



公共卫生、创新和知识产权 全球战略及行动计划草案

确定研究和开发优先顺序的模式

秘书处的报告

1. 本文件简要介绍了确定卫生研究优先顺序的三种常用措施：

- 确定优先顺序的综合措施矩阵
- 战略重点矩阵
- 欧洲和全世界重点药物项目采取的措施

综合措施矩阵

2. 在 1990 年，卫生研究促进发展委员会强调需要在国家和全球级更好地确定卫生研究的优先顺序¹。在 1996 年，关于未来干预方案的卫生研究特设委员会建议了一种基本方法以便为研究和开发资源的调拨确定优先顺序，并规定了五个评价步骤²。

3. 全球卫生研究论坛随后把这种措施发展成综合措施矩阵，这一工具有助于对确定优先顺序的过程中涉及的大量信息进行分类、组成和表现，确认卫生研究方面的空白，并确认卫生研究优先顺序³。

¹ 卫生研究促进发展委员会，《卫生研究：发展中公平性的重要环节》。纽约，牛津大学出版社，1990 年。

² 投资于卫生研究和开发：关于未来干预方案的卫生研究特设委员会报告（文件 TDR/Gen96.1）。

³ Ghaffar A, de Francisco A, Matlins 编著。《综合措施矩阵：确定卫生研究优先顺序的工具》。日内瓦，全球卫生研究论坛，2004 年。

4. 主要目的是帮助决策者作出合理的投资选择，以便无论在全球或国家级都最大程度和/或以最高的成本效益减少疾病负担。所有利益攸关者都应以透明和循环的程序确定优先顺序。这一措施应当是多学科的，涉及生物医学、公共卫生、经济学、环境科学、教育以及社会和行为科学。

5. 综合措施矩阵把经济和机构两方面的考虑结合为确定优先顺序的单一工具，概述如下。该措施考虑到关于未来干预方案的卫生研究特设委员会的五步方法以及以下因素：个人和社区行为，对人民福祉具有深远影响的卫生部门之外其它机构部门的作用，以及政府的宏观经济政策对卫生的影响。

6. 为确定优先顺序应考虑的经济问题

(a) **疾病负担**。通过计算因过早死亡、发病或残疾丧失的健康生命年数确定疾病负担。

(b) **决定因素**。分析造成长期负担的因素。其中包括缺少关于病患或疾病的知识，缺少工具，不能利用现有工具，此类工具的局限性，以及卫生领域之外的因素。

(c) **现有知识水平**。评估当前现有可用于解决有关卫生问题的知识基础，并评估解决办法的适用性，包括现有干预措施的成本和有效性。

(d) **成本和有效性**。根据其它可能干预措施评估研究和开发的潜力，并对今后研究发展将减少成本的可能性进行考察。这样就能够针对更广泛的人群对干预措施进行比较和应用。此类数据可能很难获取。

(e) **资源流动**。计算用于特定疾病和/或决定因素的现有研究投资水平。但是，在多数发展中国家很难获取此领域内的分类数据。

7. 为确定优先顺序应考虑机构问题

(a) **个人、家庭和社区**。审查在个人、家庭或社区级可改变的（例如通过初级保健，以及免疫和教育等个人预防措施）与减少疾病负担有关的内容。

(b) **卫生部及其它卫生机构**。评估卫生部和卫生研究系统对控制有关疾病或病患的贡献。这种评价涉及减少特定疾病负担的生物医学干预措施、政策和机构，以及研究界为减少疾病提供工具的潜力。

(c) **卫生之外的其它部门**。检查有助于改善健康的所有其它部委的活动。所涉领域包括教育（例如在吸烟和性传播感染方面作出的努力），运输（例如为减少道路交通事故伤害开展的工作），以及环境保护（例如为减少环境危害发起的行动）。

(d) **宏观经济政策**。重视可在控制疾病方面发挥作用的政府或超国家级内容。

8. 全球卫生研究论坛的意见是，持续地审查优先顺序和确定优先顺序的机制是至关重要的，因为研究的优先顺序会随时间推移根据流行病学、人口和经济变化而演化。

战略重点矩阵

9. 在 1975 年创建了联合国开发计划署/世界银行/世卫组织热带病研究和培训特别规划以解决对被忽视热带病的研究需求。根据其 2005-2006 年战略中对以依据为基础为确定优先顺序进行计划给予的重视，特别规划在综合措施矩阵的基础上制定了其战略重点矩阵。

10. 这种措施考虑到研究需求和机会两方面。后者包括基因组学和卫生方面新的基础知识等一般性机会以及发现一种具有开发潜力的特定候选药物或设计出一种全新的干预工具等具体研究机会。这种措施旨在超越通常的短期或中期目标并严肃考虑可能涉及更长时间或可能似乎超越当前技术能力限度的干预措施。

11. 为了创建战略重点矩阵，开展了七步分析，涉及回答与各种疾病相关的如下问题：疾病负担的性质和规模如何，流行病学趋势如何？当前的疾病控制战略是什么？疾病控制的主要问题和挑战是什么？需要哪些研究以便应对这些问题和挑战？目前正在开展何种研究和开发，以及有哪些研究机会？特别规划的相对优势是什么？特别规划应当在有关疾病研究方面确定何种战略重点？

12. 分析过程的结果在战略重点矩阵中得到概括，其中包括针对每种疾病的一系列预期成果，与特别规划的主要研究和开发领域相对应：

- 对有效控制传染病极为重要的新基础知识，涉及生物、社会和经济因素的影响以及卫生系统有关方面；
- 用于控制和预防传染病的工具；
- 在临床和社区级应用这些工具的干预方法；

- 实施干预方法的战略以及在国家实况中为应用这些方法给予的指导。

13. 战略重点矩阵规定了特别规划五年的战略方向，但随着出现以依据为基础并经同行审查接受的新研究需求、机会或措施，定期进行审议和更新。

欧洲和全世界重点药物项目采取的措施

14. 欧洲和全世界重点药物项目¹根据公平、证据和效益的原则从公共卫生方面对药物创新进行了研究。目的是为开发药物制定以公共卫生为基础的议程，以便指导欧洲联盟提供的支持。在确认具有公共卫生重要意义并存在“药物空白”的疾病的基础上，制定了该议程。就这些疾病而言，无药物治疗方法（因为缺少基本科学知识或由于市场销售失败）或者药物治疗不适当（因为效益不高，有安全问题，或者提供机制或配方不适合目标患者人群）。

15. 在第一阶段，为确定重点疾病和药物空白初步清单使用了三种互补方法，以便克服任何单一措施的缺陷。

16. 第一种方法结合分析了人口信息、疾病负担数据以及（在可能和适当时）Cochrane 系统审评数据库的临床实验数据。在疾病负担信息方面开展了排名工作，以便显示占残疾调整生命年总负担和死亡率总负担绝大部分的主要疾病和疾患（在本项目中包括欧洲联盟各国和其它地方的情况）。然后使用 Cochrane 数据库以定量方式确定对治疗造成各国沉重流行病学和经济负担的疾病现有的药物干预措施的临床效益。当审评显示存在治疗空白时，该疾病或疾患被列入初步清单。

17. 当没有关于疾病负担或治疗效益的数据时，使用第二种方法。根据包括疾病趋势预测（主要来自意见一致的判断以及观察和临床方面证据）的信息，确定了优先顺序。还考虑到近期卫生大会决议中规定的优先顺序，以便在初步清单中列入更多的疾病和问题（例如，对抗菌药的耐药性）。

18. 第三种方法用于被忽视的疾病或市场销售失败的情况。为了确定优先顺序，包括针对特殊患者人群，使用涉及社会正义、社会团结和公平性等概念的标准审议了潜在的药物空白。

19. 在第二阶段，根据以综合措施矩阵为基础的以下标准严格审评了初步清单中确认存在药物空白的疾病和疾患：疾病负担的规模和性质；控制战略类型；疾病负担长期存在

¹ 欧洲和全世界重点药物（文件 WHO/EDM/PAR/2004.7）。

的原因；从以往和/或当前针对有关疾病或疾患的药物干预措施进行研究时获得的经验教训；用于该病或疾患的产品供应现状；研究新药物干预措施的机会；当前和潜在的可能具有重大意义、经济上可负担并可在(a)五年或(b)更长时间内开展的研究问题之间的空白；以及药物研究机会的空白。在这些审评的基础上，为每种疾病或病患建议了必须采取的步骤，以便弥补确定的药物空白。

20. 虽然分别介绍了这三种措施，但它们事实上具有共同的内容。特别规划的战略重点矩阵以综合措施矩阵为基础，但侧重于热带病。欧洲和全世界重点药物项目使用了战略重点矩阵的内容和分析结果，但涵盖 I 型、II 型和 III 型疾病，并除了疾病负担和临床效益的标准之外，还使用了对社会团结的预测和考虑等标准。这些措施得到了广泛的介绍和讨论；它们得到了普遍接受，被认为对确定研究优先顺序以应对全球公共卫生需求提供了有力和合理的基础¹。

= = =

¹ 以下文件中介绍了确定优先顺序的其它措施：卫生研究促进发展理事会。《确定卫生研究优先顺序：推动中低收入国家的管理过程》。日内瓦，2006年；Gibson JL, Martin DK, Singer PA。确定医学新技术的优先顺序：跨学科的研究。《英国医学委员会卫生服务研究》，2002，2: 14。