

# 药品临床综合评价质量控制指南

## (2024年版 试行)

国家药物和卫生技术综合评估中心  
(国家卫生健康委卫生发展研究中心)

二〇二四年十二月

# 目 录

前言 .....	1
一、指南起草背景 .....	1
二、指南起草过程 .....	1
三、主要思路及内容 .....	3
四、小结 .....	4
第一章 概述 .....	5
一、目标和原则 .....	5
(一) 主要目标 .....	5
(二) 基本原则 .....	5
二、适用范围 .....	6
三、质控体系和组织架构 .....	6
四、应用转化 .....	8
五、操作指引 .....	8
第二章 药品临床综合评价质量控制 .....	9
一、工作流程 .....	10
(一) 主题遴选 .....	10
(二) 立项启动 .....	11
(三) 项目实施 .....	12
(四) 结题评审 .....	13
二、工作内容 .....	14
(一) 评价主题的质量控制 .....	14
(二) 评价设计和维度的质量控制 .....	14

(三) 评价方法和数据的质量控制 .....	16
(四) 评价报告的质量控制 .....	23
<b>第三章 结果转化 .....</b>	<b>25</b>
一、单中心医疗机构内部转化 .....	25
二、区域/省(市)内范围转化 .....	26
三、全国范围转化 .....	27
<b>附件 .....</b>	<b>28</b>
附件一：药品临床综合评价各阶段质控核查指标集 .....	28
附件二：潜在利益冲突声明 .....	36
附件三：药品临床综合评价规范和常用评价工具 .....	37
附件四：药品临床综合评价报告模板 .....	38

# 前言

## 一、指南起草背景

药品临床综合评价是药品供应保障决策的重要技术工具。《中华人民共和国基本医疗卫生与健康促进法》《中华人民共和国药品管理法》《“健康中国 2030”规划纲要》《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），以及国家卫生健康委《关于开展药品使用监测和临床综合评价工作的通知》（国卫药政函〔2019〕80号）、《关于加强医疗机构药事管理 促进合理用药的意见》（国卫医发〔2020〕2号）、《关于规范开展药品临床综合评价工作的通知》（国卫办药政发〔2021〕16号）等法律、规划和规范性文件，对药品临床综合评价工作提出了一系列明确要求。为进一步促进药品临床综合评价全流程规范开展，切实推动评价工作标准化、规范化、科学化、同质化，特制定本质控指南。

## 二、指南起草过程

为确保质控指南的前瞻性、指导性、科学性、规范性和可操作性，在国家卫生健康委药物政策与基本药物制度司（以下简称“药政司”）的指导下，国家药物和卫生技术综合评估中心（国

家卫生健康委卫生发展研究中心承担相关工作，以下简称“评估中心”）联合相关领域专家及部分药品临床综合评价工作实施机构，开展质控指南的制定工作。

一是需求分析。药政司牵头，评估中心配合开展国内药品临床综合评价工作摸底调查的情况梳理和数据分析，识别质控指南制定过程中应注意的重点难点问题，确保质控指南贴合工作需求。

二是技术摸底。系统检索国内外药品临床综合评价质控指南、卫生技术评估质控指南、技术规范、相关文献等，进行方法学汇总分析及各地亮点模式梳理与提炼。基于需求分析结果、文献汇总结果和各地亮点模式梳理结果，提炼质控指南框架，确保指南的科学性。

三是可行性分析。邀请国内外方法学专家、质控专家和国内药品临床综合评价实践人员，就指南框架及指南的可行性开展分析讨论，修订指南框架，确保指南的可操作性。

四是内容撰写与专家咨询论证。依据指南框架，开展指南撰写工作。指南初稿确定后，通过座谈会、访谈等形式，广泛征求相关专家及评价实践人员的意见建议。多次讨论并修改完善指南内容，形成《药品临床综合评价质量控制指南（2024年版 讨论稿）》。

自 2024 年 1 月启动指南编写工作以来，组织数十名相关学科专家召开了数次论证会，广泛听取了各省（市）级卫生健康行政部门、部分药品临床综合评价质控机构、医疗机构和医药行业学（协）会意见，同时结合部分地区实践经验，前后修改 30 余稿。在广泛征求社会意见后，最终形成《药品临床综合评价质量控制指南（2024 年版 试行）》。

### **三、主要思路及内容**

《药品临床综合评价管理指南（2021 年版 试行）》（以下简称“管理指南”）强调，质控重点包括但不限于相关主体资质、组织流程合规性、方法学严谨性、数据可靠性及报告质量的核查等。鉴于此，结合国内需求分析结果、国内外方法学指南和国内各地亮点模式经验，确定本质控指南内容。本指南由概述、工作流程及内容、结果转化三部分构成，秉持全流程质量控制理念，对药品临床综合评价的各阶段及对应重点内容进行质控，旨在促进药品临床综合评价工作全流程的质量提升，进而推动药品临床综合评价结果的应用转化。

第一章为概述。明确本指南的主要目标、基本原则、适用范围、质控体系和组织架构、应用转化及操作指引。

第二章为质控工作流程和内容。工作流程包括主题遴选、立项启动、项目实施、结题评审四个阶段。对应上述各阶段，分别提出质控关键内容，包括评价主题、评价设计和维度、评价方法和数据、评价报告四部分的质量控制。

第三章为结果转化。针对药品临床综合评价结果的不同转化应用范围，明确相应的质控主体职责、具体的质控要求以及实际应用场景，引导和鼓励质控完善、证据充分、结果可靠的药品临床综合评价项目成果在相应场景下进行有效转化。

#### **四、小结**

本指南基于当前我国药品临床综合评价的实施情况和新形势新问题编制，借鉴国际和国内地方相关做法和经验，重点明晰药品临床综合评价质控工作的目标原则、组织架构、工作流程、工作内容和结果转化，供药品临床综合评价的项目实施机构和质控主体参考。随着理论研究的深入、实践经验的逐步积累，本指南将不断进行更新与完善。为保障药品临床综合评价工作的整体协调推进，信息化平台将持续建设并在建成后适时上线运行，药品临床综合评价主题遴选技术指南也将在本指南发布后适时公开发布。

# 第一章 概述

## 一、目标和原则

### （一）主要目标

本指南通过构建药品临床综合评价的质控体系和组织架构，从工作流程、工作内容和结果转化三个方面制定质量控制规范，推动药品临床综合评价实施机构规范开展评价工作，以促进高质量综合评价证据的形成和应用转化，促进构建药品供应保障高质量发展新格局。

### （二）基本原则

**多主体共同参与。**坚持相关主体共同参与，促进药品临床综合评价质控指南的共建和共享。

**过程质控。**建立科学完善的质量控制标准与规范，进行全流程的质量控制，有效指导药品临床综合评价规范开展，充分保障综合评价组织、管理、实施过程和评价结果的科学规范。

**反馈机制。**构建双向沟通反馈机制，由各级质控主体进行问题检查和反馈，由评价实施机构对检查发现的问题进行修正、反馈并视情况寻求技术指导，加强质控主体与实施机构的双向互动，提高质控的时效性与持续性。



**应用导向。**药品临床综合评价应以应用转化为导向，根据评价应用转化目的选择合适的评价类型与设计、评价内容与方法，形成高质量评价证据，进一步促进药品临床综合评价结果的应用转化，以满足临床需求。

## **二、适用范围**

本指南主要适用于指导国家、省（市）级（含区域联盟，下同）卫生健康行政部门及相关机构（如药品临床综合评价质控管理机构、项目牵头和实施机构等），就主导开展的药品临床综合评价项目进行质量控制。

## **三、质控体系和组织架构**

构建药品临床综合评价三级质控体系，一级质控主体指导，二级质控主体协调，三级质控主体落实。一级质控主体为评估中心。二级质控主体为省（市）级卫生健康行政部门及药品临床综合评价质控管理机构。三级质控主体为评价项目实施（牵头）机构负责质量管理的专人（项目质控员）。

一级质控主体职责：评估中心具体承担药品临床综合评价质量控制的流程规范和业务指导工作，负责适时编发国家层面药品临床综合评价质控简报和常见问题解答手册。

二级质控主体职责：省（市）级卫生健康行政部门负责明确药品临床综合评价质量控制管理工作要求，搭建本行政区域内质控评估团队及专家库，定期通报质控评估结果。省（市）级药品临床综合评价质控管理机构应在本行政区域卫生健康行政部门指导下，发挥监督管理职责，做好与一级和三级质控主体的上下衔接，协调一级质控主体的质控要求，审核三级质控主体的质控工作。

三级质控主体职责：评价实施（牵头）机构的内部质控建议由项目组内专人负责，其主要职责为组织协调项目质控管理工作，推进项目组进行全流程的内部质控，包括主题遴选、项目启动、项目实施和结题评审等主要阶段和研究设计、方法选择、数据整理与统计分析、报告撰写等重点内容的质控工作。同时，项目质控员应基于各阶段质控核查指标集（见附件一），在项目实施的关键节点组织开展项目质量评估，总结分析工作进度、存在问题、改进措施、工作成果等内容，并上交二级质控主体进行审核/备案，评价过程中主动接受二级质控主体的监督和指导，根据二级质控主体反馈意见落实改进工作。

## 四、应用转化

评价结果的应用转化范围主要包括单中心医疗机构内部、区域/省（市）内范围和全国范围。针对不同应用转化范围，本指南提出相应的质控要点、质控主体职责和具体应用转化场景，详细介绍参考本指南第三章节内容。

## 五、操作指引

药品临床综合评价主题分为指定选题和自主选题两种形式，指定选题指由国家或省（市）级层面公开征选或委托的主题，自主选题为评价实施（牵头）机构基于临床需求、决策需求等因素综合考虑后自行确定的主题。本指南的运用应结合选题形式及结果应用转化范围综合考量。

针对自主选题项目，应按照评价牵头机构属地管理原则，由三级质控主体负责向二级质控主体提交相关材料备案，质控流程及内容可参考本指南进行。

## 第二章 药品临床综合评价质量控制

药品临床综合评价质量控制包括对项目工作流程（主题遴选、立项启动、项目实施、结题评审）和工作内容（评价主题、评价设计和维度、评价方法和数据、评价报告）两部分的质量控制（如图1所示）。工作流程重点核查组织流程的规范性、评价实施机构及人员资质；工作内容重点核查评价设计的科学性、评价维度的合理性、评价方法的严谨性、评价数据的可靠性和适用性，以及评价报告的完整性和规范性等（各阶段质控核查指标见附件一）。项目工作流程和内容中涉及的相关资料应详细记录、留存备查。

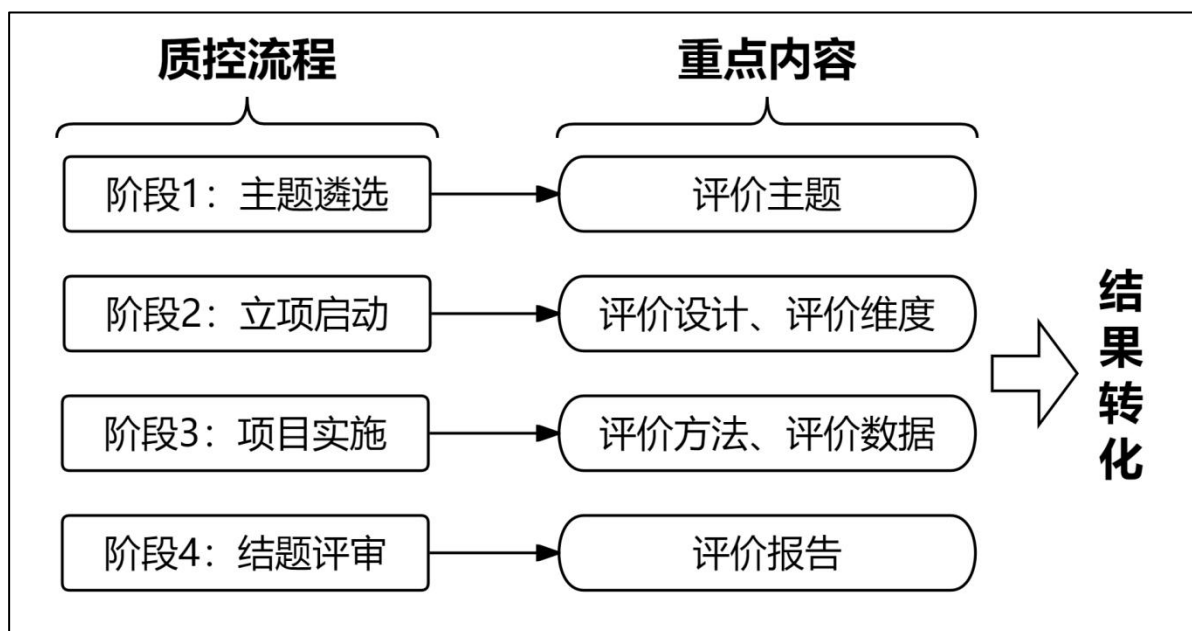


图1 药品临床综合评价质量控制流程和重点内容示意图

## 一、工作流程

### （一）主题遴选

主题遴选阶段主要对评价主题的必要性和可行性进行质量控制。

药品临床综合评价主题遴选应始终以临床需求为导向，旨在解决临床用药实践中存在的关键问题。

指定选题由国家或省（市）级确定药品临床综合评价主题并通过征选或委托评价实施（牵头）机构进行研究。

自主选题的评价实施（牵头）机构应依据《药品临床综合评价主题遴选技术指南》，由三级质控主体组织召开主题遴选论证会进行预评估。围绕评价主题是否科学规范、是否必要迫切、是否可量化评估等方面进行论证，以确定评价主题。论证会参会代表应从二级质控主体的专家库中遴选，可包括临床医学、临床药理学、循证医学、流行病学、卫生技术评估及卫生政策等专业人员。主题遴选的相关文档资料（如主题遴选方案、论证会专家名单、专家反馈意见汇总及修改情况等）应详细记录并留存，评价实施（牵头）机构需提供开展该评价有关人员（项目负责人、项目参与人员、论证会专家）的潜在利益冲突声明（见附件二）。确定评价主题后，评价实施（牵头）机构需递交相应材料供二级质控

主体备案。

## （二）立项启动

立项启动阶段主要对评价机构资质及人员的专业性、评价设计和维度的科学性进行质量控制。

一是评价机构与参与人员资质认证。二级质控主体应对开展评价的所有机构和参与评价各阶段的工作人员进行资质审核：（1）评价机构原则上应是在中华人民共和国境内注册、具有独立法人资格的合法机构，在经营活动中执业行为合法合规，未受到行政处罚或存在不良记录，业务范围涵盖相关工作内容；（2）项目负责人原则上应取得相关专业高级职称，承担过药品临床综合评价相关项目，熟悉评价维度及评价流程，掌握评价基本原则与技术要点；（3）项目参与人员原则上应取得中级及以上职称或硕士及以上学历，或具有两年及以上相关专业研究经验；（4）项目质控员建议由经验丰富的项目参与人员专人负责，资质要求原则上与项目参与人员相同。

二是评价设计方案质量认证。开展评价工作的项目实施（牵头）机构应明确项目人员分工并制订具体的评价设计方案，设计方案中应明确评价的目的、意义与应用转化场景，阐明目标人群选择、评价维度选择、评价指标选择、评价方法选择等。评价实

施（牵头）机构可组织召开评价设计方案质量认证会（可结合主题遴选论证会一并进行），并结合专家意见优化方案设计，既往版本的项目设计方案需留存以备二级质控主体核查。

在药品临床综合评价项目中，若涉及临床研究（如临床试验、真实世界研究、患者调研等），还应对伦理或人遗资源相关审批和备案情况进行核查。

### **（三）项目实施**

**项目实施阶段主要对评价方法的严谨性、评价数据的可靠性及适用性进行质量控制。**

药品临床综合评价项目立项启动后，三级质控主体按阶段对项目进展进行自检自查，实施过程中应保留相应的文档资料与记录，以备二级质控主体核查。项目实施过程中，如遇项目重大变更、项目设计优化等原因需修改实施方案的情况，应当在咨询相关领域专家或召开专家咨询会的基础上对项目实施方案进行修改。三级质控主体应对修改内容进行详细记录，内容包括但不限于修改日期、修改内容、修改理由、专家咨询结果等，原始及修改后的项目实施方案须留存备查。

双向沟通纠错反馈机制的建立与实施。一是三级质控主体定期对项目开展情况进行自查，总结项目实施中存在的问题并进行

纠正和记录。二级质控主体可定期对项目实施情况进行抽查，对于检查中发现的问题，根据问题性质予以反馈。评价实施（牵头）机构应及时回应上级质控主体提出的问题并上报整改情况，整改过程应存档记录以备核查。二是三级质控主体在项目实施过程中，就存在的问题可向二级质控主体申请对其进行工作指导和业务培训，二级质控主体负责汇总本省（市）内项目质控抽查结果及三级主体反馈的共性问题，可适时编发药品临床综合评价质控简报和常见问题解答手册。

#### **（四）结题评审**

**结题评审阶段主要对评价报告的规范性和完整性进行质量控制。**

药品临床综合评价项目完成后，评价实施（牵头）机构应汇总形成完整的项目评价报告，并组织外部评审专家对结题项目进行评审。专家应来自多个学科领域，可包括临床医学、临床药学、循证医学、流行病学、卫生技术评估、卫生政策等。评价实施（牵头）机构视项目需求邀请患者代表参与评审。评价报告应针对项目基本信息、报告摘要、评价背景与目的、评价设计与结果、讨论与总结、附件等方面内容的完整性和规范性进行重点核查。由评价实施（牵头）机构根据评审专家提出的意见和建议，修改完



善评价报告。三级质控主体视修改情况决定是否再次组织专家评审。

二级质控主体统一对药品临床综合评价项目质控核查指标集、评价报告等纸质/电子材料进行归档保存，并定期对本区域内开展的临床综合评价项目做出整体评价。

项目结题后，对有持续更新证据需求的综合评价项目，应适时开展证据补充和结果更新。

## **二、工作内容**

### **（一）评价主题的质量控制**

此部分的质控工作应与“主题遴选”阶段的质控内容相呼应，重点核查评价主题的合理性。

药品临床综合评价主题应围绕是否科学规范、是否必要迫切、是否可量化评估等方面进行遴选和确认。科学规范主要指是否满足健康需求、符合临床实际需要；必要迫切主要指决策需求的迫切性；可量化评估主要指相关评价指标和证据资源的可量化和可获得性等。

### **（二）评价设计和维度的质量控制**

此部分的质控工作应与“立项启动”阶段的质控内容相呼应，

## 重点核查评价设计的科学性和评价维度的合理性。

药品临床综合评价项目的评价设计，应基于拟解决的问题、可获取的资源以及项目时间安排等因素，选择合适的研究类型，并参照相关药品临床综合评价技术指南，制定设计方案。对于尚未发布技术指南的相关专业领域，可参照管理指南及本质控指南制定设计方案。研究设计需明确评价背景、评价目的、应用转化场景、评价角度、目标人群、对照药品、评价维度、指标选择和研究方法选择等。

药品临床综合评价应围绕技术评价与政策评价两条主线，从安全性、有效性、经济性、创新性、适宜性、可及性六个维度开展科学规范的定性定量相结合的数据整合分析与综合研判。安全性、有效性、经济性是药品的技术评价属性；创新性、适宜性、可及性是药品的政策评价属性。可依据评价目的与评价结果的应用转化场景，通过专家论证的方式，确定实际评价维度，并在设计方案中阐明理由。

不同评价维度应优先选择公认的最佳评价指标，建议参考已发布的管理指南、技术指南和本质控指南，选择适宜的评价方法和适用的数据实施评价。例如，对某药品开展临床综合评价时，其安全性、有效性、经济性维度的数据来源应优先选择来自证据

级别高的文献证据（证据等级按照证据金字塔排序）和基于我国患者的真实世界数据。创新性、可及性和适宜性维度的数据来源，可选择来自药品采购、供应保障或患者用药数据，也可通过问卷调查或访谈等研究方法进行数据获取或补充。

### **（三）评价方法和数据的质量控制**

此部分的质控工作应与“项目实施”阶段的质控内容相呼应，重点核查评价方法的严谨性和评价数据的可靠性及适用性。

临床综合评价的研究方法包括但不限于文献研究（临床指南、专家共识、卫生技术评估报告、系统评价/Meta分析等）、模型研究、真实世界研究、问卷调查或访谈等。针对不同的研究方法进行质量控制的侧重点不同，具体可参考不同研究方法的常用评价工具（见附件三）。

#### **1. 文献研究的质量控制**

目前可用于药品临床综合评价的文献证据总体分为两类：循证指南和学术研究。循证指南包括临床指南、药品使用规范、专家共识等。学术研究包括系统评价/Meta分析、干预性研究、观察性研究（病例对照研究、队列研究等）和卫生技术评估等。

## **(1) 文献获取**

对于循证指南类证据，应获取最新的、权威的且已公开发表的临床指南、规范和专家共识以确保证据质量。对于学术研究类证据，应根据评价主题确定纳入与排除标准，可基于“PICOS”原则进行，即研究对象(Population)、干预措施(Intervention)、对照措施(Comparison)、结局指标(Outcome)和研究类型(Study design)。确定纳入和排除标准后进行系统文献检索，所检索的数据库应包括多个中、英文专业数据库。由两名研究人员独立筛选文献，如遇分歧，则由第三方协助判断。文献筛选时首先阅读文题和摘要，在排除明显不相关的文献后，进一步阅读全文，以确定最终是否纳入。根据文献筛选流程制定流程图，注明每环节纳入与排除文献的数量及理由，以保证纳入文献的可靠性。

## **(2) 数据提取**

数据提取人员须具备相关学科方法学基础和实践经验，包括但不限于对数据提取过程、数据提取表格内容的深入了解，统计分析方法及相关软件的熟练掌握等。文献数据提取需要两名人员独立将数据信息录入至提取表格中。对于循证指南类证据，提取表格应包括推荐药品、推荐临床应用场景、发表时间、发表地区

及机构、发表方法及相应证据强度和证据级别等内容。对于学术研究类证据，提取表格应包含纳入学术研究的文献基本信息（如作者、发表年份、研究地点、研究类型等）、研究设计基本信息（如样本量、分组方法、随访周期、干预方案、对照方案、用药周期/剂量等）、研究人群信息（如性别、年龄、民族、疾病严重程度等）以及结局指标信息（安全性、有效性以及其他结局指标）等内容。

### （3）数据分析

数据分析可对纳入研究所有变量的有关数据进行描述性统计，主要包括数据的频数分析、集中趋势分析、离散程度分析以及基本信息汇总比较。开展 Meta 分析或网状 Meta 分析，则需要对两项或多项独立研究的结果进行定量合并，按照结局指标类型（二分类变量或连续性变量）选择相应的效应值指标及统计分析方法。选择固定效应模型或随机效应模型开展敏感性分析、探究异质性来源。对于数据无法进行定量合并的研究，采用定性分析或描述性统计分析。

#### (4) 证据质量评价

针对不同的文献证据，应选择国内外已有的较为成熟的质量评价工具对其进行评价，并在评价报告中对质量评价结果进行报告，如：卫生技术评估——卫生技术评估报告清单（A Checklist for Health Technology Assessment Reports, HTA checklist）；临床实践指南——指南研究与评价工具（Appraisal of Guidelines for Research & Evaluation, AGREE）；系统评价/Meta 分析——系统评价/Meta 分析方法学质量的评价工具（A Measurement Tool to Assess Systematic Reviews, AMSTAR）；随机对照试验——Cochrane 风险偏倚评估工具（Cochrane Risk-of-bias Tool for Randomized Trials, Cochrane RoB）等；病例对照研究/队列研究——纽卡斯尔-渥太华量表（The Newcastle-Ottawa Scale, NOS）等；药物经济学研究——卫生经济学评价报告标准共识（Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards, CHEERS）；定性研究——定性研究统一报告标准（Consolidated Criteria for Reporting Qualitative Research, COREQ）等（见附件三）。在文献研究质量评价的基础上，可使用证据质量分级和推荐强度系统（The Grading of Recommendations Assessment, Development and

Evaluation, GRADE) 对研究进行证据等级评价, 并形成推荐意见。

## 2. 模型研究的质量控制

在药品临床综合评价项目中, 经济性维度的评价可根据评价设计方案选择是否采取药物经济学模型研究方法, 进而比较分析不同药品的经济成本和健康产出, 以获得性价比最优的方案。模型研究的质量控制应重点关注药物经济学评价模型的研究设计类型、模型假设、健康产出指标(效果、效用、效益)、成本指标的选择与测量等内容。可参考国内外有关药物经济学研究方法以及相关药品临床综合评价技术指南。

## 3. 真实世界研究的质量控制

基于真实世界研究的药品临床综合评价质量控制需重点关注数据收集和治理的规范性、统计分析方法的合理性、偏倚与混杂因素控制的科学性等。应参照真实世界研究的通用方法学指南对研究设计、数据收集和治理、统计分析等各环节进行质量控制。

在研究设计环节, 应尽可能详细制定设计方案, 清晰描述研究目标、数据识别或收集、数据治理、分析方法、偏倚及混杂因素识别与控制方法。

在数据收集和治理环节，数据收集应结合药品临床综合评价数据集标准和规范，具体可参考国内外真实世界研究指南和框架，按照真实世界数据的收集流程和步骤，确保数据的可追溯性、一致性、完整性和准确性，减少数据收集过程中的错误和遗漏，通过获得高质量真实世界数据促进高质量真实世界证据的形成。同时，通过数据集定义的数据格式、结构和标准，实现数据源之间的互通和共享。

在数据统计分析环节，对统计方法的科学性、统计模型的合理性以及统计分析实施过程的严谨性进行质量控制。数据分析方法、统计检验、数据离群和缺失处理等内容应在评价报告中清晰阐述。

在结果报告与解读环节，结果报告应全面、清晰地展示研究发现，包括主要结果和次要结果，并提供足够的细节以便其他研究者可以复现研究结果。在解释和讨论研究结果时，需要考虑所有潜在的偏倚和混杂因素，及其可能对结果解释产生的影响。鼓励使用适宜的质量评价工具对研究开展偏倚风险评估。

#### **4. 问卷调查或访谈的质量控制**

问卷调查或访谈等定性研究方法，应以补充文献研究和原始研究中无法获得的信息为目的，科学设计问题和选项，并用简洁、



清晰的语言进行表述。调查问卷或访谈提纲内容需覆盖各维度缺失的关键指标，以确保信息收集的完整性。

在通过问卷调查或访谈方法对某维度进行评价时，质量控制需重点关注以下几个方面：①内容设计。调查问卷和访谈提纲主要包括标题、背景说明、问题等内容。问题设计用词宜简单清晰、通俗易懂，避免诱导性问题，注意保护受访者隐私。②数据代表性与样本量。应根据研究目的预估所需的样本量，同时考虑受访者代表性（如区域、民族、职业、性别、年龄等），确保达到定性研究的数据饱和状态（即收集的新数据不再产生新的信息）。③调查或访谈实施。建议在小规模的目标人群中进行预测试，以评估调查问卷/访谈提纲的可理解性和可接受性，并根据预测试的反馈情况及时优化问卷/访谈提纲内容。问卷调查或访谈实施期间，应提前对所有访谈人员进行培训，确保访谈人员能够充分理解访谈背景、掌握访谈环节及内容，避免诱导性提问。在实施期间，给予受访者充分时间回答问题，确保访谈人员可以准确理解并充分记录受访者的反馈。④资料归纳与分析。问卷调查或访谈结束后，调查问卷、访谈原始记录以及统计分析结果需及时整理分析并归档。必要时可采用定性研究的方法与工具对访谈结果进行分析，为调查访谈涉及相关维度指标的评估提供科学依据。

## 5. 其他研究设计方法的质量控制

在开展药品临床综合评价时，还可视情况开展随机对照试验、实效性临床试验、典型案例研究等，以实现评价目标。质控时应重点核查是否按照相关部门制定的规范或权威标准开展研究。

## 6. 数据信息安全

坚持“谁主管谁负责、谁授权谁负责、谁使用谁负责”的原则，加强评价过程中的数据采集、存储、挖掘、应用、运营、传输等环节的安全和管理。各评价实施机构应建立健全相关信息网络安全管理制度、操作规程和技术规范，严格执行患者隐私保护和国家保密规定，构建可信的网络安全环境。各评价实施（牵头）机构和人员对其组织实施评价工作任务范围内的信息数据、网络安全、隐私保护和证据质量承担主体责任。

### （四）评价报告的质量控制

此部分的质控工作应与“结题评审”阶段的质控内容相呼应，重点核查评价报告的完整性和规范性。

评价报告应包括首页、摘要、正文（背景与目的、设计与内容、讨论与总结）、资金支持/利益冲突声明、参考文献、附件等（评价报告模板见附件四）。其中，报告首页应包括项目标题、

评价委托及实施（牵头）机构、项目开展时间等基本信息。报告摘要应包括评价的主要目的及应用转化场景、评价对象、评价设计与方法、评价结果、评价结论及建议。评价背景与目的应详细阐明疾病概况、当前该疾病可选的治疗药品情况、被评价药品的基本特征和指南推荐意见及研究应用转化场景，从而说明本研究的目的与意义。评价设计与结果主要从评价药品及对照药品、评价维度及指标、评价方法、评价结果等方面进行介绍。讨论与总结应对研究的主要发现进行总结，说明本项目拟进行或已进行的应用转化情况，并讨论本项目在评价设计、内容和方法等方面的创新性和局限性。评价报告还应对项目的资金支持和相关潜在利益冲突等信息进行说明。附件中应提供项目主要的技术附件（如：数据库检索策略、文献质量评价表、药物经济学评价模型、真实世界数据分析过程材料、调查问卷、访谈提纲等）和管理附件（如：项目负责人及所有项目参与成员的基本信息和分工情况、伦理附件等）。

## 第三章 结果转化

积极引导和鼓励质控完善、证据充分、结果可靠的药品临床综合评价项目成果的应用转化。针对不同场景的评价结果转化，本指南对其相应的质控要点、质控主体职责及实际应用场景作出如下建议：

### 一、单中心医疗机构内部转化

**质控要点：**项目立项阶段应基于该评价实施机构临床用药存在的实际问题和应用转化场景确定评价主题。立项启动、项目实施和结题评审阶段的质控，可参考本指南第二章节。

**质控主体职责：**由三级质控主体负责对评价工作进行全流程的内部质量管理，推进项目组完成各阶段的评价设计和方法选择、数据整理与统计分析、报告撰写等重点内容的质控工作，并将项目开展及质控情况同步向二级质控主体提交材料备案。二级质控主体主要发挥监督管理职责，对本省（市）内药品临床综合评价项目开展监督和指导，适时公布本省（市）内项目质量控制抽查结果。

**应用场景：**由单中心开展的临床综合评价结果可用于①评价实施机构（单中心医疗机构内部）用药目录调整、药品采购和供

应保障证据支持；②评价实施机构（单中心医疗机构内部）合理用药情况分析等，提高药学服务和安全合理用药水平，优化药品使用结构。

## 二、区域/省（市）内范围转化

质控要点：项目立项阶段应重点关注主题是否科学规范、是否必要迫切、是否可量化评估；项目实施阶段应重点质控多中心数据收集和管理规范性、数据信息安全等。

质控主体职责：由三级质控主体负责对评价工作进行全流程内部质量管理，并及时修改二级质控主体的反馈意见；视情况将评价结果向二级质控主体推荐，按程序提供有关部门参考。二级质控主体负责对项目的全流程质控工作进行审核及抽查，按阶段提出反馈意见。

应用场景：由多中心开展的临床综合评价结果可用于①区域/省（市）内或多家医疗机构的药品采购和供应保障证据支持；②推动基层药品联动管理，优化药品使用结构，提升卫生健康资源配置效率；③提高药学服务和安全合理用药水平；④推动药品临床综合评价理论及方法的深入探索。

### 三、全国范围转化

质控要点：项目立项阶段应重点关注主题是否为国家重大评估主题，是否科学规范、是否必要迫切、是否可量化评估；项目实施阶段应重点质控多中心数据收集和管理的规范性、数据信息安全等。

质控主体职责：三级质控主体及二级质控主体职责同“区域/省（市）内范围转化”项目，二级质控主体视情况将评价结果向一级质控主体推荐，按程序提供有关部门参考。

应用场景：由多中心开展的临床综合评价结果可用于①辅助提供国家或区域卫生决策证据，促进医疗、医保、医药政策协同；②推动基层药品联动管理，优化药品使用结构，提升卫生健康资源配置效率；③提高全国范围药学服务和安全合理用药水平；④制定相关领域专家共识或临床实践指南；⑤推动药品临床综合评价理论及方法的深入探索。

# 附件

## 附件一：药品临床综合评价各阶段质控核查指标集

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
<b>1. 主题遴选（评价主题的质量控制），共 10 条核查重点</b>			
评价主题	指标 1: 是否提供疾病负担（包括流行病学负担和经济负担）、疾病特征、诊疗方案等信息▲		
	指标 2: 是否提供评价目标药品的临床使用、供应保障情况等相关信息▲		
	指标 3: 是否提供评价目标药品使用对社会的潜在影响（如：公平、伦理等）相关信息		
	指标 4: 评价目标药品是否与当前决策需求相关		
	指标 5: 评价目标药品所需证据是否充分且可获得（如：相关临床研究文献是否丰富、相关数据是否充足等）		
组织流程	指标 6: 评价主题是否由国家或省（市）级层面公开征选或委托		
	指标 7: 主题遴选论证会是否邀请多方代表（如：临床医学、临床药学、循证医学、流行病学、卫生技术评估、卫生政策等专业人员或患者代表等）		
	指标 8: 主题遴选论证会相关资料（如：会议日程、参会人员名单、会议纪要、专家论证意见等）是否留档		

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
资金支持	指标 9: 是否说明本项目接受的资金支持及其具体情况, 并说明资助者在项目实施中所起的作用▲		
相关利益声明	指标 10: 开展该评价的有关人员(项目负责人、项目参与人员、论证会专家)是否提供潜在利益冲突声明▲		
<b>2. 立项启动(评价设计和维度的质量控制), 共 11 条核查重点</b>			
评价实施(牵头)机构及人员资质	指标 1: 评价实施(牵头)机构是否具有独立法人资格, 在经营活动中执业行为合法合规, 业务范围涵盖相关工作内容		
	指标 2: 项目负责人是否取得相关专业高级职称, 承担过药品临床综合评价相关项目, 熟悉评价维度及评价流程, 掌握评价基本原则与技术要点		
	指标 3: 项目参与人员是否取得中级及以上职称或硕士及以上学位, 或具有两年及以上相关专业研究经验		
	指标 4: 项目质控员是否取得中级及以上职称或硕士及以上学位, 或具有两年及以上相关专业研究经验		
评价设计	指标 5: 是否根据评价主题, 提出科学、规范的评价设计		
	指标 6: 文献研究所选用方法是否科学, 方法报告是否详细, 是否提供系统检索策略和文献筛选流程等资料		
	指标 7: 如涉及真实世界研究, 数据的收集和治理方案是否规范、统计分析方法是否合理、偏倚与混杂因素控制措施是否科学		选填
	指标 8: 研究进度安排、人员分工是否明确、合理		
	指标 9: 评价维度是否充分反映评价目标药品特点, 是否详细阐明纳入或不纳入某评价维度、或新增某评价维度的依据		



质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
	指标 10: 不同维度评价确定的指标是否科学, 指标数据收集和分析方法是否严谨规范		
伦理问题	指标 11: 如涉及临床研究(如临床试验、真实世界研究、患者调研等)是否进行伦理或人遗资源相关审批和备案		选填
<b>3. 项目实施(评价方法和数据的质量控制), 共 18 条核查重点</b>			
数据可靠性及溯源	指标 1: 是否引用官方发布的权威信息(说明书、诊疗规范、诊疗指南)和循证医学证据		
	指标 2: 纳入的学术研究类证据来源是否为在同行评议期刊已发表的全文文章或政府/官方机构发布的报告全文		
	指标 3: 原始数据、数据计算或统计过程记录、数据处理中间结果及最终结果是否完整可追溯(包括操作人、复核人、操作时间、操作步骤、数据保存位置等)		选填
研究方法	<b>文献研究</b>		
	指标 4: 在文献检索和筛选阶段, 是否参照 Cochrane 等组织制定的相应规范或指南开展文献检索, 提供系统检索策略和文献筛选流程, 确保获取文献的全面性和准确性		
	指标 5: 在数据提取和分析阶段, 是否参照 Cochrane 等组织制定的相应规范或指南开展数据的提取、分析与整合		
	指标 6: 在证据质量评价阶段, 是否合理选择国内外较为成熟的质量评价工具评价文献质量		
	<b>模型研究</b>		

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
	指标 7: 模型假设、健康产出指标（效果、效用、效益）、成本指标的选择与测量，是否符合国内外有关药物经济学研究方法或相关药品临床综合评价技术指南等的要求		选填
	<b>真实世界研究</b>		
	指标 8: 数据来源是否有完整的描述，数据来源选择是否合理		选填
	指标 9: 数据的收集和治理方案是否规范		选填
	指标 10: 统计分析方案是否合理，样本量估计、统计检验、数据离群和缺失处理等是否在评价报告中清晰阐述		选填
	指标 11: 偏倚与混杂因素控制措施是否科学		选填
	指标 12: 如涉及多中心真实世界研究，各中心数据是否具有较高一致性（可通过与其他数据源比对等方法进行评估）		选填
	<b>问卷调查或访谈</b>		
	指标 13: 研究对象、样本量、抽样方法、分析方法、结果解读等是否科学合理		选填
	<b>其他研究设计方法</b>		
	指标 14: 是否按照相关部门制定的规范或权威标准开展研究		选填
<b>资料管理和数据信息安全</b>	指标 15: 药品临床综合评价文件是否规范存放、查阅方便		
	指标 16: 是否执行患者隐私和个人信息保护、数据安全保护措施是否完备		
<b>项目进展</b>	指标 17: 是否根据项目方案按计划推进		

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
问题反馈及整改	指标 18: 质控主体发现的问题是否得到整改		
<b>4. 结题评审（评价报告的质量控制），共 32 条核查重点</b>			
<b>报告首页</b>			
标题	指标 1: 是否说明本项目评价目标药品（或某类药品）名称与目标疾病，并明确体现出评价研究类型为“药品临床综合评价”		
评价委托和实施（牵头）机构	指标 2: 是否说明委托实施本项目的机构名称		选填
	指标 3: 是否说明负责具体实施本项目的机构名称（对于多中心项目，应说明牵头机构和所有实施机构名称）		
项目开展时间	指标 4: 是否说明本项目的启动日期和本评价报告的定稿日期		
<b>摘要</b>			
主要目的及应用转化场景	指标 5: 是否说明本项目的研究目的、应用转化范围及场景		
评价对象	指标 6: 是否说明药品基本信息、适应证及使用人群、对照药品		
研究设计与方法	指标 7: 是否说明本项目涉及的评价维度，并说明主要评价设计、资料来源和技术方法		
主要结果	指标 8: 是否针对各个评价维度，定量和（或）定性说明评价药品的主要评价结果		
结论与建议	指标 9: 是否说明本项目的�主要评价结论，并说明针对拟解决问题的对策建议		
<b>评价背景与目的</b>			
疾病概况	指标 10: 是否说明本项目中目标人群疾病基本情况，可包括病因、		

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
	临床表现、疾病负担（包括流行病学负担和经济负担）、疾病诊疗方案与路径等方面		
评价药品特性	指标 11: 是否说明该疾病当前可选的治疗药品情况, 并重点说明评价药品的基本特征, 可包括通用名、商品名、剂型/规格、生产企业、国家基本药物和国家基本医保目录纳入情况、适应证、用法用量等		
指南推荐意见	指标 12: 是否说明被评价药品在国内外最新权威诊疗指南推荐情况, 包括相关推荐意见、证据级别和推荐强度等		
评价目的及应用转化场景	指标 13: 是否说明本项目的研究目的、应用转化场景		
<b>评价设计与结果</b>			
评价药品	指标 14: 是否说明本项目所评价目标药品的基本信息		
对照药品	指标 15: 是否说明本项目所选择对照药品的基本信息、选择理由		
评价维度	指标 16: 评价维度选择是否合理, 如在六个维度基础上有所调整, 调整原因是否经专家充分论证		
	指标 17: 每个维度所选用的评价指标是否合理(有效性应优先选择终点指标, 否则应进行说明)		
评价方法	指标 18: 是否说明采用的评价方法、数据来源、数据收集及统计分析方法等		
评价结果	指标 19: 安全性评价是否根据所选评价方法的报告规范清晰阐明该维度的评价结果, 是否与立项启动阶段提交的评价设计方案一致(若不一致, 是否说明原因)		
	指标 20: 有效性评价是否根据所选评价方法的报告规范清晰阐明该维度的评价结果, 是否与立项启动阶段提交的评价设计方案一致(若		

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
	不一致，是否说明原因)		
	指标 21: 经济性评价: 是否根据所选评价方法的报告规范清晰阐明该维度的评价结果, 是否与立项启动阶段提交的评价设计方案一致 (若不一致, 是否说明原因)		
	指标 22: 创新性评价: 是否清晰阐明该评价维度的评价结果, 是否与立项启动阶段提交的评价设计方案一致 (若不一致, 是否说明原因)		选填
	指标 23: 适宜性评价: 是否清晰阐明该评价维度的评价结果, 是否与立项启动阶段提交的评价设计方案一致 (若不一致, 是否说明原因)		选填
	指标 24: 可及性评价: 是否清晰阐明该评价维度的评价结果, 是否与立项启动阶段提交的评价设计方案一致 (若不一致, 是否说明原因)		选填
	指标 25: (如适用) 其他维度的评价: 是否清晰阐明该评价维度的评价结果, 是否与立项启动阶段提交的评价设计方案一致 (若不一致, 是否说明原因)		选填
<b>讨论与总结</b>			
评价结论	指标 26: 是否针对本项目的主要评价结果进行总结描述		
创新性和局限性	指标 27: 是否说明本项目在评价设计、内容和方法等方面的创新性和不足		
总结与建议	指标 28: 是否针对各个评价维度综合说明本项目的最终评价结论及建议		

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
<b>资金支持和相关利益冲突声明</b>			
资金支持	指标 29: 是否说明本项目是否受到资金支持及具体情况, 并说明资助者在项目实施中所起的作用		
相关利益冲突声明	指标 30: 是否提供本项目负责人和所有成员的相关利益冲突声明		
<b>附件</b>			
附件	指标 31: 是否提供项目主要的技术附件, 如检索策略、检索结果和纳入/排除研究列表、药物经济学评价模型、真实世界数据分析过程材料、调查问卷、访谈提纲、专家咨询记录等		
	指标 32: 是否提供项目主要的管理附件, 如项目负责人及所有项目参与成员的姓名、机构名称、职称和分工情况, 其他附件(如: 伦理批件等)		

1. 加“▲”的核查指标, 如选“否”, 则无需继续开展评价
2. 备注中“选填”的指标为非核心指标

## 附件二：潜在利益冲突声明

药品临床综合评价项目负责人、项目参与人员和参与项目方案论证、开题、结题等的专家必须在此声明所有和本评价项目相关的潜在利益冲突（如：所有影响或可能影响专家客观性和独立性的任何经济、学术以及其他方面的利益关系）。

姓名		工作单位	
职务		职称	
专业领域		联系电话	
邮箱		通讯地址	

过去 3 年间	选项
我持有与所评价的药品及其对照药品有利益关系的公司的股票	是 <input type="checkbox"/> 否 <input type="checkbox"/>
我应邀担任过与所评价的药品及其对照药品有利益关系的公司的顾问并接受相应酬劳	是 <input type="checkbox"/> 否 <input type="checkbox"/>
我接受过与所评价的药品及其对照药品有利益关系的公司的研究经费	是 <input type="checkbox"/> 否 <input type="checkbox"/>
我接受过所评价的药品及其对照药品有利益关系的公司的其他费用（如差旅费等）	是 <input type="checkbox"/> 否 <input type="checkbox"/>
我与所评价的药品及其对照药品存在其他利益关联，可能影响评价结果的客观性	是 <input type="checkbox"/> 否 <input type="checkbox"/>

如果上述任何问题您的答案为“是”，请在下框中予以简要说明（若没有，请填写“无”）。

--

除上述内容，在过去的 3 年内，您还有什么需要声明的内容，请于下框填写（若没有，请填写“无”）。

--

本人声明：我承诺我所声明的以上内容全部属实，并同意在药品临床综合评价项目报告中以适当形式进行公开。如果上述我所声明的信息在任何时间发生任何变动，我将及时告知项目组并提供新的利益冲突声明。

签名：-----

日期：-----

### 附件三：药品临床综合评价规范和常用评价工具

序号	相关规范和指南	发布方
1	《药品临床综合评价管理指南（2021年版 试行）》	国家卫生健康委
2	《抗肿瘤药品临床综合评价技术指南（2022年版 试行）》	国家药物和卫生技术综合评估中心
3	《心血管病药品临床综合评价技术指南（2022年版 试行）》	国家药物和卫生技术综合评估中心
4	《儿童药品临床综合评价技术指南（2022年版 试行）》	国家药物和卫生技术综合评估中心
5	《药物真实世界研究设计与方案框架指导原则（试行）》	国家药品监督管理局药品审评中心
6	《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则（试行）》	国家药品监督管理局药品审评中心
7	《Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes》	牛津大学出版社
8	《Cochrane 干预措施系统评价手册》	Cochrane 协作网
9	《卫生技术评估》	人民卫生出版社

序号	研究类型	常用评价工具
1	卫生技术评估	HTA checklist
2	临床实践指南	AGREE
3	系统评价/Meta 分析	AMSTAR
4	随机对照试验	Cochrane RoB 等
5	观察性研究	NOS、ROBINS-I 等
6	药物经济学研究	CHEERS
7	定性研究	CASP、COREQ 等

注：卫生技术评估报告清单（A Checklist for Health Technology Assessment Reports, HTA checklist）；指南研究与评价工具（Appraisal of Guidelines for Research & Evaluation, AGREE）；系统评价/Meta 分析方法学质量的评价工具（A Measurement Tool to Assess Systematic Reviews, AMSTAR）；Cochrane 风险偏倚评估工具（Cochrane Risk-of-bias Tool for Randomized Trials, Cochrane RoB）；纽卡斯尔-渥太华量表（The Newcastle-Ottawa Scale, NOS）；非随机干预性研究偏倚风险评估工具（Risk of Bias in Non-randomised Studies-of Interventions, ROBINS-I）；卫生经济学评价报告标准共识（Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards, CHEERS）；关键质量评估技能项目清单（Critical Appraisal Skills Programme, CASP）；定性研究统一报告标准（Consolidated Criteria for Reporting Qualitative Research, COREQ）



## 附件四：药品临床综合评价报告模板

项目	内容要求
<b>一、报告首页</b>	
1、标题	标题为“XXX治疗XX疾病的临床综合评价报告”（其中XXX为被评价药品通用名或某类药品总称）或“XX疾病治疗药品的临床综合评价报告”
2、评价委托机构	委托实施本项目的机构名称（如自主选题，则填“无”）
3、评价实施（牵头）机构	负责具体实施本项目的机构名称（对于多中心项目，说明牵头机构和所有实施机构名称）
4、项目开展时间	本项目的启动日期至本评价报告的定稿日期
<b>二、摘要</b>	
1、主要目的及应用转化场景	说明本项目的研究目的、应用转化范围及场景
2、评价对象	评价药品的基本信息、适应证及使用人群、对照药品
3、研究设计与方法	本项目涉及的评价维度，并说明主要评价设计、资料来源和技术方法
4、主要结果	针对各个评价维度，定量和（或）定性说明评价药品的主要评价结果
5、结论及建议	本项目的�主要评价结论，并说明针对拟解决问题的对策建议
<b>三、正文：评价背景与目的</b>	
1、疾病概况	本项目目标人群疾病基本情况，可包括病因、临床表现、疾病负担（包括流行病学负担和经济负担）、疾病诊疗方案与路径等方面
2、评价药品特性	该疾病当前可选的治疗药品情况，并重点说明评价药品的基本特征，可包括通用名、商品名、剂型/规格、生产企业、国家基本药物和国家基本医保目录纳入情况、适应证、用法用量等
3、指南推荐意见	被评价药品在国内外最新权威诊疗指南推荐情况，包括相关推荐意见、证据级别和推荐强度等
4、评价目的及应用转化场景	说明本项目的研究目的、应用转化场景
<b>三、正文：评价设计与结果</b>	
1、评价药品与对照药品	评价药品和对照药品的基本信息，对照药品的选择理由

项目	内容要求
2、评价维度和指标	说明评价的维度（如在六个维度基础上有所调整，调整原因应经专家充分论证），以及每个维度所选用的评价指标（有效性应优先选择终点指标，否则应进行说明）
3、评价方法	说明采用的评价方法、数据来源、数据收集及统计分析方法等
4、评价结果	安全性：根据所选评价方法的报告规范清晰阐明该维度的评价结果
	有效性：根据所选评价方法的报告规范清晰阐明该维度的评价结果
	经济性：根据所选评价方法的报告规范清晰阐明该维度的评价结果
	创新性：清晰阐明该评价维度的评价结果
	适宜性：清晰阐明该评价维度的评价结果
	可及性：清晰阐明该评价维度的评价结果
	其他维度：如果涉及其他维度证据，请在此处说明
<b>三、正文：讨论与总结</b>	
1、评价结论	对本项目的主要评价结果进行总结描述
2、应用转化	说明本项目拟进行或已进行的结果应用转化的具体内容
3、创新性和局限性	本项目在评价设计、内容和方法等方面的创新性和不足
4、总结与建议	针对各个评价维度综合说明本项目的最终评价结论及建议
<b>四、资金支持和相关利益冲突声明</b>	
说明本项目是否受到资金支持，并说明资金类型及名称，以及资助者在项目实施中所起的作用；项目负责人和所有成员进行相关利益冲突声明。	
<b>五、参考文献</b>	
<b>六、附件</b> 提供项目主要的技术附件，如检索策略、检索结果和纳入/排除研究列表、药物经济学评价模型、真实世界数据分析过程材料、调查问卷、访谈提纲、专家咨询记录等； 提供项目主要的管理附件，如项目负责人及所有项目参与成员的姓名、机构名称、职称和分工情况，其他附件（如：伦理批件等）。	