中存在一定差异,所形成的标准在操作性、稳定性和适用性等方面各具优劣,其参考 WHO 和部分国家基本药物目录、遴选标准示例解释、使用循证遴选框架、开发标准与方法一体化工具等做法对我国具有较好的借鉴价值。结论:建议我国完善基本药物目录遴选标准,实现以疾病谱为导向的遴选;基于国情对示范标准进行细化和发展,适当增加相关示例;将遴选标准与决策方法、工具相结合,提高遴选的客观性、科学性;形成多维度、基于临床应用的基本药物目录退出标准。

**【关键词】**WHO; 基本药物; 遴选; 标准

中图分类号:R197 文献标识码:A doi:10.3969/j.issn.1674-2982.2022.04.009

## Enlightenment of WHO and some countries' selection and withdrawal standards of essential medicine to China

YAN Jian-zhou, DING Rui-lin, SHAO Rong

Institute of Regulatory Science, China Pharmaceutical University, NMPA Key Laboratory for Drug Regulatory Innovation and Evaluation, Nanjing Jiangsu 211198, China

**【Abstract】** Objective: To provide ideas and references for optimizing the selection criteria of essential medicine in China. Methods: The selection and adjustment criteria of essential medicine in WHO and some countries were combed and compared through literature research and comparative research. Results: Kenya, Brazil, India and Thailand have different ideas on the inclusion criteria of essential medicines, which have their own advantages and disadvantages in terms of operability, stability and applicability. Their approaches like referring to the WHO and typical national lists of essential medicines, interpretation of criteria using examples, the use of evidence-based selection framework, and development of integrated tools of criteria and methods have good reference value for China. Conclusions: It is suggested that China should improve the selection criteria of the essential medicine list and realize the disease spectrum-oriented selection. Refine and develop demonstration standards based on national conditions, and appropriately add relevant examples. It is suggested to combine selection criteria with decision-making methods and tools to improve the objectivity and scientificity of the selection of essential medicine, and establish the multi-dimensional, clinical application-based exit criteria of essential medicine.

**【Key words】** WHO; Essential medicine; Selection; Criterion

基本药物目录(National List Of Essential Medicines, NLEM)是世界卫生组织(WHO)为解决发展中国家医疗卫生资源短缺而制定<sup>[1]</sup>,对指导发展中

国家遴选医保目录品种、确定临床优先选用药品、提高药品可及性和供应保障水平等工作具有重要价值。

\* 基金项目:2020 年度高校哲学社会科学研究一般项目资助(2020SJA0074)

作者简介:颜建周(1986 年—),男,副教授,主要研究方向为医药政策与法规。E-mail:cpuqqyan@163.com

通信作者:邵蓉。E-mail:shaorong118@163.com

随着全球科技创新水平不断提升,大量创新药品及剂型不断涌现,上市药品数量急剧增加,患者需求逐渐从最基本的“可获得”向更多维度扩展,医师的临床用药决策愈发困难,急需 NLEM 发挥指导临床合理用药的重要作用。因此,世界各国在 WHO 的引领下纷纷开始探索更贴近本国实际、更符合基本药物功能定位的遴选标准。

从 2009 年基本药物制度正式实施时的“防治必需、安全有效、价格合理、使用方便、中西药并重、基本保障、临床首选”<sup>[2]</sup>,到 2018 年《国务院办公厅关于完善国家基本药物制度的意见》(国办发[2018]88 号)提出的“以满足疾病防治基本用药需求为导向,根据我国疾病谱和用药特点,充分考虑现阶段基本国情和保障能力”<sup>[3]</sup>,我国的基本药物遴选标准在探索中逐渐优化,但仍存在不够客观和合理、可操作性不强、未突出基本药物临床适用性等问题<sup>[4]</sup>,还需进一步完善。因此,本文梳理并对比分析 WHO 与部分国家的基本药物遴选标准,试图通过借鉴其经验为我国基本药物遴选标准的优化提供思路与参考。

## 1 遴选标准

本研究对 WHO 和国外公开的基本药物遴选标准进行梳理,探究其遴选标准的建立过程,发现 WHO 基本药物遴选标准明确且被国际广泛认可与推广使用,部分国家如泰国、印度、巴西、肯尼亚、阿富汗等所处地域、疾病谱、经济与卫生发展水平、基本药物制度背景等方面与我国具有一定相似之处,其基本药物遴选标准各具特色,对完善我国基本药物遴选标准具有一定借鉴意义。

### 1.1 遴选标准的维度

以 WHO、泰国、印度、巴西、南非、肯尼亚、阿富汗的基本药物遴选标准作为研究对象,对比其遴选维度的共性与不同。由表 1 可见,WHO 示范目录采用了包括安全性、有效性、经济性、依从性、疾病特征、质量和必要性等维度在内的多维度遴选标准,其余国家在上述维度的基础上结合本国国情进行了适当增删。

表 1 WHO 和部分国家的基本药物遴选维度对比

国家(组织)	安全性	有效性	经济性	依从性	疾病特征	质量	必要性	其他
WHO <sup>[5]</sup>	√	√	√	√	√	√	√	证据完整性、稳定性、固定剂量复合制剂、供应能力、医疗技术水平
泰国 <sup>[6-7]</sup>	√	√	√	√	√			证据完整性、社会因素
印度 <sup>[8]</sup>	√	√	√		√		√	综合考虑储运条件和成本—效益的可行性、固定剂量复合制剂、销售营业额、适用医疗机构级别
巴西 <sup>[9]</sup>	√	√	√					公平性、道德、文化和环境影响
南非	√	√		√	√		√	—
肯尼亚	√	√	√		√	√	√	预期医疗水平、当地生产能力
阿富汗	√	√	√			√		—

### 1.2 遴选标准的内容

#### 1.2.1 WHO

2019 年 7 月 9 日,WHO 发布了最新一版示范目录(第 21 版)。<sup>[10]</sup>示范目录是 WHO 用于指导实施基本药物制度的国家遴选基本药物的重要依据,为此 WHO 制定了明确的遴选标准,并建议各国在制定本国基本药物遴选标准时以其为参考。标准共 7 条内容,详见表 2。<sup>[11]</sup>

经过长期探索,WHO 在经济性维度中将原比较

单一药品成本更改为在同一治疗组内品种之间比较整个治疗过程的总成本和成本效益,并强调不会单纯因为成本因素拒绝药品纳入示范目录。

此外,WHO 还对儿童基本药物设置了特殊性规则。一般成人用药申请成为基本药物需提供充足的有效性和安全性证据,但考虑到全球儿童用药数据普遍较少,WHO 认为如果药品被国家药品监督管理部门批准用于特定年龄段的患儿,那么该批准信息可作为药品的有效性、安全性证据。<sup>[13]</sup>

表 2 WHO 基本药物遴选标准的具体内容

维度	具体内容
必要性、供应能力	满足大多数人卫生保健需要的药物,应在任何时候都有充足的数量和适当的剂型。
流行病学特征、医疗技术水平	根据流行疾病的类型,是否需要特殊的诊断或治疗设施,现有人员的培训和经验,财政资源和遗传、人口和环境因素等选择药物。
证据完整性	具有充分、可靠的疗效和安全性临床研究数据、在各种医疗环境中使用的真实世界证据支持的药物;应用 GRADE 标准对各维度证据进行分级管理和评价。 <sup>[12]</sup>
质量、稳定性	具备良好质量(包括生物利用度);在预期的储存和使用条件下,必须保持稳定性。
安全性、有效性	比较药品的相对有效性、安全、质量和价格,若情况相似则考虑其在不同的环境中使用的可行性(如是否需要特殊专业技能和/或诊断或治疗设施)。
经济性	必须考虑总治疗成本,而不仅是药品成本;应在同一治疗组内比较药品和替代品的治疗成本和成本—效果,不可跨治疗类别进行比较。
固定复合制剂(Fixed Dose Combinations, FDCs)、依从性	大多数基本药物应是单一化合物制剂,但在某些情况下,如治疗方案中的品种数量过多,可能会对依从性产生不利影响,或固定复合制剂在治疗效果、安全性或依从性方面优于同时使用多种单一化合物制剂时,应选择固定复合制剂。

### 1.2.2 肯尼亚

肯尼亚遴选基本药物的重要标准和手段之一是参考借鉴国内外药品目录和处方集,如 WHO 示范目录(包括成人和儿童)、《肯雅塔国立医院处方集》(肯雅塔国立医院为肯尼亚最古老、高级、权威的公立医院<sup>[14]</sup>)和其他发达国家处方集(如《英国国家处方集》)等。在开始正式审查前,肯尼亚遴选委员会收集药品在上述参考目录中的比对资料,如现行

NLEM 与最新版 WHO 示范目录的品种对比信息、相关品种在本国和其他发达国家处方集的收载情况、指南中相关专家对抗菌药物的 AWaRe<sup>①</sup>(Access, Watch and Reserve)分级建议等。<sup>[15]</sup>

肯尼亚于 1981 年制定了第 1 版 NLEM,迄今为止对其进行了 5 次修订,最新颁布的 2019 年版 NLEM 除列举遴选常规标准外,还附上了本次遴选的特别考量因素(表 3)。

表 3 肯尼亚基本药物遴选标准

类别	维度	内容
常规标准	必要性/需求	能满足国家人民的优先保健需求,尤其是可能造成严重的公共卫生后果的疾病。
	安全性	药品在规定的使用方式下,具有经科学论证的安全性(副作用和毒性可接受)。
	相对有效性	与已收录药品或其他可临床替代的药品相比,有充分的临床研究证实疗效相当或更好。
	质量	符合药品监管部门承认的国际公认质量标准,包括在贮存和使用中的稳定性。
	适用性	适用性广泛,充分证据证明在各种环境下(如不同卫生保健水平)治疗效果稳定。
	相对成本—效益	与可获得的替代药品相比具有更优的成本—效益比(以治疗方案总成本计)。
	当地适宜性/适宜性	卫生专业人员熟悉、适合肯尼亚实际情况(例如剂量形式、工作人员培训、支持设施)、符合其社会文化的药物(例如使用/管理方法)。
2019 年目录特别考量的因素	药动学概况	具有良好的药动学特性。
	当地生产能力	为保证供应、降低采购成本,优先选择国产药品。
	特殊要求	产品的使用是否需要专业培训、诊断、处理、监控或其他技能。
	本地注册和可用性	产品是否已经通过肯尼亚药品审批部门的批准,如未注册药品被遴选进入目录,该药品将能享受快速注册程序。
	公平性	纳入是否会导致有限医疗基金从更多患者或更应被优先考虑的公共卫生产品上转移;是否属于患者人数不多且费用昂贵,但不使用该药品长期可能导致患者的治疗或护理成本增加的情况。

① AWaRe 工具是在世卫组织基本药物清单框架下开发的,目的是遏制日益严重的耐药性问题,促进更安全和更有效地使用抗生素。这一工具将抗生素分为“可广泛使用”、“谨慎使用”和“保留使用”三类,并规定了哪些抗生素可用于处理最常见和最严重的感染,哪些抗生素应在医疗系统中随时可以使用,哪些抗生素必须谨慎使用或保存并仅作为最后手段使用。

总体而言,肯尼亚的基本药物遴选标准比较完整,且根据本国国情设置了特别考量因素,如药品在当地的供应水平。但因没有具体阐明各维度的具体评价指标和依据,缺乏对标准的细化与深入探讨,尚未充分运用临床试验和真实世界数据等证据,故在实践操作层面上仍以参考借鉴国内外相关目录和处方集为主。但该国推崇以疾病特征、治疗路径为导向的遴选方式,广泛参考国内外处方集,试图利用临床经验弥补了循证方法的缺失,一定程度

上也能够发挥基本药物指导临床用药的作用。

### 1.2.3 印度

印度于1996年制定第一版NLEM,经过3次修订后,其现行有效的是2015年版,最新版NLEM仍在征求相关利益主体的意见,还未颁布实施。<sup>[16]</sup>2015年版印度NLEM综合借鉴了WHO遴选标准中医疗技术水平、供应能力、安全性、有效性等因素,形成基本药物遴选的8大维度(表4),分别制定了门诊和住院的NLEM。

表4 印度基本药物的遴选标准

维度	内容	示例
必要性	对于大多数人群疾病是必要的,因此罕见病用药不在此类中。	戈谢氏病是一种罕见的先天性代谢异常疾病,而伊米苷酶作为唯一一种有效的治疗方法未被纳入。
疾病负担/流行病学特征	优先考虑高度流行疾病或新兴疾病所需的药物。	耐多药结核病的发病率正在上升,属于国家优先考虑的公共卫生问题。
有效性和安全性	必须有明确并被广泛接受的医学有效性证据;药物的安全性可能会随着时间的推移而改变,需持续关注药品的安全性和有效性。	吡格列酮是一种有效且廉价的降糖药,但近来被发现具有膀胱癌的安全隐患,因此其未被纳入。
相对成本效益	考虑治疗计划的总价格,而非单价。	无
综合考虑储运条件和成本效益方面的可行性	应确保在推荐的储存条件下,保证稳定性和持续供应。	与冻干制剂相比,抗蛇毒药品的液体制剂更便宜,且同样有效。冻干的使用技术要求和成本更高;但液体制剂需要冷链运输。综合考虑储运条件和成本效益,冻干制剂和液体制剂都被纳入。
FDCs <sup>[17]</sup>	首选单一药物制剂,只有在组合合理并在疗效、安全性、依从性或减少耐药性上有明显优势时选择FDCs。	对于疟疾、艾滋病等,抗菌素耐药性是一个重要问题,依从性对其有重要影响,所以这些治疗类别中纳入了FDCs,阿莫西林和克拉维酸的FDCs。
销售额	销售量受到市场力量、医生的偏好、专家意见等的影响,故遴选会参考销售额,但高销量的药物不一定被纳入。	多种复合维生素如维生素B和矿物质被广泛使用,在销售额列表中名列前茅,但不符合基本药物的纳入标准。
保健机构等级	不同级别医疗机构的医疗设施、人员培训、资质、医保有差异。	无

与肯尼亚相似,印度的基本药物遴选标准也以WHO标准为蓝本,并根据本国国情适当增加了新内容。但印度对各维度进行了非常详细和具有操作性的细化解释,并增加了示例以帮助相关主体理解,故其操作性和合理性更佳。

### 1.2.4 巴西

2002—2011年,巴西共颁布了5版NLEM,在该时期内,其主要通过参考借鉴WHO的标准和示范目录形成本国的基本药物遴选标准,故其标准内容和目录品种与WHO标准和示范目录相似度较高。<sup>[8]</sup>

2012年,巴西基本药物管理机构与体制发生重大变革,国家卫生技术评估委员会(Conitec)取代了原NLEM制定机构Comare,使基本药物技术评审和行政决策主体合二为一。在Conitec的主导下,巴西的NLEM遴选标准发生巨大变化,不仅允许目录内

药品数量大幅度增多,还引入了卫生技术评估(Health Technology Assessment, HTA)等多维度的综合评价方式(表5)。

HTA等科学评估方法的引入使巴西突破了以参考借鉴为主的基本遴选,逐步开始应用一些本土证据进行决策,通过整合构建遴选维度的框架,使评审人员能更科学、规范地评价,遴选出更多符合临床需求的好药,满足人民合理用药的需求。<sup>[9]</sup>

### 1.2.5 泰国

1981年,泰国制定了第一版NLEM,其遴选标准仅包括安全性、有效性和成本等基本维度。<sup>[19]</sup>2004年,结合本国医疗保障情况(基本药物全额保障),泰国以引导临床合理用药、提高卫生费用使用效率为目的,提出泰国的NLEM应是基于最佳药物决策的“理想的目录”(optimal list)。在该理念引导下,泰国

增加了以真实世界数据为基础的效益 (effectiveness) 维度,并试图开发相关决策工具,将 ISaE 系统和基本药物消费指数 (Essential medicine cost index, EM-CI) 嵌入遴选标准,前者从药品的信息、疗效、安全、

易用等四个维度对候选药品进行评价,后者以前者为基础并综合考虑药品的治疗费用,由此建立了用于比较药品疗效的评分表,形成了一整套客观、科学和可操作性的标准。<sup>[20]</sup>

表 5 巴西基本药物遴选标准变化<sup>[18]</sup>

年份	准入标准	排除标准
2002—2011	<ul style="list-style-type: none"> <li>①药品已在本国上市;</li> <li>②安全、有效、易于管理,具有一定的成本—效益;</li> <li>③提供流行病学数据,尤其是公众易患和优先性较高病种(如心血管病、糖尿病和艾滋、疟疾、肺结核等);</li> <li>④对大多数人群剂型方便友好</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>①缺乏充分的使用经验;</li> <li>②最近(&lt;5年)刚刚进入巴西市场;</li> <li>③安全有效性及经济情况均与目录内品种相似</li> </ul>
2012—	根据证据做出决策: <ul style="list-style-type: none"> <li>①具备有效性的科学证据、相关信息精确、药品及其相关诊疗保证安全;</li> <li>②获得市场授权或使用授权;</li> <li>③进行过经济性比较评价</li> </ul>	—

2008 年,为提高公共健康保险 (Public Health Insurance)<sup>①</sup>的基金利用率,泰国基本药物遴选标准新增成本效益 (cost-effectiveness) 维度。2010 年,泰国 NLEM 遴选委员会下设的卫生经济工作小组 (Health Economic Working Group, HEWG) 提出的经济学评价框架开始应用 (图 1)。在该框架下,泰国的基本药物遴选分为三个主要环节:首先,由评审专家评估药物成本、安全性和临床有效性;其次,如

果 NLEM 小组委员会认为有必要,由 HEWG 根据疾病负担、家庭经济负担以及社会因素等对基本药物遴选的申请进行优先性排序;最后,根据申请的优先级别高低,分别委托非营利机构,如泰国卫生干预和技术评估项目中心 (Health Intervention and Technology Assessment Program, HITAP) 和其他盈利组织 (包括制药公司) 进行药品的成本效益研究。<sup>[21]</sup>

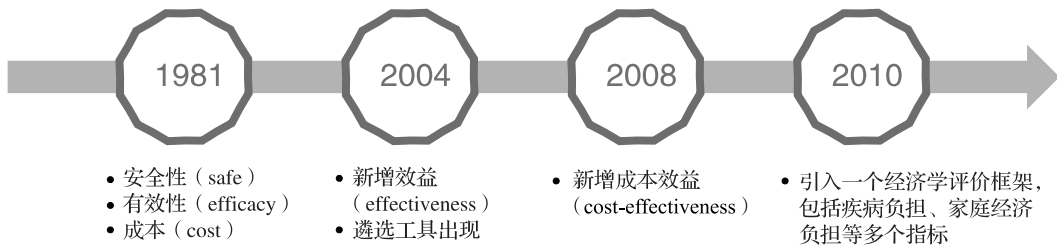


图 1 泰国基本药物遴选标准变化历程

泰国是少数实行全民医保的中低收入国家之一,NLEM 是该国医保报销的重要参考。为了实现医保基金的支付价值,泰国尤其关注基本药物遴选的科学性和合理性,除借鉴 WHO 示范目录和遴选标准外,还自主开发了一套颇具特色的遴选工具和流程,对相关证据进行分析、总结,以支持最优的基本药物遴选决策。

### 1.3 不同国家遴选标准对比分析

上述四国的基本药物遴选标准各具特点,是各

个国家根据自身的经济与卫生技术发展程度、药物政策的实施情况而探索出的宝贵经验,对比分析各模式特点有助于找准我国基本药物遴选标准完善的定位(表 6)。

## 2 退出标准

随着人们对疾病认识的不断深入,对药品安全和有效的理解也发生改变,经过多年的临床应用后,部分基本药物逐渐无法满足新背景下患者、医生对

① 包括财政部下的国家公务员医疗保障计划 (CSMBS)、劳动部下的社会保障计划 (SSS) 和国家健康保障办公室的全民保障计划三大计划,支付范围覆盖所有的基本药物。

基本药物的需求,不再适合继续存在于 NLEM 中。研究显示,在拥有 NLEM 的 137 个国家中,有 136 个国家曾经对目录内基本药物进行撤市、停用和删除<sup>[22]</sup>,但其中仅有以我国和印度为代表的少数国家形成了固定的 NLEM 退出标准。

我国与印度的 NLEM 退出标准较为相似,均重点关注药品的市场准入资格、安全性问题、同类药品的比较优势,但我国对于抗菌药因耐药性而出现的疗效降低和药品适应症在本土的影响变化没有特别规定(表 7)。

表 6 四个国家基本药物遴选标准特点分析

特点	肯尼亚	印度	巴西	泰国
制定难度	非常低	较低	中	较高
标准形成时间	短	较短	一般	较长
标准稳定性*	低	较低	一般	较高
对本国健康问题的适用性	较差	较好	较好	较好
需要条件	WHO 及他国基本药物目录	详细描述各维度标准和示例	国内具有一定循证研究基础和 HTA 经验	国内具有大量循证研究数据用于制定标准
比较优势	可操作性强,遴选耗费时间和人力少	标准制定难度小,可灵活应对国内特有健康问题	对循证证据进行系统性梳理,遴选结果的准确性和科学性较高	可操作性和遴选标准稳定性,遴选结果的准确性和科学性较高
比较劣势	对本国适用性不确定	稳定性不佳,主观和经验成分较大	利用证据决策时可能出现对各维度重要性的分歧	工具开发难度较大,遴选结果依赖工具的科学性

注:\* 标准稳定性是指设定的标准能否在较长的一段时间内适当地医药行业、经济发展的实际情况和基本药物遴选的需求,是否需要频繁更改或调整标准的内容和细则。

表 7 中印 NLEM 退出标准对比

情形	中国	印度
上市准入资格被取消	药品标准被取消的,国家食品药品监管部门撤销其药品批准证明文件的	该药物在印度已被禁止使用
安全性问题	发生严重不良反应,经评估不宜再作为国家基本药物使用的	有关于该药物安全性问题的重大负面报道
有效性问题	—	病原体已对该抗菌类药物产生耐药性
较同类药品不具优势	根据药物经济学评价,可被风险效益比或成本效益比更优的品种所替代的	有疗效、安全性、价格更优的药物
适应症的流行病学特征	—	该药物针对的疾病不再是印度的国家卫生问题
兜底条款	国家基本药物工作委员会认为应当调出的其他情形	—

### 3 启示

#### 3.1 基本药物遴选应以疾病特征为导向,合理利用治疗指南和处方集

疾病特征是 WHO 及许多国家在遴选和调出基本药物时考虑的重要维度,具体内容包括疾病在该国家(地区)的流行病学特征、疾病负担、政策上的优先程度等。因各国针对疾病的基础研究水平有一定差异,部分国家能够直接针对不同品种开展或利用已有的疾病研究数据和材料,而肯尼亚等国家则因缺乏相关数据和证据,在遴选基本药物时主要通过参考国内外的处方集、治疗指南等证据的方法间接了解药品所对应的疾病特征,以此提升遴选品种的临床价值。可以看出,疾病特征是基本药物遴选标

准的核心内容,只有围绕疾病遴选出的基本药物才能反映临床需求,体现临床价值。

#### 3.2 合理参考、借鉴和优化应用 WHO 示范目录和其他国家的 NLEM

从肯尼亚的经验可以发现,参考 WHO 及发达国家 NLEM 的遴选方法虽然可操作性较强,但由于流行病学和人种差异,国际组织或其他国家的目录可能并不适应本国需求,照搬 WHO 示范目录和他国 NLEM 可能制约本国遴选标准的深入探讨与发展。印度较好地平衡了借鉴与发展的关系,对示范目录进行细化并补充更多适应国家产业环境、卫生体制的内容。因此,在参考 WHO 示范目录和其他国家 NLEM 时,应合理把握借鉴方式,在学习他人做法的同时也应考虑本国的实际背景和需求。

### 3.3 利用科学的遴选方法与工具提高遴选标准的客观性和合理性

肯尼亚与印度因为缺乏循证遴选方法和工具而在基本药物遴选过程中面临着标准操作性不强、主观性较大等问题;而巴西、泰国等通过引入或创新先进评估技术和工具有效提高了标准的可操作性,进而提高其遴选决策的客观性和科学性。因此,基本药物的临床价值属性要求其遴选经过循证方法的检验,将科学的遴选方法和工具与遴选标准相结合能够提高标准的客观性和合理性。

## 4 建议

### 4.1 完善我国基本药物遴选标准,实现以疾病谱为导向的遴选

NLEM 指导临床合理用药的功能定位要求基本药物必须与我国疾病谱紧密联系。目前,我国系统的疾病谱研究主要包括国家卫生健康委发布的报告(如《中国卫生健康统计年鉴》)和权威机构发布的专门领域的统计报告(如《中国心血管健康与疾病报告》)。常用指标主要是对疾病和死亡的描述性指标,如不同人群中的患病率、死亡率,与综合性疾病负担有关的指标较少,并且由于篇幅限制一般仅公布排名靠前的部分数据,不完整的数据对相关研究和药品的循证遴选存在一定的限制。另一方面,我国的基本药物遴选标准和流程中未明确如何从疾病谱出发遴选基本药物。

因此,建议我国短期内借鉴肯尼亚等国经验,在遴选基本药物时参考权威的疾病诊疗指南,提高 NLEM 与诊疗指南的契合程度。一方面对于指南中有但未纳入 NLEM 的临床需要的品种应及时通过遴选纳入;另一方面,对于指南中没有但存在于 NLEM 中的品种则需再次评估,若其符合基本药物的遴选标准则建议指南制定机构将其加入指南,若其不符合标准则及时将其从目录中调出。通过指南等循证证据来反映临床疾病的需求,实现以疾病谱为导向的遴选。长期来看,建议我国丰富疾病谱的研究内容,增加对疾病负担的关注程度,并且开设相关的数据平台供相关主体查看全面的疾病谱数据,为利用高质量证据开展以疾病谱为导向的基本药物遴选奠定基础。

### 4.2 基于国情对示范标准进行细化和发展,适当增加相关示例

我国目前公布的基本药物遴选标准较为宽泛,

其执行中自由裁量空间和主观性较大。<sup>[23]</sup> 建议我国参考 WHO 和部分国家的基本药物遴选标准,在其深入研究的基础上进行针对性的借鉴。颁布专门的《国家基本药物遴选指南》,以本国国情为基础对各项遴选标准进行详细规定和解释说明,并适当列举相关案例支持相应标准,由此提高我国基本药物遴选标准的客观性、规范性和稳定性,更好地指导基本药物制药企业的药品研发、生产和流通活动,提高基本药物质量。

### 4.3 使遴选标准与决策方法、工具相结合,提高遴选的客观性、科学性

2019 年,国家卫生健康委颁布《关于开展药品使用监测和临床综合评价工作的通知》(国卫药政函[2019]80 号),提出要将临床综合评价应用到基本药物调整中。<sup>[24]</sup> 在此背景下,为了提升遴选标准的客观性和科学性,一方面我国应继续学习,引入国际先进遴选方法和决策工具,将其应用到临床综合评价体系建设中,另一方面需探索临床综合评价在遴选标准中的具体应用方式,设计出一套标准固定、过程客观、结果科学的基本药物遴选机制,以提高决策质量。

### 4.4 形成多维度、基于临床应用的 NLEM 退出标准

我国的基本药物遴选标准维度丰富,但退出标准却比较单薄,评价维度较为局限。如我国的基本药物退出标准仅关注市场准入资格、安全性、同类优势三方面情况,并未在退出标准中考虑基本药物的临床适用性的变化。

建议我国结合现有的药品上市后风险管理机制,通过药品上市后监测及时了解基本药物的临床使用情况,包括安全性、疗效、依从性、临床用量、患者经济负担情况等,建立与完善多维度的、基于临床应用的 NLEM 退出标准,及时调出不符合基本药物功能定位的品种,保持 NLEM 的先进性和在临床的适用性。

综上所述,WHO 和部分国家的基本药物遴选标准存在共性但又各具特点,其标准的完善过程中既有经验也有教训。对各国基本药物遴选标准进行对比与总结发现,WHO 的基本药物示范目录是各国基本药物遴选的重要参考内容,一些国家或直接参考借鉴示范目录,或对其细化发展,或引入 HTA 循证遴选,甚至创新循证工具辅助遴选。我国应深入剖析自身经济、卫生水平和基本药物制度现状,科学借鉴

他国经验,完善我国基本药物遴选标准,帮助 NLEM 发挥指导临床合理用药的作用。

### 作者声明本文无实际或潜在的利益冲突。

### 参 考 文 献

[1] 孙利华,孙倩,刘江秋. 国外基本药物遴选的成功经验及其对我国的启示[J]. 中国药房, 2010, 21(48): 4513-4516.

[2] 中华人民共和国中央人民政府.《关于建立国家基本药物制度的实施意见》的通知[EB/OL]. (2009-08-18) [2021-10-05]. <http://www.nhc.gov.cn/tigs/s9664/200904/3013994206294365bc2d886edfba4f40.shtml>

[3] 中华人民共和国中央人民政府. 国务院办公厅关于完善国家基本药物制度的意见[EB/OL]. (2018-09-13) [2021-10-20]. [http://www.gov.cn/zhengce/content/2018-09/19/content\\_5323459.htm](http://www.gov.cn/zhengce/content/2018-09/19/content_5323459.htm)

[4] 刘欣宇,赵志刚. WHO 基本药物示范目录变化情况介绍及对中国的借鉴与启示[J]. 药品评价, 2017, 14(10): 8-12, 17.

[5] 胡善联. 2019 年版世界卫生组织基本药物目录的创新及特点[J]. 卫生经济研究, 2019, 36(9): 3-6.

[6] Tangcharoensathien V, Patcharanarumol W, Suwanwela W, et al. Defining the Benefit Package of Thailand Universal Coverage Scheme: From Pragmatism to Sophistication[J]. Int J Health Policy Manag, 2020, 9(4): 133-137.

[7] 王莉,周帮旻,宋佳佳,等. 25 国基本药物目录循证评价[J]. 中国循证医学杂志, 2009, 9(7): 754-764.

[8] Core-Committee. Report of the Core-Committee for Revision of National List of Essential Medicines (November 2015) [R/OL]. (2015-11-01) [2021-10-07]. <https://main.mohfw.gov.in/sites/default/files/Recommendations.pdf>

[9] Osorio-de-Castro, Claudia G S. Policy Change and the National Essential Medicines List Development Process in Brazil between 2000 and 2014: Has the Essential Medicine Concept been Abandoned? [J]. Basic & clinical pharmacology & toxicology, 2018, 122(4): 402-412.

[10] WHO. Executive Summary: The Selection and Use of Essential Medicines 2019 [EB/OL]. (2019-08-07) [2021-09-01]. <https://apps.who.int/iris/handle/10665/325773>

[11] WHO. 18th Expert Committee on the Selection and Use of Essential Medicines[EB/OL]. (2011-03-01) [2021-10-07]. [https://www.who.int/selection\\_medicines/committees/expert/18/How\\_to\\_developNEML\\_agenda\\_paper.pdf?ua=1](https://www.who.int/selection_medicines/committees/expert/18/How_to_developNEML_agenda_paper.pdf?ua=1)

[12] 柴月,管晓东,信泉雄,等. 我国基本药物遴选与替换原则研究[J]. 中国新药杂志, 2013, 22(3): 260-

262, 268.

[13] 杨悦,李姗,武志昂. 世界卫生组织基本药物遴选原则的进展研究[J]. 中国药房, 2011, 22(28): 2593-2597.

[14] Yale school of medicine. Kenyatta National Hospital[EB/OL]. [2021-11-11]. <https://medicine.yale.edu/intmed/education/othereducation/cmb/sites/kenya/>

[15] Ministry of Health. Kenya Essential Medicines List 2019 [EB/OL]. (2020-03-23) [2021-10-18]. <https://www.health.go.ke/wp-content/uploads/2020/03/Kenya-Essential-Medicines-List-2019.pdf>

[16] Ministry of Health and Family Welfare. Constitution of Standing National Committee on Medicines(SNCM) for revision of National list of Essential medicines (NLEM) [EB/OL]. (2018-07-03) [2021-10-21]. [https://cdsco.gov.in/opencms/opencms/system/modules/CDSCO.WEB/elements/common\\_download.jsp?num\\_id\\_pk=NTE=](https://cdsco.gov.in/opencms/opencms/system/modules/CDSCO.WEB/elements/common_download.jsp?num_id_pk=NTE=)

[17] Sumit Patel. A Study of Prevailing Scenario of Fixed-Dose Drug Combination Available in Indian Market[J]. International Journal of Pharmacy, 2015, 5(4): 1155-1163.

[18] Osorio-de-Castro C G S, Azeredo T B, Pepe V L E, et al. Policy Change and the National Essential Medicines List Development Process in Brazil between 2000 and 2014: Has the Essential Medicine Concept been Abandoned? [J]. Basic Clin Pharmacol Toxicol, 2018, 122(4): 402-412.

[19] Teerawattananon Y, Tritasavit N, Suchonwanich N, et al. The use of economic evaluation for guiding the pharmaceutical reimbursement list in Thailand[J]. Z Evid Fortbild Qual Gesundheitswes, 2014, 108(7): 397-404.

[20] Chongtrakul P, SumN, Yoongthong W. 泰国选择基本药物的循证方法和 ISafe[J]. 中国执业药师, 2009, 6(4): 46-48.

[21] 颜建周,葛文霞,邵蓉. 泰国卫生技术评估在基本药物遴选中的应用及对我国的启示[J]. 中国药房, 2020, 31(19): 2305-2310.

[22] Charles O, Onakpoya I, Benipal S, et al. Withdrawn medicines included in the essential medicines lists of 136 countries[J]. PLoS One, 2019, 14(12): e0225429.

[23] 陈晶,聂青,刘妍.《WHO 基本药物示范目录》与我国《国家基本药物目录》动态调整程序比较与借鉴[J]. 中国药房, 2015, 26(3): 289-293.

[24] 药物政策与基本药物制度司. 国家卫生健康委关于开展药品使用监测和临床综合评价工作的通知[EB/OL]. (2019-04-09) [2021-10-05]. <http://www.nhc.gov.cn/yaozs/pqt/201904/31149bb1845e4c019a04f30c0d69c2c9.shtml>

[收稿日期:2022-02-13 修回日期:2022-03-26]

(编辑 刘博)