



世界卫生组织

执行委员会
第一三十八届会议
临时议程项目 14.1

EB138/53
2015 年 10 月 30 日

咨询机构的报告

专家委员会和研究小组¹

秘书处的报告

基本药物的选择和使用

基本药物的选择和使用专家委员会第二十次会议
日内瓦，2015年4月20-24日²

第19版《世卫组织基本药物标准清单》和第5版《世卫组织儿童基本药物标准清单》

1. 基本药物的选择和使用专家委员会于 2015 年 4 月 20-24 日在日内瓦世卫组织总部举行了第二十次会议。专家委员会审查了 77 项申请。
2. 2015 年 4 月 20 日举办了一次公开会议，其间秘书处和利益攸关方介绍了《世卫组织基本药物标准清单》的作用和决策标准。发言者包括 IMS 医疗信息研究所（代表国际制药厂商和协会联合会）、无国界医生组织、国际癌症控制联盟、知识生态国际协会和基本药物政策青年委员会的代表³。

主要建议

3. 在就 2013 年专家委员会第十九次会议推荐的癌症药物进行全面审查后，委员会建议添加 16 种治疗特定癌症的新药物，包括单克隆抗体（曲妥珠单抗和利妥昔单抗）和靶向治疗药物（伊马替尼）。委员会进行了全面审查，重点是发病率高，通过治疗能产

¹ 《专家咨询团和专家委员会条例》规定，总干事应向执行委员会提交有关专家委员会会议的报告，包括对各专家委员会报告涉及问题的看法及对采取后续行动的建议。

² 《世界卫生组织技术报告丛刊》，第 994 期。

³ 具体发言内容可从 http://www.who.int/selection_medicines/committees/expert/20/en/ 获取（2015 年 10 月 8 日访问）。

生临床相关生存益处的癌症，以及旨在通过全身性治疗予以治愈或长期缓解的罕见癌症。总共审议了 29 项申请。委员会在提出建议时考虑了与治疗有关的临床获益幅度，但没有确定具体的获益阈值。两个标准清单的癌症药物部分都得到了更新，纳入了所建议的每种药物的具体适应症。

4. 委员会根据能够证明实质性治疗效果，令人满意的安全性和较短治疗时间的证据，建议在《世卫组织基本药物标准清单》中增加多种用于治疗慢性丙肝的直接作用抗病毒药物，包括固定剂量复合剂。这些药物价格极高，目前许多国家负担不起。委员会建议列出推荐的所有直接作用抗病毒药物，以促进竞争和选择最佳联合治疗方案。

5. 委员会在《世卫组织基本药物标准清单》中添加了用于治疗慢性乙肝的恩替卡韦和替诺福韦，因为据临床试验的确凿证据证明，这些药物在目前世卫组织指南¹所建议的乙肝治疗方案中能够发挥作用。

6. 委员会在《世卫组织基本药物标准清单》的补充清单中添加了用于治疗耐多药结核病的四种新药物：贝达喹啉、地依麦迪、利奈唑胺和特立齐酮（作为环丝氨酸的特定替代药物）。利奈唑胺也被添加到《世卫组织儿童基本药物标准清单》。利福喷丁被添加到两份标准清单的核心清单中，用于治疗潜伏性结核病感染。这些新药物被纳入世卫组织治疗规划并以世卫组织指南为支持。委员会建议对这些药物进行持续审查并在下次专家委员会会议上进行审议。此外，还建议监测这些药物的使用并确立积极的药物警戒规划，以便确保获得关于其效力和安全性的更多证据。

7. 添加到《世卫组织基本药物标准清单》和/或《世卫组织儿童基本药物标准清单》的其它药物包括：用于治疗艾滋病毒的阿巴卡韦+拉米夫定固定剂量复合剂、达芦那韦以及依非韦伦和奈韦拉平的新配方；用于治疗巨细胞病毒性视网膜炎的缬更昔洛韦；用于某些罕见的出血性疾病去氨加压素；用于预防和治疗静脉血栓栓塞症以及治疗急性冠脉综合征的依诺肝素；用于急性冠脉综合征和经皮冠状动脉介入治疗术后的氯吡格雷；三种新避孕制剂以及酒精搓手液。对米索前列醇片建议的适应症范围有所扩大，纳入了对产后出血的治疗。阿替洛尔被恢复为替代比索洛尔的降压治疗药物。

8. 委员会不建议在《世卫组织基本药物标准清单》中添加用于治疗新生血管性眼病的兰尼单抗。根据独立证据表明，贝伐单抗和兰尼单抗对这些适应症具有相等的效力和安

¹ 见慢性乙肝病毒感染者的预防、护理和治疗指南，可从 http://apps.who.int/iris/bitstream/10665/154590/1/9789241549059_eng.pdf?ua=1 获得（2015 年 10 月 13 日访问）。

全性。兰尼单抗远比核准适应症外使用的贝伐单抗（目前列在《世卫组织基本药物标准清单》中）要昂贵而且不会带来任何额外的临床益处。委员会认为只将较廉价的贝伐单抗列入《世卫组织基本药物标准清单》可有助于促进将其用于该适应症（尽管是核准适应症外使用）。

9. 委员会不建议在《世卫组织基本药物标准清单》中添加可预防房颤患者中风的新型口服抗凝药，因为在已确诊并且在华法林治疗范围内状况稳定的患者中没有显示超出华法林的相关临床优势。委员会还指出，与华法林引起的出血不同，目前没有特定的解毒剂能够在紧急情况下扭转新型口服抗凝剂的作用。

10. 委员会不建议在《世卫组织基本药物标准清单》中添加用于心血管疾病二级预防的“多重药丸”固定剂量复合剂，因为有关临床结果中存在相关差异的证据有限，而且对不良事件，剂量滴定管理或个别药物的停用感到担忧。

11. 委员会不建议在《世卫组织基本药物标准清单》中添加用于治疗帕金森氏病的多巴胺受体激动剂，因为没有充分证据证明该药物在临床上比《世卫组织基本药物标准清单》中所列现有药物更具优势。

对公共卫生政策的重要意义

12. 在癌症药物审查的决策过程中，委员会特别考虑了临床获益幅度；但是，没有具体认可获益阈值。这方面仍然需要世卫组织开展进一步工作。考虑到癌症药物的公共卫生意义，专家委员会确认必须制定策略和行动以便使高价癌症药物更加实惠。

13. 专家委员会决定列入建议的所有直接作用抗病毒药物，目的是促进现有各种替代药物之间的竞争。由于仍在开发针对丙肝的新治疗方案，因此从卫生系统和公共卫生角度出发必须制定独立的临床研究议程以确定最佳组合药物。此外，还应当调查治疗在儿童患者中的适宜性。

14. 关于列入核准适应症外使用的药物，委员会的决定以现有临床证据为依据，并指出加贴标签是国家监管当局的责任，也可以是制药厂商的商业决定。

15. 若干新药物尽管价格昂贵仍被列入《世卫组织基本药物标准清单》。这些决定的依据是它们具有公共卫生意义，并且有证据表明这些药物不仅高度有效而且安全。预计将这些药物纳入《世卫组织基本药物标准清单》后将需要制定全球和国家策略，同时采取干预措施，争取削减价格并促进获取。

对本组织规划的影响

16. 标准清单的持续更新，为世卫组织、具有相关规划的其它联合国机构以及会员国提供了可用于药物及相关用品的选择、使用、采购和报销的有力工具。

17. 据认为，成立特设工作组，在两次专家委员会会议之间举行会议，是对重要药物类别（如癌症药物）进行全面审查和促进专家委员会工作的有效途径。

18. 关于建议纳入《世卫组织基本药物标准清单》的药物的各种评估方法以及通过可靠证据指导决策程序的做法被作为模式在各国推广，以便优化对药物的选择和使用。

19. 最近在癌症、丙肝和结核病等方面对《世卫组织基本药物标准清单》所作的更新表明，为治疗这些病症列入安全有效的新药物十分必要，同时《世卫组织基本药物标准清单》对世卫组织在这些重点领域的全球规划具有重要贡献。委员会建议，世卫组织除了在选择和使用安全有效的药物方面发挥领导作用外，还应当与其会员国和合作伙伴交往以便制定策略，确保改善对高价基本药物的承受能力，使更多的人能够获得这些药物。

执行委员会的行动

20. 请执委会注意本报告。

= = =