

什么样的治疗才值得长期埋单? 当真实世界数据 走进医保



2026年行将过半,“医保”又有了一些新话题。过去,很多人对“医保”的第一印象是“灵魂砍价”,不过经过一次次药品目录扩容后,有限的医保基金在“花钱”职能上正面临新考验:“钱往哪儿花”“花得值不值”。

怎么办?看真实世界疗效。

一直以来,药物从实验室走向病房的核心门槛是随机对照临床试验(RCT),优势在于其严谨性。通过严格的入组标准、统一的干预条件和清晰的终点设计,试验能够较为明确地回答药物是否“有效”。

但这种优势也意味着边界的存在:如果患者并不符合入组条件,合并有基础疾病、承受着多线治疗或长期随访中的复杂变化,他们的健康状况与治疗可持续性该如何评价?随着真实世界数据(RWD)逐渐进入医保价值评价体系,“价值购买”也开始从理念走向现实。

真实世界数据(RWD)是指在传统的临床试验之外,从日常医疗实践中收集的各种与患者健康状况和/或医疗服务覆盖相关的各种数据。通俗来说,临床试验是在“实验室的理想环境”下看药效,而真实世界数据则是看药物在“现实大熔炉”里的真实表现。2026年1月16日,真实世界医保综合价值评价国家可信评价点网络成立,覆盖79家头部医疗机构,旨在利用真实临床数据,科学评估医药产品的实际价值,推动医保决策更加科学、精准。

此前,2025年9月23日,国家医保局已决定在北京市海淀区、大连、杭州、厦门、深圳等13个地区,开展真实世界医保综合价值评价试点工作。

来自国家医保局医药服务管理司的公开信息也指出,开展真实世界研究是支撑医保目录谈判、药品和耗材价格招采及医疗服务管理决策的重要基础性工作。

也就是说,真实世界医保综合价值评价将给医保花钱立个“标尺”……当医疗行为与健康结果关联后,学界倡导的“价值购买”开始从理论走进现实。

慢病化时代,复杂的医疗决策

患者诊疗决策有多复杂?

北京大学肿瘤医院胸部肿瘤内科主任医师赵军教授指出,在肿瘤诊疗实践中,医生的临床判断长期建立在“是否符合诊疗指南、药物是否纳入医保目录等”相对清晰的制度逻辑之上。然而在真实世界中,即便治疗方案同时满足规范和医保覆盖这两个核心条件,仍未必能够真正满足患者对长期治疗支持和持续获益的现实需求。

以ALK阳性非小细胞肺癌(ALK+NSCLC)为例,赵军发现这类患者往往相对年轻,生存期明显延长。在真实医疗情境中,患者不仅要面对疾病本身,还要面对回归工作、生活、家庭等现实需求,因此“除了诊疗规范,患者的个人意愿、长期的生存质量需求同样会影响治疗选择”。

显然,这些是临床试验数据无法呈现的部分。不同患者之间的获益差异,往往只有在实际医疗过程中才能逐步显现。

从患者的角度看,一项治疗是否有价值,往往不是写在检查报告里,而是体现在承受疾病的每一天——关乎的是病痛是否减轻、住院次数是否减少、能否维持原有的工作与生活节奏。

这一切的基础,是能否坚持稳定治疗。因为只有稳定坚持,药物才更有机会实现疗效,患者才能实现最大获益。因此,患者寻求诊疗决策时,须在药效和患者依从性、生活质量、长期支付能力、后线治疗空间之间寻找最优解,而这正是“价值购买”在临床层面的真实含义。

这一点在患者组织和专业学术机构发布的调研报告中同样得到了印证。《2025中国ALK阳性NSCLC晚期患者诊疗与生存现状调研报告》指出,在ALK靶向药物普及的当下,ALK+NSCLC患者已进入慢病化管理阶段,这对医学研究和临床路径提出了更高的要求,核心目标是兼顾患者的生存时长与生命质量。

南昌大学第二附属医院肿瘤综合诊治中心主任刘安文教授分析指出:“在可选药物不断增多的背景下,对于ALK阳性非小细胞肺癌患者而言,如何通过更合理的治疗选择,让患者在治疗中保持最佳状态、维持稳定生活,实现长期稳定治疗,是一个值得探索的问题。”

“真实世界数据”: 医疗制度的“长期视角”

如果说临床试验回答的是“在理想条件下是否有效”,那么医保制度所面对的,则是一个更为复杂、持续变化的现实世界。

在慢病化的大背景下,要真正理解患者在长期治疗中的真实体验,丰富的真实世界数据来源变得尤为关键。此时,城市层面的医保数据库提供了一条可行路径。

赵军指出,大城市医保体系覆盖的人群流动性更高,即便患者异地就医,其诊疗和用药信息也往往能够被相对完整地记录,从而为追踪患者的长期治疗轨迹创造条件。

5月22日,首个基于医保数据库数据开展的肺癌真实世界研究结果《基于真实世界数据平台的晚期NSCLC中ALK-TKIs治疗模式、医疗成本及成本效益比较研究》入选2026年美国临床肿瘤学会(ASCO)大会摘要并正式发布。

该数据库整合了北京全市多层次医疗机构的医保结算数据,覆盖超过2700万参保人,能够持续追踪患者在门诊、住院及院外用药等环节中的诊疗与支付路径。数据库时间跨度自2019年起,为观察长期用药、慢病管理以及医疗资源使用情况,提供了稳定的真实世界数据基础。

刘安文指出:“这类数据能在一定程度上反映出ALK靶向药物的长期疾病控制能力,其中的差异可能与药物疗效、副作用管理情况或患者依从性有关。从我们多年的用药经验来看,患者依从性其实是实现疗效的重要基础。药物整体的安全性比较好,不良反应发生率较低的话,会比较容易管理。这不仅有利于患者更好地维持日常生活和工作节奏,也为长期居家规范服药打下了良好的基础。”

据该数据库的数据研究,不同ALK靶向药物在长期运行中的差异逐渐显现:服用阿来替尼的患者年均就诊次数中位数为15.96次,年均住院天数中位数为36.53天。这一结果提示,相较其他治疗方案,使用阿来替尼的患者在长期治疗过程中,对额外医疗干预的需求相对较少。

同时,阿来替尼的中位治疗持续时间(DOT)达到569天,这意味着患者能够在更长周期内维持稳定治疗状态。只有患者能够长期、规范地坚持治疗,药物的疗效才有

机会持续稳定地发挥,最终最大限度地转化为长期生存获益。

从医疗体系运行的角度看,这些变化并不只体现在个体治疗体验上。真实世界研究还发现,使用阿来替尼的患者中,有较高比例从高等级医院转向更低等级医疗机构进行随访和用药管理,反映出患者具备较好的长期疾病自我管理能力。这一趋势在一定程度上减轻了三级医院的诊疗压力,也更有利于基层医疗机构承担长期管理职能,从而缓解医保基金的支付压力。

将真实体验纳入决策过程

对医保而言,这类数据的真正意义,就在于将长期治疗背后的真实体验纳入了决策过程。

赵军提到,现在医生是诊疗过程中的“全程策划师”。医生考量的不只停留在药物本身,还包括用药顺序、医保适应症的设置、患者是否能够长期坚持、支付能力能否支撑后续治疗的衔接,让药物疗效有机会真正转化为长期获益。

比如,某些选择看似让患者在当下获益,却可能因报销范围变化而压缩后续治疗空间,这些细节不仅影响患者能否顺利衔接下一阶段治疗,也关系到医保支出在更长周期内能否形成有效回报。

同样,医保系统也开始试图回答更复杂的问题:不同治疗策略对医疗资源的占用究竟有多大差异,患者在长期治疗中的连续性是否真的改善,那些被忽略的隐性成本是否在累积等等。

更重要的是,真实世界的数据也将改写产业叙事逻辑。

药企不仅需证明“我有效”,更要回答“我是否值得被长期、稳定地埋单”,从单一试验数据,转向真实世界全治疗周期的综合价值评估。

然而,真实世界数据的收集并非没有挑战。相比临床试验,其数据来源更为分散,质量差异明显,且诊疗行为本身受地区条件、医疗资源和患者选择等多重因素影响。

赵军认为,真实世界研究面临的核心难点在于“数据的混杂性与完整性不足”。不同地区的诊疗习惯、记录标准及患者流动,都可能影响结论的可比性与解释力。

如何在制度层面形成更统一的指标口径、数据收集流程和方法学约束,并在控制偏差的前提下真正用好数据,仍是一项长期工程。

—— 袁目