

# 基于英国 NICE 发布的新型医疗器械 早期价值评估 (EVA) 的思考

康海华 刘 丽<sup>通讯作者</sup>

(中国食品药品检定研究院 北京 102629)

**【摘要】**英国 NICE 发布了基于数字医疗产品、新型医疗器械及诊断产品的早期价值评估 (EVA) 方法。该方法是在卫生技术评估 (HTA) 的基础上, 针对那些有潜力和影响力的医疗技术, 允许更快速进行评估临床有效性和社会经济性的创新方法。新型医疗器械和大量数字健康技术涌入市场, 相较于药品, 其在临床证据产生、产品更新迭代速度、监管方式等方面均存在差异。我国开展 HTA 的研究时间较短, 尤其是针对医疗器械及诊断产品的 HTA 更少, 缺少系统性的评估指导原则。本文就基于英国 NICE 发布的 EVA 创新方法进行分析, 提出了几点具体建议, 以期提供参考与帮助, 推动我国医疗器械和诊断产品的 HTA 科学、合理发展。

**【关键词】**英国 NICE; 医疗器械; 早期价值评估

## Consideration on Early Value Assessment (EVA) of New Medical Devices Published by NICE in the UK

Haihua Kang Li Liu<sup>Corresponding author</sup>

(National Institutes for Food and Drug Control, Beijing, 102629)

**[Abstract]** The UK NICE published the Early Value Assessment (EVA) method for evaluating the value of digital medical products, new medical devices, and diagnostic products. This method is based on Health Technology Assessment (HTA) and allows for a faster evaluation of the clinical effectiveness and socio-economic feasibility of potentially impactful medical technologies. With the influx of new medical devices and digital health technologies in the market, there are differences in clinical evidence generation, product update iteration speed, and regulatory approaches as compared to drugs. China's HTA research in this area is relatively new, especially for medical devices and diagnostic products, and lacks systematic evaluation guidelines. Based on the innovative EVA method published by NICE, this article analyzes and provides several specific recommendations to promote the scientific and rational development of HTA for medical devices and diagnostic products in China.

**[Key words]** UK NICE; Medical Devices; Early Value Assessment.

卫生技术评估 (Health Technology assessment, HTA) 是一个基于多学科的评价过程, 是使用明确的方法来确定一项卫生技术在其生命周期不同时刻 (如卫生技术上市前、市场批准期间、上市后直至撤市) 的价值, 目的是为决策提供信息, 促进公平、高效及高质量卫生系统的形成。<sup>[1]</sup> HTA 在我国的应用已有较多研究, 但多集中于药品领域, 在医疗器械及诊断产品领域还存在发展相对不足、应用不够广泛等问题。放眼全球, 医疗器械行业采用基于 HTA 决策框架的趋势日益明显, 决策者的思维模式正在转向循证决策, HTA 的合理运用不仅可以提高患者获得创新技术的机会, 同时也可鼓励生产企业持续研发创新, 最终改善患者健康结局。<sup>[2]</sup>

随着科技水平的提升, 各种新型医疗器械及诊断

产品被广泛应用于临床治疗过程中。医疗器械及诊断产品与药品相比, 在作用原理与机制、临床效果评价、监管方式、升级迭代速度等方面有显著差异。那么如何决策一款新型医疗器械或诊断产品是否可以被优先推荐使用, 是基于 HTA 评估方法的 EVA 技术的目标所在。当然, EVA 技术也可应用于药品、设备管理、医疗服务等其他领域。本研究旨在通过分析 NICE 发布的 EVA 技术, 结合我国国情, 针对医疗器械及诊断产品的评估方法献言建策, 为推动我国医疗器械及诊断产品的发展贡献力量。

### 1 英国 NICE 简介

英国国家卫生与临床优化研究院 (NICE) 是英国的国家类型研究机构, 主要职责是为英国国家医疗卫生服务体系 (NHS) 发展提供技术支持以及决策建议,

最早成立于 20 世纪，经立法认可被广泛投入到医院发展实践中，初始名称是卫生服务优化研究院，主要负责医疗服务现代化、标准化、规范化的管理过程。2005 年，英国发展中心与 NICE 实现了全面合并，使得 NICE 的工作内容得到了拓展与延伸，并且机构名称也由初始的卫生服务优化研究院转变为国家卫生与临床优化研究院。NICE 的部门职责是通过 HTA 来确定创新药品、新型医疗器械、创新耗材、创新医疗技术等的安全有效性、经济性、社会适应性等。<sup>[3]</sup>

## 2 NICE 指南开发

英国针对 NICE 拥有明确的法律条件规定，NICE 必须针对不同地区的实际情况进行全面分析，并给予最为科学的医疗指导、公共卫生、社会服务等诸多内容的策略性建议。具体的指南开发内容分为以下五大方面，分别为医疗技术指南、技术评估指南、诊断评估指南、干预请操作指南、具有较强专业性的技术评估指南。除卫生技术评估指南和高度专业的技术评估指南是强制要求行政部门给予财政支持外，NICE 其它指南的开发并非强制性的。医务人员在诊疗实践中仍然需要充分考虑 NICE 的推荐意见，但 NICE 的指南意见不会凌驾于医生的个人临床决策和患者意愿之上，而只是要求对任何与指南意见不同的处理都应通过书面形式报告其原因<sup>[4]</sup>。由于 NICE 本身是通过立法而产生的，这就是说理论上它开发的指南也仅在英国具有约束力。在 NICE 指南开发过程中，行政管理部门也常常参与其中或为其提供咨询服务。NICE 所有的指南开发活动由医疗技术咨询委员会负责管理，通过医疗技术评估项目来统领，通过前期申请审查，判断是否要对其开发新的指南，再分配到适宜的 NICE 指南开发项目中去。通过 NICE 开发指南，这些能给患者或卫生服务体系带来潜在的巨大效益的技术，可以实现在 NHS 内快速、统一地推广使用。

## 3 EVA 指南开发

EVA 通过提供基于临床效果和社会经济价值的快速评估，患者能够更快受益。EVA 试点对象为最有前景和最有影响力的医疗技术，这些技术的证据基础仍在发展中。EVA 是一种创新的新方法来评估那些最能反映系统需求的技术。在 NICE 的指导下，在研究资助者和 NHS 的支持下，技术开发人员可以使用真实世界的的数据来生成循证证据。这种方法可以更快地评估数字产品、医疗器械和诊断产品的临床有效性和经

济价值。因此，患者能够更快地从这些有前景的技术中受益<sup>[5]-[6]</sup>。大量的数字健康产品、新型医疗器械和诊断产品正在进入市场，但是 NHS 没有明确的信息表明哪一个会给病人带来真正的效用。EVA 将组织利益相关者进行研讨，并提供专家意见，说明哪一种能为 NHS 提供最大价值，以及真正实现循证决策需要什么样的进一步证据。EVA 吸引并审查满足国家现阶段未满足需求的医疗技术。这为实现更多人获得数字医疗技术的长期目标做出了重要贡献，并帮助人们在合适的时候快速、轻松地获得所需的医疗服务。

## 4 EVA 的具体内容

### 4.1 评估领域

EVA 适用于所有医疗技术，包括医疗器械、诊断产品和治疗手段。EVA 通过不断审查重点和优先性，选择充分反应临床需求，现阶段无其他有效治疗手段的患者需求问题，从而确定审查重点和优先事项，以期对国家卫生和保健系统产生有益的影响和价值。EVA 在数字医疗技术领域的应用同样广泛，大数据的开发，使医疗市场上大量的数字健康产品正在进入英国市场。EVA 的目标是给 NHS 一个明确的信息，评估哪种产品物有所值，满足系统需求，从而获得 NHS 的优先推荐。

### 4.2 评估目标

EVA 的目标是支持患者更早地获得有潜力满足患者需求的创新医疗器械及诊断产品。与现有的 NICE 指导过程不同，EVA 不需要特定的技术产生大量的证据，这意味着我们可以在早期对它们进行卫生技术评估。这种新方法意味着那些无法短时间完成 I - III 期临床试验，但已有一些证据表明对患者有效的急需医疗技术有可能被推荐用于 NHS。同时，作为评估的一部分，EVA 对需要收集哪些进一步的证据以及需要收集多长时间提供专家判断。

### 4.3 利益相关者的参与

利益相关方的参与是非常重要的一环，为 EVA 确定进入审查程序的对象提供信息，考虑这些技术对市场需求和患者的潜在益处，以及新兴技术的可用性。具体的目标是使技术开发人员能够确定需要解决的证据差距，以及与利益相关者合作的机会，这些利益相关者可以帮助进一步收集和分析数据。进而达到某项医疗技术指南更新完善的最终目标。以及开发团队明确在 NHS 使用该技术的明确建议。为了实现这一目标，

NICE 与所有技术开发团队紧密合作, 制定一个后期证据生成方案。方案建立在新的或现有的研究或真实世界的数据库之上。利益相关方的参与有效助推了证据完善方案的更快提交。技术开发人员可以与这些利益相关方充分沟通交流, 共同完成上述方案。这些利益相关者包括: 社区和志愿组织、临床专家、国家或区域数据库、国民保健服务提供者等。

#### 4.4 考虑真实世界的证据

大多数医疗器械和诊断产品临床数据可获得性相较于药品较差, 在医疗器械研发成功后, 进入临床阶段的真实世界使用数据可作为评价产品安全性、有效性、经济性的评价指标。EVA 在具有相同用例(目的和益处)的医疗器械及诊断产品领域中尤为重要。当这些新型医疗器械和诊断产品在日常实践中使用时, NHS 研究人员可以使用这些数据来生成真实世界的证据。当通过 EVA 进行卫生技术评估时, 委员会首先需要确认某项技术满足了现阶段未满足的市场需求, 并鼓励在证据生成期间使用该技术。这可以促进医疗器械创新发展与国民保健制度的协调发展, 以产生现实世界的证据。通过 EVA 建议推荐使用的创新医疗器械的技术开发人员仍需要持续跟进产品在真实世界使用的数据, 并需要制定进一步收集证据的计划。

#### 4.5 临时方法和流程

NICE 现在已经发布了 EVA 的临时方法和流程, 未来将持续对其进行修订和更新, 以反映从试点项目中获得的经验。从而为 2022 年至 2024 年 EVA 方法和流程手册的制定提供确证。EVA 的实施借鉴现有的卫生技术评估手册, 不同的是它允许对早期证据进行更快速的评估。专家委员会作为 EVA 流程的一部分, 对创新医疗器械及诊断产品进行审查, 决定该技术是否应该获得有条件地推荐, 以便在 NHS 中采用。需要特别说明的是, 委员会必须说明建议的条件内容, 包括需要通过数据收集获得的关键结果, 以及数据收集的时间范围。此后, NICE 将在全面指导下再次审查该技术, 获得有条件推荐的技术开发人员将与 EVA 的团队合作, 制定接下来需继续完善的数据收集协议。这里没有“一刀切”的做法, 每项技术所需完善的后续收集方案要求各不相同, 反映了与该项医疗技术有关的解决证据缺口的数据细节。与此同时, 制定的证据收集方案, 需要以解决实际问题为目标导向, 并且充分考虑在某些临床领域存在的一些现实挑战, EVA 会根

据方案提供资金支持, 以减轻技术开发者的资金负担, 鼓励创新医疗器械的研发。EVA 是站在创新医疗技术开发者的角度上, 提供技术合作, 以争取尽早完成证据收集方案。不仅如此, EVA 还可以提供多种形式的支持, 比如为技术开发者所欠缺的临床数据与相关机构建立联系。目前, EVA 正与英国国家医疗服务系统合作, 研究如何将 EVA 产出的有条件使用建议用于支持英国国家医疗服务系统的试运行决策。该项决策将吸纳利益相关方的参与, 在不久后的将来发布。据悉, NICE 发布了第一份 EVA 指南, 推荐使用 4 种引导式自助数字认知行为疗法技术(待监管批准)。这些产品提供游戏、视频和测验的组合, 旨在帮助儿童和青少年学习如何理解和管理轻度至中度的焦虑或情绪低落症状。<sup>[6]</sup>

### 5 对我国医疗器械及诊断产品 EVA 发展的思考

我国 HTA 的发展已在药品医保准入、定价及医保报销中有广泛的应用, 已成为国家层面进行卫生决策的基础, 但在医疗器械及诊断产品领域尚没有形成系统有效的决策转化机制。医疗器械及诊断产品普遍生命周期较短, 更新迭代升级较快, 因此审查时间不宜过长, EVA 技术的应用缩短了报告审查的时间和流程, 帮助英国解决了现阶段这一类医疗产品的科学、快速筛选问题。基于此, 根据我国现实情况, 特提出以下建议, 以期急需某项医疗技术的患者提供最大帮助。

#### 5.1 完善体制建设, 固化 HTA 地位

EVA 是在 HTA 的基础上开展的早期价值评估, 形成良好的决策转化机制离不开完善的体制建设。近年来, 卫生技术评估相关政策和文件不断完善, 积累了丰富应用实践。2016 年国家卫生健康委(以下简称卫健委)等部门印发《关于全面推进卫生与健康科技创新的指导意见》《关于加强卫生与健康科技成果转移转化工作的指导意见》, 提出要推动建立卫生技术评估体系。2018 年国务院办公厅印发《关于改革完善医疗卫生行业综合监管制度的指导意见》, 指出要发挥卫生技术评估在医疗技术、药品、医疗器械等临床准入、规范应用、停用、淘汰方面的决策支持作用。2019 年卫健委印发《关于开展药品使用监测和临床综合评价工作的通知》, 提出科学开展药品临床综合评价。经过紧锣密鼓的建设, 我国 HTA 体制建设正在以决策需求为导向, 健全完善卫生健康领域政策机制, 研究探索将卫生技术评估产出的证据作为科学决策的

重要依据。

### 5.2 强化人才队伍建设

HTA 是多学科的融合，我国学科教育目前尚没有关于 HTA 的专业设置，医疗器械及诊断产品领域的 HTA 团队更是少之又少。因此人才队伍的建设应当发挥政府主导作用，加强部门协作，组建国家级卫生技术评估中心。综合医学、工程、计算机、生物材料等多领域人才，跨院校、医疗机构、科研院所以及国际人才引进等多种方式组件人才队伍。开展 HTA 评估工作的同时，积极传播 HTA 知识，鼓励学科融合人才的加入。

### 5.3 加快卫生技术评估标准体系建设

HTA 的地位已经获得国家认可，相关体制建设正在逐步完善，但缺少标准体系建设，也无法科学、公正的开展工作。根据我国实际情况和现实需求，研究建立卫生技术评估方法和评价标准，推动基础数据库的建设和共享，为卫生技术评估的发展打牢地基。据卫健委报道，相关机构正在探索建立独立第三方评估机构开展评估、结果应用和利益冲突监督等机制模式。

## 6 结束语

《医疗器械监督管理条例》（以下简称《条例》），已于 2021 年 6 月 1 日正式施行。《条例》规定，对用于治疗罕见疾病、严重危及生命且尚无有效治疗手段的疾病，以及应对公共卫生事件等急需的医疗器械，可以附条件批准，加快产品上市。国产首款 ECMO 设备经国家药监局审查，附条件应急批准上市。在该产品的注册申报过程中，国家药监局按照“统一指挥、早期介入、快速高效、科学审批”的原则，成立应急审评工作组，专人负责、全程指导、发布技术审查指导原则，加大产品注册申报指导，加快审评审批进程，在保证安全、有效的基础上推动产品尽快上市，满足疫情防控工作急需。同时加强该产品上市后监管，保护患者用械安全。<sup>[8]</sup> 这是我国第一例在国家层面医疗器械注册审批中应用早期价值评估的证据，在我国尚属首次应用。

卫生健康事业高质量发展需要卫生技术评估发挥重要作用。面对新型医疗器械及诊断产品大量涌现，合理配制卫生资源面临巨大挑战。为满足应急决策需要，新的评估方法应运而生，HTA 甚至 EVA 作为科学研究通往实践应用的必经桥梁，是卫生决策的重要循证方式。

### 参考文献：

[1] O'ROURKE B, OORTWIJN W, SCHULLER T. The new definition of health technology assessment: A milestone in international collaboration[J]. Int J Technol Assess Health Care, 2020, 36(3): 187-190

[2] 明坚, 魏艳, 等. 医疗器械和诊断产品的卫生技术评估路在何方——基于国际经验的启示 [J]. 医药经济, 2021, (6): 69-74

[3] 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

[4] CAMPBELL BRUCE, 吴守媛, 张静怡, 等. 指南的证据平衡: 来自英国国家健康与临床优选研究所腹主动脉瘤指南的经验教训——Bruce Campbell 的文章 [J]. 英国医学杂志中文版, 2021, 24(2): 69-72

[5] 杨玉涵, 丛佳林, 杨晓晖, 等. 英国 NICE 药品价值评估框架分析与启示 [J]. 药物流行病学杂志, 2021, 30(7): 435-440

[6] 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

[7] Early Value Assessment (EVA) for medtech. <https://www.nice.org.uk/about/what-we-do/eva-for-medtech>

[8] 我国国产体外膜肺氧合治疗 (ECMO) 产品获批上市, 国家药品监督管理局, 2021 年, <https://www.nmpa.gov.cn/ylqx/ylqxjgdt/20230104200910122.html>

### 基金项目：

中检院学科带头人基金，基金号：2021X7。