

第 1 章 卫生技术评估

凯伦·M. 费西

Karen M. Facey

(本章译者: 李俊、金琪灵, 黄黎烜亦有贡献)

1.1 引言

本章探讨卫生技术评估 (HTA) 的历史及其过程和方法方面的发展情况, 重点介绍与患者参与有关的内容, 为本书后续章节奠定基础。卫生技术评估是旨在向国家、地区或医院的卫生服务决策者提供卫生技术使用相关信息, 辅助其决策的一种政策分析。HTA 是一项系统性的评估工作, 对卫生技术使用带来的影响进行辩证地评估, 并对卫生技术在特定情景下的使用所带来的社会、经济、法律和伦理学影响进行评价。它不仅是一项科学研究活动, 还需要对证据在当地卫生系统适用性进行跨学科的审慎讨论及价值判断。卫生技术评估的结论可能会建议使用或放弃某项卫生技术, 也因此面临着政界、公众和利益相关方的多重监督。因此, 将与待评估的卫生技术有特定利益相关的各方 (尤其是患者) 纳入评估过程的呼声由来已久。然而, 考虑到患者提供的信息 (patient input) 的潜在偏倚和代表性问题, 以及患者提供的证据的科学诚信, 这种做法颇具争议。

1.2 背景与历史

卫生系统, 不论是通过税收、社会保险、个人保险, 还是自费方式筹资, 都需要对其服务进行组织规划, 以有效利用可用资金, 为所服务的人群及时、公平地提供有效、安全、以人为本的护理 (Committee on Quality Health Care in America,

2001), 必须对接受治疗的对象、治疗方式、治疗场景和时长做出选择 (Newdick, 2004), 不仅要考虑单个患者的情况, 也要考虑如何尽可能向该卫生系统的全体潜在受众提供最佳服务 (Drummond 等, 2006), 因此, 资源分配问题的解决常常以最大化全体人口的健康获益为目标, 因为任何一种投资都有其机会成本 (即放弃了以这笔资金投资其他项目的可能性所带来的成本) (Metzler 和 Smith, 2012)。

丹尼尔斯和萨宾 (Daniels 和 Sabin, 2008) 指出, 医疗保健中的资源分配决策“常常伴随着道德上的分歧, 针对此类决策, 必须建立一个公平而慎重的过程, 以确定其合法性和公平性”。他们认为:

1. 资源分配的决策依据必须有着公开 (完全透明) 的程序。
2. 资源分配决策所基于的理由必须被所有利益相关方所认可。
3. 资源分配的决策应当可以根据新的证据和论点进行修订。
4. 应具备措施以保证以上三个条件都得到满足。

其实早在 30 年前, 美国参议院就指出: “昂贵的新医疗技术和操作, 应在有充分理由证明其合理性后再普遍投入使用” (Office of Technology Assessment, OTA, 1976)。因此, 技术评估办公室 (OTA) 撰写了一份报告, 举例说明诊断用品、可植入设备、疫苗、外科手术、药物和干预程序等医疗技术在发展、目的和用途上的多样性 (OTA, 1976)。报告指出, 这类新技术的使用通常基于技术可行性、安全性和预期需要或需求而决定, 但也应考虑并评估更广泛的影响, 包括对患者、患者家属及整个社会 (对环境、伦理和文化价值观的影响)、医疗体系、法律和政治体系、经济的影响。

- 患者。
- 患者家属。
- 整个社会 (环境影响、道德观念、文化价值观)。
- 医疗制度。
- 法律和政治制度。
- 经济。

OTA (1976) 指出, 在为决策者提供政策选择时, 为了系统地考虑到医疗技术这些更为广泛的影响, 需要采用一种综合的政策研究形式。最初于 1965 年出现, 用于评价其他形式的技术的“技术评估”这种正式的过程被提出。“技术评估”被描述为对技术应用的短期和长期社会后果 (如社会、经济、伦理、法律等方面) 进行的系统研究, 研究中需考虑到意料之外的、间接的或迟发的社会影响 (OTA, 1976)。

OTA (1976) 指出, 技术评估的独特特征包括:

- 基于预先指定的明确的分析框架。
- 范围广泛, 研究对社会、伦理、法律和其他系统的影响, 有些影响可能不会立即显现。
- 由多学科小组进行。
- 能够明确找出将受技术影响的群体, 并评估技术对各方造成的影响 (以及二次影响)。

该报告 (OTA, 1976) 对每个潜在影响领域给出了需要考虑的问题清单。框图 1-1 展示了有关新心脏瓣膜对患者和家庭影响要考虑的问题

框图 1-1: 评估医疗技术对患者影响的问题: 心脏瓣膜的例子 (OTA 1976)

该技术对患者可能有什么影响?

接受治疗的患者的生活质量如何?

能够正常活动, 轻度受限, 还是完全失能?

(从理论上来说, 接受人工心脏置换的患者可以期待恢复体力活动、工作及接近于正常人的生活。)

可预料到哪些心理效应? 由于手术带来的家庭经济负担和社会成本导致的愧疚? 焦虑? 非人化的感觉? 失去独立自主性? 如果受者对于依靠无生命的机械性力量提供动力非常介意, 可能会产生焦虑甚至患上精神疾病。在接受透析的慢性肾脏疾病患者中已观察到此类反应。此外, 类固醇等某些可能用作辅助治疗的药物, 本身具有影响精神的效应。

如果使用核动力人工心脏, 可能有必要确认甚至监测患者的活动, 以保护核燃料并在其死亡后将其回收。患者可能需要放弃我们大多数人认为理所当然的某些个人自由。

使用该技术是否需要管制? 个人是否会失去身体的自由?

因心脏病导致的死亡有时 (尽管并非总是) 迅速而无痛。尽管人造心脏延年益寿的好处显而易见, 但必须使受者意识到植入手术可能会失败, 进而导致死亡。

使用该技术是否可能会增加绵长而痛苦的死亡风险?

一旦手术完成, 只能通过去除或停用人造心脏来逆转手术的结果, 但这会

导致患者的死亡。

如果患者认为新技术带来的获益无法抵消其弊端，其效应是否可以逆转？患者是否能够选择死亡？

对患者家庭有什么影响？

植入人工心脏将使患者得以生存，对家庭的其他成员带来极大的益处。另一方面，除非植入心脏的费用由某些第三方支付者承担，否则巨大的经济负担可能会使患者的整个家庭陷入贫困，并破坏家庭内部关系。

给家庭带来的费用是多少？新技术将如何影响家庭结构？

核动力人造心脏中所含的钷虽然受到良好防护，但仍会产生辐射，这可能会对经常靠近患者的家人造成一定危害。

对与患者近距离接触的家属会带来身体上的危害吗？

家属心理上是否可以接受该设备或手术？

是否需要家属的产期积极配合或帮助？

新技术将如何影响个人或家庭财力？如果家庭必须为使用新技术付费，他们将被迫放弃购买哪些物品？

1.3 卫生技术评估的发展

1.3.1 卫生技术评估的传播

尽管 OTA 被批评为“不必要的机构”（Banta, 2009）并于 1995 年被关闭，但它刺激了其他国家的技术评估活动的开展（Banta, 2009）。丹麦和瑞典两国的国家机构分别于 1982 和 1987 年开始对各种形式的健康干预措施（包括医疗技术、教育项目、医疗活动的组织）进行系统评估，以为政策制定和医疗实践提供参考（Sigmund 和 Kristensen, 2009; Jonsson, 2009）。因此，OTA 技术评估的理念和流程被传承下来，只不过有了新的名称——“卫生技术评估”，而其定义，则直接取自 OTA 对卫生技术评估的定义。这些理念和流程经受了时间的考验，现已被国际学会和专业组织所采用（框图 1-2）。

框图1-2: 定义

“卫生技术”体现了科学知识在医疗和预防中的应用，具体包括诊断用品、治疗方式、设备、药物、康复疗法、预防措施、医疗活动组织方式和支持系统等旨在提供医疗保健服务的技术。

“卫生技术评估”是一个多学科参与的过程，它以系统、透明、公正、可靠的方式总结了与卫生技术使用有关的医学、社会、经济和伦理问题等信息。其目的是为制定安全、有效、以患者为中心、寻求价值最大化的卫生政策提供参考。尽管目标在于制定政策，卫生技术评估仍须始终牢固地扎根于研究和科学方法。

(EUnetHTA, 2016a)

“卫生技术评估”是一个科学研究领域，在卫生技术的引入和使用上为政策决策和临床决策提供参考信息。卫生技术包括药品、设备、诊断用品、手术/操作以及其他临床、公共卫生和组织干预措施。

卫生技术评估涉及多个学科，致力于研究卫生技术在特定的医疗环境和可用的替代方法背景下临床、经济、组织、社会、法律和伦理学影响。卫生技术评估的范围和方法可以针对特定卫生系统的需求进行调整，但其过程和方法应保证透明、系统、可靠。在全世界的卫生系统中，卫生技术评估都对决策起着至关重要的作用。

(HTAi, 2016)

过去20年中，卫生技术评估繁荣发展，国际卫生技术评估机构网络（INAHTA）成员日益增多。INAHTA是由非营利性卫生技术评估机构组成的学会，在全球五大洲31个国家/地区中，拥有51个机构成员（INAHTA, 2016）。此外，世界卫生组织（WHO）2014年发布的一项宣言对卫生技术评估给予认可，认为其具有严格的结构化研究方法，程序透明并具有广泛的包容性（译者注：即考虑各方利益）。它建议所有成员所在国在政策制定过程中运用卫生技术评估以确保药物和器械合理、有效使用；在全民健康覆盖政策，及卫生系统可持续发展的相关政策制定过程中也应使用卫生技术评估（WHO, 2014）。

1.3.2 卫生技术评估流程

卫生技术评估有自己的科学基础，即对研究中获得的证据进行严格的评估。然

而，由于卫生技术评估旨在对特定健康干预措施在全国、区域或地方使用及组织方式提供决策依据信息，因而在不同医疗体系中，评估的过程不尽一致。评估时，充分考虑医疗体系的职责、结构、诊疗路径和政策驱动因素（第 31 章）。卫生技术评估被描述为如下两点。

- 评估（assessment）：对有关卫生技术相关方面的（国际）证据进行严格审查和科学综述（Garrido 等，2008）。

- 评价（appraisal）：在考虑（本地）价值观等因素后，对评估信息进行更广泛地考量（Garrido 等，2008）。

评估活动植根于循证医学的进步，在过去几十年间得到了长足发展。然而，卫生技术评估已超越了循证医学，注重将证据置于本地医疗系统下解读。这种解读通常需要由多个利益相关方组成的顾问小组进行。在直接用于医疗决策（如报销决策）的卫生技术评估制度中，此过程称为评价，但在其他仅仅提出建议的制度中，可能不使用此术语（第 28 章）。

在过去的 10 年中，人们还认识到卫生技术评估可能需要将其职权范围在传统评估 / 评价范围基础上加以扩展，在卫生技术开发和使用的整个生命周期中影响证据的产生（Facey，2015）。卫生技术评估机构可以为主要为其他用途设计的临床研究（如监管机构批准）或专门研究卫生技术的特定影响的研究（如比较效益、经济学评估或使用者态度）提供有用的建议。HTA 评估的证据存在重大不确定性时，可以利用所谓“管理准入协议”的方式，鼓励进一步收集证据，以收集的具体结果来确认有前景的医疗卫生技术的价值。两种情况下，卫生技术评估机构都可以基于对卫生技术评估有价值的证据给出建议。

1.3.3 卫生技术评估的方法

卫生技术评估建立在科学研究的基础上，试图通过回答清晰、结构化的研究问题，揭示某项卫生技术使用带来的（直接和间接、有意和无意）影响，通常使用循证医学的 PICO 框架（Sackett 等，1997）。

- P：人群（需治疗的人群）。
- I：干预（该卫生技术的技术规格，即如何提供该技术）。
- C：参照物（当前卫生服务中使用的卫生技术）。
- O：结果（哪些结果 / 影响重要）。

这些问题主要通过二手研究（已发表文献的系统综述及相关研究的批判性评估）加以回答，如果找不到文献，则通过一手研究（新研究）回答。最早出版的、

用英文撰写的详细介绍卫生技术评估细节的手册之一来自丹麦卫生技术评估中心 (DACEHTA), 于2001年出版。它于2007年进行了修订 (Kristensen 和 Sigmund, 2008), 并基于以下内容, 提出了“全面的卫生技术评估”模型:

- 临床有效性。
- 成本效益组织问题 (cost effectiveness organisational issues)。
- 患者问题。

该手册涵盖了卫生技术评估的规划、伦理学考量、系统文献综述 (针对卫生技术评估的各个方面)、旨在了解利益相关方视角的一手研究 (包括定性研究、调查、登记信息分析和健康状况测量)、临床有效性、患者各方面问题、组织问题、经济问题、综合及质量保证, 以此为决策奠定良好基础。

在20世纪90年代和21世纪初, 参与欧洲卫生技术评估的协调与发展 EUR-ASSESS^① 和欧洲卫生技术评估联盟 ECHTA^② 项目的卫生技术评估机构开展了卫生技术评估合作 (Banta 等, 1997; Jonsson 等, 2002)。随后在2006年, 欧洲委员会资助建立了欧洲卫生技术评估网络 (EUnetHTA) 和随后的3项欧盟成员国联合行动^③。从方法论的角度来看, 这项工作的核心是建立包括9个领域的卫生技术评估核心模型 (HTA CoreModel[®]) (EUnetHTA, 2016b): 健康问题和当前的卫生技术、描述/技术特征、安全性、临床有效性、成本/经济学评估、伦理学分析、组织问题、患者和社会问题、法律问题。

HTA CoreModel[®] 是一份长达400页的详细报告, 它描述了应如何研究每个领域, 包括可能与每个领域相关的评估要素 (研究问题) 以及二手研究和一手研究的方法。

古德曼 (Goodman, 2014) 撰写的另一本卫生技术评估手册以其《卫生技术评估101课》为基础, 有介绍方法论的章节, 也有过去10年中出现的政策话题, 如有效性比较研究、有条件进入协议 (风险分担计划、患者获取计划) 和新型、快速卫生技术评估等。这些形式的评估, 成本效果研究卫生技术各方面影响, 一般称为“全面卫生技术评估” (full/comprehensive HTA)。

尽管每个国家卫生技术评估的重点和方法不同, 但所有卫生技术评估机构在评估国际临床试验评估中获取的临床证据时, 均会考虑当地医疗系统中的临床路径, 从而评估该技术的临床有效性。这些机构希望了解新的卫生技术与目前的标准疗法相比的“附加价值”。这些附加价值通常无法在整体人群中看出, 因此有可能需要找

① 欧洲卫生技术评估的协调与发展。
② 欧洲卫生技术评估联盟。
③ 联合行动由欧盟委员会和成员国共同资助。

到一个特定的、能够获得更大附加价值的子群体，或因替代品有限而对新技术需求更大的子群体。

许多卫生技术评估机构在评估过程中，还会考虑对经济方面的影响，如成本效益问题（是否物有所值）和对预算的影响（所有预期接受治疗的患者每年的治疗总费用）。只有少数卫生技术评估机构会系统、明确地评估社会、法律或伦理问题，或是组织机构和患者方面的问题。

进入 21 世纪后，卫生技术评估在方法学上的主要变化之一是从全面卫生技术评估转变为对药品报销决策提供依据的快速评估，这意味着卫生技术评估在药物上市时便已发生，而此时仅有的证据只是向监管机构提交的、可能尚未发表的临床研究证据（Facey 等，2015）。为了给报销决策提供参考，卫生技术评估必须以比全面卫生技术评估更为快速、更大量开展的方式进行。对评估人员来说，这些快速卫生技术评估，也需要不那么消耗资源的新流程。因此便出现了一种转向：卫生技术评估的研究人员逐渐不再系统回顾所有已发表的证据并全面报告卫生技术的全部影响，而是从卫生技术开发商那里收集证据，或者对其他系统综述进行快速的文献综述。这使得决策者收到的卫生技术评估报告篇幅有所缩减（Watt 等，2008）。在过去的 10 年中，在不断有新国家开始实施卫生技术评估的同时，大多数国家已选择采用快速评估。因此，对卫生技术使用带来的更广泛的影响的评估也就不复往昔（Nielsen 等，2011）。

卫生技术评估常常发现证据具有一些“不确定性”，原因可能是：

- 对照临床研究的短期研究成果可能无法反映临床实践。
- 缺乏参比卫生技术的横向比较数据。
- 该卫生技术及其参比技术对患者带来的终生成本和影响证据不足。

快速卫生技术评估导致这些问题更加突出，因为只能在短时间内从有限来源获得证据。

这些不确定性通常是评价咨询委员会或利益相关方咨询委员会讨论的关键领域。霍夫曼（Hofmann）的确指出，在经济评估、伦理、法律和社会问题分析、卫生技术评估结果报告以及评估和决策中，都需要进行价值判断（Hofmann 等，2014）。但是，很少有卫生技术评估机构明确表明其科学和社会价值判断（Rawlins，2014；Hofmann 等，2014）。

正如 OTA 所指明的那样，由于价值观可能存在差异，在评估过程应尽可能地广泛听取各方意见，包括在某些问题上持反对意见者。丹尼尔斯和萨宾（Daniels 和 Sabin，2008）也指出，决策必须有理有据，并且需要利益相关方对这些证据达

成共识。此外，由于卫生技术评估越来越多地用在费用报销决策上，决定患者能否获得医疗卫生干预，公众和患者对卫生技术评估的兴趣也与日俱增。因此，各利益相关方和学术团体，确定了卫生技术评估的结构、方法、过程和用途等原则问题（Wilsdon 和 Serota，2011），并在上述四方面强调让利益相关方参与卫生技术评估的必要性。

1.4 卫生技术评估中的患者参与

卫生技术评估由五大支柱保证质量，分别是有效性、安全性、高效性、及时性和公平性。第六支柱——以患者为中心也应被包括进去 [美国优质医疗服务委员会（Committee on Quality Health Care in America），2001]。此外，人们已经认识到，患者参与卫生技术评估有助于实现民主、技术治国、科学和工具层面的目标 [安大略省卫生技术咨询委员会公共参与小组委员会（OHTAC Public Engagement Subcommittee），2015]。

在本章（以及本书的其余部分）中，我们用“患者”指代对待评估技术相关的疾病有直接经验或有可能符合接受该技术条件的人（如可能受邀接受疫苗接种或使用某种诊断的特定群体），包括患有或曾患该疾病的个人、非正式陪护人员（有时也称作照顾者），以及为患者主张权益的志愿团体，如患者组织、自助团体、使用者团体和患者协会，但不包括可能在卫生系统中使用除该技术外其他服务的一般公众也不包括临床专家。

“参与”（involvement）是一个广泛使用的术语，但在不同国家可能会有不同理解，也可能使用从事（engagement）、参加（participant）、赋权（empowerment）等其他术语来表达“参与”这个词在本书中所表示的意义（Barello 等，2014）。本书使用国际患者和公民参与卫生技术评估兴趣小组（HTAi 兴趣小组）提出的概念，认为通过考虑患者的视角可加强卫生技术评估，具体来说，患者参与卫生技术评估有两种不同但互补的方式（改编自 Facey 等，2010），即：

- 针对患者的各个方面（经历、偏好、视角）开展的研究。
- 卫生技术评估过程中的患者参与。

库尔特（Coulter，2004）指出，由于卫生技术评估涉及价值判断，因此应该允许更多的患者和公众参与。她认为，以患者为中心的卫生技术评估，可了解患者想知道哪些问题的答案，可调动他们确定卫生技术评估的优先事项、设计并开展评估与评价、接受和运用卫生技术评估的结果，并对政策重点和资源配给展开辩论。在 2010 年，高

文等（Gauvin 等，2010）提供了一个框架，以考虑卫生技术评估每个阶段可使用的不同程度的患者和公众参与。本书第 5 章对该框架进行了进一步完善，介绍了在本书第三部分对其工作进行介绍的卫生技术评估机构已经开始使用的患者参与的具体机制。

库尔特还指出，卫生技术评估研究过程应使用各种方法了解各类患者经验、观点和偏好。《DACEHTA 关于卫生技术评估的手册》（Kristensen 和 Sigmund，2008）和欧洲卫生技术评估网络核心模型（EUnetHTA，2016b）提出了从有关患者处获得有关其视角和经历的有力证据的方法，但这些方法只适用于全面卫生技术评估。对于许多专注于临床有效性和成本效益评估的卫生技术评估机构，以及必须快速完成这项工作的机构来说，以何种方法获得患者为中心的可靠证据仍是一个问题（参见第 4 章）。正如卫生技术评估中的其他问题一样，计划是关键。此类研究应提前周密计划（Facey 等，2010），并鼓励开展跨学科的国际合作。本书的第二部分将介绍了解患者方面相关证据的定性和定量研究方法，以及对方法学挑战的讨论。

2014 年，HTAi 为就“患者参与卫生技术评估的价值和质量标准”达成共识，以德尔菲法进行了国际调查（HTAi 2014），结果如表 1-1 和框图 1-3 所示。价值标准显然要么与研究、要么与参与相关，而基于研究具有自身伦理学标准的假设，质量标准可能和参与关系更大。

表 1-1 HTAi 认定的患者参与卫生技术评估的价值（HTAi；2014）

价值	描述
相关性	患者具有为卫生技术评估提供必要证据的独特知识、视角和经历
公平性	与其他利益相关方一样，患者有权为卫生技术评估做出贡献，应该参与到促进有效参与的相关流程中
平等性	参与评估的患者致力于理解具有特定健康问题患者的各种需求，同时权衡卫生系统（试图公平分配资源供所有使用者使用）的各种要求，从而促进卫生技术评估的公平性
合法性	患者的参与有助于受卫生技术评估建议 / 决定影响的人参加这一过程，从而有助于提高决策过程的透明度、可靠度和可信度
能力建设	患者通过参与卫生技术评估，破除这一参与的种种障碍，并增强了患者与卫生技术评估组织的合作能力

框图 1-3: HTAi 患者参与卫生技术评估的质量标准 (HTAi, 2014)

一般性卫生技术评估流程

1. 卫生技术评估机构应指定好策略, 向其工作人员或委员会成员指出应通过何种流程来引导患者有效参与, 在此过程中, 应该承担何种职责。
2. 卫生技术评估机构应指定适当的渠道确保并支持患者的有效参与。
3. 卫生技术评估参与者 (包括研究人员、工作人员、评审人和委员会成员) 需接受培训, 掌握在卫生技术评估过程中, 如何适当地邀请患者参与其中, 并正确地考虑患者的视角。
4. 患者和患者组织有机会接受赋能培训, 以便为卫生技术评估做出最大贡献。
5. 定期对卫生技术评估中的患者参与过程进行反思和回顾以持续改进, 并考虑到所有参与者的经历。

对于具体的卫生技术评估

6. 应运用积极主动的沟通策略, 并且尽可能地触达, 告知和赋能患者充分参与卫生技术评估。
7. 应建立明确的时间表, 并提前通知截止日期, 确保能够从众多患者中获得足够信息。
8. 评估机构应指定一名工作人员, 负责支持患者为评估做出有效贡献。
9. 应记录患者的视角和经历, 并报告患者的贡献对结论和决策有何影响。
10. 为卫生技术评估作出贡献的患者组织应获得反馈, 了解哪些贡献最有帮助, 并获得来自评估机构的建议, 帮助他们在未来继续参与卫生技术评估。

1.5 讨论

卫生技术评估机构的角色和职能千差万别。有些进行全面卫生技术评估, 另一些则进行快速卫生技术评估。有些负责评估, 有些负责评价, 有些两者兼而有之。有些评估一次评估一项卫生技术; 有些则一次对一种疾病相关的多种卫生技术进行评估。有些向卫生技术开发者提供其试验设计的科学建议, 有些通过管理 (患者信息) 登记队列以收集卫生技术评估的信息, 经未来的二次评估提供证据。

卫生技术评估委员会在当地的社会和政治背景下, 对现有的证据进行判断, 试图通过公平过程作出有理有据、一致同意的决定。正如库尔特 (Coulter, 2004) 所

指出的那样，个体的需求和整体的需求之间的平衡不能只留给“专家”来完成。患者（同时也是公民）需要了解决策者面临的选择，需要有机会参与确定优先事项和利弊权衡，但这种参与必须能够促进对于卫生系统所有用户的决策公平性（Coulter, 2004）。事实上，正如梅农等（Menon 等, 2015）所指出的那样，患者的参与有助于解决各种卫生技术评估中出现的决策不确定性。

当临床和经济证据有限，或者附加值接近预先确定的阈值，或价值判断困难之时，若允许患者参与卫生技术评估，就可以通过解释技术对患者的真实世界的影响帮助做出价值判断。随着加速注册路径的出现（Eichler 等, 2015；Food and Drug Administration, 2015）、罕见疾病治疗药物、精准医疗增多，能够产生的临床证据较少，引入患者参与也就愈发重要。患者参与也适用于药物之外所有其他形式的卫生技术，这些技术的证据基础一向比较薄弱。

卫生技术评估被描述为“连接研究世界和决策世界之间的桥梁”（Battista 和 Hodge, 1999）。在此基础上，我个人想表达的是，患者的参与则点亮了桥梁上的灯光。患者参与可以改变任何卫生技术评估作出的价值判断，具体来讲，是通过阐明卫生技术的非预期或间接影响，发现未满足的临床需求，以及对患者至关重要的结果，并估计附加价值。

1.6 结论

本章从对卫生技术评估的回顾开始，展示了它 40 年前被发展出来时的目的，即评估使用一项卫生技术带来的所有影响，并为此针对患者和其家属设计了一系列明确的问题。随着卫生技术评估的发展、领域扩大到指导报销决策，综合评估不再那么常见，许多决策机构将评估重点转移到了临床有效性和成本效益上。卫生技术评估中对患者视角和经历的系统研究，经常被帮助患者参与评估的程序所取代。对患者各方面和患者参与的研究具有补充作用，两者都是 HTAi 定义卫生技术评估中患者参与的基础。患者参与的重要性在于，它能提供独特的患者视角，从而有助于解读临床证据基础，并为卫生技术评估过程中不可避免的价值判断提供参考。

致谢

感谢芬恩·伯勒姆·克里斯滕森（Finn Borlum Kristensen）、埃贡·琼森（Egon

Jonsson)、米歇尔·穆乔姆达尔 (Michelle Mujoomdar) 和各位共同编者对本文初稿提出的意见和建议。文中所有观点都是作者个人观点, 如有任何错误, 均由作者完全承担。

作者是一名独立咨询师, 为卫生技术评估机构和患者组织提供有偿和无偿工作, 并收取出席会议的费用。她还有偿为制药业承担咨询工作, 这些咨询可能与卫生技术评估提交的文件和药物研发中患者参与的策略有关。

原著参考文献

- Banta HD, Werkö L, Cranovsky R, et al. Introduction to the EUR-ASSESS project. *Int J Technol Assess Health Care*. 1997;13:133–43.
- Barello S, Graffigna G, Vegni E, Bosio AC. The challenges of conceptualizing patient engagement in health care: a lexicographic literature review. *J Participat Med*. 2014;6:e9.
- Battista RN, Hodge MJ. The evolving paradigm of health technology assessment: reflections for the millennium. *CMAJ*. 1999;160:1464–7.
- Committee on Quality Health Care in America. *Crossing the quality chasm: a new health system for the 21st century*. Washington DC: Institute of Medicine; 2001.
- Coulter A. Perspectives on HTA: response from the patient’s perspective. *Int J Technol Assess Health Care*. 2004;20:92–6.
- Daniels N, Sabin JE. Accountability for reasonableness: an update. *BMJ*. 2008;337:a1850. doi:10.1136/bmj.a1850.
- Drummond MF, Sculpher MJ, Torrance GW, O’ Brien BJ, Stoddart GL. *Methods for the economic evaluation of health care programmes*. 2nd ed. Oxford: Oxford University Press; 2006.
- Eichler H-G, Baird LG, Barker R. From adaptive licensing to adaptive pathways: delivering a flexible life-span approach to bring new drugs to patients. *Clin Pharm Ther*. 2015;97:234–46.
- EUnetHTA. Common Questions. <http://www.eunetha.eu/about-us/faq#t287n73> (2016a). Accessed 25 Jan 2016.
- EUnetHTA. EUnetHTA joint action 2, work package 8. HTA Core model® version 3.0 (pdf). Copenhagen: EUnetHTA; 2016b. <http://eunetha.eu/sites/5026.fedimbo.belgium.be/files/HTACoreModel3.0.pdf>. Accessed 11 Apr 2016.
- Facey K, Boivin A, Gracia J, Hansen HP, Lo Scalzo A, Mossman J, et al. Patients’ perspectives

- in HTA: a route to robust evidence and fair deliberation. *Int J Technol Assess Health Care*. 2010;26:334–40.
- Facey K, Henshall C, Sampietro-Colom L, Thomas S. Improving the effectiveness and efficiency of evidence production for health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care*. 2015;31:201–6.
- Food and Drug Administration. Fast track, breakthrough therapy, accelerated approval, priority review. Washington DC: FDA; 2015. <http://www.fda.gov/forpatients/approvals/fast/ucm20041766.htm>. Accessed 9 May 2015.
- Garrido MV, Zentner A, Busse R. Health systems, health policy and health technology assessment. In: Garrido MV, Kristensen FB, Nielsen CP, Busse R, editors. *Health technology assessment and health policy-making in Europe*. Copenhagen: World Health Organisation on behalf of European Observatory on Health Systems and Policies; 2008. p. 53–78.
- Gauvin F-P, Abelson J, Giacomini M, Eyles J, Lavis JN. “it all depends” : conceptualizing public involvement in the context of health technology assessment agencies. *Soc Sci Med*. 2010;70:1518–26.
- Goodman CS. HTA 101 – an introduction to health technology assessment. Bethesda MD: National Library of Medicine; 2014. https://www.nlm.nih.gov/nichsr/hta101/HTA_101_FIN. Accessed 5 Apr 2016.
- Hofmann B, Cleemput I, Bond K, et al. Revealing and acknowledging value judgments in health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care*. 2014;30:579–86. doi:10.1017/S0266462314000671.
- HTAi. HTAi values and quality standards for patient involvement in HTA. (2014.) http://www.htai.org/fileadmin/HTAi_Files/ISG/PatientInvolvement/v2_files/Info/PCISG-Info-PosterValuesandStandards-30-Jun14.pdf. Accessed 31 Oct 2016.
- HTAi. What is HTA? <http://www.htai.org/htai/what-is-hta.html>. (2016.) Accessed 25 Jan 2016.
- INAHTA. International network of agencies for HTA. (2016). <http://www.inahta.org/>. Accessed 4 May 2016.
- Jonsson E. History of health technology assessment in Europe. *Int J Technol Assess Health Care*. 2009;25(Supplement 1):42–52. doi:10.1017/S0266462309090412.
- Jonsson E, Banta HD, Henshall C, Sampietro-Colom L. Special section: European collaboration for health technology assessment – developing an assessment network. Executive summary of the ECHTA/ECAHI project. *Int J Technol Assess Health Care*. 2002;18:213–7. doi:10.1017/S0266462302000235.
- Klemp M, Frønsdal KB, Facey K. What principles should govern the use of managed entry

- agree- ments? *Int J Technol Assess Health Care*. 2011;27:77–83.
- Kristensen FB, Sigmund HP. *Health technology assessment handbook 2007* (2nd edition in English). Copenhagen: National Board of Health; 2008. <http://sundhedsstyrelsen.dk/~media/ECAAC5AA1D6943BEAC96907E03023E22.ashx>. Accessed 5 Apr 2016.
- Menon D, Stafinski T, Dunn A, Short H. Involving patients in reducing decision uncertainties around orphan and ultra-orphan drugs: a rare opportunity? *Patient*. 2015;8:29–39. doi:10.1007/s40271-014-0106-8.
- Metzler DO, Smith PC. Theoretical issues relevant to the economic evaluation of health technolo- gies. In: Pauly MV, TG MG, Barros PP, editors. *Handbook of health economic*, vol. 2 ; 2012. Amsterdam (Oxford): North Holland (Elsevier).
- Newdick C. *Who should we treat? Rights, rationing and resources in the NHS*. 2nd ed. Oxford: Oxford University Press; 2004.
- Nielsen CP, Funch TM, Kristensen FB. Health technology assessment: research trends and future priorities in Europe. *J Health Serv Res*. 2011;16(Suppl 2):6–15.
- Office of Technology Assessment (OTA). *Development of medical technology – opportunities for assessment*. Washington DC: United States Congress; 1976.
- OHTAC Public Engagement Subcommittee. *Public engagement for health technology assessment at health quality Ontario – final report from the Ontario health technology advisory committee public engagement subcommittee* [internet]. Toronto: Queen’ s Printer for Ontario; 2015. [http:// www.hqontario.ca/Portals/0/documents/evidence/special-reports/report-subcommittee-20150407-en.pdf](http://www.hqontario.ca/Portals/0/documents/evidence/special-reports/report-subcommittee-20150407-en.pdf). Accessed 27 Aug 2016.
- Rawlins MD. Evidence, values, and decision making. *Int J Technol Assess Health Care*. 2014;30:233–8. doi:10.1017/S02664623140000154.
- Sackett DL, Richardson WS, Rosenberg W, Haynes RB. *Evidence based medicine – how to prac- tice and teach EBM*. New York: Churchill Livingstone; 1997.
- Sigmund H, Kristensen FB. Health technology assessment in Denmark: strategy, implementation and developments. *Int J Technol Assess Health Care*. 2009;25(Supplement 1):94–101. doi:10.1017/S0266462309090485.
- Watt A, Cameron A, Sturm L, Lathlean T, Badidge W, Blamey S, et al. Rapid vs full systematic reviews: an inventory of current methods and practice in health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care*. 2008;24:133–9.
- Wilsdon T, Serota A. *A comparative analysis of the role and impact of HTA – prepared for EFPIA, PhRMA, medicines Australia and EuropaBio*. Charles River associates. Project no. D15891–00. 2011. <http://www.efpia.eu/uploads/Modules/Documents/hta-comparison->

report-updated- july-26-2011-stc.pdf Accessed 12 Apr 2016.

World Health Organisation. Health intervention and technology assessment in support of universal health coverage. WHO Declaration WHA67.23. Agenda Item 15.7.N24 2014. http://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/WHA67/A67_R23-en.pdf?ua=1. Accessed 31 Oct 2016.