

第一章

绪 论

药品经营与管理这门课程综合运用药学、管理学、经济学、法学、社会学、心理学和行为科学等多学科的理论，研究和探讨药品经营与管理活动的过程、规律、策略和方法。它是药学科学与药学实践的重要组成部分，其研究内容贯穿药品研制、生产、经营、使用和监督管理全过程，是一门很重要的药学实践课程，是药学专业的重点课程之一。本章主要介绍药品、药品监督管理、药品经营的概念，药品质量特征及其特殊性，药品监督管理、药品经营的主要内容，药品经营与管理研究的特征与方法类型等。

● 第一节 药品及相关概念 ●

一、药品的法定定义

《中华人民共和国药品管理法》（2019年修订）（以下简称《药品管理法》）规定：药品是指用于预防、治疗、诊断人的疾病，有目的地调节人的生理机能并规定有适应证或者功能主治、用法和用量的物质，包括中药、化学药和生物制品等。这个定义包含以下要点：

第一，使用目的和使用方法是区别药品与食品（含保健食品）、毒品等其他物质的基本点。只有当人们为了预防、治疗、诊断人的疾病或者有目的地调节人的生理机能，按照规定的用法和用量使用该物质，才称其为药品。而食品或毒品的使用为非医疗目的，使用的量与方式也不同。

第二，我国法律上明确规定传统药（中药材、中药饮片、中成药）和现代药（化学药品、生物制品）均是药品，这和一些西方国家的药品概念不完全相同。这一规定能够充分发挥传统药和现代药在预防、医疗和保健中的作用。

第三，我国《药品管理法》明确了该法管理的药品是人用药品。这与其他一些国家药品所包括的内容不同，有些国家的药品定义既包括人用药，也包括兽用药等。

二、药品的分类

药品的分类方法很多，根据药品经营与管理的特点，将药品分为以下几类：

（一）传统药和现代药

1. 传统药 (traditional medicines)

传统药是指在传统医学的经验和理论指导下发现、生产、应用的，由各国、各地区、各民族传承下来的药物，包括植物药、动物药和矿物药。我国的传统药包括中药和民族药（如藏药、蒙药、维吾尔药、傣药等），是各民族医药经典著作收录的防治疾病的天然药材及其制成品。

2. 现代药 (modern medicines)

现代药是指基于现代医学的理论和方法筛选确定其药效，用以防治疾病的药品。包括化学药品（化学原料药及其制剂、抗生素、生化药品、放射性药品等）和生物制品（血清、疫苗、血液制品和诊断药品等）。

（二）处方药和非处方药

根据药品安全有效、使用方便的原则，依其品种、规格、适应证、剂量及给药途径的不同，将药品按处方药和非处方药进行管理。

1. 处方药 (prescription drugs)

处方药是指凭执业医师和执业助理医师处方方可购买、调配和使用的药品。

2. 非处方药 (over the counter drugs, OTC drugs)

非处方药是指由国家药品监督管理部门公布的，不需要凭执业医师和执业助理医师处方，消费者可以自行判断、购买和使用的药品。根据药品的安全性，非处方药分为甲类非处方药、乙类非处方药。

（三）新药、仿制药、医疗机构制剂

1. 新药 (new drugs)

根据《国务院关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见》（国发〔2015〕44号）规定，新药是指未在中国境内外上市销售的药品。根据物质基础的原创性和新颖性，将新药分为创新药和改良型新药。

2. 仿制药 (generic drugs)

仿制药又称为非专利药。广义的仿制药包括对已上市的化学药品的仿制、研制已上市生物制品（含生物类似药）和已上市同名同方中药。狭义的仿制药是指研制与已上市的原研药质量和疗效一致的化学药品。

3. 医疗机构制剂 (pharmaceutical preparations)

医疗机构制剂是指医疗机构根据本单位临床需要经批准而配制、自用的固定处方制剂。《药品管理法》规定，医疗机构配制的制剂应当是本单位临床需要而市场上没有供应的品种。医疗机构配制的制剂不得在市场上销售。

（四）特殊管理的药品

特殊管理的药品 (the drugs of special control) 是指国家制定法律制度，实行比其他药品更加严格管制的药品。《药品管理法》规定，国家对麻醉药品 (narcotic drugs)、精神药品 (psychotropic substances)、医疗用毒性药品 (medicinal toxic drugs)、放射性药品

(radioactive pharmaceuticals) 实行特殊管理。

此外，国家对药品类易制毒化学品、含特殊药品的复方制剂、兴奋剂、预防性生物制品等也实行特殊管理。

（五）国家基本药物、基本医疗保险用药

1. 国家基本药物 (national essential drugs)

国家基本药物是指适应基本医疗卫生需求，剂型适宜，价格合理，能够保障供应，公众可公平获得的药品。

国家基本药物遴选按照“突出基本、防治必需、保障供应、优先使用、保证质量、降低负担”的功能定位，坚持中西药并重、临床首选的原则，参照国际经验合理确定。《国家基本药物目录管理办法》规定：“《国家基本药物目录》中的药品包括化学药品、生物制品、中成药和中药饮片。”

2. 基本医疗保险用药

基本医疗保险用药是指为了保障城镇职工基本医疗保险用药，合理控制药品费用，国务院医疗保障行政部门按照国家基本医疗保险制度要求，根据临床必需、安全有效、价格合理、使用方便等基本原则，从国家目前临床应用的各类药品中，经过专家科学评审、遴选并纳入《基本医疗保险药品目录》（以下简称《药品目录》）的药品。

《药品目录》中的西药和中成药分为“甲类药品”和“乙类药品”。“甲类药品”是临床治疗必需、使用广泛、疗效确切、同类药品中价格或治疗费用较低的药品。“乙类药品”是可供临床治疗选择使用、疗效确切、同类药品中比“甲类药品”价格或治疗费用略高的药品。国务院医疗保障行政部门建立完善动态调整机制，《药品目录》原则上每年调整一次。

三、药品的质量特性

（一）药品质量的概念

药品质量是指药品满足规定要求和需要的特征总和，即药品的物理学、化学、生物学等指标符合规定标准的程度。

（二）药品质量特性

药品质量特性包括安全性、有效性、稳定性、均一性。

1. 安全性 (safety)

安全性是指按规定的适应证或功能主治和用法、用量使用药品后，人体产生毒副反应的程度。大多数药品均有不同程度的毒副反应，只有在衡量有效性大于毒副反应或可解除、缓解毒副作用的情况下才使用某种药品。假如某物质对防治疾病有效，但对人体有致癌、致畸、致突变等严重损害，甚至致人死亡，则不能作为药品使用。安全性是药品的基本特征。

2. 有效性 (effectiveness)

有效性是指在规定的适应证或功能主治、用法和用量条件下，药品能满足预防、治疗、诊断人的疾病，有目的地调节人的生理机能的要求。有效性是药品的基本特征，也是药品的固有特性，若对防治疾病无效，则不能成为药品。药品必须在一定前提条件下，即按照规定

的适应证或者功能主治和用法、用量使用。有效程度的表示方法，我国用“痊愈”“显效”“有效”等来区别。

3. 稳定性 (stability)

稳定性是指药品在规定的条件下保持其有效性和安全性的能力。这里所指的规定条件一般指规定的有效期内，以及满足生产、贮存、运输和使用的要求。假如某物质不稳定，极易变质，即使其具有防治、诊断疾病的安全性和有效性，也不能作为药品。稳定性是药品的重要特征。

4. 均一性 (uniformity)

均一性是指药品制剂的每一单位产品都符合安全性、有效性的规定要求。药品制剂的单位产品，如一粒药、一支注射剂、一瓶口服液等；原料药品的单位产品，如一箱药、一袋药、一桶药。由于人们用药剂量一般与药品的单位产品有密切关系，特别是有效成分在单位产品中含量很少的药品，若含量不均一，就可能造成患者用药量不足或用药量过大的情况。均一性是在制药过程中形成的固有特性，也是药品的重要特征。

四、药品的特殊性

药品具有商品的一般属性，药品的研制、生产、流通和使用等活动遵循基本经济规律。同时，药品又是特殊商品，必须对药品全生命周期的关键环节实施严格管控，才能保证药品的安全、有效、质量可控以及合理使用。药品作为特殊商品，其特殊性主要表现在以下几个方面：

（一）生命健康关联性

与其他消费品相比，药品最重要的特点是它与人的生命健康紧密相连，是人防治疾病和维护生命健康不可或缺的重要物质。另外，药品又具有双重作用，它在防治人疾病的过程中，可能会产生不同程度的毒副作用或不良反应。管理有方、用之得当可以治病救人，失之管理、用之不当可能会造成严重的后果，甚至危及人的生命和健康。

（二）质量的重要性

药品与人的生命健康密切相关，确保药品质量尤为重要。药品只有合格品与不合格品的区分，而没有顶级品、优质品与等外品的划分。法定的国家药品标准是判断和保证药品质量的唯一标准。由于药品的重要性，国家对药品的研制、生产、流通、使用等全过程实行严格的质量监督管理，制定和实施一系列法律、法规和规章，以确保药品质量和合理用药。

（三）公共福利性

药品防治疾病、维护人类生命健康的商品使用价值，具有社会福利性质。药品价格太高或者产量太少会严重影响药品的可及性，药品的使用价值也就难以发挥。世界上绝大多数国家都对药品价格进行适度干预，同时通过制定实施国家基本医疗保险制度等政策，将防治疾病必需的药品纳入医疗保险报销范围，以减轻国民的经济负担，提高药品的可及性，维护国民用药的合法权益，体现惠及民生的社会福利。

（四）作用的二重性

对于绝大多数药品而言，其作用具有二重性：一方面，药品具有防治疾病的积极作用，另一方面，药品具有不可避免的不良反应和毒副作用。我们必须重视科学用药、合理用药，

努力做到用药有效、安全、经济、合理。药品滥用会造成中毒或产生“药源性疾病”。

（五）高度的专业性

药品是高技术产品，在其研制、生产、流通、使用和监督管理等过程中，必须依靠专业技术人员和专业技术设备，专业性特别突出。例如，处方药必须凭执业医师或助理执业医师的处方才能使用，药品生产制造必须有依法经过资格认定的药学技术人员、工程技术人员及相应的技术工人参与，必须有与药品生产相适应的厂房、设施和卫生环境。

（六）时限性

药品的时限性表现在两个方面：一是药品是防治疾病必需的物质保障，一旦需要，必须及时保证供应，尤其在解毒、急救、灾情、疫情、战争等紧急情况下，药品能否及时供应和使用，关系到一个人甚至成千上万人的生命和健康。所以，药品也是国家战略储备物资，必须适量储备，保证供应。二是药品都有有效期，超过有效期的药品为劣药，必须报废销毁。

（七）消费者的低选择性

药品消费环节涉及疾病的科学诊断和药品的合理使用，必须由医师或药师指导，患者才能正确选择和使用药品。对于住院患者来说，基本上是由医生决定药品的使用；在药店销售药品，主要由执业药师指导消费者购买药品。总的来说，药品属于消费者选择性较低的商品，且消费者获取药品有关信息的能力有限，消费者是弱势群体。

（八）需求价格弹性较小

对于患病人群来说，药品属于必需品，使用药品是刚性需求。为了治疗疾病，减轻或消除病痛，恢复健康，维持生命，患者一般不会因为药品价格的高低而影响其购买、使用药品，同时绝大多数治疗性药品能够报销。因此，药品的需求价格弹性较小，即药品价格的变化不会明显地影响公众对药品的需求量。某药品在一定地域的需求量主要取决于与其相关的疾病的发病率和该药品的可替代程度。

● 第二节 药品监督管理的概念及主要内容 ●

一、药品监督管理的概念

药品监督管理 (drug administration) 是指国家授权的行政机关，依法对药品、药事组织、药事活动、药品信息进行监督和管理。药品监督管理的实质是药品质量的监督管理，是我国行政监督体系中的一个组成部分。其目的是保证药品质量和维护国民用药的合法权益。

二、药品监督管理的性质

药品监督管理的性质属于国家行政，是国家药品行政监督管理的重要组成部分。

（一）行政性

药品监督管理是政府职能部门运用法律授予的行政权力来履行法律、法规赋予的行政职责，是一种完全意义上的行政执法行为。

（二）法律性

在药品研发、生产、流通、使用和监督管理全过程，具有一系列法律、法规和规章，药品监督管理必须依法行政，按章办事。

（三）专业性

药品监督管理是一项专业性很强的工作，特别是药品注册管理、药品生产管理以及假劣药品的判定等，必须依托专业技术机构和专业技术团队。

三、药品监督管理的主要内容

药品监督管理是各级药品监督管理部门依据法律、法规授予的权限，对药品的研制、生产、流通、使用全过程进行检查、督促，以保证药事管理法律、法规的贯彻实施，保证药品质量，保障人民群众用药的安全性、有效性、合理性和可及性。

（一）药品研发注册环节实行审批和许可制度

1. 分类注册审批制度

中药注册按照中药创新药、中药改良型新药、古代经典名方中药复方制剂、同名同方药等进行分类管理；化学药注册按照化学药创新药、化学药改良型新药、仿制药等进行分类管理；生物制品注册按照生物制品创新药、生物制品改良型新药、已上市生物制品等进行分类管理。境外生产药品的注册申请，按照药品的细化分类和相应的申报资料要求进行管理。国家药品监督管理部门负责药品的注册审批。审批通过后，颁发新药证书或进口药品注册证及药品批准文号。

2. 优化临床试验制度

将临床试验由批准制调整为到期默示许可制，将临床试验机构由认证管理调整为备案管理，进一步提高临床试验机构的审评审批效率。

3. 药品上市许可持有人制度

药品上市许可持有人是指取得药品注册证书的企业或者药品研制机构等。药品上市许可持有人应当依照《药品管理法》的规定，对药品的非临床研究、临床试验、生产经营、上市后研究、不良反应监测及报告与处理等承担责任。

4. 关联审评审批制度

国务院药品监督管理部门在审批药品时，对化学原料药一并审评审批，对相关辅料、直接接触药品的包装材料和容器一并审评，对药品的质量标准、生产工艺、标签和说明书一并核准。

5. 药品加快上市注册程序

药品加快上市注册程序包括突破性治疗药物程序、附条件批准程序、优先审评审批程序、特别审批程序。

（二）生产、经营药品和配制医疗机构制剂实行许可及监管

1. 许可证制度

药品生产许可证、药品经营许可证、医疗机构制剂许可证是控制生产、经营药品和配制

医疗机构制剂的基本条件，是确保生产、经营药品质量与医疗机构制剂质量的关键环节。

2. 药品追溯制度

药品追溯制度是用信息化的手段保障药品生产、经营、使用的质量安全，能够有效实现药品风险控制。药品上市许可持有人、药品生产和经营企业及医疗机构都要建立和实施药品追溯制度，并且按照规定提供相关追溯信息，从而保证药品能够实现可追溯。

（三）药品使用环节实施药物警戒制度和药品再评价

1. 药物警戒制度

药物警戒制度关注药品在人体的使用风险，包括药品不良反应、药品质量问题、药物相互作用以及药物误用、滥用、错用等。药物警戒手段包括被动监测、主动监测、观察性研究等，目的就是通过开展药物警戒活动及时发现和识别风险信号，以便监管部门采取具体的可操作、有针对性的预防和控制措施，如修改药品说明书、向社会发布用药安全警示信息、药品的撤市等。药物警戒的主体是药品上市许可持有人。

2. 药品再评价和药品品种整顿

国家药品监督管理部门对已经批准上市的药品将组织专家进行再评价。对疗效不确切、不良反应大或者因其他原因危害人体健康的药品，应当撤销批准文号或者进口药品注册证书。

四、药品监督管理的主要手段

（一）监督检查

药品监督管理部门有权按照法律、法规的规定，对药品的研制、生产、流通、使用进行全过程的监督检查，接受监督检查的单位不得拒绝和隐瞒，应当主动配合药品监督管理部门，提供真实情况，如研制资料、生产记录、购销记录等。

药品监督管理部门对监督检查中发现的违反药事管理法律、法规的行为，依法实施行政处罚，违法行为构成犯罪的，应当及时移交司法部门，依法追究刑事责任。

（二）药品飞行检查

药品飞行检查是指药品监督管理部门针对药品生产、经营等环节开展的不预先告知的突击检查或者暗访调查。药品飞行检查采取事先不通知、不透露检查信息、不听取一般性汇报、不安排接待、直奔现场的方式，更加有利于调查核实被检查单位执行药品监管法律、法规的真实情况。

1. 药品飞行检查的原则

应当遵循及时、有序、公开、公正的原则，坚持问题导向，做到严格检查、严厉查处、严肃问责。

2. 药品飞行检查的内容

药品监督管理部门对下列事项可以启动药品飞行检查：

①核查投诉举报问题；②调查药品质量风险；③调查药品严重不良反应或者群体不良事件；④调查违法违规行为；⑤随机监督抽查；⑥其他有必要进行药品飞行检查的情况。

3. 药品飞行检查结果的处理

根据药品飞行检查结果，药品监督管理部门可以作出限期整改，发告诫信，约谈，召回涉事产品，收回药品生产许可证、经营许可证或者暂停药品生产、经营、使用等处理决定。

（三）药品质量抽查检验与质量公告

药品质量抽查检验与质量公告是药品监督管理的重要手段。

抽查检验（简称抽验）是国家药品监督管理局设置或确定的药品检验机构，根据抽验计划和监督管理需要，按照法定的药品标准，对抽查的药品进行检验，以了解药品质量动态变化情况，掌握药品的生产、流通、使用情况。药品监督抽查检验不得向被监督对象收取检验费。

药品质量公告是药品质量抽验的结果公示。国家定期向公众发布有关质量抽验结果的公告。药品质量抽检结果公告包括药品名称、检品来源、检品标示生产企业、生产批号、药品规格、检验机构、检验依据、检验结果、不合格项目。

● 第三节 药品经营的概念及主要内容 ●

一、药品经营的概念

药品经营是指药品生产经营组织与其他组织交换药品以满足双方需求的社会管理过程，包括为实现自己的目标而进行的以满足消费者用药需求为中心的一系列生产经营活动，如制定企业发展战略、市场调研、产品开发、制定经营策略等。药品经营活动以创造最佳经济效益和社会效益为目标，通过对药品经营活动规律的研究和探索，更加有效地指导药品生产经营实践，提高企业的核心竞争力，促进企业可持续发展。全面理解该定义，需要准确把握以下内涵：

1. 药品经营的主体为药品生产和流通企业

药品是特殊商品，其经营主体主要包括制药企业、药品批发企业、医疗机构药房和社会药房。

2. 药品经营的客体是药品及其价值

药品包括有形产品和药学服务，价值包括药品本身的价值和药学服务价值。

3. 药品经营的核心是创新和营销

药品经营的主要任务是不断研发创新产品，并持续做好市场营销，实现药品的市场价值。

4. 药品经营的最终目的是满足药品供需双方的需求

满足医药企业获取经济效益的需求和消费者对药品的需求。

二、药品经营的影响因素

药品经营的影响因素复杂多变，既有企业内部的因素，又有企业外部环境的因素，有些因素企业可以控制，有些因素企业无法控制，只能积极主动地去适应。

（一）人口因素

人口因素是影响药品经营的第一要素，也是决定性因素。人口数量直接决定药品市场的规模，人口特征（如性别、年龄、文化水平、风俗习惯等）决定药品市场的消费结构。人口因素对药品市场的影响主要体现在人口的数量和年龄上。

（二）消费者的需求和购买力

药品经营本质是满足消费者现实的需求和挖掘潜在的需求。消费者购买力的高低也是影响购买行为的重要因素。消费者的需求主要受其健康观念的影响。

（三）国家的法律、法规

国家的法律、法规对药品经营的影响是宏观的，国家的法律、法规（如《药品管理法》《疫苗管理法》《中医药法》等）对药品经营会产生广泛而深远的影响，国家政策（如国家基本药物制度、基本医疗保险制度、药品集中招标采购等）对药品经营产生直接而现实的影响。药品生产经营企业必须密切关注国家法律、法规和相关政策的变化，及时调整和优化经营策略，积极主动地把握机遇，规避风险。

（四）国家的产业政策

国家的产业政策对药品经营的影响是宏观的。习近平总书记在中国共产党第二十次全国代表大会上的报告中提出：“建设现代化产业体系。坚持把发展经济的着力点放在实体经济上，推进新型工业化，加快建设制造强国、质量强国、航天强国、交通强国、网络强国、数字中国。实施产业基础再造工程和重大技术装备攻关工程，支持专精特新企业发展，推动制造业高端化、智能化、绿色化发展。巩固优势产业领先地位，在关系安全发展的领域加快补齐短板，提升战略性资源供应保障能力。推动战略性新兴产业融合集群发展，构建新一代信息技术、人工智能、生物技术、新能源、新材料、高端装备、绿色环保等一批新的增长引擎。构建优质高效的服务业新体系，推动现代服务业同先进制造业、现代农业深度融合。加快发展物联网，建设高效顺畅的流通体系，降低物流成本。加快发展数字经济，促进数字经济和实体经济深度融合，打造具有国际竞争力的数字产业集群。优化基础设施布局、结构、功能和系统集成，构建现代化基础设施体系。”

上述关于建设现代化产业体系的重要论述为药品经营管理指明了方向，具有普遍的指导意义，必须深刻领会，深入贯彻落实。

（五）科技发展水平

科技发展水平对药品经营的影响主要体现在药品的升级换代、质量提升、成本控制以及营销模式创新等方面。科技发展给药品生产经营企业的经营既创造了机会，也带来了威胁，关键在企业如何应对。

（六）企业自身因素

药品生产经营企业自身的因素直接影响其经营活动。不同风格类型的企业领导对药品市场发展趋势的把握、认知、预测不同，必然会制定不同的经营战略与策略；组织结构、企业文化、内部管理、财务状况、产品组合等因素都会影响企业的经营活动。

三、药品经营的主要内容

药品经营的主要内容包括五部分：第一部分为药品经营环境分析，包括药品经营宏观环

境分析、药品经营微观环境分析、国家医药政策变化对药品经营的影响、药品经营环境对企业决策的影响；第二部分为药品市场竞争战略，包括竞争者分析、药品市场基本竞争战略、不同竞争地位医药企业的竞争策略；第三部分为药品市场细分与市场定位，包括药品经营市场细分、药品目标市场选择、药品市场定位；第四部分为药品营销策略组合，主要包括产品、价格、渠道、促销、公共关系等营销策略及其组合；第五部分为药品品牌管理，包括药品品牌策略、药品品牌创建与管理等。

● 第四节 药品经营与管理研究 ●

一、药品经营与管理研究的性质

药品经营与管理研究属于应用性、实践性较强的社会科学，是以药品生产经营活动的整个系统作为研究对象，以药品全生命周期的实践活动作为研究的基础，用现代科学，如管理学、经济学、统计学对药品活动进行综合分析，其研究具有客观性、系统性、社会性等特征，但因其研究对象以“社会”为主，与其他研究对象以“自然”为主的自然科学研究相比，其研究结论重复性较差，且影响因素复杂。

二、药品经营与管理研究的特点

（一）政策性

由于药品具有社会福利性质，部分药品还是公共卫生产品，其研制、生产、流通、使用等环节都受到国家法律、法规和政策约束。例如，国家对疫苗实行最严格的管理制度，坚持安全第一、风险管理、全程管控、科学监管、社会共治，国家坚持疫苗产品的战略性和公益性，将预防、控制重大疾病的疫苗研制、生产和储备纳入国家战略。

（二）综合性

药品经营与管理的对象既包括药品，也包括人和社会环境，其研究范围有药学学科的内容，也有以管理学为主的社会科学内容，研究者必须同时具有药学和相关社会科学理论知识基础。药品经营与管理研究属于跨学科研究。

（三）规范性

药品经营与管理研究的目的在于探索药品经营与管理活动规律，为制定药品经营与管理规范提供理论依据，包括法律的、伦理道德的、管理的规范等。

（四）应用性

药品经营与管理源于实践活动，其研究的结果又服务于实践活动，通过研究提出政策建议、标准和规范、可行性研究报告、市场调查报告、现状分析等，推动药品经营与管理活动可持续发展。

三、药品经营与管理的研究方法

药品经营与管理与药剂学、药物化学、药理学和药物分析等药学其他自然分支学科的主

要基础理论存在较大差异,研究方法亦不相同。药品经营与管理的研究对象兼顾“人”“物”及“社会”等方面,其研究方法、研究结果的表现形式等均与单纯以“物”为研究对象的自然科学研究有所不同。常用的研究方法很多,概括归纳为现场调研、实验研究、定性与定量分析相结合等几类。

(一) 现场调研

现场调研也称为社会调查(social survey),是人们深入现场进行考察,以探求客观事物的真相、性质和发展规律的活动。现场调研以特定群体为对象,应用问卷调研或其他工具向研究对象进行询问,收集有关群体的资料及信息,以研究对象回答问题的数据为基础,了解该群体的普遍特征。问卷是收集调查数据的重要方法,包括自填式问卷和访问调研问卷。问卷格式、答案格式、后续性问题、问题矩阵、提问顺序、问答指南等,是设计问卷时应充分考虑的几个方面。邮寄(包括电子邮件)的自填式问卷的回收率对样本的代表性有直接影响,一般来说,50%的回收率是最低要求。

调查研究有两种基本类型,即普查和样本调查。药品经营与管理研究常用的是样本调查。样本调查中抽样是其基本步骤,抽样设计对研究结果影响很大。样本大小、抽样方法和判断标准是抽样设计的关键环节。药品经营与管理现场调查可分为确定主题、查阅文献、形成研究假设、确定研究变量、选取研究对象、选择研究方法、现场收集资料、分析资料、撰写研究报告等步骤。其中研究报告内容包括调查目的、调查对象及其一般情况、调查方式、调查时间、调查内容、调查结论等。

(二) 实验研究

实验研究是针对某一问题,根据一定的理论或假设进行有计划的研究,从而得出一定的科学结论的方法。

实验研究的目的是研究原因和结果的关系,即研究分析“为什么”。它通过实验组与对照组的比较分析,研究因果关系。实验研究就是对各种变量的操纵、控制、观察和比较等的过程,变量是实验研究最基本的问题。

实验研究的优点在于研究者可以按照自己提出的假设来决定研究变量,通过实验设计排除自然状态下的干扰因素,使得实验结果清晰、可靠,具有一定的可验证性和可重复性。

(三) 定性与定量研究相结合

1. 定性研究

定性研究是指根据社会现象或事物所具有的属性和在运动中的矛盾变化,从事物的内在规定性来研究事物的一种方法。进行定性研究,要根据一定的理论和经验,直接抓住事物特征的主要方面。定性研究具有探索性、诊断性和预测性等特点,它并不追求精确的结论,而只是了解问题之所在,摸清情况,得出感性认识。定性研究一般包括提出科学问题、形成定性概念、作出科学判断并进行论证和检验等基本程序。

药品经营与管理定性研究就是“说明事物是什么”,即不对不同单位的特征做数量上的比较和统计分析,它主要是对观察资料进行归纳、分类、比较,进而对某个或某类现象的性质和特征作出概括。药品经营与管理中的定性研究,主要包括对各种现象的“属性认定”“类别归并”和“价值判断”等基本方面。

2. 定量研究

定量研究一般是为了对特定研究对象的总体得出统计结果而进行的。在定量研究中,信

息都是用某种数字来表示的。通常采用数据或图表的形式对社会现象进行说明,通过演绎的方法来提出理论假设,然后通过收集资料和证据来评估或验证在研究之前预想的模型、假设或理论。

药品经营与管理研究的定量方法,主要是指从社会事物数量变化方面去研究药品经营与管理活动的方法,说明事物在数量方面的特征,具有普遍性、客观性、可检验性等优点。

科学地对调查数据进行统计分析是定量研究的重要环节。统计分析主要对统计调查所获得的资料进行整理、加工、说明和阐释。有了充分的材料,能否得出科学的结论,取决于统计分析推论的科学性和合理性。统计分析将这些分散的、零碎的材料中所蕴含的社会意义抽取和分析出来,并将它们综合为一个整体,按照它的本来面目再现出来,从而得出合理的结论。

药品经营与管理研究中的定量研究和定性研究应该是统一的、相互补充的。定性研究是定量研究的基础和前提,定量研究必须在定性研究的基础上开展,没有定性的定量研究是盲目的、无价值的。定量研究使定性研究更加科学、准确、可靠,它可以促使定性研究得出广泛而深入的结论。



案例分析与思考题

一、案例分析题

1. 国家医保药品谈判制度创新及其成效

【案例内容】

随着我国医疗保障体系的不断完善和人口老龄化程度的日趋加深,我国总体医疗卫生费用与医疗保险(简称医保)基金支出也逐年攀升。如何在提升创新医疗技术与药品可及性的同时,保证医疗卫生费用与医保基金的可持续发展,是我国现阶段实施“健康中国战略”面临的重要任务之一。国家医保药品谈判聚焦于合理地降低药品价格,通过与制药企业谈判、协商,将临床价值高但价格较为昂贵的药品纳入医保目录,既满足参保患者的迫切需求,切实降低其用药负担,又保证制药企业通过“以价换量”获得经济效益,提升医疗卫生费用与医保基金的使用效率,已成为我国医疗卫生费用控制与医保药品管理的必然选择。

2015年2月,国务院办公厅印发《关于完善公立医院药品集中采购工作的指导意见》,首次提出了药品集中分类采购的总体思路。2015年10月,由国家卫生与计划生育委员会等16个单位、部门协调组织实施了首批国家医保药品价格谈判试点。2017年,国家人力资源社会保障部牵头组织实施了第二轮国家医保药品谈判。该轮谈判扩大了谈判药品的范围和品种,成为真正意义上的“国家医保药品谈判”。2018年,国家医疗保障局(以下简称国家医保局)成立,当年即组织实施了抗癌用药专项谈判。2019年起,国家医保药品谈判趋于常态化,每年进行一次。截至2022年,已完成了七轮谈判。

国家医保药品谈判通过试点探索和不断优化,已取得了显著成效。从近五年来看,医保药品谈判主要成效包括:①谈判准入成功率较高,除2018年肿瘤药专项谈判外,各年度谈判准入的成功率约为80%;②谈判准入药品的降价幅度较大且较为稳定,2018—2022年,谈判准入药品的价格降幅约为60%;③谈判准入药品覆盖的疾病治疗领域不断拓展,包括癌症、罕见病、慢性疾病等;④谈判准入药品从上市到准入医保的时间较短,近五年药品从

上市到准入医保的时间为1~2年，多数药品上市当年即准入；⑤医保基金的使用效率逐年提高，每年度支出与结余的结构趋于合理。具体如表1-1所示。

总之，国家医保药品谈判机制将临床价值高但价格较为昂贵的药品及时纳入医保目录，实现了患者、制药企业和医保基金三方共赢，成为近年来我国医药卫生领域“医保、医疗、医药”三医联动改革的典型案例。

表 1-1 2018—2022 年间国家医保药品谈判实施成效

项目	谈判轮次				
	三	四	五	六	七
年份	2018	2019	2020	2021	2022
谈判药品数/个	18	150	162	117	147
准入药品数/个	17	97	119	94	121
准入成功率/%	94.4	64.7	73.5	80.3	82.3
准入药品平均价格降幅/%	56.7	60.7	50.6	61.7	60.1
准入药品平均上市到准入时间/年	1.4	2.0	1.3	1.1	1.5
医保基金支出/亿元	17607.7	19945.7	20949.3	24043.1	24431.7
医保基金结余/亿元	3482.5	3389.1	3689.4	4684.5	6266.0

数据来源：国家医疗保障局官方网站。

以近两年引人瞩目的高价脊髓性肌萎缩症罕见病药物——诺西那生纳为例，诺西那生纳在国内初上市时每针70万元，省级挂网销售降至45万元左右。该药经过9轮谈判，每针价格从53680元最终下降至33800元。如以第一年注射6针，以后每年注射3针计算，第一年的治疗费用为20万元左右，以70%~80%的报销额度计算，患者只需自付4~6万元。如以上市原价计算，诺西那生纳降价率为73%；如按医保谈判初期企业申报意愿价格计算，则最终累计降价率为37%。根据国家医保局追踪数据，企业谈判成功后，诺西那生纳的销售额一年可达到4.7亿元，同比增长约1.6倍，治疗患儿人数同比增长9.5倍，药品销量同比增长40.5倍，人均年注射次数已达到5针，接近标准所需剂量。具体如表1-2所示。

通过谈判，诺西那生纳纳入《国家医保目录》，这样不仅提高了脊髓性肌萎缩症患儿治疗的可及性，满足了未满足的临床需求，且明显提高了企业收益。

表 1-2 诺西那生纳进入医保目录前后销量变化

项目	2021 年(谈判前)	2022 年(谈判后)	同比增长/倍
销售金额	1.8 亿元	4.7 亿元	1.6
治疗患儿人数	267	2812	9.5
销售总针数	342	14216	40.5
人均注射针次数	1.28	5.0	2.9

资料来源：胡善联．让基金支付力追上创新翅膀 [N]．医药经济报，2023-04-20 (4)．

【问题与启示】

- (1) 分析国家医保药品谈判制度的重要意义、实施机制和主要成效。
- (2) 分析国家医保药品谈判常态化对制药企业的药品经营与管理产生的影响，制药企业

如何更好地应对？

2. 泽布替尼研发的“速度制胜”和“零的突破”

【案例内容】

2019年11月15日，百济神州公司宣布其自主研发的BTK抑制剂泽布替尼（英文商品名：Brukinsatm，英文通用名：Zanubrutinib）获得美国FDA的加速批准，该药用于既往接受过至少一项疗法的套细胞淋巴瘤患者的治疗。泽布替尼是迄今为止第一款完全由我国企业自主研发、在美国获准上市的抗癌新药。

1) 泽布替尼的研发体现了“速度制胜”

泽布替尼从立项研发到美国FDA审批通过仅用了7年时间。

2012年7月，BTK抑制剂开发项目在百济神州实验室立项；研究团队从最初合成的500多个化合物中筛选出了最终候选分子。

2013年4月，百济神州公司递交了专利申请。

2014年8月，泽布替尼在海外启动临床试验。

2016年7月，泽布替尼在中国进入临床试验。

2017年1月，全球3期注册性临床试验启动。

2018年8月、10月，国家药品监督管理局受理泽布替尼两个适应证的新药上市申请。

2019年1月，泽布替尼获得FDA授予“突破性疗法认定”。

2019年8月，美国FDA受理泽布替尼新药上市申请，并优先审评。

2019年11月，泽布替尼通过了美国FDA的加速批准。

2020年6月，泽布替尼（商品名：百悦泽）在中国大陆获批两个适应证。

泽布替尼快速上市的主要原因：一是百济神州公司的研发团队使用了更快捷高效的新技术和新方法；二是泽布替尼获得了美国FDA的快速审评审批。

2) 泽布替尼先后拿到了FDA的四张通行证

孤儿药认定：2016年，先后获得FDA 3项孤儿药资格认定，分别用于治疗套细胞淋巴瘤、华氏巨球蛋白血症和慢性淋巴细胞白血病。

快速通道：2018年7月，FDA授予泽布替尼快速通道资格，用于治疗华氏巨球蛋白血症。

突破性疗法：2019年1月，FDA获得泽布替尼突破性疗法认定，用于治疗复发难治性套细胞淋巴瘤。

优先审评：2019年8月，FDA受理泽布替尼治疗复发难治性套细胞淋巴瘤的新药上市申请，并授予其优先审评资格。

长期以来，我国上市的抗癌原研药主要依赖进口，而从本土出口海外的药品则多为原料药或仿制药，我国对全球医药创新体系的贡献相对较小。近年来，随着改革开放的深化与综合国力的提升，我国医药行业加快转型升级，尤其在各项利好政策驱动下，制药业兴起创新浪潮，大批科学家归国投入新药研发工作，为医药产业从仿制转向创新、从本土走向世界，注入了可持续发展的活力。

北京大学肿瘤医院朱军教授表示：本土生物医药公司自主研发的创新抗癌药泽布替尼首次获得FDA批准，这一历史突破是我国本土生物医药行业和临床肿瘤研究的一个重要里程碑，标志着我们不仅能为中国患者研发新药，也能让更多国家的患者受益，为世界提供中国方案，贡献中国智慧。

泽布替尼创造了中国制药工业历史上的多个“零的突破”

泽布替尼获 FDA 突破性疗法认定，成为第一款获得该认定的本土研发的抗癌新药。

泽布替尼是第一款 FDA 批准在美国上市的由中国创新药企业自主研发的抗癌新药。

泽布替尼是第一款主要基于中国的临床研究数据并获得 FDA 批准上市的抗癌药物。

资料来源：成琳．我国原研抗癌新药泽布替尼获 FDA 批准 [N]．中国医药报，2019-11-21（4）．

【问题与启示】

（1）分析泽布替尼从立项研发到美国 FDA 审批通过仅用了 7 年时间的原因。

（2）我国企业自主研发的创新抗癌药泽布替尼首次获得 FDA 批准，对我国医药企业有何启示？

二、思考题

1. 解释药品的法定定义。
2. 简述药品的质量特征。
3. 论述药品的特殊性。
4. 简述药品经营的影响因素。
5. 简述药品监督管理的主要手段。
6. 简述药品经营与管理研究的特点与方法。



课件



视频讲解