

卫生技术评估的审慎评议: HTAi/ISPOR 联合工作组的指南解读



吴雪¹, 张乐¹, 景城阳¹, 郭武栋², 廖星¹

1. 中国中医科学院 中医临床基础医学研究所 循证医学基础研究室 (北京 100700)

2. 国家卫生健康委卫生发展研究中心 (北京 100044)

【摘要】 国际卫生技术评估组织 (HTAi) 联合国际卫生经济学和成果研究专业协会 (ISPOR) 领导的工作组, 在前期研究的基础上发表了设计和实施卫生技术评估的审慎评议实践报告指南与附属清单。鉴于目前国内缺乏运用卫生技术评估 (HTA) 审慎评议方法开展的相关实践与报告, 因此本文对该指南和附属清单进行了详细解读, 以期为我国 HTA 及其审慎评议的实践和报告提供参考依据, 同时促进 HTA 方法的传播和应用, 推动国内 HTA 审慎评议能力及体制机制的建设。

【关键词】 卫生技术评估; 审慎评议; 指南; 清单; 设计和实施; 决策质量

Deliberative processes for health technology assessment: interpretation of the guideline from the Joint HTAi/ISPOR Task Force

WU Xue¹, ZHANG Le¹, JING Chengyang¹, GUO Wudong², LIAO Xing¹

1. Center for Evidence Based Chinese Medicine, Institute of Basic Research in Clinical Medicine, China Academy of Chinese Medical Sciences, Beijing 100700, P. R. China

2. China National Health Development Research Center, National Health Commission, Beijing 100044, P. R. China

Corresponding authors: GUO Wudong, Email: guowudong@hotmail.com; LIAO Xing, Email: okfrom2008@hotmail.com

【Abstract】 Health Technology Assessment International (HTAi), in conjunction with the International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR), initiated a joint Task Force and published guideline and a checklist for deliberative processes for health technology assessment (HTA). Currently, there is a lack of guidance for designing and implementing deliberative processes of HTA in China, so this paper performs a detailed interpretation of the guideline and checklist, with a view to providing a reference for China's HTA and deliberative process, in order to promote the dissemination and application of the HTA methodology, and advance the construction of domestic HTA deliberative processes capacity and institutional mechanism.

【Key words】 Health technology assessment; Deliberative processes; Guideline; Checklist; Designing and implementing; Quality of decision making

为了作出更好的知情决策, 世界各个国家和地区卫生技术评估 (health technology assessment, HTA) 团体/机构都在不断发展并持续完善 HTA 相关过程^[1], 目前公认可提高其推荐和决策质量的方法是审慎评议 (deliberative processes)。“deliberative”

指的是对某一问题进行批判性审查, 包括权衡赞同或反对某种观点/行为的理由, 它可以涉及个人或群体。而审慎评议指的是一个过程, 是众多利益相关方批判性地研究一个问题, 并针对该问题达成一致的意见, 从而为决策提供依据^[2]。审慎评议是许多中/高收入国家 HTA 项目的固定组成部分, 通过参与审慎评议的人员 (以下简称评议人员) 之间充分、理性交流, 能够帮助综合复杂的证据、观点和价值观, 以实现公开、透明和负责任的决策^[3]。这个过程旨在加深评议人员之间的相互了解, 明确诸如文化背景、学术观点等各方面差异, 并针对这些

DOI: 10.7507/1672-2531.202308128

基金项目: 国家自然科学基金项目 (编号: 82174239); 中国中医科学院科技创新工程项目 (编号: CI2021A00701-3、CI2021A05503); 中国中医药循证医学中心“业务研究室主任专项” (编号: 2020YJSZX-2); 中国中医科学院基本科研业务费优秀青年科技人才 (创新类) 培养专项 (编号: ZZ13-YQ-075)

通信作者: 郭武栋, Email: guowudong@hotmail.com; 廖星, Email: okfrom2008@hotmail.com



差异提出批判性的理解及解决办法。21 世纪以来, 审慎评议在医疗卫生优先设置领域中得到了推广应用^[4-6]。

通常来说, 大多数 HTA 团体/机构会针对 HTA 的设计或实施征求利益相关方的意见和/或咨询专家, 而审慎评议的重点是确保所有利益相关方以讨论和公开对话的方式参与其中。实施良好的审慎评议不仅可以明确评估卫生技术涉及的假设、证据和价值观, 还可以揭示实践中存在的挑战, 如组织方面的挑战, 这些信息对于促进高质量的决策具有重要意义。

针对 HTA 中的审慎评议, 相关指导性文献极少。现有的审慎评议核心原则主要针对药品报销建议^[3], 但该原则对于其他卫生技术的适用性尚不清楚。此外, 已发表合法化设计卫生福利计划指南^[7], 该指南旨在通过审慎评议改进 HTA 流程, 为 HTA 机构在其决策过程中实施合理问责制提供一种实用步骤。目前几乎没有文件和研究来为开展有效及高效的审慎评议提供明确的指导意见并评估其质量。

因此, 在前期工作的基础上, 国际卫生技术评估组织 (Health Technology Assessment International, HTAi) 与国际卫生经济学和成果研究专业协会 (International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research, ISPOR) 领导的联合工作组制订了本指南和附属清单^[8], 其目的主要有两点: ① 制订 HTA 流程的管理方法和框架 (即关于 HTA 流程的审慎评议); ② 管理实施 HTA 过程中的各个阶段 (即 HTA 实施过程中的审慎评议)。本文对该指南和清单的制订背景、重点内容、使用方法进行解读, 通过解析其内涵来推动我国 HTA 相关研究工作的顺利实施与传播推广。

1 指南的制订背景

1.1 指南的制订过程

该指南和附属清单的制订基于 ISPOR 的“良好实践报告”^[9]。由两位联合主席草拟提案, 并于 2020 年 5 月通过了 HTAi 和 ISPOR 董事会的审查和批准。联合主席随后根据专业知识、地域代表性和工作环境邀请了符合条件的工作组成员。该小组自成立之日起至 2021 年 12 月, 每月固定开展工作组成员的互动交流会, 并在 2021 年 6 月和 7 月的小组会议上, 向 HTA 专家和 HTA 机构代表汇报了中期结果。最后以书面审查的形式, 通过两轮正式的同行评审, 确定了最终的指南草案。

1.2 指南的目标受众

该指南的核心受众是负责建立和/或管理 HTA 流程的行政和立法部门, 特别是 HTA 机构/团体。鉴于不同社会背景下的 HTA 行政人员拥有不同程度的自主权和独立性, 目标受众可以根据当地社会背景下的法律法规等, 选择适当的使用方法。次要受众是利益相关方, 比如有利益相关方想了解审慎评议的内容以及参与审慎评议的方式; 此外, 研究人员也可以用它来评估审慎评议的质量或完整性, 或者用于不同 HTA 机构之间审慎评议的比较。

1.3 HTA 审慎评议的定义与内容

该指南制订之初, 对 HTA 审慎评议并没有公认的定义, 因此工作组首先定义 HTA 审慎评议是通过对待解决的问题进行详细剖析与批判性的审查, 来权衡当前的证据与存在的问题, 用以指导随后的决策。HTA 审慎评议包括 HTA 审慎评议的程序 (如方案、流程等)、活动 (如培训、教育等) 和事件 (如会议、问卷调查、访谈等)。

审慎评议可以用来提供意见、建议或推荐等, 也可以用来帮助了解针对特定问题的不同观点, 找到可能存在冲突的价值观, 最终达成对最终决策者有价值的决议, 包括不一致的决议。这些价值观和观点通常来自参与审慎评议的利益相关者 (如患者、公众/公民、医疗保健服务人员、支付者、卫生技术的生产者 and 创新者、主要研究人员、政策制定者) 和专家 (如药物、法律、伦理学、经济学、流行病学、生物工程和临床医学领域)。

除此之外, 审慎评议还包括对一般因素的考虑和审查, 如审查评议人员的身份、决策标准、可能存在的冲突、成本和收益的范围及判定标准, 对公平性和公众可接受性等相关因素的衡量, 以及对最佳使用证据的准确解释、审慎评议结果的传播与实施等。

2 指南的内容及使用方法

2.1 指南的具体内容

该清单由 6 个阶段组成, 每个阶段都包含相应的问题。这些问题涵盖了开展审慎评议最低限度的考虑因素, 使用者应该仔细核对并回答。同时要注意, 该清单并非评分工具, 而是为了帮助使用者对 HTA 及其审慎评议进行审查, 确定是否存在需要改进的步骤。图 1 展示了 HTA 审慎评议的应用范围与实施步骤。完整清单翻译见附件表 1。清单中用“*”标记了 HTA 审慎评议的核心问题, 即审慎评议需要考虑的最关键且必要的因素。

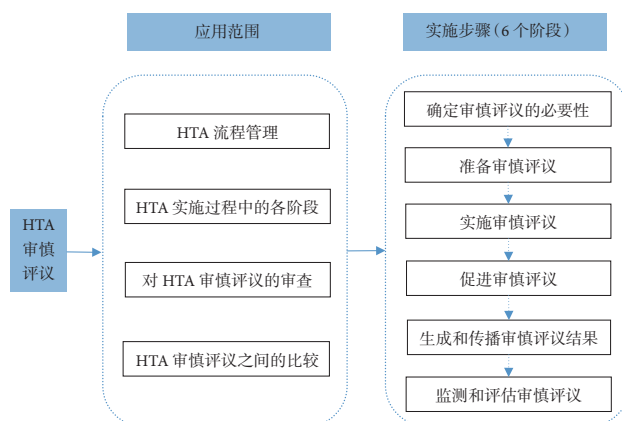


图1 HTA 审慎评议的应用范围与实施步骤

2.2 内容解读与示例

2.2.1 确定审慎评议的必要性 审慎评议的必要性取决于其目标、预期结果和范围，作为审慎评议的第一个阶段需要回答3个问题。

2.2.1.1 为什么要进行审慎评议？ 审慎评议中评议人员通过充分的沟通交流，整合所有证据、观点和价值观，从而帮助更新或修改决策意见。通过审慎评议可以：① 带给评议人员一定程度的影响力以及对最终产出的所有权；② 扩展当前证据；③ 帮助利益相关者判断当前 HTA 程序是否公平，即使结果可能与他们的个人意见相反^[5,10,11]；④ 产生更具兼容性、框架更优化、更平衡、更可行的评估结果，增加评估机构及其决策的可信度^[12]。

2.2.1.2 审慎评议的预期结果是什么？ 审慎评议的预期结果包括：① 评议人员之间的观点交流以及可能的意见转变情况；② 达成一致的意見，为集体决策奠定基础；③ 可能产生支持或反对结果的依据，以及审慎评议后对结果的修订；④ 加强评议人员之间的相互尊重和理解。相比之下，共识法只能产生建议或推荐等集体决策意见^[5,10]。

2.2.1.3 审慎评议的范围是什么？ 如图1所示，从 HTA 总体流程的审慎评议到 HTA 过程中各阶段的审慎评议，审慎评议可以为评估机构/团体内部、不同机构/团体之间的一系列 HTA 相关流程提供信息。

其中，对 HTA 流程的审慎评议会受到医疗保健决策的历史、社会文化、政治、经济和体制背景等因素的影响，这使得评估机构的自主权、授权、职责和管理方式各不相同^[13]。因此，是否以及在什么阶段进行审慎评议，取决于对其收益的判断^[14]，而这个判断一般由特定的评议人员做出，如地区行政人员或卫生部。在加拿大，Abelson 等^[15]为 HTA 机构的流程制订了一个公众和患者参与的框架，用

来解决省级决策问题。HTA 机构工作的深度和复杂度可能决定开展审慎评议的程度^[16]。

在实施 HTA 过程的各阶段中，也存在各种问题，例如与审慎评议实践相关的潜在问题、解释和评估经验信息的方法、与决策相关的价值观，以及这些价值观对于审慎评议的意义等。当针对这些问题出现意见分歧时，就需要进行审慎评议^[12,17]。

2.2.2 准备审慎评议 第二阶段同样需要回答3个问题。环境因素、指导原则、以及应该记录哪些内容并将其传达给公众，是准备审慎评议的重要考虑因素。

2.2.2.1 哪些环境因素与审慎评议相关？ 内部和外部环境因素会影响审慎评议的类型和范围^[18]。内部因素包括：管理方式、领导和组织文化、财政限制、当地信息的可获得性、评议人员的可用性、应用 HTA 方法的知识和技能、以及执行 HTA 和传达 HTA 决策的能力或财政资源^[19]。外部因素包括：将 HTA 证据纳入决策机制的能力、HTA 在决策中的作用、以及法律或政策当局的授权^[19]。

外部环境因素还包括利益相关方的影响。提倡尽可能让更多的利益相关方参与 HTA 流程，同时在决策中应用更具兼容性的平衡标准^[20]。如果无法平衡众多利益相关方带来的影响，可能会降低沟通效率^[21]，甚至给患者带来伦理挑战^[22]，增加延误或决策失误的风险^[23]。此外，通过审慎评议确定的关于使用卫生技术的决策，有特定的环境因素限制，推广时需要谨慎考虑其适用性^[24]。

此外，HTA 基础建设是开展审慎评议的最低要求，如保持透明度、利益相关方参与和决策者合理问责制^[19]。审慎评议的实施无法对不同环境背景下的决策做出相同的改变，内部和外部因素的差异会限制其实施。明确可能阻碍审慎评议有效实施的因素，才能够减轻或克服这些障碍。减轻这些障

碍的方法包括在政策或实践中使用 HTA 意愿的政策声明,以及制订透明的审慎评议程序(即使结果需要保密),例如公布评议人员名单、利益冲突声明以及实践过程。

大多数低中等收入国家正处于开发 HTA 体系的早期阶段,可以吸取当前的经验教训^[7]。相比之下,大部分高收入国家已经建立了相对更难改变的机构和流程^[25,26],这些国家可能需要采取一定的方法来评估当前的审慎评议,然后确定可以改进的方面。

2.2.2.2 指导原则是什么? 指导原则旨在指导审慎评议的设计和实施,如 HTA 资源缺乏时,保证 HTA 的效率即是重要原则。同时,原则应该符合审慎评议的预期目标,如透明性、公平性和兼容性等价值观,是与药品覆盖决策的审慎评议相关的重要程序性原则^[9]。其他价值观可能包括及时性、一致性和可验证性。不同的价值观可以应用于 HTA 过程的各个阶段,且可能发生冲突。

原则及其相关价值观的选择和应用可能会受到当地环境的影响,因为不同的决策者可能有不同的目标,不同的部门对(需要)审慎评议持不同的态度。例如,一些国家的技术生产商常年通过向 HTA 机构提交报销决策档案来确定评估主题,而其他主题则是在患者、付款人、卫生部官员、医疗保健管理人员和临床专家的参与下被提名和选择的^[27]。

2.2.2.3 哪些内容需要记录并向公众传达? 审慎评议的必要性、指导原则、实施和促进审慎评议的关键要素都需要记录,并向公众传达,如职权范围、结果产出、使用方式以及对其监测和评估。这些记录还将有助于共享最有效的设计特征,帮助推广 HTA 机构的标准。

2.2.3 实施审慎评议 这一阶段包括 9 个问题。实施审慎评议时需要考虑评议人员的选择、开放程度、形式、时间范围和审慎评议规则等方面。

2.2.3.1 哪些人参与审慎评议? 参与审慎评议的评议人员主要是利益相关者和/或专家,其身份和招募方法在很大程度上取决于审慎评议的内容、目标和预期结果,应仔细考虑。形式上可以常设委员会成员的身份参与,其他模式包括共识会议、公民论坛和代表性审慎评议民主平台等。评议人员的人数由审慎评议的目标和原则决定,尽管通常认为 10~15 名评议人员是多学科咨询委员会的有效人数^[28],但也有学者表示,“不存在构成理想规模群体的神奇数字”,因此必须在质量和速度之间进

行权衡^[29]。例如当正在研究的卫生技术出现重大伦理问题时,应扩大评议人员规模,纳入更多相关视角,耗费更多的时间来审慎评议,可能产生更高质量的结果,且更有可能增强结果的信任度和合法性。

在实践中,HTA 机构设有常设审慎评议委员会,常由 9~29 名成员组成。HTA 机构应该平衡主要需求与行政负担和群体效率。该群体的形式和组成以及拥有投票权的人因社会等背景不同也有所不同。公开评议人员名单,阐明利益冲突和报告冲突的方法,将增强审慎评议的合法性。而且,要求所有评议人员在每次会议之前进行利益声明也是确保其有效参与审慎评议的常用方法^[30]。

2.2.3.2 怎样的成员安排能够进行有效的审慎评议? 建立特设小组可能适用于审慎评议总体 HTA 流程,而 HTA 过程中的审慎评议通常涉及一个或多个常务委员会,当然也可以二者结合。如一些协会在常设委员会会议上有代表,在特定议题上有参与权。

2.2.3.3 如何选择评议人员? 选择和确定评议人员有两种方式:通过公开的流程和面试、通过搜集信息锁定相关群体。HTA 机构可以使用广告或邀请这两种方式来实现。

2.2.3.4 观点怎样被代表? 评议人员可代表群体观点或只表达个人观点^[31]。HTA 机构需要决定如何考虑难以获得或代表性不足的观点(例如来自少数群体的观点),以及这些观点如何为审慎评议结果提供信息(即谁的选票有效,以及建议或决策的权重)。例如,越来越多的患者以及公众/公民参与 HTA 过程,尽管二者提供的是不同视角的观点^[32],但人们倾向于将患者和公众/公民放在一起考虑^[33],且如何最好地获取这两种观点目前尚未有定论^[11,15,33]。患者参与的挑战涉及与知情同意和选择偏倚相关的伦理问题,如加拿大药品和技术卫生署强调防止一些患者的声音“主宰过程”^[34]。此外,一些 HTA 机构使用独立的公民陪审团或小组来为专家讨论提供信息^[35],还有一些机构则通过组建咨询委员会来代表公众观点。

就公众参与而言,实现有效审慎评议的关键因素包括:① 可靠性,即提供有效的相关知识的能力;② 合法性,即代表受医疗保健决策影响的其他人发言的能力;③ 效力,即影响医疗保健选择的能力^[36]。澳大利亚一项对公众期望的探索研究表明,公众希望 HTA 流程包括个人的多元性,保持独立透明,让个人尽早参与到这个过程中,并确保公众的意见对这个过程有意义以及有用^[32]。

2.2.3.5 如何公开评议人员的身份? HTA 机构必须决定是否以及如何公开评议人员的身份。公开评议人员身份, 他们的利益相关程度, 以及如何决定和解决分歧, 将增强审慎评议过程的合法性。HTA 机构还需要考虑到, 这些信息完全透明可能会涉及评议人员的隐私问题, 以及媒体关注或来自利益相关方的压力^[37]。

2.2.3.6 审慎评议是否公开? HTA 机构必须明确审慎评议记录是否公开。审慎评议可以向公众公开, 可以保密, 也可以二者结合。尽管公开会增加透明度, 但完全透明同样可能会引发一些评议人员的策略性行为。

2.2.3.7 审慎评议形式和范围长度? (两个问题) 审慎评议的形式可以是线上和/或线下。评议人员可以在一次会议上、几次会议上, 同一时间或不同时间进行沟通交流。相对来说, 线下面对面审慎评议可能更加有利于评议人员之间的沟通交流, 同时需要注意减少评议主席或占主导地位的评议人员对决策的过度影响, 以最大限度地避免群体决策失误^[38]。方法包括名义小组法、建立共识法和专家咨询技术。然而, 目前这些方法很少被 HTA 机构使用^[39]。HTA 机构还应决定审慎评议的严格程度, 并基于现有资源确定其可行性。

2.2.3.8 审慎评议的规则是什么? 制定规则需要考虑审慎评议的目标、评议人员以及他们的参与方式。审慎评议规则可以包括: ① 时间范围, 评议人员交流观点的方式; ② 需要讨论的具体信息或主题的内容。审慎评议规则对审慎评议结果的影响远大于所涉及的评议人员或所考虑的信息^[40]。当同时有多个审慎评议论坛会, 需要保持方法的一致性时, 审慎评议规则就显得尤其重要。

对于旨在提供意见、建议或推荐的审慎评议来说, 采用的审慎评议方法非常重要。如关于药品覆盖决策, HTA 机构使用建立共识(如荷兰), 多数表决制(如法国和苏格兰), 或两者兼有(如澳大利亚、巴西和英格兰)。而这类审慎评议需要考虑如何解决意见分歧, 其中使用较多的方法是多数表决制。相比之下, 如果目标是拓展证据、加强评议人员之间的相互尊重和理解、了解他们的观点或分歧等, 则更多地强调运用参与式对话的方法。

2.2.4 促进审慎评议 这一阶段涉及 7 个问题。

2.2.4.1 如何促进审慎评议中的意见交流? 评议人员之间的能力差异, 包括性别、财富、种族、组织资历和教育程度等, 是有效审慎评议面临的挑战^[41,42]。解决能力差异在一定程度上需要评议人员

之间充分沟通, 一般由评议主席/主持人来确定所有评议人员的偏好和基本信仰, 促进评议人员之间相互了解。然而, 评议人员可能会因社会压力而顺应群体的意愿^[40], 他们容易受到认知或确认偏差的影响, 进而受到社会影响^[43]。此外, 小组中占主导地位的个别成员可能会主导决策, 因此需要严格权衡交流方式^[44]。

2.2.4.2 将向评议人员提供哪些信息? HTA 机构需要考虑向评议人员提供信息的数量和类型, 何时提供, 如何收集、解释和传达。为确保审查效率, 需要向所有评议人员提供一整套完整的信息, 而不是经过编辑或凝练的概述, 这些信息可以包括除综合报告之外的原始临床研究、经济模型, 或其他相关信息(如通过访谈、临床综述和评估清单结果收集的基于患者的证据)等。

如果使用指南/标准来指导决策或建议, HTA 机构需要提供涉及这些指南的标准化摘要或清单。清单类似于已发表的研究中使用的参考标准^[45], 也可以针对特定的司法背景量身定制。同时, 为了减少为评议人员解释或综合信息时出现错误, 可以进一步对参考标准进行解释(例如分析共识指南, 如澳大利亚)。评议人员也将在综合信息或解释信息中更加充分地了解审慎评议。

2.2.4.3 评议人员将考虑哪些信息, 如何审查和修改信息? (两个问题) 如上文所述, 通常通过制定审慎评议规则来确定提供的信息, 如限定审查信息, 同时禁止评议人员在审慎评议期间引入新的或修改过的、超出范围的信息。

2.2.4.4 如何提供信息? 确保有效参与需要评议人员对现有信息有明确一致的理解^[41]。通常通过使用适当的媒介(书面和/或口头)、汇报结构、清晰的语言, 以促进评议人员对所提供的信息, 包括科学证据的有效理解。在介绍复杂的技术信息时, HTA 机构需要考虑评议人员的相关知识水平, 并提供适当的帮助, 如开展培训或情况介绍会, 以确保交流不会因知识水平不同而受限。

2.2.4.5 为评议人员提供哪些具体支持? HTA 机构需要考虑是否向评议人员提供报酬以及提供何种报酬, 这会提高评议人员的参与意愿、促进更好的参与。工具和清单可能有助于进行有效的审慎评议, 目前已有为 HTA 机构提供的清单, 以促进利益相关者的参与^[46]。

2.2.4.6 是否制订了全面的职权范围? 为了增强公众信任并促使(实施)审慎评议的关键方面透明化, 应详细划分职权范围并向公众公布。职权范围

界定审慎评议的目的、范围、结果和结构。本指南建议在此类文件解决清单(附件表1)中标“*”的问题,并定期进行审查,如每3~5年一次。

2.2.5 生成和传播审慎评议结果 这一阶段包括3个问题,如报告和传播审慎评议的过程、结果、重议其结果的机制。

2.2.5.1 如何报告和传播审慎评议的过程和结果?

评估机构可以使用视频(直播或公开录制)和会议记录的形式来记录审慎评议的过程和结果,并向所有相关的利益相关者报告会议的全部内容或摘要。此外,快速向提交卫生技术档案的组织传达结果,是上诉或重议过程的重要组成部分。鉴于快速、简略的报告可能会遗漏一些特定考虑因素的信息^[36],提供完整的记录有助于所有未参与审慎评议的利益相关者更好地了解审慎评议中可能出现的特定情况。

2.2.5.2 如何重议审慎评议的结果? 可能的重议机制包括上诉、修订和补充审慎评议。与这些机制相关的任何程序都可能因司法背景的差异而有所不同。一些HTA机构,如韩国的健康保险审查和评估服务^[47]、英国的国家卫生与保健卓越研究所等已经建立了提出上诉的机制或指南^[48]。上诉是指利益相关方能够申请修改结果,由提出上诉的个人或机构/团体提出论据,然后得到相应的回复^[49]。对于没有做出决策的审慎评议,当外部专家和利益相关方提供了新的信息时,就需要对观点进行审查和修订,包括补充审慎评议。

2.2.5.3 审慎评议的最终结果如何传播? 宣传的目的是传播审慎评议的结果以及得出结果的方法。HTA机构应通过各种渠道和方法,针对所有利益相关者,确保审慎评议结果得到良好宣传。这些渠道和方法包括:官方文件(如官方期刊)、相关组织的网站、政策简报、时事通讯以及社交媒体上的新闻词条等。有时还需要考虑针对不同受众的信息种类和详细程度。例如,卫生技术开发人员可能希望获得更多有关评估证据争议点的详细信息,以便为重新提交或上诉进行规划;而患者可能更感兴趣的是决策对使用权的影响,以及可能采取的下一步措施。

2.2.6 监测和评估审慎评议 监测和评估是必要的,用以确定审慎评议是否实现了预期目标/变化,明确实施较好的方面,以及可能需要改进的方面与方法。这一阶段涉及5个问题。

2.2.6.1 审慎评议的预期变化是否实现,它是否符合已建立的卫生系统和/或HTA机构的价值观或原

则?(两个问题) HTA机构应首先系统描述在其背景下,如何实现审慎评议的预期目标,包括相应的资源投入以及此类变化的理由。HTA机构可以评估卫生系统的价值观、审慎评议指导原则是否得到维护;可以对审慎评议的结果进行评估,以评估预期变化的确立程度。

2.2.6.2 如何衡量实施审慎评议的预期变化? 可以通过问卷调查、访谈^[50]、文件审核或召开评议人员现场会议。HTA机构可以就证据报告的制订过程、专家和利益相关者对该过程的公平性、透明度、及时性以及参与程度和影响等征求反馈意见^[51]。

2.2.6.3 如何评估实施审慎评议的预期变化? 监测和评估需要明确由谁进行评估,如何进行评估,以及可以使用哪些工具。除了让评议人员参与之外,咨询外部人士(如独立评估员)可以为评估提供公正的观点。让谁参与主要取决于监测是临时性的,还是更常规性的嵌入到评估HTA其他阶段的框架中。监测和评估方法可以融入到HTA机构的现有监测和评估框架中。HTA机构可以考虑开发或改编已有工具,如使用清单或问卷来获取反馈意见。另外,也可考虑采用定性方法,如对直接/间接参与审慎评议的主要利益相关方进行焦点小组和深度访谈,来进行特别评估。

2.2.6.4 哪些指标将用于监测和评估审慎评议?

附件表2中列出了本指南建议的监测和评估审慎评议的指标、参与的利益相关者以及方法。负责监测和评估者可以对其进行调整,针对每种情况制定具体的措施,这些措施可以是定性的或定量的,调整的过程同样可以通过审慎评议来完成。

3 讨论

该指南首次明确提出了HTA审慎评议的定义,清单汇集了审慎评议的6个阶段,列出了一系列的关键问题,标注了开展HTA审慎评议最低限度的考虑因素和设计特征,并且尽可能地结合了现有HTA实践或文献的实例进行阐释。为建立或改进适合当地环境的HTA审慎评议提供了一个实用工具,这一工具不仅可用于对HTA流程的审慎评议,帮助制定HTA流程的管理方法,还可以用于对HTA过程中各个阶段的审慎评议,来管理HTA过程的各个环节,甚至还可用来对HTA审慎评议本身进行独立审查。不仅为制订有效/高效的审慎评议提供明确的指导意见,帮助检测与评估其质量;更使得设计和实施适合本地环境的HTA审慎评议程序变得更加可行。

我们进一步对该指南/清单的应用情况进行文献检索,检索数据库包括 CNKI、WanFang Data、PubMed、Web of Science。中文检索词为:卫生技术评估、审慎评议;英文检索词为:health technology assessment、deliberative processes。检索时限均为建库至 2023 年 7 月 13 日,不设置语言限制。筛选标准为:纳入应用该指南和/或清单进行 HTA 审慎评议的实例研究;发表时间为 2022 年 6 月至 2023 年 7 月 13 日;排除重复、无法获取全文的文献。筛选后发现该指南发布至今仅有 1 项实例研究对其进行了参考应用并报告^[52]。该研究由西班牙加那利群岛拉斯帕尔马斯大学发表于 2023 年,旨在分析西班牙药品 HTA 审慎评议的实施水平,通过遵循 HTA 审慎评议清单(附件表 1)中的关键问题来评估西班牙 HTA 过程中审慎评议的整体情况,了解审慎评议的基本原则,并参照清单列出的关键问题对研究结果进行了报告。然而该研究的主题仅为药品 HTA 审慎评议,对于其他类型的卫生技术尚未发现任何相关已发表文献。其次,该研究仅对清单中的关键问题进行了报告,未形成完整的清单问题报告。因此我们认识到,有详细记录的 HTA 审慎评议仍在发展,在实践中因各种因素限制无法得到规范化的应用,或许也缺乏充分的观察与详细记录。

这可能与应用指南的一些局限性相关。HTA 审慎评议的最终收益(包括决策、建议或推荐等)与可能的成本、管理能力,以及决策的及时性密切相关^[8]。然而想要在审慎评议中保证一定程度的严谨性与规范性,来达到预期目标,其代价/成本是非常高昂的,并且未必能够实现。各种环境因素可能阻碍实施审慎评议的可行性,并限制其对合法决策的贡献。此外,各国 HTA 及其审慎评议的能力建设均处在不断发展阶段,信息交流与传播的及时性无法得到保障。因此在实际操作中缺乏完善的 HTA 审慎评议,对此我们呼吁已经实施了 HTA 审慎评议的机构/团体,积极通过各种渠道分享与传播经验,来帮助进一步优化该指南和附属清单,同时为那些打算使用该指南/清单的机构/团体提供参考与借鉴。

在我国,近年来 HTA 在卫生保健决策中发挥着越来越重要的作用,然而 HTA 及其审慎评议的进一步发展及实施面临着潜在的挑战,包括缺乏使用 HTA 支持决策的政策安排,HTA 工作人员和专业人员知识不足,数据可用性/可访问性较低,缺乏标准化的方法和质量控制措施,以及将多层面评估纳入

审慎评议的挑战等^[53]。本指南/清单为我国 HTA 审慎评议的实施提供了综合考量各利益相关方观点的框架和系统指导,尤其是对社会公众和患者的价值偏好的考量,这为我们优化 HTA 政策安排,促进标准方法和质量控制措施的完善提供了可能的参考依据,未来我们应积极参考该指南/清单尝试开展 HTA 审慎评议工作,提高我国 HTA 的决策质量。

综上所述,该指南/清单针对 HTA 总体流程的审慎评议、HTA 过程中各个阶段的审慎评议所涉及的系列问题进行了详细的阐述说明,为设计和实施 HTA 审慎评议程序、促进有效/高效的卫生决策提供了明确的参考依据。同时为解决我国 HTA 审慎评议发展中面临的挑战,提供了可行的方法指导。然而,该指南/清单当前应用不足,尚缺乏系统规范的实例应用与详细报告,未来我们应积极运用该指南/清单进行 HTA 的审查与报告,提高 HTA 的决策质量。

参考文献

- 1 Kolotourou K, Ermacora P, Grosvenor A. The evolution of European HTA and access to innovative medicines. *J Comp Eff Res*, 2019, 8(5): 275-278.
- 2 Gauvin FP. What is a deliberative process? The National Collaborating Centre for Healthy Public Policy, 2009.
- 3 Bond K, Stiffell R, Ollendorf DA. Principles for deliberative processes in health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care*, 2020, 36(4): 445-452.
- 4 Dobrow MJ, Culyer T, Lemieux-Charles L, et al. Designing deliberative methods for combining heterogeneous evidence: a systematic review and qualitative scan. Ottawa: Canadian Health Services Research Foundation, 2009.
- 5 Abelson J, Forest PG, Eyles J, et al. Deliberations about deliberative methods: issues in the design and evaluation of public participation processes. *Soc Sci Med*, 2003, 57(2): 239-251.
- 6 Jonathan L, Tony C, Chris M, et al. Conceptualizing and combining evidence for health system guidance. Ottawa: Canadian Health Services Research Foundation, 2005.
- 7 Oortwijn W, Jansen M, Baltussen R. Evidence-informed deliberative processes. A practical guide for HTA bodies for legitimate benefit package design (2nd edition). Nijmegen: Radboud University Medical Center, 2021.
- 8 Oortwijn W, Husereau D, Abelson J, et al. Designing and implementing deliberative processes for health technology assessment: a good practices report of a joint HTAi/ISPOR Task Force. *Value Health*, 2022, 25(6): 869-886.
- 9 Malone DC, Ramsey SD, Patrick DL, et al. Criteria and process for initiating and developing an ISPOR Good Practices Task Force report. *Value Health*, 2020, 23(4): 409-415.
- 10 Organisation for Economic Cooperation and Development (OECD). Innovative citizen participation and new democratic institutions catching the deliberative wave. Paris: OECD Publishing, 2020.



- 11 Boothe K. "Getting to the Table": changing ideas about public and patient involvement in Canadian drug assessment. *J Health Polit Policy Law*, 2019, 44(4): 631-663.
- 12 Solomon S, Abelson J. Why and when should we use public deliberation. *Hastings Cent Rep*, 2012, 42(2): 17-20.
- 13 Yesilkagit K, Christensen JG. Institutional design and formal autonomy: political *versus* historical and cultural explanations. *J Public Adm Res Theory*, 2009, 20(1): 53-74.
- 14 Landwehr C, Böhm K. Delegation and institutional design in health-care rationing. *Governance*, 2011, 24: 665-688.
- 15 Abelson J, Wagner F, DeJean D, *et al.* Public and patient involvement in health technology assessment: a framework for action. *Int J Technol Assess Health Care*, 2016, 32(4): 256-264.
- 16 Glassman A, Chalkidou K, Giedion U, *et al.* Priority-setting institutions in health: recommendations from a center for global development working group. *Glob Heart*, 2012, 7(1): 13-34.
- 17 Culyer AJ. Deliberative processes in decisions about health care technologies: combining different types of evidence, values, algorithms and people. Office of Health Economics, 2009.
- 18 Pichon-Riviere A, Augustovski F, García Martí S, *et al.* The link between health technology assessment and decision making for the allocation of health resources in Latin America. *Int J Technol Assess Health Care*, 2020, 36(2): 173-178.
- 19 Kapiriri L, Baltussen R, Oortwijn W. Implementing evidence-informed deliberative processes in health technology assessment: a low income country perspective. *Int J Technol Assess Health Care*, 2020, 36(1): 29-33.
- 20 Pichon-Riviere A, Soto N, Augustovski F, *et al.* Stakeholder involvement in the health technology assessment process in Latin America. *Int J Technol Assess Health Care*, 2018, 34(3): 248-253.
- 21 Mohara A, Youngkong S, Velasco RP, *et al.* Using health technology assessment for informing coverage decisions in Thailand. *J Comp Eff Res*, 2012, 1(2): 137-146.
- 22 Vanstone M, Abelson J, Bidonde J, *et al.* Ethical challenges related to patient involvement in health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care*, 2019, 35(4): 253-256.
- 23 Pichon-Riviere A, Soto NC, Augustovski FA, *et al.* Health technology assessment for decision making in latin america: good practice principles. *Int J Technol Assess Health Care*, 2018, 34(3): 241-247.
- 24 Kleinhout-Vliek T, de Bont A, Boysen M, *et al.* Around the tables - contextual factors in healthcare coverage decisions across western Europe. *Int J Health Policy Manag*, 2020, 9(9): 390-402.
- 25 Boers M. Governance of European cooperation processes in health technology assessment. Rotterdam: Erasmus University, 2020.
- 26 Have AT, Oortwijn W, Broos P, *et al.* European cooperation on health technology assessment: economic and governance analysis of the establishment of a permanent secretariat. 2013.
- 27 European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA). An analysis of HTA and reimbursement procedures in EUnetHTA partner countries: final report. 2017.
- 28 Moynihan R, Oxman AD, Lavis J, *et al.* A review of organizations that support the use of research evidence in developing guidelines, technology assessments, and health policy, for the WHO Advisory Committee on Health Research. Oslo: Norwegian Knowledge Centre for the Health Services, 2006.
- 29 Rothwell JD. In mixed company: communicating in small groups and teams (8th edition). Boston: Harcourt College Publishers, 2013.
- 30 Wranik WD, Zielińska DA, Gambold L, *et al.* Threats to the value of Health Technology Assessment: qualitative evidence from Canada and Poland. *Health Policy*, 2019, 123(2): 191-202.
- 31 Fox J, Shotts KW. Delegates or trustees. A theory of political accountability. *J Polit*, 2009, 4(71): 1225-1237.
- 32 Wortley S, Tong A, Howard K. Community views and perspectives on public engagement in health technology assessment decision making. *Aust Health Rev*, 2017, 41(1): 68-74.
- 33 Werkö SS, Staniszewska S. Patient and public involvement in health technology assessment: a new dawn. *Int J Technol Assess Health Care*, 2021, 37(1): e54.
- 34 Bidonde J, Vanstone M, Schwartz L, *et al.* An institutional ethnographic analysis of public and patient engagement activities at a national health technology assessment agency. *Int J Technol Assess Health Care*, 2021, 37: e37.
- 35 Bombard Y, Abelson J, Simeonov D, *et al.* Eliciting ethical and social values in health technology assessment: a participatory approach. *Soc Sci Med*, 2011, 73(1): 135-144.
- 36 Boivin A, Lehoux P, Burgers J, *et al.* What are the key ingredients for effective public involvement in health care improvement and policy decisions. A randomized trial process evaluation. *Milbank Q*, 2014, 92(2): 319-350.
- 37 Chwalisz C. Good practice principles for deliberative processes for public decision making. In: innovative citizen participation and new democratic institutions. Paris: OECD Publishing, 2020.
- 38 Mendonça RF, Ercan SA, Asenbaum H. More than words: a multidimensional approach to deliberative democracy. *Polit Stud*, 2020, 70(1): 153-172.
- 39 Peel A, Jenks M, Choudhury M, *et al.* Use of expert judgement across NICE guidance-making programmes: a review of current processes and suitability of existing tools to support the use of expert elicitation. *Appl Health Econ Health Policy*, 2018, 16(6): 819-836.
- 40 Janis IL. Groupthink: psychological studies of policy decisions and fiascoes (2nd edition). Boston: Houghton Mifflin, 1982.
- 41 Shayo EH, Norheim OF, Mboera LE, *et al.* Challenges to fair decision-making processes in the context of health care services: a qualitative assessment from Tanzania. *Int J Equity Health*, 2012, 11: 30.
- 42 Gibson JL, Martin DK, Singer PA. Priority setting in hospitals: fairness, inclusiveness, and the problem of institutional power differences. *Soc Sci Med*, 2005, 61(11): 2355-2362.
- 43 Kao AB, Berdahl AM, Hartnett AT, *et al.* Counteracting estimation bias and social influence to improve the wisdom of crowds. *J R Soc Interface*, 2018, 15(141): 20180130.
- 44 Kahan JP, Morton SC, Farris HH, *et al.* Panel processes for revising relative values of physician work. A pilot study. *Med Care*, 1994, 32(11): 1069-1085.
- 45 Simera I, Moher D, Hoey J, *et al.* The EQUATOR Network and reporting guidelines: helping to achieve high standards in reporting health research studies. *Maturitas*, 2009, 63(1): 4-6.
- 46 Jansen MPM, Baltussen R, Bærøe K. Stakeholder participation for legitimate priority setting: a checklist. *Int J Health Policy Manag*, 2018, 7(11): 973-976.
- 47 Bae EY, Hong JM, Kwon HY, *et al.* Eight-year experience of using HTA in drug reimbursement: South Korea. *Health Policy*, 2016, 120(6): 612-620.

- 48 National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Guide to the technology appraisal and highly specialised technologies appeal process. 2023.
- 49 Sibbald SL, Singer PA, Upshur R, *et al.* Priority setting: what constitutes success. A conceptual framework for successful priority setting. *BMC Health Serv Res*, 2009, 9: 43.
- 50 Mercer RE, Chambers A, Mai H, *et al.* Are we making a difference? A qualitative study of patient engagement at the pan-canadian oncology drug review: perspectives of patient groups. *Value Health*, 2020, 23(9): 1157-1162.
- 51 Oortwijn W, Determann D, Schiffers K, *et al.* Towards integrated health technology assessment for improving decision making in selected countries. *Value Health*, 2017, 20(8): 1121-1130.
- 52 Pinilla-Dominguez P, Pinilla-Dominguez J. Deliberative processes in health technology assessment of medicines: the case of Spain. *Int J Technol Assess Health Care*, 2023, 39(1): e50.
- 53 Chen Y, Zhao K, Liu G, *et al.* Health technology assessment to inform decision making in China: progress, challenges, and sustainability. *BMJ*, 2023, 381: e068910.

收稿日期: 2023-08-23 修回日期: 2023-09-25

本文编辑: 张洋