

我国儿童药保障政策文本量化分析

——基于政策工具、政策目标的二维框架

李新宇* 邵蓉 白铭钰 李大双 颜建周

中国药科大学国家药物政策与医药产业经济研究中心 江苏南京 211198

【摘要】目的:为我国儿童药保障相关政策制定和优化提供依据。方法:基于政策工具理论,构建“政策工具—政策目标”二维政策分析框架,并以“政策序号—政策工具类型—具体政策工具—政策目标”的方式进行编码。结果:在政策工具维度,环境性政策工具占比最多,供给型政策工具和需求型政策工具占比较少。在政策目标维度中,以鼓励儿童药研发上市为目标的政策占比最多,以推动儿童药医保报销为目标的政策占比最少。结论:需进一步完善供给型政策工具,加强需求型政策工具的制定,注重环境型政策工具内部平衡,并以政策目标为导向在各环节齐发力,切实发挥政策引导作用。

【关键词】儿童药;供应保障;政策工具;政策分析

中图分类号:R197 文献标识码:A doi:10.3969/j.issn.1674-2982.2022.08.011

Quantitative analysis of China's pediatric drug safeguarding policy texts: A two-dimensional framework based on policy tools and policy goals

LI Xin-yu, SHAO Rong, BAI Ming-yu, LI Da-shuang, YAN Jian-zhou

The Research Center of National Drug Policy and Ecosystem, China Pharmaceutical University, Nanjing Jiangsu 211198, China

【Abstract】 Objective: To provide references for the formulation and optimization of policies regarding the safeguarding of pediatric drugs in China. Methods: Based on the theory of policy tools, a two-dimensional policy analysis framework of “policy tools-policy goals” was constructed, which was indexed in the structure of “policy serial number-policy tool type-specific policy tool-policy goal”. Results: In the dimension of policy tools, environmental-type policy tools accounted for the largest proportion, whereas supply-and demand-type policy tools accounted less. In the dimension of policy goals, policies aimed at encouraging the R&D and marketing of pediatric drugs accounted for the largest proportion, and policies aimed at promoting the reimbursement of pediatric drugs by medical insurances accounted for the least proportion. Conclusion: It is recommended to further improve supply-type policy tools, strengthen the formulation of demand-type policy tools, emphasize the internal balance of environmental-type policy tools, and make concerted efforts in all aspects as oriented to policy goals, to allow the policies to practically play a guiding role.

【Key words】 Pediatric drugs; Supply safeguarding; Policy tools; Policy analysis

儿童医疗保健是儿童健康发展的重要保障,儿童用药是确保儿童医疗保健水平的重要一环。^[1]“十二五”以来,我国围绕儿童药品供应保障出台了一系列政策文件,供应保障能力明显改善,儿童药安全性、有效性、可及性明显提升。^[2]学术界关于儿童药保障政策的研究主要集中在介绍

美国、欧盟等国家或地区的政策特点、对我国儿童药保障政策从药品生命周期的不同环节进行总结、提出政策完善建议等。儿童药保障涉及研发、生产流通等多个环节,但目前我国大部分政策缺乏与其他部门的协调,未能系统地解决儿童用药现存的问题。

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

作者简介:李新宇(1998年—),男,硕士研究生,主要研究方向为医药政策与法规。E-mail: SeanLee0523@163.com

通讯作者:颜建周。E-mail: cpuyqyan@163.com

政策工具理论常被应用于医药卫生与健康领域的政策文本量化分析。^[3-4]虽然国内学者对我国儿童药保障领域已从不同视角开展了较为丰富的研究,但对总体政策的文本分析较少,缺少系统的政策分析框架。在这样的背景下,利用政策工具理论对“十二五”以来我国在儿童药供应保障方面的政策进行政策文本分析,对儿童药保障政策进行量化研究,做出整体总结与评价并提出政策完善建议,是一项紧迫而具有重要意义的工作。

1 政策文本选择

1.1 资料来源

本研究以“儿童药”“儿童用药”“儿科用药”“儿童专用药”等作为关键词,通过访问国务院、国家卫生健康委、国家药品监督管理局、国家医疗保障局、国家工业与信息化部等相关部委和下属机构官方网站以及北大法宝数据库,检索获取 2011 年 1 月—2022 年 5 月国家层面发布的相关政策文件。

1.2 纳入与排除标准

纳入标准:发文机关处于中央政府层面;政策内容包含与儿童药相关的信息;政策类型选取法律、党内政府文件、行政法规、国务院规范性文件、部门规章等文件。

排除标准:政策内容同儿童药保障相关性不高;文件中只出现关键词而无实质性政策内容;重复文件只保留一次;政策已失效;议案审议结果的报告;具体药品说明书修订中与儿童用药相关的内容;关于政协委员答复的函;尚处在征求意见阶段的政策文件。根据纳入和排除标准,最终选取政策文件 77 份。

2 模型构建

本文基于政策工具理论,建立“十二五”时期以来我国出台儿童药相关政策的“X-Y”二维分析模型,其中 X 维度是政策工具维度,代表需求型、供给型、环境型三种不同类型的政策工具文件;Y 维度是政策目标维度,代表相关政策制定的方向,包括鼓励研发上市、保障生产流通供应、推动医保报销、促进合理使用、加强上市后评价五个政策目标。

2.1 X 维度:政策工具

Rothwell 和 Zegveld^[5]根据政策影响层面的不同将政策工具分为供给型、环境型和需求型三类,这一

理论模型是目前认可度最高、应用范围最广的模型,已在我国医养结合政策领域、罕见病政策领域和中医药养生保健服务政策等医药相关领域得到广泛运用^[6]。我国儿童药需求端和供给端匹配程度有待提高,部分儿童药面临“缺品种、缺剂型、缺规格”的难题。因此,本研究选取 Rothwell 和 Zegveld 的理论模型,为探讨我国目前儿童药政策工具类型提供一定的理论支撑。

供给型政策工具是指直接作用于儿童药供给端的政策工具,直接推动儿童药保障水平。包括人才队伍建设、资金支持、指导生产、使用的技术指南、基地建设等。

需求型政策工具是指作用于儿童药需求端的政策工具。包括政府通过示范/试点项目、部门协作、地区间交流等措施,减少外部因素对儿童药保障的影响,继而保证其保障效果的政策工具;也包括制定鼓励研发目录、对医疗机构儿童药进行处方点评、再评价、临床综合评价等,可以暴露儿童药种、剂型、规格、用药信息等需求信息的政策工具。

环境型政策工具通过政府对儿童药保障所产生的外部影响及渗透作用,即政府通过发布相关政策,营造对儿童药保障有利的社会环境,从而间接影响儿童药的保障水平。如鼓励审评审批、专利期延长、制定目标规划、价格优惠、行为规范要求等(表 1)。

表 1 政策工具类型及名称

政策工具类型	政策工具名称
供给型	基地、平台建设
	人才队伍、专业能力建设
	资金支持
	指导生产、使用的技术指南
需求型	部门协作
	国际交流
	药品采购
	制定相关药品目录
	处方点评
环境型	开展再评价
	短缺风险监测
	优先审评审批
	给予市场独占期或数据保护期
	鼓励引导、制定规划
	给予价格优惠
	宣传教育工作
制定规范性要求	
	金融支持、税收优惠

2.2 Y 维度:政策目标

从药品全生命周期来看,我国儿童药相关政策目标可分为:(1)鼓励儿童药研发上市,包括制定鼓励研发申报儿童药品清单、出台指南指导儿童药临床试验、对儿童药实施优先审评审批、儿童专用药的数据保护、儿童用改良型新药研发、财税优惠政策等;(2)保障儿童药生产流通供应,包括推动企业完善质量管理体系以提升产品质量水平、定点生产保供、加强儿童药生产质量监督管理、强化临床必需易短缺儿童药的供应使用情况监测预警机制建设等;(3)推动儿童药医保报销,包括推动儿童适宜剂型、规格纳入基本医疗保险支付范围,同时发挥基本医保、大病保险、医疗救助三重制度保障作用,在儿童患者的医保报销政策上予以倾斜等;(4)促进儿童药合理使用,包括引导儿童药说明书的修订、完善基本药物目录并加强儿童药上市后药品评价相关目录体系、制定儿童用药指南或处方集以加强

用药指导等;(5)加强儿童药上市后评价,包括构建我国儿童药临床综合评价体系、加强儿童药不良反应监测、根据上市后再评价结果完善儿童药说明书等。

2.3 政策文本内容编码

本研究以儿童药相关政策文本的具体内容进行分析,利用 Excel 2016 软件以“政策序号—政策工具类型—政策工具名称—政策目标”的方式对相关政策文件进行编码。如 6—3—3—1 代表第 6 份政策文件《国务院关于落实〈政府工作报告〉重点工作部门分工的意见(2019)》(国发〔2019〕8 号)中“加快儿童药物研发”的内容,政策类型属于第 3 种环境型,政策工具名称为第 3 种工具类型下的第 3 种工具“鼓励引导、制定规划”,政策目标为第 1 个“鼓励儿童药品研发上市”。部分编码结果如表 2。

表 2 部分政策文件编码结果

政策文件名称	内容	编码
中华人民共和国基本医疗卫生与健康促进法(中华人民共和国主席令第 38 号)	国家建立健全以临床需求为导向的药品审评审批制度,支持儿童用药品的研制、生产,满足疾病防治需求。	1-3-1-1/2
中华人民共和国药品管理法(中华人民共和国主席令第 31 号)	国家采取有效措施,鼓励儿童用药品的研制和创新,支持开发符合儿童生理特征的儿童用药品新品种、剂型和规格,对儿童用药品予以优先审评审批。	2-3-1-1
国务院关于印发“十四五”市场监管现代化规划的通知(国发〔2021〕30 号)	鼓励研制短缺药品、儿童用药品。	3-3-3-1
国务院关于印发中国妇女发展纲要和中国儿童发展纲要的通知(2021)(国发〔2021〕16 号)	鼓励儿童用药研发生产,加快儿童用药申报审批工作; 完善儿童临床用药规范,药品说明书明确表述儿童用药信息; 扩大国家基本药物目录中儿科用药品种和剂型范围,探索制定国家儿童基本药物目录,及时更新儿童禁用药品目录。	4-3-1-1/2 4-3-6-4 4-2-3-4
国务院办公厅关于印发深化医药卫生体制改革 2021 年重点工作任务的通知(国办发〔2021〕20 号)	加强儿童用药供应保障。	5-3-3-1/2
国务院关于印发《政府工作报告》重点工作部门分工的意见(2019)(国发〔2019〕8 号)	加快儿童药物研发。 ……	6-3-3-1

3 政策工具分析结果

3.1 X 维度分析结果

通过对我国儿童药政策进行编码,77 份政策文件中涉及政策工具 144 个,其中供给型 38 个,需求型 37 个,环境型 69 个。

供给型政策工具中,出台指导生产和使用的技术指南占比最高,达 9.72%;其次是人才队伍和专业能力建设相关政策,占 9.03%。有关儿童药研发生产基地、平台建设以及资金支持等方面的供给型政

策工具较少。

需求型政策工具中,要求对儿童药开展再评价以及短缺风险监测相关政策工具较多,分别占 6.94% 和 5.56%;其次是制定相应的儿童药目录和儿童药采购相关政策,分别占 4.86% 和 4.17%。部门协作和要求医疗机构对儿童用药进行处方点评工作相关政策较少,均只占 2.08%。

环境型政策工具中,以鼓励引导、制定目标规划相关的政策为主,占全部政策工具的 27.08%。其次是加速儿童药审评审批的相关政策,占 10.42%。给

予儿童药价格优惠、宣传工作以及制定规范性要求相关政策较少,分别占 2.78%、2.08% 和 4.86% (表 3)。对儿童专用药给予市场独占期延长或数据保护期的相关内容目前仅有一份政策文件提及,其余为征求意见稿。总体来看,环境型政策工具在所有政策工具类型中占比较多,其中又以制定目标规划、加速审评审批相关政策为主,直接作用于供给端和需求端的政策相对较少。

表 3 我国儿童药相关政策工具类型、名称及占比

政策工具类型	政策工具名称	频次	占比 (%)	合计频次 (%)
供给型	基地、平台建设	9	6.25	26.57
	人才队伍、专业能力建设	13	9.03	
	资金支持	2	1.39	
	指导生产、使用的技术指南	14	9.72	
需求型	部门协作	3	2.08	25.87
	儿童药采购	6	4.17	
	制定相关药品目录	7	4.86	
	处方点评	3	2.08	
	开展再评价	10	6.94	
	短缺风险监测	8	5.56	
	环境型	加速审评审批	15	
	给予市场独占期或数据保护期	1	0.69	
	鼓励引导、制定规划	39	27.08	
	给予价格优惠	4	2.78	
	宣传教育工作	3	2.08	
	制定规范性要求	7	4.86	

3.2 Y 维度分析结果

对我国在国家层面发布的保障儿童用药的政策工具进行政策目标分析。由于一个政策工具可能具有多个政策目标,如《中华人民共和国基本医疗卫生与健康促进法》(中华人民共和国主席令第 38 号)中提到“国家建立健全以临床需求为导向的药品审评审批制度,支持儿童用药的研制、生产,满足疾病防治需求”,该条政策的政策目标同时涵盖了鼓励研发和保障生产,因此政策目标统计总频次高于政策工具数。结果显示鼓励儿童药研发目标居首,共涉及 64 个政策工具,占 34.94%;促进儿童药合理使用目标次之,共涉及 58 个政策工具,占 32.04%;保障儿童药生产流通供应、加强儿童药再评价、推动医保报销目标分别涉及 30 个、19 个和 10 个政策工具,占比依次为 16.57%、10.50%、5.52%。总体来看,政策目标主要集中在鼓励儿童药研发上市和促进合理使用方面。

3.3 X-Y 二维交互分析

将 X 维度的政策工具和 Y 维度的政策目标进行交叉分析,结果显示,5 种政策目标下的政策工具中,除推动医保报销目标外,环境型政策工具均为占比最大的政策工具类型。在鼓励研发上市、保障生产流通供应、促进合理使用和加强上市后评价 4 个政策目标中,环境型政策工具占比均超过 50%。在推动儿童药医保报销、加强上市后评价方面政策工具的数量较少,尤其是缺少明确的供给型政策,可能会造成儿童患者用药负担较重,儿童用药安全、有效性监测还需进一步重视。

鼓励研发上市环节和促进合理使用环节的需求型政策(分别为 11.26% 和 29.82%)少于供给型政策(分别为 29.03% 和 29.82%),说明需要有更多政策作用于研发上市和使用环节的需求端,能够体现出目前我国儿童药的短缺领域及其短缺数量,从而引导研发方向;或体现出儿童药使用是否合理,及使用不合理情况在各领域的分布比例,从而促进儿童药的更合理使用(表 4)。

表 4 “政策工具—政策目标”二维交叉分析结果(n,%)

	供给型政策	需求型政策	环境型政策	合计
鼓励研发上市	18(29.03)	7(11.29)	39(59.68)	64(100)
保障生产流通供应	6(20.00)	9(30.00)	15(50.00)	30(100)
推动医保报销	0(0.00)	7(70.00)	3(30.00)	10(100)
促进合理使用	17(29.82)	11(19.30)	30(50.88)	58(100)
加强上市后评价	0(0.00)	9(47.37)	10(52.63)	19(100)

4 讨论与建议

4.1 供给型政策工具应进一步完善

供给型政策工具对保障儿童用药有直接推动作用,从政策文本分析结果看,供给型政策工具尚需进一步完善。近年来药品审评审批部门和卫生健康主管部门发布指导儿童药生产、使用的指南较多,主要原因有两点:第一,相关法律和国务院规范性文件要求加快我国儿童药物研发,满足疾病防治需求,相关指导原则或指南的出台是对上位法的呼应。第二,我国于 2017 年成为国际人用药品注册技术协调会(The International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use)成员国,这意味着我国药品监管体系得到国际社会的认可。为助力我国儿童药产业创新能力与国际接轨,国家食品药品监督管理局药品审评中心出台了

一系列指导文件。其次是儿童药相关人才队伍和专业能力建设相关政策,但主要集中在药品使用环节,如培养医生对儿童药合理使用的能力,但研发、生产环节人才队伍培养相关政策较少(9.03%)。资金支持、基地与平台建设等政策工具在儿童药领域应用较低,但这些工具在儿童药发展的供给端具有较为直接的激励作用,应当加大相关政策扶持并落地实施。

因此,建议完善相关政策:第一,加强对儿童药研发和生产领域专业人才队伍建设的政策支持,通过吸引人才、进行相关领域前沿理论和技术培训,壮大我国儿童药研发、生产领域人才队伍;第二,通过建立儿童药专门的科研项目,明确申报要求和支持金额,对儿童药在研发或生产中创新性技术研究给予更多资金投入。

4.2 政策工具类型应向需求型倾斜

需求型政策工具相对于另外两种可以产生更为明显的拉动作用^[7],但目前相较于环境型政策工具而言,需求型政策工具总体所占比例较低。统计结果显示我国儿童药需求型政策中开展再评价(6.94%)、短缺风险监测(5.56%)相关政策工具相对占比较高,但在实施过程中,医疗机构、生产和流通企业、政府部门对于儿童短缺药品信息传递效率有待提高,监测预警体系的构建有待进一步完善。^[8]儿童药相关目录的构建对于提高儿童药供应保障和患者用药可及性水平起到了一定作用,许多政策文件中均提到儿童基本药物目录等相关内容(4.86%)。但目录的更新周期较长,指导效果有限。如《鼓励研发申报儿童药品清单》在2019年之后也未进行更新。《国务院关于印发中国妇女发展纲要和中国儿童发展纲要的通知(2021)》(国发〔2021〕16号)中提到要扩大国家基本药物目录中儿科用药品种和剂型范围,探索制定国家儿童基本药物目录,及时更新儿童禁用药品目录,但目前尚未出台。儿童基本药物目录是否会推出单独分册、如何确定儿童基本药物的遴选标准和程序、如何以儿童基本药物目录促进用药可及性与合理使用等问题都有待研究。部分政策中涉及到采购环节对儿童药的相关政策(4.17%),但基本围绕“将符合要求的儿童药及时纳入挂网采购”,对于具体要求并未作出明确规定。除此之外,需求型工具中,缺少部门协作、国际交流等相关政策工具。

因此建议完善相关政策:第一,加强对医疗机构儿童用药需求的监测,针对儿童用药建立专门的短缺风险监测机制,利用信息系统在医疗机构、政府、企业之间建立起短缺信息传递通道,及时将短缺信息反馈至各主体,各主体及时针对不同短缺情况作出反应。第二,制定并及时更新以《儿童基本药物目录》《鼓励研发申报儿童药品清单》等为核心的儿童药相关目录,明确目录制定部门以及遴选原则、标准程序、更新周期,从而引导研发、使用端儿童药的发展。第三,完善儿童药挂网采购政策,在相应政策文件中明确满足何种标准的儿童药可以被纳入挂网采购,如具有较好临床综合评价数据等。第四,重视部门协作、国际交流等目前较为缺失的相关政策的制定。加强各部门协作是提高政策效果的重要手段,应当加强各部门的协同以共同保障儿童用药。国际交流不仅能提升相关研究水平,还能减轻政府在技术研发、人才培养和财政资金等方面的压力^[9],美国、欧盟等国家和地区在儿童药政策制定方面有较为丰富的经验,因此应当鼓励我国高校、企业积极开展国际交流,在疫情背景下通过线上举办学术论坛、围绕提高儿童用药可及性等主题共同开展学术研究等多种方式,积极推进儿童药的跨国学术交流。

4.3 环境型政策工具内部应进一步平衡

儿童用药可及性问题近年来引起社会高度关注,相关政策文件尤其是较高法律级别的政策文件中制定了较多环境型政策,对保障儿童用药起到了促进作用。但从分析结果来看,目前环境型政策中以鼓励引导、制定规划(27.08%)以及加速审评审批(10.42%)为主,其内部工具类型需要进一步平衡。虽然我国在注册环节对儿童药予以优先审评审批,但实际上仍然有许多药品处于“境外有药,境内无药”的困境,如何通过更多元的通道吸引境外药品进入国内市场,是儿童药在政策制定层面可以解决的问题。在给予市场独占期和数据保护方面,2022年发布的《药品管理法实施条例(征求意见稿)》和2018年发布的《药品试验数据保护实施办法(暂行)(征求意见稿)》中有所提及,但未落地正式实施。此外,金融支持、税收优惠等环境型政策在儿童药领域中尚未被提及。

建议重视儿童药价格优惠、金融支持相关的政策制定,推动儿童药保障项目相关的信贷发展,建立儿童药企业与金融机构的有效连接等。同时针对部

分儿童药“境外有药,境内无药”的情况,科学设置更丰富的儿童药注册通道,明确国内需求并利用政策手段吸引国内缺少但国外具备的儿童药进入国内市场。

4.4 部分政策目标需要更多政策工具推动

我国政策工具主要以鼓励儿童药研发上市为目标,对于儿童药的医保报销和上市后评价方面相关政策工具较少。对于儿童药的短缺,更多的认知集中于“源头缺”,因此政策大多集中在鼓励研发端。实际上,儿童药的短缺问题需要在药品生命周期各个环节同时进行政策发力。医保报销环节和上市后评价环节的专门政策,对于降低患儿家庭负担、提高儿童用药安全具有重要作用。同时,对上市后评价结果较好的儿童药、纳入医保报销的儿童药给予政策的进一步正反馈激励,儿童药市场的潜力可以得到更大释放。对其它政策目标,如保障儿童药生产流通供应、促进合理使用等对应的生产、流通、患者使用环节,更多供给型政策和需求型政策的制定同样可以更好地实现政策目标,增强各方对儿童药市场的信心。

建议未来的政策制定过程中,在重视研发上市环节的同时应重视其它政策目标的实现,合理使用相应的政策工具,使各个环节均得到充足的政策支持。进一步重视以推动儿童药医保报销、加强儿童药上市后评价、保障生产流通供应等政策目标为发力点,制定专门针对儿童药的相关政策。第一,对于儿童专用药,医疗保障部门可制定较低自付比例的医保支付标准。第二,药品监督管理部门建立儿童药物警戒相关工作指导原则,建立儿童药短缺监测工作机制,进一步联动医疗机构、政府部门和企业,让儿童药短缺信息(包括品种短缺、剂型短缺、规格短缺、用药信息短缺等)准确、及时地传递等。这需要明确各部门责任,进一步加强部门协同。只有相

关政策在儿童药全生命周期齐发力,各政策目标整体上得到较好实现,我国儿童药才能进入更加快速、良性的发展轨道,儿童患者的用药需求才能得以更好地保障。

作者声明本文无实际或潜在的利益冲突。

参 考 文 献

- [1] 魏国旭,王晓玲,李歆,等. 中国东部某省儿童基本药物可获得性、价格及可负担性调查分析[J]. 中国卫生政策研究, 2019, 12(10): 72-78.
- [2] 宁艳阳. 政策加持儿童药保障能力仍待提高[J]. 中国卫生, 2022(6): 92-93.
- [3] 李浩,戴遥,陶红兵. 我国 DRG 政策的文本量化分析: 基于政策目标、政策工具和政策力度的三维框架[J]. 中国卫生政策研究, 2021, 14(12): 16-25.
- [4] 牟燕,宋奎劼,吴敏,等. 基于政策工具视角的我国罕见病领域政策文本分析[J]. 中国卫生政策研究, 2021, 14(1): 17-23.
- [5] Rothwell R, Zegyeld W. Reindustrialization and Technology [M]. New York: Logman Group Limited, 1985.
- [6] 荣红国,董玥,于蔚洁,等. 政策工具视角下我国中药注射剂发展政策研究[J]. 中国药房, 2022, 33(8): 917-922.
- [7] 俞修言,马颖,吴茂荣,等. 基于政策工具的我国医养结合政策内容分析[J]. 中国卫生政策研究, 2017, 10(1): 41-45.
- [8] 肖月,孙潭霖,赵琨,等. 我国儿童药品供应保障体系核心问题及对策[J]. 卫生经济研究, 2021, 38(6): 6-9.
- [9] 张玉娟,王群,孙世光. 中药注射剂临床上市后再评价研究模式思考[J]. 中华中医药杂志, 2018, 33(6): 2230-2232.

[收稿日期:2022-07-11 修回日期:2022-08-20]

(编辑 刘博)