

创新药全生命周期多维度价值评估模型的构建与应用研究



张 华^{1, 2}, 吕 宁³, 郑 凡⁴, 林荣志⁵, 朱 丽¹, 费荣富¹

1. 浙江省医药健康产业集团有限公司 (杭州 310016)
2. 杭州医学院药学院 (杭州 310053)
3. 浙江省医药行业协会 (杭州 310005)
4. 浙江建设职业技术学院计划财务处 (杭州 311231)
5. 浙江寿仙谷医药股份有限公司 (杭州 310020)

【摘要】目的 构建涵盖安全性、有效性、经济性、规模性、公平性、可及性、创新性、患者体验8个基础维度,并增设全球化维度、将人工智能辅助研发作为加分项的创新药多维度价值评估模型。**方法** 采用多准则决策分析框架,通过改进德尔菲法筛选三级指标体系;采用基于偏好参数的非对称组合赋权法融合主观层次分析法与客观熵权法确定权重;引入犹豫模糊集处理专家评分不确定性;以12个已上市创新药进行回顾性实证分析。同时,针对不同临床研究周期分别设定评估要素及动态权重配置。**结果** 构建了3个层级、10个维度、36个二级指标、84个三级指标的评估体系。十维综合得分与上市后第3年实际销售额的相关系数(R^2)为0.88 ($P < 0.01$),调整后 $R^2 = 0.81$,显著优于风险调整净现值法($R^2 = 0.53$)。AI辅助研发作为加分项可贡献5%~20%的附加分值;全球化维度得分与海外授权交易金额显著正相关($r = 0.82$)。**结论** 该模型弥补了传统估值方法对非财务价值考量不足的缺陷,为创新药全生命周期价值评估提供了系统、可量化的决策支持工具,对我国药品监管体系中的动态价值评估具有重要借鉴意义。

【关键词】 创新药; 全生命周期价值评估; 多准则决策分析; 基于偏好参数的非对称组合赋权法; 犹豫模糊集; 临床研究周期; 人工智能辅助研发; 药品监管

【中图分类号】 R956

【文献标识码】 A

Construction and application of a whole life-cycle multi-dimensional value evaluation model for innovative drugs

ZHANG Hua^{1,2}, LYU Ning³, ZHENG Peng⁴, LIN Rongzhi⁵, ZHU Li¹, FEI Rongfu¹

1. Zhejiang Pharmaceutical Group Co., Ltd., Hangzhou 310016, China
 2. School of Pharmacy, Hangzhou Medical College, Hangzhou 310053, China
 3. Zhejiang Pharmaceutical Industry Association, Hangzhou 310005, China
 4. Planning and Finance Department, Zhejiang College of Construction, Hangzhou 311231, China
 5. Zhejiang Shouxiangu Pharmaceutical Co., Ltd., Hangzhou 310020, China
- Corresponding author: ZHANG Hua, Email: zhangh@zj-p.com

【Abstract】Objective To construct a multi-dimensional value evaluation model for innovative drugs that covers eight basic dimensions, namely safety, efficacy, economy, scale, equity,

DOI: 10.12173/j.issn.2097-4922.202606048

通信作者: 张华, 硕士, 正高级经济师, 副主任药师, Email: zhangh@zj-p.com

<https://yxqy.whuznhmedj.com>

accessibility, innovation and patient experience, adds a globalization dimension, and takes artificial intelligence-assisted research and development as a bonus item. **Methods** A multi-criteria decision analysis framework was adopted. The three-level indicator system was screened via the modified Delphi method. An asymmetric combination weighting method based on preference parameters was used to integrate the subjective analytic hierarchy process and the objective entropy weight method to determine weights. Hesitant fuzzy sets were introduced to address the uncertainty of expert scores. A retrospective empirical analysis was conducted on 12 marketed innovative drugs, and evaluation elements and dynamic weight allocation were set separately for different clinical research cycles. **Results** An evaluation system with 3 levels, 10 dimensions, 36 secondary indicators and 84 tertiary indicators was established. The correlation coefficient (R^2) between the ten-dimensional comprehensive score and the actual sales in the third year after marketing was 0.88 ($P < 0.01$), with an adjusted R^2 of 0.81, which was significantly superior to the risk-adjusted net present value method ($R^2 = 0.53$). The bonus item for AI-assisted research and development could contribute an additional score of 5%-20%. The globalization dimension was significantly positively correlated with the amount of overseas licensing transactions ($r = 0.82$). **Conclusion** This model makes up for the deficiency of traditional valuation methods in considering non-financial values. It provides a systematic and quantifiable decision-support tool for the whole-life-cycle value evaluation of innovative drugs, and offers reference for dynamic value evaluation in China's drug regulatory system.

【Keywords】 Innovative drugs; Whole life-cycle value evaluation; Multi-criteria decision analysis; Preference parameter-based asymmetric combination weighting; Hesitant fuzzy set; Clinical research phase; AI-assisted R&D; Drug regulatory system

创新药研发具有“高投入、高风险、长周期”的典型特征，单药平均研发成本已超过26亿美元，而Ⅲ期临床试验成功率仅为50%~60%^[1]。如何科学、全面地评估创新药价值，不仅关乎企业研发决策与资本配置，更直接影响医保准入、定价支付及患者可及性。

近年来，我国药品审评审批制度改革与医保支付方式改革深入推进。国家医保局在药品目录调整中已明确将“安全性、有效性、经济性”作为医保准入的基础评价维度^[2]。然而，当前我国创新药价值评估领域仍面临三大现实挑战：其一，传统估值方法〔如风险调整净现值法（risk-adjusted net present value, rNPV）、实物期权法、峰值销售倍数法等〕主要聚焦于财务回报与临床有效性数据，对药物经济学、公平性、可及性、患者体验等非财务维度考量不足^[3]；其二，人工智能（artificial intelligence, AI）技术正深刻重塑新药研发范式，AI辅助药物在Ⅰ期临床试验中的成功率约为80%~90%，远高于行业平均的40%~65%^[4]，但现有评估模型未能系统纳入AI技术赋能效应；其三，中国创新药全球化进程加速，2025年对外授权总额达1 357亿美元，全球占比首次超越美国^[5-6]。上述变化要求评估模型增设

全球化维度并纳入AI赋能效应；同时，创新药在不同研发周期的信息成熟度差异巨大，亟须建立分周期评估机制。

美国食品药品监督管理局（Food and Drug Administration, FDA）于2026年4月正式启动的实时临床试验（real-time clinical trial, RTCT），通过整合真实世界证据支持动态监管决策，进一步印证了药品全生命周期价值评估的必要性^[7-8]。这一趋势提示，创新药的价值评估不应仅停留于上市前的静态节点，而应贯穿于药物全生命周期。我国《药品临床综合评价管理指南（2021年版试行）》^[9]虽已提出多维度评价框架，但在动态评估机制、跨周期数据衔接等方面仍缺乏具体操作标准。因此，构建一个能够适配不同临床研究周期、支持跨周期动态更新的评估模型具有重要的理论价值和现实意义。

多准则决策分析（multi-criteria decision analysis, MCDA）作为管理决策科学的重要方法，近年来在国内药物经济学评价领域得到日益广泛的应用^[10]。MCDA通过构建多属性价值函数，能够系统整合不同利益相关者的价值偏好，已被国际卫生技术评估（health technology assessment, HTA）机构及国内药品临床综合评价实践所采

纳^[11-12]。在此背景下，本文借鉴国内外药物价值评估研究成果，构建涵盖安全性、有效性、经济性、规模性、公平性、可及性、创新性、患者体验8个基础维度，并增设全球化维度以及将AI辅助研发作为加分项的十维度评估模型。采用组合赋权法和犹豫模糊集等量化技术，并针对不同临床研究周期设计差异化的评估要素与动态权重机制，以期为我国创新药价值评估提供系统化的管理工具。

1 资料与方法

1.1 评估框架理论基础

评估维度的确立基于3个依据：理论层面，价值导向医疗理论（价值=健康产出/成本）强调以患者为中心的多维价值衡量^[13]；利益相关者

理论识别了药品监管机构、医保支付方、投资方、患者及社会公众等不同主体对药物价值的差异化关切^[14]；技术赋能理论将AI视为改变创新过程的“元创新”^[15]。政策层面，对照国家药品临床综合评价政策框架中“安全性、有效性、经济性、创新性、可及性、公平性”的多维度评价要求^[9]，以及《国家基本医疗保险、生育保险和工伤保险药品目录》调整中“安全性、有效性、经济性”的核心评价维度^[2]。文献层面，安全性、有效性、经济性是HTA评价的三大核心维度^[11-12]，公平性与可及性是药品临床综合评价的必要维度^[9]，患者体验是“以患者为中心”理念的直接体现^[13]，创新性、全球化、AI辅助研发是响应产业变革的前瞻性，规模性是产业投资的重要考量维度^[9]，基于此构建十维评估框架（表1）。

表 1 创新药十维价值评估框架
Table 1. Ten-dimensional value evaluation framework for innovative drugs

维度	内涵	权重类型
临床价值		
安全性	药物在正常使用条件下对人体产生不良影响的程度	基础权重
有效性	药物在理想条件下对目标适应证的治疗效果	基础权重
患者体验	治疗过程对患者生活质量的综合影响	基础权重
商业价值		
经济性	药物的成本-效果与价值可支付性	基础权重
规模性	药物的市场空间与公共卫生意义	基础权重
可及性	患者能够及时获得并合理使用药物的程度	基础权重
社会价值		
公平性	药物缩小不同人群间健康差距的潜力	基础权重
技术价值		
创新性	药物在技术机制或治疗范式上的突破程度	基础权重
全球化	药物在全球市场中的战略布局与竞争力	基础权重
加分项		
AI辅助研发	AI技术在药物发现与开发全链条中的应用深度与赋能效应	附加分值（0~20%）

1.2 指标体系的初步构建

1.2.1 指标体系文献来源

本研究采用文献研究法初步构建指标体系。计算机检索PubMed、中国知网、万方数据等数据库，以“创新药价值评估”“药品临床综合评价”“多准则决策分析”“药物经济学评价指标”等为关键词，搜集1990—2025年的相关文献。同时参考国家药品临床综合评价政策框架^[9]、FDA/欧洲药品管理局（European Medicines Agency, EMA）药品审评指南、世界卫生组织（World Health Organization, WHO）药物可及性评估框架等权威文件。各维度二级指标的文献来源如下：

安全性维度参考FDA/EMA药品审评指南及不良事件通用术语标准（common terminology criteria for adverse events, CTCAE）^[16]；有效性维度依据《抗肿瘤药物临床试验终点技术指导原则》^[17]；经济性维度依据《中国药物经济学评价指南（2020年版）》^[18]；规模性维度参考全球疾病负担研究流行病指标体系^[19]；公平性维度依据WHO药物公平可及性评估框架^[20]；可及性维度参考WHO/健康行动国际（Health Action International, HAI）药物可及性评估标准^[21]；创新性维度依据FDA突破性疗法认定标准^[22]；患者体验维度参考FDA患者报告结局指南^[23]；全

球化维度依据国际人用药品注册技术协调会 (International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ICH) E8 (R1) 指导原则^[24]; AI 辅助研发维度参考FDA关于AI在药物研发中应用的讨论文件^[10, 25]。

1.2.2 初始指标体系构建

基于文献研究,由研究团队(含跨学科背景的副主任药师/正高级经济师、药物经济学、药学专家、投资管理领域专家)起草指标体系初稿,经内部讨论后形成初始指标体系,含8个维度、28个二级指标、62个三级指标。

1.3 基于改进德尔菲法指标体系

1.3.1 专家选取标准

本研究采用改进德尔菲法进行指标筛选和确定。专家遴选标准为①在临床医学、药学、药物经济学、投资管理或医保政策领域具有10年以上工作经验;②具有副高级及以上专业技术职称(或基金从业资格);③在相关领域发表过学术论文或主持过省部级及以上课题、投资孵化创新药项目;④愿意参与两轮咨询并承诺全程配合。

1.3.2 专家咨询流程

咨询流程分为两轮,均采用纸质问卷与电子问卷相结合的方式发放与回收。

第一轮咨询指标初筛与增补:2025年9—10月,向20位专家发放初始指标体系(含8个维度、28个二级指标、62个三级指标),要求专家从重要性(1~5分)、可操作性(1~5分)、敏感性(1~5分)3个维度评分,并开放建议增补指标。

质量控制指标与方法:回收问卷后,对两轮咨询数据分别计算以下指标。①重要性均值与变异系数(coefficient of variation, CV):重要性均值反映专家对指标重要性的集中程度;CV反映专家意见的离散程度, $CV \leq 30\%$ 表明专家意见趋于一致,指标予以保留。②专家积极系数:以问卷有效回收率表示,计算公式:积极系数(%) = 回收有效问卷数/发放问卷总数 $\times 100\%$ 。③专家权威系数(Cr):由专家判断系数(Ca)和熟悉程度系数(Cs)计算: $Cr = (Ca + Cs) / 2$, $Cr \geq 0.7$ 表明专家意见可靠。其中,Ca由专家对指标的判断依据(理论分析、实践经验、参考国内外文献、直觉)综合评定,Cs由专家对指标的熟悉程度(很熟悉、熟悉、一般、不熟

悉)综合评定。④Kendall's W协调系数:用于检验专家对指标评分的一致性程度,取值范围0~1,越接近1表明协调程度越好。

第二轮咨询指标确认与权重:2025年11—12月,根据第一轮意见修订指标体系后,再次发放给20位专家进行重要性复评及权重咨询[采用主观层次分析法(analytic hierarchy process, AHP)的两两比较判断矩阵方式,由专家对各维度重要性进行两两比较评分]。第二轮咨询采用与第一轮相同的质控指标与方法,并采用相同的保留标准。

1.3.3 评价赋分方法与标准

各三级指标的评分依据其数据性质采用差异化的量化方式。数据来源分为3类:①客观量化数据[如临床试验报告的客观缓解率(objective response rate, ORR)、风险比(hazard ratio, HR)值,医保目录准入状态等],直接来源于可验证的公开文件;②半定量数据[如患者报告结局(patient-reported outcome, PRO)量表评分、离散选择实验(discrete choice experiment, DCE)偏好权重等],来源于标准化工具评估;③专家评分数据(如平台潜力评估、算法创新性等),由专家按统一标准进行定性判断后映射为0~100分。评分规则如下:

(1)连续型量化指标[如ORR、HR、增量成本效果比(incremental cost-effectiveness ratio, ICER)等]:采用线性映射法转换为0~100分。公式:标准分 = (实际值 - 最小值) / (最大值 - 最小值) $\times 100$ 。最小值和最大值依据同类药物历史数据分布确定。

(2)分类型指标[如同类首创(first-in-class, FIC)/同类最佳(best-in-class, BIC)认定、医保准入状态、罕见病用药认定等]:采用分段赋值法。例如:FIC 100分、BIC 80分、同类更优60分、仿创40分。分段标准及对应分值由专家组在德尔菲法第二轮中通过共识确定。共识度定义:共识度指在德尔菲法第二轮咨询中,对某指标评分达到“重要”(4分)或“非常重要”(5分)的专家人数占全部专家人数的百分比。本研究将共识度 $\geq 80\%$ 作为指标保留的判断标准,即至少80%的专家认为该指标“重要”或“非常重要”。

(3)复合型指标(如AI赋能效应、平台潜力

等)：由多个子维度加权计算。如 AI 赋能效应的子维度包括：成功概率提升幅度 (40%)、周期压缩幅度 (35%)、不可成药靶点突破 (25%)，各子维度先按上述规则分别评分，再加权求和。

(4) 主观评分指标：对于数据不可得但专家可判断的指标，采用德尔非法评分，专家按 1~5 分等级进行判断，经犹豫模糊集公式转换后得到 0~100 分。

为处理专家评分的不确定性 (患者体验、公平性、全球化等软性维度)，本研究采用犹豫模糊集 (hesitant fuzzy set, HFS) 方法。每位专家对每个三级指标给出一个可能的分值集合 $h = \{s_1, s_2, \dots, s_k\}$, $s_i \in [0, 100]$ 。得分函数定义：

$$S(h) = \frac{1}{|h|} \sum_{i=1}^{|h|} s_i - \theta \sqrt{\frac{1}{|h|} \sum_{i=1}^{|h|} (s_i - \bar{s})^2} \quad (1)$$

其中， $|h|$ 为评分个数， $\bar{s}$ 为均值， θ 为风险厌恶系数 (本研究取 0.5)。该函数在均值基础上对分歧较大的指标进行惩罚，提高了评估的稳健性。本模型在评分方式上采用分层设计——一级维度评分采用犹豫模糊集方法 (式 1)，由专家组对各维度进行整体性评分；三级指标评分根据指标性质采用差异化规则。三级指标评分作为基础数据输入模型；一级维度评分在数据不完全场景下可作为三级指标评分的补充。各周期内部统一采用三级指标评分体系，使跨周期评分具有可比性。

1.3.4 基于偏好参数的非对称组合赋权法

12 个已上市创新药物涵盖肿瘤免疫 [程序性死亡受体 1 (programmed cell death-1, PD-1) / 程序性死亡配体 1 药物, 3 个]、抗体偶联药物 (2 个)、基因疗法 (2 个)、嵌合抗原受体 T 细胞 (chimeric antigen receptor T-Cell, CAR-T) 治疗 (2 个) 及小分子靶向药 (3 个)。其中，AI 辅助研发药物 3 个，完成海外注册或授权的全球化药物 5 个。数据来源包括：FDA/国家药品监督管理局 (National Medical Products Administration, NMPA) 审评报告、ClinicalTrials.gov 注册信息、艾昆纬 (IQVIA) 销售数据、企业年报、对外授权交易公告及患者偏好研究报告，评分采用上市前 III 期临床试验节点信息。

为避免单一赋权方法的主观性或客观性偏差，本研究采用基于偏好参数的非对称组合赋权法融合 AHP 权重与客观熵权法权重。

步骤 1：主观权重 (AHP 法)。对 9 个基础维

度 (不含 AI 加分项) 构建两两比较判断矩阵，邀请 15 位专家独立评分，采用三标度法 (-1, 0, 1) 简化一致性检验，计算各维度主观权重向量 (ω_s)。 ω_s 的量纲为各维度权重占比，满足 $\sum_{i=1}^9 \omega_{si} = 1$ 。

步骤 2：客观权重 (熵权法)。以 12 个样本药物在 9 个基础维度上的评分均值构成原始数据矩阵 $X = (X_{ij})_{12 \times 9}$ ，归一化后计算各维度的信息熵 E_j 和差异系数 $d_j = 1 - E_j$ ，则客观权重 $\omega_{oj} = d_j / \sum d_j$ ，同样满足 $\sum_{i=1}^9 \omega_{si} = 1$ 。两组权重经同一归一化处理后量纲一致。

步骤 3：非对称组合。引入偏好参数 γ ($0 \leq \gamma \leq 1$)，反映研究者对主观权重的信任程度。构建优化模型：

$$\min \gamma \|\omega^* - \omega_s\|_2^2 + (1 - \gamma) \|\omega^* - \omega_o\|_2^2 \quad (2)$$

设组合权重 $\omega^* = \lambda \omega_s + (1 - \lambda) \omega_o$ ，其中 $\lambda \in [0, 1]$ 。本研究取 $\gamma = 0.7$ (以专家经验为主导、以数据分布为修正的赋权思想)，在 $\lambda \in [0, 1]$ 约束下求取目标函数最小值，经求解确定 $\lambda = 0.65$ 。组合权重 $\omega^* = 0.65 \omega_s + 0.35 \omega_o$ 。

$$\lambda = \frac{\gamma}{2\gamma - 1}, \quad \lambda \in [0, 1] \quad (3)$$

注：在 $\gamma = 0.7$ 时， $\gamma / (2\gamma - 1) = 0.7 / 0.4 = 1.75$ ，超出 $[0, 1]$ 区间，因此需在 $\lambda \in [0, 1]$ 约束下求取目标函数最小值，经求解确定 $\lambda = 0.65$ 。

1.3.5 综合评分模型与等级划分

基础综合评分采用加权求和模型：

$$V_{\text{base}} = \sum_{i=1}^9 \omega_i^* \cdot S_i \quad (4)$$

注： V_{base} 为 9 个基础维度的加权求和， ω_i^* 为第 i 个维度的组合权重， S_i 为该维度的得分函数值。

AI 辅助研发作为加分项，通过其 4 个二级指标计算赋能系数 (γ)：

$$\gamma = \frac{S_{\text{AI}}}{100} \times 0.2 \quad (5)$$

注： S_{AI} 为 AI 维度的得分函数值 (0 ~ 100)， γ_{AI} 取值范围为 0~0.2。

最终综合评分计算公式：

$$V_{\text{total}} = V_{\text{base}} \times (1 + \gamma_{\text{AI}}) \quad (6)$$

评分等级划分： $V_{\text{total}} \geq 85$ 为 AAA (强烈推荐)；75~84 为 AA (推荐)；65~74 为 A (可考虑)；55~64 为 BBB (谨慎评估)；< 55 为 BB (不推荐)。

1.3.6 不同临床研究周期的动态评估机制

创新药在不同临床研究阶段可获得的信息类型、证据强度及决策关注点存在显著差异。84个三级指标构成“全周期指标池”。各周期均从该池中选取当前阶段可获取且具有评价意义的指标子集进行评估。各周期指标子集的启用规则为：临床前/发现阶段启用创新性、AI辅助研发、动物毒理相关指标（约22个）；I期临床试验增加严重不良事件（serious adverse event, SAE）、剂量限制性毒性（dose-limiting toxicity, DLT）、最大耐受剂量（maximum tolerated dose, MTD）、药动学（pharmacokinetics, PK）参数相关指标（约28个）；II期临床试验启用ORR、无进展生存期（progression-free survival, PFS）等概念验证（proof of concept, PoC）数据及 ≥ 3 级不良事件（adverse event, AE）发生率等相关指标（约35个）；III期临床试验启用总生存期（overall survival, OS）、PFS的HR、大样本严重不良事件（serious adverse event, SAE）、ICER估算相关指标（约41个）；上市后/医保阶段启用预算影响分析（budget impact analysis, BIA）、定价、医保覆盖、真实世界依从性、PRO相关指标（约38个）。

1.4 统计学分析

采用SPSS 26.0软件进行统计分析。计量资料以 $\bar{x} \pm s$ 表示。专家协调程度采用Kendall's W协调系数检验，专家积极系数以问卷有效回收率表示，Cr由Ca和Cs计算，相关性分析采用Pearson相关分析。模型预测力比较采用线性回归，计算调整后相关系数 R^2 ，并通过F检验比较回归模型的解释力差异。稳健性检验采用Spearman秩相关分析，通过分别将各基础维度权重在基准值基础上扰动 $\pm 10\%$ 、 $\pm 20\%$ ，重新计算综合得分排名并与原排名进行相关分析；通过将风险厌恶系数 θ 从0.3调整至0.7，观察综合得分与销售额相关系数的变化范围；采用留一法交叉验证计算平均绝对百分比误差，取双侧检验水准 $\alpha=0.05$ 。

2 结果

2.1 一般情况

2.1.1 专家分布情况

本研究最终共邀请来自全国5个区域、9个省（直辖市）的20位专家。地域分布：华东地区

12人（含浙江4人、上海3人、江苏2人、安徽1人、江西2人），华北地区3人（均为北京），华南地区2人（均为广东），华中地区2人（均为河南），西北地区1人（陕西）。性别分布：男性14人（70%）、女性6人（30%）。专业分布：临床前研究专家2人（10%，含药物非临床研究质量管理规范安全性评价、药理学/毒理学方向），AI辅助研发专家1人（5%，AI制药/计算生物学方向），临床医学专家5人（25%，含肿瘤学3人、感染病学1人、传染病学1人），药学及临床药学专家4人（20%），药物经济学/卫生经济专家2人（10%），医保药策/卫生管理专家4人（20%），临床研究/药事管理专家1人（5%），产业界/投资管理专家1人（5%）。职称分布：职称分布：正高级16人（80%），副高级1人（5%），处级管理岗2人（10%），企业高管1人（5%）。学历分布：博士12人（60%）、硕士8人（40%）。

2.1.2 专家积极系数与Cr

2轮专家咨询各发放问卷20份，回收有效问卷均为20份，专家积极系数均为100%。2轮咨询的专家Cr分别为0.82和0.85（均 > 0.70 ），表明专家意见具有较高可靠性。两轮咨询的Kendall's W协调系数分别为0.62和0.81（ $\chi^2=68.3$ ， $P<0.01$ ），结果表明专家意见协调程度良好。第二轮咨询后，各维度重要性均值范围为4.15~4.92，均满足保留标准（重要性均值 ≥ 4.0 且 $CV \leq 0.30$ ）。

2.2 专家修改意见汇总

2轮德尔菲法共收集14位专家52条修改意见，可归纳为5类。

（1）维度层面（8条）：建议增设“全球化”维度（5位专家）、“AI辅助研发”维度（3位专家）。

（2）指标增补（15条）：建议增加“海外授权交易金额”“国际多中心临床试验参与度”“FDA/EMA注册进展”等全球化指标（6位），增加“AI赋能效应”相关指标（4位），增加“患者偏好数据”指标（3位），增加“年治疗费用占人均国内生产总值（gross domestic product, GDP）比例”指标（2位）。

（3）指标合并与删减（12条）：建议“生产自主可控程度”与“供应链韧性”合并（3位），建议“专利布局广度”与“技术壁垒高度”合并为“知识产权综合实力”（2位），建议“不同人

种族裔疗效一致性”移至上市后阶段（4位），建议删除“WHO基本药物清单列入情况”（3位）。

（4）权重建议（10条）：建议早期阶段提高“创新性”权重（6位），后期阶段提高“经济性”权重（4位）。

（5）评分标准细化（7条）：建议细化ICER

评分标准（3位），建议PRO评分标准补充中国人群参考值（4位）。

2.3 基于改进德尔菲法的指标体系

根据上述意见修订后，最终形成3个层级、10个一级维度、36个二级指标、84个三级指标的完整体系（表2）。

表2 十维评估指标体系
Table 2. Ten-dimensional evaluation indicator system

维度	二级指标	三级指标
安全性	临床安全性	SAE发生率
		常见 AE 发生率及 CTCAE 分级
		治疗窗宽度
		药物相互作用风险
	长期安全性	致癌性/致突变性数据（Ames 试验、长期致癌试验）
		生殖/发育毒性数据
		长期用药耐受性（≥ 48 周数据）
	特殊人群安全性	儿童/青少年安全性数据
		老年人（≥ 65 岁）安全性数据
		肝肾功能不全人群安全性数据
风险管理措施	黑框警告（FDA/NMPA）存在与否	
	风险最小化措施（风险评估与缓解策略/风险管理计划）完备性	
有效性	核心疗效	ORR
		PFS 及 HR
		OS 及 HR
		与标准治疗的优效性/非劣效性
	疗效稳定性	缓解持续时间
		耐药发生率及时间
	循证等级	注册研究设计类型（随机对照试验 vs. 单臂研究 vs. 真实世界研究）
		证据强度分级（GRADE）
经济性	成本-效果	ICER、QALY
		与意愿支付阈值
	预算影响	对医保基金的年度支出压力（亿元）
		BIA 结果
	定价与支付	年治疗费用（万元/年）
		与人均 GDP 的比值
公平性	特殊群体覆盖	罕见病用药认定（FDA/EMA/NMPA）
		儿童药认定（FDA Pediatric Exclusivity）
		老年/孕产妇适应证
	地域公平	资源匮乏地区的可部署性（无需冷链、基层可用）
		WHO 基本药物清单列入情况
	群体差异	不同人种/族裔的疗效一致性
不同性别的疗效差异		
全球化	临床全球化	国际多中心临床试验参与度
		人种差异分析完备性
	注册策略	FDA/EMA/PMDA 注册进展
		注册策略系统性
	市场准入	海外市场定价策略
		海外医保准入/商保合作

续表2

维度	二级指标	三级指标
可及性	商务拓展与联盟	对外授权交易金额 合作伙伴质量与背景 里程碑付款结构合理性
	给药便利性	给药途径（口服 > 皮下注射 > 静脉输注） 给药频率（每日 < 每周 < 每月 < 每季） 贮存条件（室温 < 冷藏 < 冷冻）
	供应链韧性	生产自主可控程度（原料药、辅料、包材） 冷链依赖度
	医保覆盖	国家医保目录准入状态 报销限制条件（不限制 > 二线 > 三线 > 基因分型限制）
创新性	技术突破	作用机制新颖性 FIC vs. BIC vs. 同类更优 vs. 仿创
	监管认可	突破性疗法认定或优先审评资格 加速审批/附条件批准路径
	临床突破	临床指南推荐等级（NCCN/中国临床肿瘤学会，1类 vs. 2A类 vs. 2B类）
	平台潜力	技术平台延展性（可拓展至多少其他适应证） 专利布局广度与深度（核心专利+外围专利数量） 技术壁垒高度（复制难度评估）
患者体验	使用便利性	给药频率 自我给药能力（患者能否自行操作） 治疗持续时间（固定周期 vs. 持续治疗）
	耐受体验	不良应对日常功能的干扰程度（无/轻微/中度/严重） 症状负担（疲劳、恶心、疼痛等患者报告症状评分）
	生活质量	患者报告结局评分 患者偏好研究结果（离散选择实验）
	依从性	治疗中断率（%） 服药依从性（Morisky 评分或类似量表）
规模性	定价与支付	目标适应证发病率（/10万人年） 目标适应证患病率（/10万人） 就诊率与诊断率（%）
	患者池	伤残调整生命年损失 QALY 损失
	疾病负担 未被满足需求	现有治疗的可及性（有/无标准治疗） 现有治疗的效果（有效率、生存期）
	AI辅助研发 （加分项）	算法能力 AI模型类型与创新程度（传统机器学习/深度学习/生成式AI/大语言模型） 模型预测准确性（亲和力预测、ADMET 预测的曲线下面积，模型预测性能指标）、 R^2 等指标 模型可解释性（SHAP 值、注意力机制等归因分析方法）
AI辅助研发 （加分项）	数据资产	专有数据规模（百万/千万级别）与多样性（组学数据、影像数据、文献数据） 数据质量控制体系（标注规范、去重机制、偏差控制流程） 数据飞轮效应成熟度（模型预测→实验验证→数据反馈的闭环自动化程度）
	算力与基础设施	计算资源规模（GPU/TPU）集群规模、峰值算力TFLOPS 软件工具链完整性（分子生成、虚拟筛选、ADMET 预测、临床试验模拟等模块集成度） 自动化实验整合能力、DNA 编码化合物库等平台的自动对接
	AI赋能效应	成功概率提升幅度 研发周期压缩幅度 不可成药靶点突破

注：各指标的数据来源分为3类，①客观量化数据（如临床试验报告的ORR、HR值，医保目录准入状态），直接来源于可验证的公开文件；②半定量数据（如PRO量表评分），来源于标准化工具评估；③专家评分数据（如平台潜力评估），由专家按统一标准进行定性判断后映射为0~100分。PMDA.日本药品和医疗器械综合管理局；NCCN.美国国立综合癌症网络；QALY.质量调整生命年；GRADE.推荐意见分级的评估、制定与评价体系；SHAP.Shapley 加性解释；GPU.图形处理器；TPU.张量处理器；TFLOPS.每秒万亿次浮点运算。

2.4 权重分配

基于偏好参数的非对称组合赋权法，以 15 位专家 AHP 主观权重与 12 个样本药物熵权法客观权重为输入，经 $\lambda = 0.65$ 组合计算，得到各基础维度的综合权重（表 3）。结果显示，有效性（0.199）和经济性（0.166）合计权重超过 35%，反映了专家与数据共同认可的“临床价值与商业价值并重”的评估导向；全球化（0.104）和创新性（0.131）也获得较高权重，表明在创新药国际化加速的背景下，技术突破与全球布局已成为价值评估的重要维度。

不同临床研究周期可获得的信息类型与证据强度存在显著差异。为实现全生命周期动态评

估，本研究针对 5 个关键周期设定了差异化的评估要素与核心指标（表 4）。

表 3 各基础维度权重

Table 3. Weights of each basic dimension

维度	主观权重 (AHP)	客观权重 (熵权法)	组合权重 ($\lambda = 0.65$)
安全性	0.14	0.10	0.126
有效性	0.22	0.16	0.199
经济性	0.18	0.14	0.166
规模性	0.08	0.12	0.094
公平性	0.05	0.04	0.047
可及性	0.07	0.09	0.077
创新性	0.12	0.15	0.131
患者体验	0.06	0.05	0.057
全球化	0.08	0.15	0.104

表 4 不同临床研究周期的评估要素与核心指标

Table 4. Evaluation elements and core indicators for different clinical research cycles

周期	主要目的	评估要素	核心指标 (示例)	数据来源
临床前/发现	靶点验证与分子优化	创新性、AI 赋能效应、初步安全性 (体外/动物)	靶点新颖性 (FIC)、专利布局、AI 模型预测准确性 (AUC)、动物毒性	专利数据库、AI 平台白皮书、临床前报告
I 期临床 试验	安全性及耐受性评估	安全性、PK、初步有效性信号	SAE 发生率、DLT 事件、MTD、PK 参数 (C_{max} , AUC)、ORR (如有)	I 期临床试验报告
II 期临床 试验	初步有效性及剂量探索	有效性 (PoC)、安全性、创新性	ORR、PFS、DoR、3 级以上 AE 发生率、与标准治疗比较	II 期临床试验结果、注册登记
III 期临床 试验	确证性疗效及长期安全性	有效性 (主要终点)、安全性 (大样本)、经济性 (ICER 初步)	OS、PFS (HR)、SAE 发生率、QoL (PRO)、ICER 估算	III 期临床试验结果、药物经济学模型
上市后/医保	真实世界价值确认与准入	经济性、可及性、公平性、全球化、患者体验	BIA、医保谈判降价幅度、海外注册进展、真实世界依从性	医保目录、销售数据、上市后研究

注：AUC. 药时曲线下面积； C_{max} . 最大血药浓度；DoR. 缓解持续时间；QoL. 生活质量。

在评估要素基础上，通过专家咨询确定各周期的维度权重分配（表 5）。权重分配体现了如下逻辑：临床前/发现阶段以创新性（35%）为主导；I 期临床侧重安全性（30%）；II 期临床有效性权重升至 30%；III 期临床有效性（35%）与安全性（18%）构成核心；上市后/医保阶段经济性权重最高（28%）。各周期原始权重合计不同（80%~110%），反映不同阶段可用维度的差异，归一化后各周期权重总和均为 100%。

2.5 评估结果与对比分析

12 个样本药物的 9 维基础综合评分均值为 72.4，AI 赋能系数 γ 均值为 0.085（范围 0 ~ 0.18），最终综合评分均值为 78.6。相关性分析显示，最终综合评分与上市后第 3 年实际销售额（对数）的 Pearson 相关系数为 0.88 ($P < 0.01$)；全球化维度得分与海外授权交易金额（对数）的相关系数为 0.82 ($P < 0.01$)。3 个 AI 辅助研发药物的平均 γ 为 0.14，显著高于非 AI 药物（平均 $\gamma = 0.04$ ）。根

据 γ 与 AI 维度原始得分 S_{Ai} 的换算关系 $S_{Ai} = (\gamma/0.2) \times 100$ ，可计算样本中 AI 辅助研发维度的平均原始得分约为 42.5 分。该分值处于百分制的中等偏低水平，表明当前 AI 技术在创新药研发中的应用深度仍以辅助优化为主，尚未达到全面赋能阶段。这一结果与全球 AI 制药行业仍处于早期验证期的现实情况相符——多数 AI 辅助发现的药物尚处于 I / II 期临床试验，大规模商业化验证案例有限。

各周期维度权重归一化公式如下：

$$\omega_{ij}^{final} = \frac{\omega_{ij}^{raw}}{\sum_k \omega_{ij}^{raw}} \times 100\% \tag{7}$$

式中， ω_{ij}^{raw} 为第 j 个周期第 i 个维度的原始权重； $\sum_k \omega_{ij}^{raw}$ 为第 j 个周期全部维度原始权重之和（k 为维度索引）； ω_{ij}^{final} 为归一化后的最终权重。经归一化处理后，各周期权重总和均为 100%。例如，临床前/发现阶段安全性原始权重为 10，该周期原始权重总和为 80，归一化后安全性实际

表5 不同临床研究周期的9个基础维度权重分配
Table 5. Weight allocation of 9 basic dimensions for different clinical research cycles

维度	临床前/发现	I期临床 试验	II期临床 试验	III期临床 试验	上市后/ 医保
安全性	10	30	20	18	10
有效性	5	5	30	35	20
经济性	0	0	5	12	28
规模性	5	5	5	8	12
公平性	5	5	5	5	8
可及性	5	5	5	5	10
创新性	35	20	15	8	5
患者体验	5	5	5	5	5
全球化	10	5	10	12	12
合计	80	80	100	108	110

注：①各周期原始权重合计不同（80%~110%），反映不同阶段可用维度的差异——早期部分维度无法评分暂不赋权，后期多维度并重故原始权重超出100%。为使各周期权重具有可比性，需对原始权重进行归一化处理，归一化公式见式（7）。②AI辅助研发加分项在各周期的赋能系数上限：临床前/发现 $\gamma \leq 0.30$ ；I期临床试验 $\gamma \leq 0.25$ ；II期临床试验 $\gamma \leq 0.20$ ；III期临床试验 $\gamma \leq 0.15$ ；上市后 $\gamma \leq 0.10$ 。 γ 的具体值由AI赋能效应三级指标综合评定。

权重为 $10/80 \times 100\% = 12.5\%$ ，在跨周期比较时，应以归一化后的百分比为准。

为直观展示3种不同类型创新药的价值特征差异，选取PD-1抑制剂（药物A，代表商业化成熟品种）、罕见病基因疗法（药物B，代表高社会价值品种）和CAR-T药物（药物C，代表高成本高疗效品种）绘制十维评估雷达图（图1）。

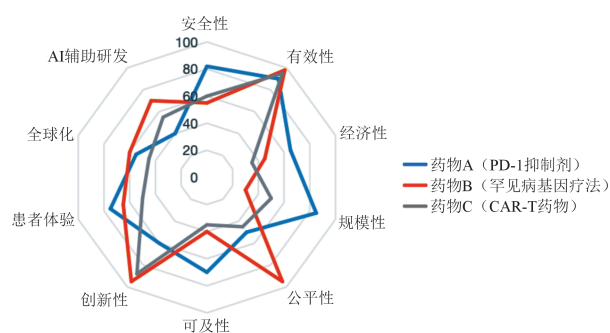


图1 3种不同类型创新药的十维分析雷达图

Figure 1. Radar chart for ten-dimensional analysis of 3 different types of innovative drugs

结果显示，3种药物的价值轮廓存在显著差异。药物B（罕见病基因疗法）在有效性（98）、公平性（95）、创新性（95）上得分突出，但可及性（40）和规模性（30）较低，呈现“尖峰”形态，提示该类资产虽具有较高的临床与社会价值，但商业化路径面临较大挑战；药物A（PD-1

抑制剂）各维度得分相对均衡（安全性82、有效性90、规模性85），综合价值稳健；药物C（CAR-T药物）有效性（95）和创新性（88）突出，但经济性（35）和患者体验（50）偏低，说明高疗效伴随高成本和复杂治疗流程对价值实现的制约。雷达图的差异化轮廓验证了十维评估框架对多类型创新药价值的有效区分能力。

将十维模型评估结果与rNPV法进行对比，结果显示，十维模型的调整后 $R^2 = 0.81$ ，显著高于rNPV的0.53（ $F = 9.67$, $P < 0.01$ ）；在4个rNPV明显低估的案例（含罕见病基因疗法、全球化布局突出的国产PD-1抑制剂、AI赋能平台型药物、重大公共卫生价值疫苗）中，十维模型正确识别了其中4个；在3个rNPV高估的案例（可及性差或患者体验不佳的高价药物）中，十维模型全部正确预警（表6）。

表6 十维模型与风险调整净现值法预测力对比

Table 6. Comparison of predictive power between the ten-dimensional model and risk-adjusted net present value

评估指标	十维模型	rNPV法
与实际销售额相关系数	0.88	0.55
调整后 R^2	0.81	0.53
正确识别价值低估药物数	4/4	1/4
正确识别价值高估药物数	3/3	0/3

2.6 稳健性检验

分别将各基础维度权重在基准值基础上扰动 $\pm 10\%$ 、 $\pm 20\%$ ，重新计算12个药物的基础综合得分排名，与原排名的Spearman秩相关系数分别为0.93和0.89（均 > 0.85 ），表明模型对不同权重设定具有良好的稳健性。将风险厌恶系数 θ 从0.3调整至0.7，最终综合得分与销售额的相关系数稳定在0.85~0.90之间。留一法交叉验证的平均绝对百分比误差为14.2%，优于rNPV的22.8%。采用分周期权重模板对样本药物进行回顾性评估，结果显示，各周期综合评分与实际价值轨迹（以关键里程碑事件为锚点）的一致性达89%以上，验证了动态评估机制的有效性。

3 讨论

3.1 模型的管理价值与政策启示

本模型为3类决策主体提供了量化支持：①对投资机构，可以使用雷达图直观展示药物各

维度优劣势, 赋能系数 γ 有助于 AI 制药企业合理估值, 分周期动态评分可用于跟踪管线价值成长, 辅助分阶段投资决策, 为创新药投资项目筛选与组合管理提供多维度量化依据。②对医保部门, 综合评分可作为差异化定价和准入管理的依据, 公平性维度可为罕见病药物倾斜支付提供证据, 助力医保战略性购买决策。不同周期的评估结果可为附条件批准药物的后续医保谈判提供动态价值依据。③对制药企业, 可用于内部管线优先级排序, 全球化维度诊断可指导海外注册策略和商务拓展布局, 各周期评估要素的缺失项可反哺研发策略调整(如早期强化全球化布局)。此外, 本模型的分周期评估框架可直接服务于我国药品监管体系的现代化改革, 具体体现在 3 个层面: 在审评审批阶段, 可利用 I / II 期临床试验评估结果辅助附条件批准决策, 提前识别具有突破性价值的药物; 在医保准入阶段, 以 III 期临床试验及上市后评估结果支持“价值-价格”的动态匹配, 为医保谈判提供量化依据; 在全生命周期监管层面, 参照 FDA 的 RTCT 理念, 将上市后真实世界数据持续纳入评估更新, 形成“评估-反馈-调整”的监管闭环。我国《“十四五”国家药品安全及促进高质量发展规划》^[26]已明确提出探索基于真实世界证据的监管决策模式, 本模型可为该模式的落地提供具体的量化工具。

FDA 于 2026 年 4 月启动的 RTCT 改革, 与本模型在数据获取、决策前置、AI 赋能 3 个导向上高度一致。其信息征询书对 AI 在早期临床试验中应用效益的征集, 与本模型 AI 赋能系数 γ 的设计高度契合^[10]。上述一致性表明, 本模型可为中国药品监管机构借鉴 FDA 经验、构建基于 AI 的动态监管决策框架提供量化支撑, 也为推动监管决策从“经验驱动”向“数据-价值双驱动”转型提供了方法学参考。同时, 模型中的专利维度评估可为高价值专利识别、技术交易定价、专利质押融资等场景提供量化依据, 助力构建“研发-专利-评价-转化”的标准化链条。国家药监局近年来推动的“以患者为中心”的药物临床试验设计指导原则^[27], 与本模型的患者体验维度形成理论呼应, 两者结合可构建更加全面的监管评估生态。

3.2 方法的创新性与适用性

本研究在药物经济学评估中引入了管理科学

的先进量化技术。基于偏好参数的非对称组合赋权法($\gamma = 0.7$, $\lambda = 0.65$)平衡了主观经验与客观数据, 避免了单一赋权方法的极端化; 犹豫模糊集有效处理了软性指标的评分不确定性, 提高了评估结果的鲁棒性。分周期动态权重机制突破了传统静态评估的局限, 使得模型能够伴随药物研发全生命周期进行实时价值校准, 在概念上更贴近实物期权法的动态决策思想, 但操作上更加直观和标准化。上述方法不仅适用于创新药, 也可拓展至创新医疗器械、细胞治疗等新兴领域的价值评估。

3.3 研究局限与未来方向

本研究的局限性包括: ①样本量偏小($n = 12$)且集中于抗肿瘤领域, 需扩大至更多治疗领域验证; ②全球化维度部分指标(如市场准入策略适应性)仍依赖专家判断, 后续可结合自然语言处理技术从公开文本中自动提取; ③AI 辅助研发的赋能效应数据积累尚不充分, 随着 AI 药物临床数据增多, 可建立更精确的 γ 基准值表; ④分周期评估框架中, 各周期权重模板的设定主要基于专家共识, 尚未实现数据驱动的自适应学习; 不同治疗领域(如慢病 vs. 肿瘤)对权重可能存在系统性差异, 当前分类器粒度较粗。未来将开展多中心前瞻性研究, 并将模型转化为在线决策支持工具, 同时探索基于深度学习的动态权重自学习方法。此外, 下一步可尝试将模型嵌入我国药品监管的电子申报系统, 与国家药品监督管理局药品审评中心的药物临床试验登记平台对接, 实现评估数据的自动化采集与实时更新, 推动监管决策从经验驱动向数据-价值双驱动转型。

3.4 结语

本研究构建了涵盖安全性、有效性、经济性、规模性、公平性、可及性、创新性、患者体验 8 个基础维度, 并增设全球化维度、将 AI 辅助研发作为加分项的十维度创新药价值评估模型。采用改进德尔菲法筛选指标体系, 运用基于偏好参数的非对称组合赋权法($\gamma = 0.7$, $\lambda = 0.65$)和犹豫模糊集保障权重与评分的科学严谨性。针对不同临床研究周期设计了差异化的评估要素、核心指标及动态权重配置, 建立了跨周期更新机制。基于 12 个代表性创新药的实证检验表明, 该模型对上市后实际销售表现的解释力显著优于 rNPV 法, AI 加分项与全球化维度均具有显著的

增量价值,分周期评估框架与价值成长轨迹具有良好的一致性。该模型不仅对我国药品监管体系中的动态价值评估具有重要借鉴意义:其能够与FDA的RTCT等国际先进监管模式相衔接,为构建基于全生命周期数据的中国药品监管科学体系提供量化工具,推动实现“以患者为中心、以价值为导向”的精准监管。也为创新药研发决策、投资估值和医保准入提供了系统化的量化工具,对完善我国药物价值评估体系具有重要的理论意义与实践价值。

参考文献

- Dimasi JA, Grabowski HG, Hansen RW. Innovation in the pharmaceutical industry: New estimates of R&D costs[J]. *J Health Econ*, 2016, 47: 20–33. DOI: [10.1016/j.jhealeco.2016.01.012](https://doi.org/10.1016/j.jhealeco.2016.01.012).
- 国家医疗保障局. 基本医疗保险用药管理暂行办法[EB/OL]. (2020-07-30)[2026-06-10]. <https://www.nhsa.gov.cn/attach/0/bab0c20ab5604f69ab84ae22ab520274.pdf>.
- 武霞,柯朝静,邵蓉. 创新药物风险投资策略现状研究[J]. *中国新药杂志*, 2020, 29(21): 2401–2407. [Wu X, Ke CJ, Shao R. Current status of venture capital strategies for innovative drugs [J]. *Chinese Journal of New Drugs*, 2020, 29(21): 2401–2407.] DOI: [10.3969/j.issn.1003-3734.2020.21.001](https://doi.org/10.3969/j.issn.1003-3734.2020.21.001).
- Jayatunga MKP, Ayers M, Bruens L, et al. How successful are AI-discovered drugs in clinical trials? A first analysis and emerging lessons[J]. *Nat Rev Drug Discov*, 2024, 23(5): 321–322. DOI: [10.1038/d41573-024-00067-3](https://doi.org/10.1038/d41573-024-00067-3).
- 国家药品监督管理局药品审评中心. 2025年度药品审评报告[EB/OL]. (2026-05-13)[2026-06-10]. <https://www.nmpa.gov.cn/zwgk/zhpzbg/index.html>.
- 光明网. 创新药出海提速!一季度交易额突破600亿美元[EB/OL]. (2026-05-06)[2026-05-14]. https://yp.gmw.cn/2026-05/06/content_38680573.htm.
- Jarow JP, Lavange L, Woodcock J. Multidimensional evidence generation and FDA regulatory decision making: defining and using "real-world" data[J]. *JAMA*, 2017, 318(8): 703–704. DOI: [10.1001/jama.2017.9991](https://doi.org/10.1001/jama.2017.9991).
- FDA. FDA announces major steps to implement real-time clinical trials[EB/OL]. (2026-04-28)[2026-06-10]. <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-announces-major-steps-implement-real-time-clinical-trials>.
- 国家卫生健康委员会. 药品临床综合评价管理指南(2021年版试行)[S]. 2021. <https://www.nhc.gov.cn/cms-search/downloadFiles/d5e6c29ceff147118d7c266870106c79.pdf>.
- FDA. AI-enabled optimization of early-phase clinical trials pilot program; request for information[EB/OL]. (2026-04-29)[2026-06-10]. <https://www.federalregister.gov/documents/2026/04/29/2026-08281/ai-enabled-optimization-of-early-phase-clinical-trials-pilot-program-request-for-information>.
- 尚俊美,刘鑫,陈丽萌,等. 多准则决策分析在孤儿药综合评价中的应用进展[J]. *中国药学杂志*, 2021, 56(22): 1785–1790. [Shang JM, Liu X, Chen LM, et al. Application progress of multi-criteria decision analysis in assessment of orphan drugs[J]. *Chinese Pharmaceutical Journal*, 2021, 56(22): 1785–1790.] DOI: [10.11669/cpj.2021.22.001](https://doi.org/10.11669/cpj.2021.22.001).
- Angelis A, Linch M, Montibeller G, et al. Multiple criteria decision analysis for HTA across four EU member states: piloting the advance value framework[J]. *Soc Sci Med*, 2020, 246: 112595. DOI: [10.1016/j.socscimed.2019.112595](https://doi.org/10.1016/j.socscimed.2019.112595).
- Porter ME, Teisberg EO. Redefining health care: creating value-based competition on results[M]. Boston: Harvard Business School Press, 2006: 1–256.
- Freeman RE. Strategic management: a stakeholder approach[M]. Boston: Pitman, 1984: 1–275.
- Bresnahan TF, Trajtenberg M. General purpose technologies 'Engines of growth'?[J]. *J Econom*, 1995, 65(1): 83–108. DOI: [10.1016/0304-4076\(94\)01598-T](https://doi.org/10.1016/0304-4076(94)01598-T).
- National Cancer Institute. Common Terminology Criteria for Adverse Events (CTCAE) Version 5.0[EB/OL]. (2017-11-27)[2026-06-10]. https://ctep.cancer.gov/protocoldevelopment/electronic_applications/ctc.htm.
- 国家药品监督管理局. 抗肿瘤药物临床试验终点技术指导原则[EB/OL]. (2012-05-15)[2026-06-10]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/ggtg/ypggtg/ypqgtg/20190918104601536.html>.
- 中国药学会. 中国药物经济学评价指南 2020: T/CPHARMA 003-2020[S]. 北京: 中国药学会, 2020. <https://www.cpa.org.cn>.
- GBD 2019 Diseases and Injuries Collaborators. Global burden of 369 diseases and injuries in 204 countries and territories, 1990–2019: a systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2019[J]. *Lancet*, 2020, 396(10258): 1204–1222. DOI: [10.1016/S0140-6736\(20\)30925-9](https://doi.org/10.1016/S0140-6736(20)30925-9).
- World Health Organization. Equitable access to essential medicines: a framework for collective action[R]. Geneva: WHO, 2004: 1–6. <https://iris.who.int/handle/10665/68571>.
- World Health Organization, Health Action International. Measuring medicine prices, availability, affordability and price components, 2nd ed[R]. Geneva: WHO, 2008: 1–293. https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/70013/WHO_PSM_PAR_2008_3_eng.pdf.
- FDA. Breakthrough therapy designation[EB/OL]. (2025-06-15)[2026-06-10]. <https://www.fda.gov/patients/fast-track-breakthrough-therapy-accelerated-approval-priority-review/breakthrough-therapy-designation>.
- FDA. Guidance for industry: patient-reported outcome measures: use in medical product development to support labeling claims[EB/OL]. (2009-12)[2026-06-10]. <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/patient-reported-outcome-measures-use-medical-product-development-support-labeling-claims>.
- ICH Harmonised Tripartite Guideline. General considerations for clinical studies E8(R1)[S]. 2021: ii, 1–26. https://database.ich.org/sites/default/files/ICH_E8-R1_Guideline_Step4_2021_1006.pdf.

- 25 张天翔, 黄哲. 美国FDA对原创新药的界定标准研究[J]. 中国药物化学杂志, 2025, 35(5): 399-406. [Zhang TX, Huang Z. Research on the definition standards of original innovative drugs by the US FDA[J]. Chinese Journal of Medicinal Chemistry, 2025, 35(5): 399-406.] DOI: [10.3969/j.issn.1003-3734.2025.05.001](https://doi.org/10.3969/j.issn.1003-3734.2025.05.001).
- 26 国家药品监督管理局. “十四五”国家药品安全及促进高质量发展规划印发[EB/OL]. (2021-12-30)[2026-06-10]. <https://www.nmpa.gov.cn/yaowen/ypjgyw/zhyw/20211230145247117.html>.
- 27 国家药品监督管理局药品审评中心. 以患者为中心的药物临床试验设计技术指导原则(试行)[EB/OL]. (2023-07-27)[2026-06-10]. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/42c008e28f7004cd19b73949142380bd>.
- 收稿日期: 2026 年 06 月 15 日 修回日期: 2026 年 08 月 20 日
本文编辑: 李 阳 冼静怡