

药品临床综合评价质量控制指南
(2024年版 征求意见稿)

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

指南起草说明	1
一、起草背景	1
二、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	15
1. 文献研究的质量控制	16
2. 原始研究的质量控制	19
3. 模型研究的质量控制	22
4. 真实世界研究的质量控制	22
(四) 评价报告的质量控制	24
第三章 结果转化	26
一、单中心医疗机构内部转化	26
二、区域/省(市)内范围转化	27
三、全国范围转化	28
四、第三方评价实施机构开展的药品临床综合评价结果转化	28
附件	30
附件一：药品临床综合评价各阶段质控核查指标集	30
附件二：潜在利益冲突声明表	38
附件三：药品临床综合评价规范和常用工具	39

指南起草说明

一、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、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主体，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和难点问题，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 征求意见稿）》。

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，同时结合部分省（市）实践经验，前后修改 30 余稿。

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）》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关键环节进行质控，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、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、结题评审四个关键环节。对应上述四个环节，

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。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、结果确定的药品临床综合评价项目成果的逐步转化。

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，参考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，主要供药品临床综合评价的质控实施主体参考借鉴。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。为保障本指南的前瞻性和药品临床综合评价工作的连贯性，本指南中提及的《药品临床综合评价主题遴选技术指南》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及相关参与机构规范开展评价工作，以促进高质量综合评价证据的产生和应用转化，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。通过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、实施过程和结果的透明公开。

反馈机制。构建双向沟通反馈机制，由各级质控主体进行督导检查和问题反馈，由评价实施机构反馈问题、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，生产高质量评价证据，进一步促进药品临床综合评价成果的分类应用转化。

二、适用范围

本指南主要适用于指导国家、区域联盟/省（市）级卫生健康行政部门及相关机构（如药品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**为区域联盟/省（市）级卫生健康行政部门及省（市）级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职人员。

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。

二级质控主体职责：区域联盟/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。区域联盟/省（市）级药品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，落实一级质控主体的质控工作要求，审核三级质控主体的质量控制工作。

三级质控主体职责：药品临床综合评价项目实施（牵头）机构负责对药品临床综合评价工作进行全流程的内部质量管理，确保质量管理体系的持续有效运行。评价实施（牵头）机构的内部质控建议由项目组内专人负责，其主要职责为统筹组织项目质控管理工作，推进项目组完成主题遴选、项目启动、项目实施和结题评审等主要阶段和方法选择、数据整理分析、报告撰写等重点内容的质控工作。此外，质控管理专职人员应定期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，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

评价结果的应用包括单中心医疗机构内部、区域/省（市）内、全国范围三种主要应用场景的转移转化。针对不同场景评价结果的转移转化，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路径。此外，针对第三方评价实施机构开展的药品临床综合评价结果应用转化也提出相应质控要点，详细介绍请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，指定选题指由国家级或区域/省（市）级有关机构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、合理用药、决策需求等内容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成果转化范围综合考量。

针对指定选题项目，须按照本指南规定的质控流程及内容进行质控。

针对自主选题项目，应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，以及评价报告的完整性和规范性等（各阶段质控核查指标详见附件一）。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。

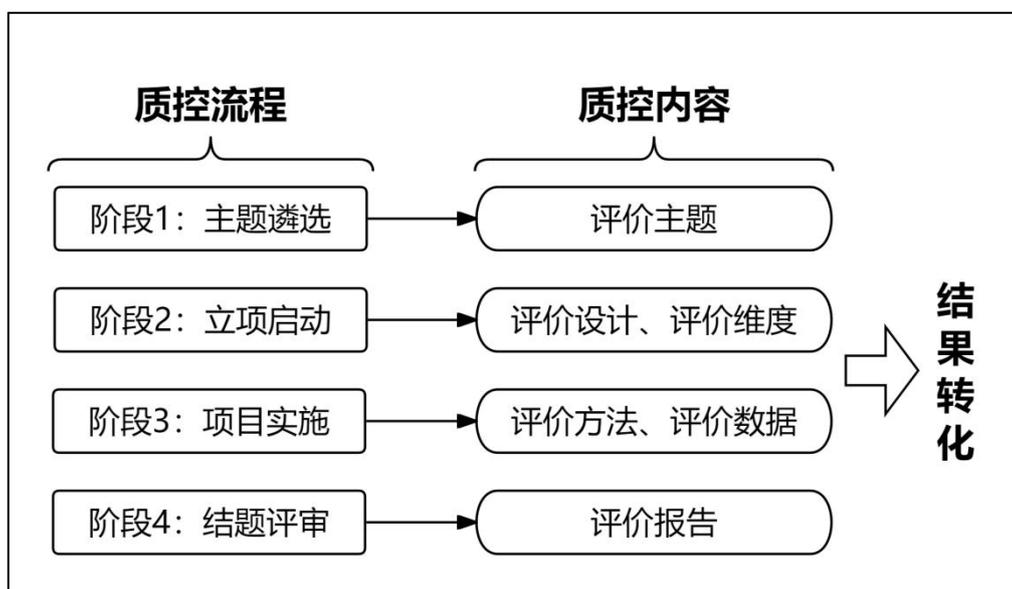


图1 药品临床综合评价质量控制流程和内容示意图

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。

指定选题由国家或区域/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，包括临床医学、临床药学、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，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（参考附件二）。确定评价主题后，实施（牵头）机构需递交相应材料供二级质控主体备案。最终，通过主题

遴选论证会的项目方可进入立项启动阶段。

（二）立项启动

立项启动阶段主要对评价实施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**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，具备开展工作所需的专业技术能力的工作人员；

（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位，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职负责，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。开展评价工作的主体机构应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。评价实施机构可向二级质控主体征求修改

意见以优化方案设计，既往版本的项目设计方案需留存以备二级质控主体核查。

（三）项目实施

项目实施阶段主要对评价方法的严谨性和数据的可靠性进行质量控制。

药品临床综合评价项目立项启动后，三级质控主体定期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、修改理由、修改内容、专家咨询结果等，原始及修改后的项目实施方案留存备查。

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或整改。评价实施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）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。专家须由多学科组成，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。评价报告应围绕项目基本信息、报告摘要、评价背景与目的、评价设计与内容、讨论与总结、附件等方面的完整性和规范性进行重点核查。三级质控主体应根据评审专家的问题和建议修改完善评价报告。

二级质控主体统一对药品临床综合评价项目质量管理核查记录等纸质/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必要迫切、是否可量化评估等方面进行遴选和确认。必要迫切主要指决策需求迫切性以及社会舆论关注程度等；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，并参照涉及相关疾病或人群的药品临床综合评价技术指南，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。

可依据评价目的与评价结果的应用转化场景，秉持“实事求是”原则，确定实际评价维度。药品临床综合评价的安全性、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。评价实施（牵头）机构应基于评价目的及评价结果的应用转化场景，通过专家论证的方式确定合适的评价维度，并在研究方案中详细阐述评价维度确定的理由。

不同评价维度应优选公认的最佳评价指标，建议参考已发布的药品临床综合评价管理指南和技术指南，采用适宜的评价方法和恰当的数据来实施评价。例如，对某药品开展临床综合评价时，其安全性、有效性、经济性的数据来源应优先选择来自于已有文献研究（文献证据按照证据金字塔排序）和我国患者真实世界数据。创新性、可及性和适宜性维度的证据，可来自药品采购、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。

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）、原始

研究（干预性研究、观察性研究、问卷调查或访谈等）和**模型研究**等。此外，对于基于医院信息系统、登记研究数据等数据源开展的**真实世界研究**的质量控制，在此部分也将进行重点介绍。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相关质量评价工具（详见附件三）。

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、对于某种疾病治疗的专家共识等。学术研究包括卫生技术评估报告、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）和药物经济学评价等。

（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，应根据主题遴选结果确定评价的纳入与排除标准，其中纳入标准应基于“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，注明各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。对使用人工智能（Artificial Intelligence, AI）技术形成的文献综述结果，需配合人工核查后视情况采纳。

（2）数据提取

数据提取人员须具备一定的临床背景和方法学基础，对文献研究结果的准确性和真实性进行判断以保证评价质量，通常包括但不限于：数据提取的基本过程、数据提取表格内容、相关软件操作等。文献证据提取同样需要两名人员独立进行并将提取内容信息录入至提取表格中。对于循证指南类证据，其提取表格应包括推荐药品、发表时间、发表地区及机构、发表方法及相应证据质量、证据强度和证据级别等。对于学术研究类证据，其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（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）、研究人群

信息（性别、年龄、种族、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）。

（3）数据分析

数据分析要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、分布以及一些基本信息汇总比较。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（随机对照试验或非随机干预研究）进行定量综合，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。选择对应的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，并将结果体现在评价报告中，如：卫生技术评估报告——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 (Assessment of Multiple Systematic Reviews, AMSTAR)；随机对照试验——Cochrane 风险偏倚评估工具等；病例对照研究/队列研究——纽卡斯尔-渥太华量表 (The Newcastle-Ottawa Scale, NOS)；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) 等 (详见附件三)。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划分并形成推荐意见。

2. 原始研究的质量控制

(1) 干预性研究的质量控制

在药品临床综合评价项目中,若涉及药物临床试验,应对其试验全过程 (包括方案设计、方案注册、伦理审批、组织实施、监查、稽查、记录、分析、总结和报告) 的不同环节开展质量控制。干预性研究的数据、方法及流程质控按照国家药品监督管理局和国家卫生健康委联合发布的《药物临床试验质量管理规范》

执行。临床试验结束后，需要认真审查总结报告的准确性和完整性，例如：①结果数据是否真实准确，是否正确分析和评价药品的临床有效性和安全性。②所有质控文件资料是否完整并按规定归档。同时应考量与该试验相关的患者隐私保护和科研伦理等内容。

(2) 观察性研究的质量控制

药品临床综合评价项目中，通过病例对照研究或队列研究等观察性研究设计类型，前瞻性或回顾性地评价药品不同维度的临床价值时，应重点对研究设计、数据收集和处理、数据统计分析、结果报告与解读等环节开展质量控制。由于此部分的质控与真实世界研究的质控管理重点类似，具体内容请参考真实世界研究的质量控制。

(3) 问卷调查或访谈的质量控制

调查问卷或访谈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。问卷或访谈提纲内容需覆盖各维度缺失的关键指标，以提高受访者作答的准确性和数据质量。

在通过问卷调查或访谈等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，并依据样本量确定受访者代表性（如区域、民族、职业、性别等），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见解或信息）。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、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如实记录受访者的反馈。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。必要时可采用质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。

3. 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研究具体目的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。可参考国内外有关药物经济学研究方法以及相关疾病或人群的药品临床综合评价技术指南。

4. 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，应尽可能详细制定研究方案，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，参考国内外真实世界研究指南和框架，严格

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研究证据的产生。同时，通过数据集定义的数据格式、结构和标准，实现数据来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、透明、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。

数据信息安全管理。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，严格执行患者隐私和个人信息保护、保守国家秘密规定，构建安全可信的网络环境。任何单位和个人不得非法获取或泄露数据，

未经国家及省（市）级组织管理部门授权，不得擅自使用或发布国家及省（市）级药品临床综合评价相关数据信息。各评价实施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，重点核查研究报告的完整性和规范性。

评价报告应围绕项目基本信息、摘要、研究背景与目的、评价设计与内容、讨论与总结等方面进行阐述。其中，**基本信息**应包括项目标题、委托及实施（牵头）机构、开展时间、项目负责人和项目组成员及分工等，并对项目的资金/资助来源和相关潜在利益冲突等进行说明。**报告摘要**应包含评价的主要目的及应用转化场景、评价对象、评价方法、评价结果、评价建议和结论。**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。**评价设计与内容**主要从评价及对照药品、评价维度、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，并讨论研究局限性和研究意见建议。**评价报告附件**中应根据具体评价方法将数据库检

索策略、文献筛选流程图、文献质量评价表等相关内容列出。项目组可根据《药品临床综合评价各阶段质控核查指标集》（详见附件一）中“4. 结题评审”的内容进行自查，但不仅限于此表。对药品临床综合评价项目质量管理核查指标集、评价报告等材料进行归档保存，以备查验。

第三章 结果转化

积极引导和鼓励质控完善、证据充分、结果确定的药品临床综合评价项目成果的转化应用。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路径作出以下建议：

一、单中心医疗机构内部转化

质控要点：主题遴选阶段应基于该实施机构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，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，审核三级质控主体的质量控制工作，对区域联盟/省（市）内药品临床综合评价项目开展监督和指导，及时公布本区域/省（市）内项目质量控制督察结果。

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）用药目录遴选调整、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（如药品使用结构）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，提升卫生健康资源配置效率。

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、数据信息的安全管理等。

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，对二级质控主体的反馈意见需及时修改，并负责遴选优秀项目向二级质控主体推荐，按程序提供有关部门参考。二级质控主体应对项目主题、方案进行预评估（经二级质控主体审批通过后的方案方可执行），并负责对项目的全流程质控工作进行审核及抽查，不定期提出审查反馈意见。如遇未决问题，可提请一级质控主体会商。

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）内的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；③提高药学服务和安全合理用药水平等。

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、数据信息的安全管理等。

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”，二级质控主体负责遴选优秀项目上报一级主体，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；③提高全国范围药学服务和安全合理用药水平；④制定相关领域的专家共识或临床实践指南，促进研究成果在全国范围内的推广落地。

四、第三方评价实施机构开展的药品临床综合评价结果转化

质控要点及质控主体职责：科研院所、高等院校、行业组织等第三方评价实施（牵头）机构应立足学科前沿，发挥第三方评价的优势，激发行业创新与转化的活力。二级质控主体应依据区域联盟/省（市）级的政策需求或临床实践需要，鼓励第三方实施（牵头）机构开展评价合作研究，并提供项目指导。

应用场景：由第三方评价实施（牵头）机构开展的临床综合评价结果可用于①丰富行业药品临床综合评价实践，扩大证据储备；②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
1. 主题遴选（评价主题的质量控制），共 10 条核查重点			
评价主题	指标 1: 是否提供疾病负担、疾病特征、诊疗方案及治疗患者人数等信息▲		
	指标 2: 是否提供评价目标药品的临床使用、供应保障情况，以及其他主要问题的相关信息▲		
	指标 3: 是否提供评价目标药品的使用对社会的其他潜在影响（公平、伦理等），如是否针对重点人群或特殊疾病		
	指标 4: 提供评价目标药品所需证据的可获得性和充分性，比如相关临床研究文献是否丰富、相关数据是否充足等		
	指标 5: 评价目标药品是否与当前决策需求或社会舆论相关		
组织流程	指标 6: 评价主题由国家或区域联盟/省（市）级公开征选或委托		
	指标 7: 主题遴选论证会邀请多方代表（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（邀请函、专家名单、会议记录、专家论证意见等）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: 本项目是否接受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▲		
2. 立项启动(评价设计和维度的质量控制), 共 11 条核查重点			
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, 具备开展工作所需的专业技术能力的工作人员▲		
	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, 理解药品临床综合评价工作评价维度、评价流程与技术要点		
	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, 具有两年及以上相关专业研究经验, 掌握药品临床综合评价方法技术		
	指标 4: 项目质控人员是否取得中级及以上职称或硕士及以上学位, 承担过药品临床综合评价项目, 理解药品临床综合评价工作评价维度、评价流程与技术要点		
评价设计	指标 5: 是否根据评估主题, 提出科学、规范的评价设计		
	指标 6: 如涉及文献研究, 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		
	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

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
	指标 8: 研究进度安排是否明确		
	指标 9: 评价维度是否充分反映评价目标药品特点, 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		
	指标 10: 不同维度评估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、患者问卷调查或访谈等) 是否经医院伦理委员会审核通过		选填
3. 项目实施 (评价方法和数据的质量控制), 共 19 条核查重点			
过程记录及数据溯源	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: 纳入的文献研究来源是否为在同行评议期刊已发表的全文文章		
	指标 3: 数据原始记录是否完整		选填
研究方法	文献研究		
	指标 4: 在文献检索和筛选阶段, 是否参照《Cochrane 干预措施系统评价手册》规范开展文献检索, 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		选填
	指标 5: 在数据提取和分析阶段, 是否参照《Cochrane 干预措施系统评价手册》规范开展数据的提取、分析与整合		选填
	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		选填

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注	
	原始研究			
	指标 7: 干预性研究的数据、方法及流程是否按照国家药品监督管理局和国家卫生健康委发布的《药物临床试验质量管理规范》执行		选填	
	指标 8: 观察性研究的研究设计、数据收集和治理、数据统计分析、结果报告等是否规范		选填	
	指标 9: 问卷调查或访谈的研究对象、样本量、抽样方法、分析方法、结果解读等是否科学合理		选填	
	模型研究			
	指标 10: 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疾病的药品临床综合评价技术指南等的要求。		选填	
	真实世界研究			
	指标 11: 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 12: 数据的收集和治理方案是否规范		选填	
	指标 13: 统计分析方法设计是否合理, 样本量估计、数据分析方法、统计检验、数据离群和缺失处理等内容是否在评价报告中清晰阐述		选填	
	指标 14: 偏倚与混杂因素控制措施是否科学		选填	
	指标 15: 数据的内部、外部一致性是否高		选填	
	资料管理和数据安全	指标 16: 药品临床综合评价文件是否存放、查阅方便、条理清楚		
		指标 17: 患者隐私和个人信息保护、数据安全措施是否完备		

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
项目进展	指标 18: 是否根据项目方案按计划推进		
问题反馈及整改	指标 19: 上级质控机构在监察中发现的问题是否得到整改		
4. 结题评审（评价报告的质量控制），共 33 条核查重点			
基本信息			
标题	指标 1: 是否说明本项目中评价目标药品（或类别）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”		
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		
	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，应说明牵头机构和全部成员机构名称）		
项目开展时间	指标 4: 是否说明本项目的启动实施日期和评价报告定稿日期		
项目负责人和项目组成员	指标 5: 是否说明本项目负责人的姓名、机构名称、职称和有效联络方式		
	指标 6: 是否说明本项目组全部成员的姓名、机构名称、职称和分工情况		
资金支持和相关利益声明	指标 7: 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		
	指标 8: 是否说明本项目负责人和全部成员是否存在相关利益冲突及具体情况		
摘要			
主要目的及应用转化场景	指标 9: 是否简要说明本项目的研究目的、应用转化范围及场景		

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
评价对象	指标 10: 是否说明药品基本信息、适应证及使用人群、对照药品		
主要方法	指标 11: 是否说明本项目涵盖的评价维度, 并说明主要评价设计、资料来源和技术方法		
主要结果	指标 12: 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 13: 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		
评价背景与目的			
疾病概况	指标 14: 是否说明本项目中目标人群疾病基本情况, 包括但不限于病因、临床表现、国内外发/患病率、国内外疾病经济负担、疾病诊疗方案与路径等		
评价药品特性	指标 15: 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, 包括但不限于通用名、商品名、剂型/规格、生产企业、国家基本药物和国家基本医保属性、适应证、用法用量等		
指南推荐意见	指标 16: 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, 并以表格形式说明相关推荐意见、证据级别和推荐强度		
评价目的及应用转化场景	指标 17: 是否说明本项目的研究目的、应用转化场景		
评价设计与内容			
评价药品	指标 18: 是否说明本项目所评价的目标药品		
对照药品	指标 19: 是否说明本项目所选择的对照药品		
评价维度	指标 20: 是否确定合适的评价维度, 并(如适用)说明评价维度调整的原因		

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
	指标 21: 是否说明每个维度所选用的评价指标 (对于有效性和安全性应优先选择终点指标, 否则应进行说明)		
评价方法	指标 22: 是否根据所选用的评价方法, 按照相应的报告规范进行报告, 并提供相应的检查清单		
评价结果	指标 23: 安全性评价: 是否根据所选择评价方法的报告规范, 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, 是否对不一致原因进行说明)		
	指标 24: 有效性评价: 是否根据所选择评价方法的报告规范, 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, 是否对不一致原因进行说明)		
	指标 25: 经济性评价: 是否根据所选择评价方法的报告规范, 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, 是否对不一致原因进行说明)		
	指标 26: 创新性评价: 是否根据所选择评价方法的报告规范, 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, 是否对不一致原因进行说明)		选填
	指标 27: 适宜性评价: 是否根据所选择评价方法的报告规范, 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, 是否对不一致原因进行说明)		选填
	指标 28: 可及性评价: 是否根据所选择评价方法的报告规范, 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, 是否对不一致原因进行说明)		选填
	指标 29: (如适用) 其他维度的评价: 是否根据所选择评价方法的报告规范, 清晰阐明该评价维度的评价结果, 是否与立项启动阶段		选填

质控方面	质控核查指标	是否符合	备注
	提交的评价设计方案一致(若不一致,是否对不一致原因进行说明)		
讨论与总结			
评价结论	指标 30: 是否针对本项目的 主要评价结果 进行总结描述		
局限性	指标 31: 是否说明本项目在评价设计、内容和方法等方面的局限性和不足		
总结与建议	指标 32: 是否针对各个评价维度综合说明本项目的 主要评价结论及建议		
附件			
附件	指标 33: 根据具体评价方法,是否提供质控所需的附件,如技术附件(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、调查问卷、访谈提纲、专家咨询记录及其他附件如伦理批件等)		选填

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：潜在利益冲突声明表

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这张利益声明表上声明所有和本评价项目相关的潜在的利益冲突（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》	国家卫生健康委
2	《抗肿瘤药品临床综合评价技术指南》	国家药物与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》	国家药物与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》	国家药物与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	《药物临床试验质量管理规范》	国家药品监督管理局 国家卫生健康委
8	Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes	牛津大学出版社
9	《Cochrane 干预措施系统评价手册》	Cochrane 协作网
10	《卫生技术评估》	人民卫生出版社

序号	研究类型	质量评价工具
1	卫生技术评估报告	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 风险偏倚评估工具、Jadad 评分量表等
5	观察性研究	NOS、CASP 等
6	药物经济学研究	CHEERS

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（Assessment of Multiple Systematic Reviews, AMSTAR）；纽卡斯尔-渥太华量表（The Newcastle-Ottawa Scale, NOS）、关键质量评估技能项目清单（Critical appraisal skills programme, CASP）；卫生经济学评价报告标准共识（Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards, CHEERS）