英国NICE卫生技术评估公众参与机制及启示Δ

金秋晨*，李梦颖，陈永法#（中国药科大学国际医药商学院，南京 211198）

中图分类号 R95 **文献标志码** A **文章编号** 1001-0408（2023）11-1302-05
DOI 10.6039/j.issn.1001-0408.2023.11.04

摘 要 目的 深入剖析英国国家卫生与服务优化研究院（NICE）卫生技术评估公众参与机制，以期为我国医保目录动态调整工作提供经验借鉴。**方法** 检索相关文献及官方网站，对英国NICE卫生技术评估公众参与类型、参与机制（管理机构、遴选方式、参与模式、评估反馈）进行分析，并据此提出对我国医保目录调整公众参与的建议。**结果与结论** 当前NICE卫生技术评估公众参与类型主要涉及患者及照护者组织、评估委员会非专业成员、患者专家、公众观察员4类。在管理层面，NICE设立了公众参与团队并制定了有关公众参与事项的指南；针对不同类型公众，NICE确定了兴趣表达、NICE邀请、公开招聘、提名、NICE决定等不同的遴选程序；公众参与的类型多样，且从卫生技术评估最初的主题范围确定到最终的上诉，全程均有公众的参与；建立了灵活动态的评估反馈体系以优化公众参与的方式和卫生技术评估流程；开展了广泛的国际合作与交流以促进国家和国际层面的公众参与。建议我国结合国情，明确公众参与卫生技术评估的渠道，成立公众参与事务工作小组，加强患者参与评估与反馈，提高决策透明度，从渠道开设、管理机制、评估反馈、信息公开等方面不断完善我国卫生技术评估公众参与机制。

关键词 卫生技术评估；公众参与；英国国家卫生与服务优化研究院；启示

Mechanism and enlightenment of public participation in the NICE health technology assessment in England

JIN Qiuchen，LI Mengying，CHEN Yongfa（School of International Pharmaceutical Business，China Pharmaceutical University，Nanjing 211198，China）

ABSTRACT OBJECTIVE To analyze the public participation mechanism of National Institute for Health and Care Excellence（NICE）health technology assessment in England and to provide experience for the dynamic adjustment of Chinese medical insurance catalog. **METHODS** By retrieving related literature and official websites，types and mechanisms of public participation（management organization，selection method，participation mode，evaluation feedback）in NICE health technology assessment were analyzed comprehensively；and based on this，suggestions were put forward to adjust the public participation in Chinese medical insurance catalog. **RESULTS & CONCLUSIONS** The current public participation types of NICE health technology assessment were patient and carer organizations，HTA committee lay members，patient expert and public observers. At the management level，NICE has set up a public participation team and made guidelines on public participation matters. For different public participation types，NICE has established different selection procedures，such as expression of interest，NICE invitation，open recruitment，nomination，NICE decision，etc. The public participation types are various and in the whole assessing process from the initial determination of the scope of the health technology assessment to the final appeal. Also，NICE has established a flexible and dynamic evaluation feedback system to optimize the way of public participation and the health technology assessment process；NICE has undertaken extensive international cooperation and exchanges to promote public participation at the national and international levels. It is suggested that our country should combine the national conditions，clarify the channel of public participation in health technology evaluation，set up a working group of public participation affairs，strengthen patients' participation in evaluation and feedback，improve decision-making transparency，and improve the public participation mechanism of health technology evaluation from the aspects of channel opening，management mechanism，evaluation feedback，information disclosure and so on.

KEYWORDS health technology assessment；public participation；National Institute for Health and Care Excellence in England；enlightenment

卫生技术评估（health technology assessment，HTA）是一种对卫生技术的性质、效用和结果进行系统性评估的综合评价研究方法[1]，广泛应用于支持临床和卫生管理决策。近年来，HTA在我国正经历由科学研究向政策应用转化的快速发展阶段[2]。自2017年我国将HTA引入国家医保药品准入谈判工作至今，其大幅度提升了谈

Δ **基金项目** 2020年江苏省研究生科研创新计划项目（No. KYCX20__0697）

* **第一作者** 硕士研究生。研究方向：医药政策与药物经济学评价。E-mail：cathieee@outlook.com

通信作者 教授，博士生导师，博士。研究方向：国内外药事法规与药品评价。E-mail：cyf990@163.com

判的科学性、规范性、有效性，但在准入品种中也出现与公众的真实需求和临床真实诊疗不太相符的情形[3]。

英国国家卫生与服务优化研究院（National Institute for Health and Care Excellence，NICE）是为英国卫生服务体系开发技术指南并提供决策建议的国家级研究机构，具有丰富的HTA经验[4]。NICE在评估过程中鼓励支持公众参与，其经验证明，公众参与HTA可以为决策带来深远的社会价值。本文拟研究英国NICE HTA中的公众参与机制，为完善我国医保准入HTA过程中的公众参与机制提供参考。

1 公众参与在HTA中的重要性

1.1 突出合作共治的新治理理念

“公众参与”最初在20世纪50年代被提出，作为一种理论，其指的是政府应给予公众在更大范围和更高层次上参与决策的权利[5]，是通过合作协商、伙伴关系、确立认同和共同目标等方式实施公共事务管理的上下互动的过程[6]。公众高度参与和理性公共讨论已成为治理新概念，其突出的合作共治与我国打造共建共治共享现代化社会治理格局的理念相契合。公众参与HTA突出了公众在卫生决策体系中所发挥的重要作用，不仅有利于公众提升自我健康管理意识从而节省公共卫生支出成本，同时可加强公众对政府公共决策的监督以提高政府决策的透明度，以此形成微观个体与宏观决策的良好互动格局，从整体上提升我国政府部门的卫生健康治理能力与水平，促进国家全民健康的实现。

1.2 实现“以患者为中心”

由于具有较强的科学性、专业性、政策性，HTA以评估机构和相关专家的意见为主，对患者的偏好并未充分考虑，更是未能体现足够的公众诉求。通常公众和特定患者群体具有许多从日常生活中习得的“无言之知”，从自身经验和感受出发，其掌握了与特定疾病或者治疗方案有关的“非专业知识（lay knowledge）”[7]。促进公众参与HTA能够反映患者、服务使用者、照护者等群体的观点并解决与之相关的问题，以此帮助患者获得最好的治疗[8]，真正体现“以患者为中心”的理念。

1.3 最大限度地整合公众的意见与建议

在2022年国家医保药品目录调整工作中，国家医保局构建了包含安全、有效、经济、创新及公平5个维度的评审指标体系，但所有材料仅由企业方提交，公众参与的主要途径仅限于提出建议或意见，属于阿恩斯坦阶梯理论中的“表面参与”[9]。公众参与HTA可以带来更广泛的社会视角[10]，弥补当前我国医保目录调整在应用HTA过程中公众意见的缺失，使卫生政策制定者能够获得公众角度的临床和非临床证据，同时在评估过程中通过信息沟通与协商讨论，实现非专业知识与专家知识之间的有机融合[11]，对制定科学合理的公共政策具有重要意义。

2 NICE HTA过程中4类公众的参与类型

NICE文件中常用“lay member”一词代指患者、照护者以及其他公众，即广义上的公众[12]。在NICE HTA中，公众的参与类型主要涉及患者及照护者组织（patient and carer organizations）、评估委员会非专业成员（HTA committee lay member）、患者专家（patient expert）、公众观察员（public observers）4类。

2.1 患者及照护者组织

患者及照护者组织是由患者、家庭成员或照顾者自愿组成的非营利性组织，如英国阿尔茨海默病协会、英国关节炎协会等，是NICE的HTA顾问团队的组成之一，能够提供其所代表的患者及照护者群体的观点、经验、证据以及特定疾病的患病经历。患者及照护者组织提交的书面意见主要包括患有某种疾病的经历、照顾该疾病患者的经历、对该病进行特定治疗的经验、对患者或护理人员具有重要影响的治疗结果、对不同治疗模式的偏好以及对风险与获益的预期等内容。

2.2 评估委员会非专业成员

为在HTA决策中纳入医疗服务使用者的观点，NICE自建立以来就开始招募患者和照护者组织等加入NICE的指导和标准委员会。评估委员会中至少包含2名非专业成员，即患者、照护者或其他公众，其通常对评估方案所涵盖的条件、服务或主题等具有直接的经验，或对同一系列主题具有丰富的非专业经验。

此外，评估委员会中存在“主席团非专业成员（lay lead）”这一角色，其主要关注患者和照护者证据[13]，且对特定主题拥有完全投票权。该成员通常是特定疾病的患者或照护者，对所评估的疾病或治疗手段有充分了解，负责识别和审查与技术相关的患者证据，总结患者组织提交的材料并将其作为证据提供给委员会会议[14]。

2.3 患者专家

患者专家既可以是经历过某种疾病和治疗的患者，也可以是熟悉该疾病及其标准治疗方案、新治疗方案的照护者等个体。相对于患者及照护者组织，患者专家能够提供更专业的观点。在NICE HTA过程中，主要由2名患者专家提供书面材料，其可在委员会会议上作证并参与部分讨论，但没有投票权[14]。书面材料主要涵盖了患者专家对当前疾病管理以及该治疗方案在英国国家医疗服务体系（National Health Service，NHS）中的预期作用等看法。讨论意见主要涉及临床诊疗过程中在疾病管理方面尤其在当前评估方案下发生的重要变化、支

持该技术指导实施的条件、对当前评估方案的评价（如患者的获益以及不良反应）、判断评估方案对不同患者亚组的获益和风险等4个方面的内容。

2.4 公众观察员

一般情况下，技术评估委员会会议约有20位公众观察员在场，涵盖对该评估感兴趣的公众、媒体人员和利益相关组织成员等，主要旁听和观摩委员会会议公开的内容（即会议第一部分），包括评估委员会主席团对于该主题的陈述、委员会成员与专家小组的讨论。当委员会需要讨论机密数据或敏感问题，或者即将作出决策时，主席将宣布会议的第一部分结束，公众观察员也将离开会议。

3 NICE HTA过程中的公众参与机制

3.1 特定的管理机构及制度设计

2002年，NICE组建“公众参与团队（Public Involvement Programme，PIP）”，专门负责患者有效参与的全部事项[15-16]。对于任意一项评估，NICE都会在该HTA项目团队中安排一名PIP顾问。在整个评估过程中，该PIP顾问直接与患者及照护者组织及其代表、患者专家等联络对接，并给予公众相应的指导。此外，NICE还制定了有关公众参与事项的指南*NICE's Approach to Public Involvement in Guidance and Standards: a Practical Guide*[16]，解释NICE如何支持公众参与NICE的事务，阐述NICE PIP的核心活动以及详细流程。NICE还开发了“NICE患者”（patients involved in NICE，PIN）系统，为与NICE合作的患者组织提供相互支持的平台。

3.2 多元化的公众遴选方式

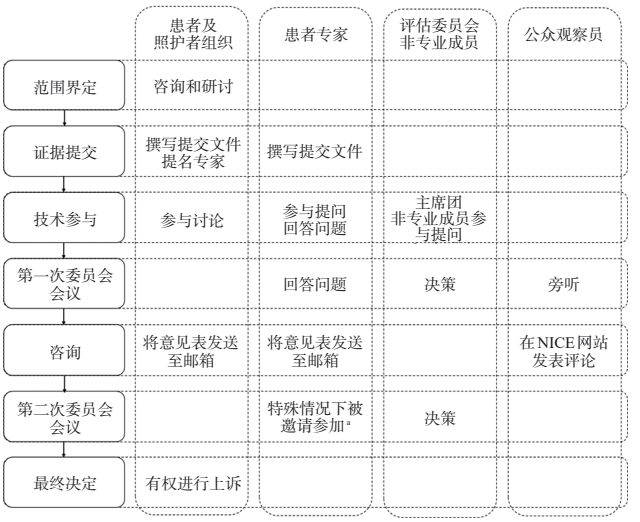
针对不同类型公众，NICE确定了不同的遴选方式（表1）。患者及照护者组织需注册成为NICE利益相关者，在评估开始时NICE会向相关组织发送邀请邮件；评估委员会非专业成员的每个空缺职位都由NICE网站单独公布和招聘，而主席团成员则由NICE在每项评估开始时从非专业成员中选出；患者专家的选定首先考虑非专业人员，其次由除研发企业之外的顾问和评论者提名或自我提名的候选人填补空缺，如果人才库中没有合适的候选人，则空缺职位将被单独公布和招聘。公众观察员主要由患者、媒体等对该评估感兴趣的群体在NICE官网公布的信息页面注册申请，若人数超过20人，NICE将进行筛选[17]。

表1 不同类型公众的遴选方式

非专业人员类型	兴趣表达	NICE邀请	公开招聘	提名	NICE决定
患者及照护者组织	否	是	否	否	否
评估委员会非专业成员	否	否	是	否	是
患者专家	否	否	是	是	否
公众观察员	是	否	否	否	否

3.3 多方位、全流程的公众参与模式

在HTA过程中，一方面，公众参与的类型多样，参与程度从浅到深依次为公众观察员（监督）、患者及照护者组织（咨询）、患者专家（咨询、讨论）、评估委员会非专业成员（决策）。另一方面，公众参与全阶段，从HTA最初的主题范围确定到最终的上诉，全程均有公众的参与（图1）。



a：需要患者专家回答咨询过程提出的问题或者回复新证据

图1 NICE HTA不同阶段的公众参与类型

3.4 灵活动态的评估反馈体系

为优化NICE支持公众参与的方式和HTA流程，NICE会定期收集关于公众参与HTA的反馈。如2008年NICE通过调查确定了公众广泛参与HTA的必要性，并改进了公众参与的具体内容。自2012年以来，为及时发现并解决问题，NICE会在公众参与后立即进行反馈调查。当与NICE的合作协议结束时公众也会通过离职调查向NICE提供反馈。在这样持续的反馈下，HTA流程、公众参与方法等得到了有效改善，公众参与HTA的体验感也得到了进一步提升[18]。

3.5 广泛的国际合作与交流

经过多年实践，PIP在公众参与方面积累了丰富经验。为支持和促进国家和国际层面的公众参与，PIP牵头组织了国际卫生技术评估组织（Health Technology Assessment International，HTAI）的患者和公民参与小组（Patient and Citizens' Involvement Group，PCIG），并与国际卫生技术评估机构网络（International Network of Agencies for Health Technology Assessment，INA HTA）的患者参与学习小组广泛开展合作[19]。如2019年10月，PIP受邀在HTAI范式研讨会上探讨了公众参与HTA的必要性，审查了公众参与HTA的方法和框架，并开发了在HTA早期阶段招募及支持患者专家的工具，为法国、德国、英国、意大利等国家的HTA机构提供相关经验。

4 公众充分参与NICE HTA的实例

多年来，NICE通过上述机制，引导不同类型的公众有效参与了HTA，使得评估委员会能够获得公众角度的临床和非临床证据，进而提升决策的科学性和合理性。

4.1 患者组织和患者专家通过提交书面材料，全面展示患者的未满足需求

在NICE对尼达尼布用于治疗用力肺活量（forced vital capacity，FVC）高于80%的特发性肺纤维化人群进行评估时，肺纤维化行动（Action for Pulmonary Fibrosis，APF）组织提交的证据指出，尼达尼布对FVC高于80%和低于80%的患者同样有效，但在当前报销条件的限制下仅用于FVC低于80%的患者，故FVC超过80%的特发性肺纤维化患者认为受到了不公平的对待。同时，某位患者专家将自己的自身经历作为书面证据提交至委员会来证明这一情况。根据FVC高于80%的患者和临床专家讲述的治疗情况，NICE认识到FVC高于80%的特发性肺纤维化患者存在未得到满足的需求，并结合临床获益以及成本效益数据，决定以药企通过商业安排的方式提供并推荐尼达尼布用于治疗FVC高于80%的成人特发性肺纤维化[20]。

4.2 评估委员会非专业成员通过评估机制充分代表患者观点，影响决策

NICE 2019－2020年的公众参与评估调查显示，90%的委员会非专业成员能够举出至少一个自己对委员会产生影响的例子，其中，18名委员会非专业成员（43%）表示，他们最大的贡献就是“代表患者/照护者的观点”，而19名委员会非专业成员（45%）能够详细说明他们的参与对评估产生的影响，包括代表患者/照护者的观点、影响决策、质疑专业人员对患者的看法、创建决策辅助工具、从讨论意见中突出患者观点、影响卫生经济因素等[19]。

4.3 患者及照护者组织通过发送意见表的形式直接推动草案修改

NICE在评估肿瘤坏死因子α（tumor necrosis factor-α，TNF-α）抑制剂用于治疗强直性脊柱炎时，英国国家强直脊柱炎协会（National Ankylosing Spondylitis Society，NASS）认为指南草案中关于“英夫利昔单抗在其上市许可期内不推荐用于强直性脊柱炎的治疗”的结论不合理，并指出NICE的成本效益分析忽略了招标过程中的大幅度降价。同时NASS认为该建议未反映强直性脊柱炎患者的需求。根据NASS收集到的800多份患者、照护者等公众回复意见，77%的人对这一决定不满意，他们认为英夫利昔单抗可能是某些患者的最佳治疗选择。最终NICE根据NASS收集的回复意见，以及NASS参与的第二次委员会讨论结果，最终将评估建议更改为“仅当英夫利昔单抗的产品价格达到最低时，才推荐使用英夫利昔单抗”[21]。

5 英国NICE公众参与HTA对我国的启示与建议

5.1 成立公众参与事务工作小组

在我国HTA过程中，公众往往因角色定位不明确、缺乏组织性和诉求表达渠道的不足而导致其实质参与十分有限，需要宏观决策部门的引导与组织[10]。笔者建议国家医保局牵头成立公众参与事务工作小组统筹公众参与相关事务，为对该评估感兴趣的公众提供培训和支持。在国家医保局官网增设“公众参与”页面，宣传公众参与的价值，并设置注册渠道。在每年的非调整阶段，工作小组成员应及时联系在网页注册的公众个人、患者组织，记录相关信息，并主动与某些大规模患者组织、罕见病组织保持联系。在医保目录调整工作开始时，工作小组成员应对相关公众进行培训，并全程引导公众参与HTA流程。同时建议公众参与事务工作小组根据HTA实际情况细化公众参与的规定和要求，形成如《患者参与管理办法》等可落地、操作性强的指导条例和实施细则，内容可包括公众参与范围、公众参与形式、相关材料模板、监督管理，等等，并附在当年的医保目录调整工作方案中。

5.2 明确公众参与HTA的渠道

当前我国公众参与HTA的主要途径仅限于提出建议或意见。在NICE相关经验的基础上，依据我国医保准入管理现状与实践需求，笔者认为公众可以在专家评审和谈判准备阶段参与HTA。在专家评审阶段，分别在已有的综合组、专业组专家中新增若干名患者专家，患者专家由患者及照护者进行提名。综合组的患者专家可以是在诊疗等方面有广泛经验的患者或照护者，专业组的患者专家则可以是对该评审技术或疾病有特定了解的人员。在谈判准备阶段，除企业提供材料外，患者及照护者组织、患者专家也可以针对该治疗方法或疾病提交相关书面材料。医保准入工作小组还可以与熟悉该疾病或治疗的患者、照护者、临床医生等开展小规模意见征集会议，了解社会公众的需求和想法，剖析该治疗方案的社会价值。

5.3 完善信息公开渠道并提高决策透明度

对于每一项评估，NICE会在官网上公布顾问和评论员名单、意见材料、评论文件、评估报告等十余份文件[14]。自2021年起，我国国家医保局开始公开药品厂商提交的材料以及通过形式审查的药品名单，但谈判过程中评估过程文件和最终评估报告等仍未公布，医保谈判过程的信息公开程度和透明度还有待提升。基于此，建议我国在医保谈判中，建立专门的医保谈判药品网页，每一个药品的页面均有其基本信息、安全性、有效性、创新性、公平性等资料，同时开设资源栏公开谈判过程中不涉密信息，如参与的专家和公众名单、各方提交的证据、评估报告等，为后续公众参与提供保障。

5.4 构建灵活动态的评估和反馈体系

NICE尤为注重评估非专业人员的参与效果和非专业人员对参与过程的反馈。我国在开展公众参与HTA时，也应该加强对公众参与效果的监测和评估，以检验公众参与HTA的有效性；同时对参与的公众进行回访，在评估结束后举行总结会议，并就当年公众参与的报录情况、培训情况、效果和满意度、不足与展望等内容形成监测评估报告，以辅助公众参与事务工作小组及时有效地作出回应并调整相关决策，改进公众参与工作方案。

综上所述，英国NICE的经验表明，公众适当地参与HTA有助于充分展示患者的观点和需求，从而影响HTA的结果。因此，在吸收国外相关实践经验的基础上，建议出台符合我国国情的有针对性的举措，以促进我国HTA乃至公众参与治理的健康发展。

参考文献

[1] 岳晓菲，张帆，刘跃华，等. 英国NICE卫生技术评估流程的决策转化机制及启示[J]. 中国卫生经济，2021，40(1)：91-96.

[2] 刘世蒙，杨毅，孙辉，等. 患者偏好证据应用于卫生技术评估的价值、方法及挑战[J]. 中国卫生政策研究，2022，15(5)：52-58.

[3] 吴晶. 卫生技术评估为医保目录调整提供决策依据[EB/OL]. (2022-01-30)[2022-11-10]. https://www.cn-healthcare.com/articlewm/20220127/content-1310243.html.

[4] 肖月. 英国国家卫生与服务优化研究院的卫生技术评估模式与经验分析[J]. 医学与社会，2022，35(8)：1-8.

[5] 涂正革，邓辉，甘天琦. 公众参与中国环境治理的逻辑：理论、实践和模式[J]. 华中师范大学学报(人文社会科学版)，2018，57(3)：49-61.

[6] 石震，王铭敏. 健康治理中公众参与的行为逻辑与路径构建[J]. 中国农村卫生事业管理，2021，41(7)：487-491.

[7] 李鸽. 政策形成过程中的公众参与：以中国医疗政策改革为例[J]. 华东政法大学学报，2014，17(3)：96-105.

[8] National Institute for Health and Care Excellence. Patient and public involvement policy [EB/OL]. (2013-11-01)[2022-11-10]. https://www.nice.org.uk/about/nice-communities/nice-and-the-public/public-involvement/public-involvement-programme/patient-public-involvement-policy.

[9] ARNSTEIN S. A ladder of citizen participation[J]. J Am Plan Assoc，2019，85(1)：24-34.

[10] 吕兰婷，傅金澜，王汐. 以患者为中心的卫生决策体系构建：基于个体与全民水平的思考[J]. 中国医院管理，2021，41(12)：41-46.

[11] 杨正，肖遥. 为何要引入公众参与科学：公众参与科学的三种逻辑：规范性、工具性与实质性[J]. 科学与社会，2021，11(1)：115-136.

[12] HOGG C，WILLIAMSON C. Whose interests do lay people represent? Towards an understanding of the role of lay people as members of committees[J]. Health Expect，2001，4(1)：2-9.

[13] LITTLEJOHNS P. Patient involvement in NICE technology appraisals[M]. London：Radcliffe Publishing，2018：29-38.

[14] National Institute for Health and Care Excellence. Guide to the processes of technology appraisal[EB/OL]. [2022-11-10]. https://www.nice.org.uk/process/pmg19/chapter/introduction.

[15] National Institute for Health and Care Excellence. Public Involvement Programme[EB/OL]. [2022-11-10]. https://www.nice.org.uk/about/nice-communities/nice-and-the-public/public-involvement/public-involvement-programme.

[16] National Institute for Health and Care Excellence. NICE's approach to public involvement in guidance and standards：a practical guide[EB/OL]. [2022-11-10]. https://www.nice.org.uk/media/default/About/NICE-Communities/Public-involvement/Public-involvement-programme/PIP-process-guide-apr-2015.pdf.

[17] National Institute for Health and Care Excellence. Meetings in public[EB/OL]. [2022-11-10]. https://www.nice.org.uk/Get-Involved/Meetings-in-public#advisory-committee.

[18] NORBURN L，THOMAS L. Expertise，experience，and excellence. Twenty years of patient involvement in health technology assessment at NICE：an evolving story[J]. Int J Technol Assess Health Care，2020，37：e15.

[19] National Institute for Health and Care Excellence. Public involvement at NICE：annual report 2019/2020[R/OL]. London：NICE，2020[2023-02-05]. https://www.downtownaustin.com/annual-report-2020/.

[20] National Institute for Health and Care Excellence. Nintedanib for treating idiopathic pulmonary fibrosis in people with a forced vital capacity above 80% predicted[EB/OL]. (2023-02-01) [2023-02-05]. https://www.nice.org.uk/guidance/ta864/evidence/committee-papers-pdf-1136951-3773.

[21] National Institute for Health and Care Excellence. TNF-alpha inhibitors for ankylosing spondylitis and non-radiographic axial spondyloarthritis[EB/OL]. (2015-09-11)[2023-02-05]. https://www.nice.org.uk/guidance/ta383/documents/ankylosing-spondylitis-and-axial-spondyloarthritis-nonradiographic-adalimumab-etanercept-infliximab-and-golimumab-inc-rev-ta143-and-ta233-id694-appraisal-consultation-document2.

（收稿日期：2022-12-11　修回日期：2023-04-03）

（编辑：刘明伟）