

# 2017—2021 年我院儿童肝移植术后经济负担研究

刘冉佳<sup>1,2</sup>, 徐计德<sup>3</sup>, 李丹丹<sup>1</sup>, 徐 焜<sup>1,2</sup>, 孙丽莹<sup>4</sup>, 崔向丽<sup>1</sup>, 朱志军<sup>4</sup>

1. 首都医科大学附属北京友谊医院药学部 (北京 100050)
2. 首都医科大学药学院 (北京 100069)
3. 首都医科大学附属北京友谊医院统计室 (北京 100050)
4. 首都医科大学附属北京友谊医院肝移植中心 (北京 100050)

**【摘要】目的** 分析儿童肝移植术后经济负担, 为开展相关卫生经济评估提供数据支持, 为优化我国器官移植医疗资源配置提供依据。**方法** 回顾性收集 2017—2021 年首都医科大学附属北京友谊医院儿童肝移植受者的基本信息和缴费数据分析直接医疗成本, 并采用便利抽样法对门诊及住院随访的儿童肝移植受者的监护人进行问卷调查, 通过问卷获得的信息和人力资本法计算直接非医疗成本和间接成本, 同时调查患儿家庭主观经济负担感受。分析 2017—2021 年直接医疗成本变化趋势、构成及相关影响因素。**结果** 共纳入 683 例患儿, 问卷调查部分共收到有效问卷 234 份。2017—2021 年儿童肝移植术后直接医疗成本呈先增高后降低的趋势, 其中药费占比最高, 门诊患者药费占比 45.27%~57.33%。2021 年人均疾病经济负担 17 870.12 元 (95%CI: 16 370.87~19 369.37), 其中直接医疗成本 13 321.65 元 (95%CI: 11 818.46~14 824.85), 直接非医疗成本 2 248.05 元 (95%CI: 2 169.86~2 326.24), 间接成本 2 300.42 元 (95%CI: 2 253.43~2 347.40)。疾病经济负担与移植术后时长呈负相关。从全社会的角度分析, 特病医保患儿较其他保险类型支出更多 ( $P < 0.05$ )。**结论** 儿童肝移植术后家庭和社会的经济负担较重, 药费是重要组成部分。期待国家持续优化医保资源配置, 通过免疫抑制药物集中采购等政策减轻儿童肝移植受者的疾病经济负担。

**【关键词】** 儿童肝移植; 疾病经济负担; 直接医疗成本; 间接成本; 免疫抑制药; 随访; 长期生存

## Financial burden after pediatric liver transplantation in a hospital from 2017 to 2021

Ran-Jia LIU<sup>1,2</sup>, Ji-De XU<sup>3</sup>, Dan-Dan LI<sup>1</sup>, Ye XU<sup>1,2</sup>, Li-Ying SUN<sup>4</sup>, Xiang-Li CUI<sup>1</sup>, Zhi-Jun ZHU<sup>4</sup>

1. Department of Pharmacy, Beijing Friendship Hospital, Capital Medical University, Beijing 100050, China

2. School of Pharmaceutical Sciences, Capital Medical University, Beijing 100069, China

3. Department of Statistics, Beijing Friendship Hospital, Capital Medical University, Beijing 100050, China

4. Liver Transplantation Center, Beijing Friendship Hospital, Capital Medical University, Beijing 100050, China

DOI: 10.19960/j.issn.1005-0698.202310002

基金项目: 国家自然科学基金面上项目 (81970562); 北京友谊医院科研启动基金项目 (yygdkgtl2021-3); 北京市通州区科技计划项目 (KJ2022CX039)

通信作者: 崔向丽, 博士, 副教授, 主任药师, 硕士研究生导师, Email: xianglicui@ccmu.edu.cn

朱志军, 博士, 教授, 主任医师, 博士研究生导师, Email: zhu-zhijun@outlook.com

<https://ywlxwb.whuznhmedj.com/>

Corresponding author: Xiang-Li CUI, Email: xianglicui@ccmu.edu.cn; Zhi-Jun ZHU, Email: zhu-zhijun@outlook.com

**【Abstract】Objective** To analyze financial burden after pediatric liver transplantation (PLT). By providing data, it will contribute to health economic evaluations and optimization of the allocation of medical resources for organ transplantation in China. **Methods** The basic information and payment data of PLT cases from 2017 to 2021 in Beijing Friendship Hospital, Capital Medical University were retrospectively collected to analyze the direct medical cost. Convenience sampling method was used to select guardians of PLT case in outpatient and inpatient follow up for a questionnaire-based survey. Direct non-medical costs and indirect costs were obtained by questionnaire survey and human capital method. The subjective feelings of the patients' families about the financial burden were investigated. The changing trend, composition and influencing factors of financial burden in the 5 years were analyzed. **Results** A total of 683 children were included, 234 valid questionnaires were collected. In the 5 years, the direct medical costs of follow-up patients after PLT exhibited a trend first increasing and then decreasing. And the drug costs accounted for the highest proportion, accounting for 45.27%-57.33% of outpatients. In 2021, the per capita financial burden of pediatrics after PLT was 17 870.12 yuan (95%CI 16 370.87 to 19 369.37), of which the direct medical cost was 13 321.65 yuan (95%CI 11 818.46 to 14 824.85), the direct non-medical cost was 2 248.05 yuan (95%CI 2 169.86 to 2 326.24), and the indirect cost was 2 300.42 yuan (95%CI 2 253.43 to 2 347.40). The economic burden was inversely correlated with the duration of follow-up after transplantation ( $P<0.05$ ). From the whole society view, the financial burden of pediatric patients with special medical insurance was heavier than other types of medical insurance ( $P<0.05$ ). **Conclusion** PTL brings a heavy financial burden for families and society. The cost of medicine is the major factor. It is expected that the government will continue to optimize the allocation of medical insurance resources and pharmaceutical centralized purchase of immunosuppressive agents to reduce the economic burden of pediatric liver transplantation.

**【Keywords】** Pediatric liver transplantation; Financial burden of disease; Direct medical cost; Indirect cost; Immunosuppressant; Follow up; Long-term survival

儿童肝移植 (pediatric liver transplantation, PLT) 是儿童终末期肝病有效的治疗手段。近年活体 PLT 手术在我国迅速发展, 相关移植中心超过 20 家, 年手术量超过 1 000 例, 跃居世界首位<sup>[1-2]</sup>。活体 PLT 技术日益成熟, 10 年生存率已达 90%<sup>[3]</sup>。国外研究<sup>[4]</sup>显示, 66% 的肝移植受者认为自己承受着沉重的疾病经济负担。与成人患者相比, PLT 受者多因先天性疾病, 如胆道闭锁、遗传代谢性疾病, 导致不得不接受肝移植, 在生命早期接受移植手术可以大幅延长生存时间和改善生命质量。但与之相对, PLT 受者术后维持治疗时间更长, 家庭照护负担更重, 所带来的疾病经济负担也随之增加。目前, 我国各地区器官移植医保政策不一致, 有必要开展成本核算, 完善补偿机制<sup>[5]</sup>, 解决移植患者的后顾之忧。现有研究主要

着眼于肝移植围手术期的医疗成本, 针对术后患者疾病经济负担评估的研究较少。首都医科大学附属北京友谊医院 (以下简称“我院”) 为我国三大 PLT 中心之一, 活体 PLT 病例数居北京市首位, 术后患者远期生存率达国际先进水平。本研究从全社会的角度, 基于我院 2017—2021 年 683 例 PLT 受者术后花费情况, 对 PLT 受者术后的直接医疗成本、直接非医疗成本和间接成本进行测算, 为优化我国医保补偿机制提供数据支持, 减轻 PLT 患者家庭和社会的经济负担, 使更多终末期肝病患儿通过 PLT 获益。

## 1 资料与方法

### 1.1 研究对象

回顾性调查在首都医科大学附属北京友谊医

院接受 PLT 手术, 且 2017—2021 年在该院就医的患儿, 纳入标准: ①手术年龄  $\leq 18$  岁; ②诊断中包含“肝移植术后”; ③在该院定期复查, 并长期随访。排除标准: ①病历资料不全; ②无法获取相关费用信息。2021 年采用便利抽样法对门诊及住院随访 PLT 受者进行问卷调查, 纳入标准同回顾性调查, 排除无法理解问卷内容及拒绝参加调查者。本研究通过首都医科大学北京友谊医院伦理委员会审查通过(审批件编号: 2021-P2-249-01), 回顾性调查获得豁免知情同意, 问卷调查对象的监护人均签署知情同意书。

## 1.2 研究方法

本研究使用自下而上的微观成本法对 PLT 受者术后复诊的经济负担进行估算。疾病经济负担包括直接医疗成本、直接非医疗成本和间接成本。研究者自行设计调查问卷, 由儿童的监护人填写, 调查内容包括: 患儿家庭 2021 年与肝移植术后就医相关的住宿费、交通费等直接非医疗成本、误工天数、家庭收入情况及主观家庭经济负担感受等, 借助问卷星平台收集问卷。

### 1.2.1 直接医疗成本

直接医疗成本指与提供治疗直接相关的资源投入。本研究中直接医疗成本包括 PLT 术后就医产生的化验费、检查费、药费、诊疗费、耗材费、操作费和其他医疗费用(不包括移植手术当次住院产生的费用)。利用医院信息系统调取 2017—2021 年该院 PLT 术后患者的基础信息、门诊、急诊和住院的就诊信息和缴费信息, 计算并观察直接医疗成本变化情况, 以 2021 年直接医疗成本计算疾病经济负担。原发病类型依据术前诊断确定, 根据国际疾病分类第十一次修订本(International Classification of Diseases 11th Revision, ICD-11)将诊断信息分为 5 类: 5C90 代谢性或转运性肝病; LB20 胆囊、胆管或肝脏结构发育异常; DB96 自身免疫性肝病; DB93.Z 未特指的肝纤维化或肝硬化; 其他组为不在上述 4 类中的诊断。分析不同原发病类型患儿的直接医疗成本。为排除价格因素的影响, 使用居民消费价格指数(consumer price index, CPI)对人均直接医疗成本进行调整, 其中, CPI 来自国家统计局(<https://data.stats.gov.cn/>)。

### 1.2.2 直接非医疗成本

直接非医疗成本指患者因寻求医疗服务而直

接消耗的医疗资源以外的资源。本研究中 PLT 受者复诊的直接非医疗成本包括交通费、住宿费等。

### 1.2.3 间接成本

间接成本是指患者及陪护人员因疾病导致劳动时间减少而造成的经济损失, 可采用人力资本法计算。劳动力价值用日人均国内生产总值(gross domestic product, GDP)作为中间指标, 结合目前国际通用的生产力权重值<sup>[6]</sup>, 将患儿及陪护人员年龄分为 0~14 岁、15~44 岁、45~59 岁、60 岁及以上 4 组, 分别赋予 0、0.75、0.8 和 0.1 的权重值, 以均衡不同年龄组间因劳动力差别所致的生产力差异。将误工天数作为劳动力价值损失的测量标准, 通过将平均误工天数代入公式。计算公式为: 间接成本 = 误工天数  $\times$  日人均 GDP  $\times$  生产力权重。以此估算 PLT 受者复诊的间接成本。

### 1.2.4 家庭主观经济负担感受

患儿家庭对当前经济负担的主观感受, 分为依次递增的 5 个水平: 无压力、较轻、一般、较重、非常重。同时调查 2021 年 PLT 术后就医相关支出占家庭收入的比例。

## 1.3 统计学分析

采用 SPSS 26.0 软件进行统计分析。偏态分布的计量资料以  $M(P_{25}, P_{75})$  表示, 组间比较采用 Kruskal-Wallis  $H$  检验。计数资料以  $n(\%)$  表示, 组间比较采用 Pearson  $\chi^2$  检验或 Fisher 确切概率法。采用 Spearman 相关评估疾病经济负担、直接医疗成本与患儿特征的相关性。 $P < 0.05$  为差异有统计学意义。

## 2 结果

### 2.1 患儿一般资料

共纳入 683 例 PLT 受者, 中位年龄为 6.71 (4.72, 9.51) 岁, 最小年龄 7.8 个月; 中位手术年龄为 1.09 (0.17, 4.90) 岁, 中位术后时长为 4.51 (2.76, 5.97) 年; 男性患儿 364 例 (53.3%), 异地就诊患儿 519 例 (76.0%), 502 例 (73.5%) 为活体肝移植, 10 例接受过二次肝移植, 术前诊断遗传代谢性肝病 161 例 (23.6%); 有医疗保险(包括城镇医保和新农合)患儿 283 例 (41.4%), 自费患儿 298 例 (43.6%), 见表 1。术后前 2 年平均门诊就诊 7~11 次/年, 后降至 2~5 次/年, 住院次数无明显变化, 住院天数由第 1 年平均 37.4 d, 降至 5.69~16.89 d。

表1 儿童肝移植受者样本人群基本特征

Table 1. Basic characteristics of sample population of pediatric liver transplant recipients

项目	例数	构成比 (%)
患者来源		
本地就诊患者	164	24.0
异地就诊患者	519	76.0
性别		
女	319	46.7
男	364	53.3
年龄 (岁)		
0~	432	63.2
8~	206	30.2
≥15	45	6.6
手术年龄 (岁)		
0~	340	49.8
1~	216	31.6
≥6	127	18.6
术后时长 (年)		
0~	31	4.5
1~	71	10.4
2~	308	45.1
≥5	273	40.0
术前诊断		
遗传代谢性肝病	161	23.6
自身免疫性肝病	161	23.6
胆囊、胆管或肝脏结构发育异常	146	21.4
未特指的肝纤维化或肝硬化	135	19.8
其他	80	11.7
肝源 <sup>a</sup>		
尸体供者	174	25.5
活体供者	502	73.5
二次肝移植		
否	673	98.5
是	10	1.5
医保类型 <sup>b</sup>		
特病医保	83	12.2
医疗保险	283	41.4
自费	298	43.6

注：<sup>a</sup>信息缺失7例；<sup>b</sup>信息缺失19例

表2 2017—2021年儿童肝移植受者直接医疗成本及其变化情况

Table 2. Direct Medical cost and its changes of pediatric liver transplantation recipients from 2017 to 2021

年份	病例数	总直接医疗成本 (万元)	人均直接医疗成本 (元)	人均直接医疗成本增长速度		CPI	CPI调整后人均直接医疗成本 (元)
				定基增长速度 (%)	环比增长速度 (%)		
2017年	269	442.45	16 448.05	-	-	101.6	16 189.03
2018年	389	716.71	18 424.48	12.0	12.0	102.1	17 761.34
2019年	470	769.92	16 381.18	-0.4	-11.1	102.9	15 346.53
2020年	384	466.13	12 138.71	-26.2	-25.9	102.5	11 094.66
2021年	520	692.73	13 321.65	-19.0	-9.7	100.9	12 067.25

注：定基增长速度=一定时间累计增长量/基期水平×100%；环比增长速度=逐期增长量/前期水平×100%

## 2.2 直接医疗成本

2017—2021年我院PLT受者人均直接医疗成本呈先增后降的趋势，与2017年相比，2021年人均直接医疗成本下降了19.0%。调整后人均直接医疗成本同为下降趋势，见表2。

2021年，我院PLT受者直接医疗成本为692.73万元，人均13 321.65元(95%CI: 11 818.46~14 824.85)。2021年门诊次均费用1 655.26元，其中次均药费917.89元(55.45%)；2021年住院日均费用1 494.21元，其中日均药费373.66元(25.01%)，见表3、表4。PLT术后直接医疗成本与术后时间呈负相关( $r_s=-0.275, P < 0.05$ )，见图1；与手术年龄呈正相关( $r_s=0.102, P < 0.05$ )，见表5。胆囊、胆管或肝脏结构发育异常患儿的直接医疗成本明显低于未特指的肝纤维化或肝硬化( $Z=8.837, P=0.003$ )和其他诊断( $Z=8.892, P=0.017$ )的患儿。特病医保患儿的直接医疗成本显著高于医疗保险( $Z=59.486, P < 0.001$ )和自费( $Z=63.914, P < 0.001$ )的患儿。其他因素的不同亚组患儿直接医疗成本差异均无统计学意义( $P > 0.05$ )。

## 2.3 直接非医疗成本、间接成本和主观经济负担感受

### 2.3.1 问卷调查PLT受者的基本信息

共发放问卷350份，收到有效答卷234份。其中关于本地就医患儿34例(14.5%)，异地就医患儿200例(85.5%)，男性患儿106例(45.3%)，女性患儿128例(54.7%)，中位年龄为5.00(4.00, 8.00)岁，中位手术年龄为0.75(0.11, 3.02)岁，中位术后时长为3.96(2.19, 5.63)年，174例(74.4%)为亲体肝移植，5例(2.1%)接受过二次肝移植，术前诊断遗传代谢性肝病32例(13.7%)，胆囊、胆管或肝脏结构发育异常181例(77.4%)。

表3 2017—2021年儿童肝移植受者住院费用构成比  
Table 3. Constituent ratio of hospitalization expenses of pediatric liver transplantation recipients from 2017 to 2021

年份	人次	日均住院 总费用 (万元)	日均直接 医疗成本		检查费		化验费		药费		诊疗费		耗材费		操作费		其他费用		
			(元)	(%)	(元)	(%)	(元)	(%)	(元)	(%)	(元)	(%)	(元)	(%)	(元)	(%)	(元)	(%)	(元)
2017年	205	194.44	1 312.91	81.63	6.22	175.71	13.38	382.61	29.14	83.17	6.33	121.46	9.25	5.10	0.39	58.75	4.47		
2018年	218	264.77	1 376.83	153.09	11.12	285.32	20.72	486.83	35.36	137.83	10.01	169.30	12.30	36.73	2.67	107.73	7.82		
2019年	295	321.14	1 313.99	206.90	15.75	278.03	21.16	364.29	27.72	130.41	9.92	181.00	13.77	43.23	3.29	110.15	8.38		
2020年	75	208.63	1 578.11	277.41	17.58	234.62	14.87	483.39	30.63	144.73	9.17	197.62	12.52	74.74	4.74	165.60	10.49		
2021年	225	297.95	1 494.21	342.19	22.90	342.86	22.95	373.66	25.01	117.88	7.89	122.83	8.22	56.02	3.75	138.77	9.29		

表4 2017—2021年儿童肝移植受者门诊急诊费用构成比  
Table 4. Constituent ratio of outpatient and emergency expenses of pediatric liver transplantation recipients from 2017 to 2021

年份	人次	总费用 (万元)	日均直接医疗 成本 (元)	检查费		化验费		药费		诊疗费		其他费用	
				次均费用 (元)	(%)	次均费用 (元)	(%)	次均费用 (元)	(%)	次均费用 (元)	(%)	次均费用 (元)	(%)
2017年	1 478	248.01	1 678.02	228.28	13.60	579.73	34.55	759.57	45.27	69.18	4.12	18.27	1.09
2018年	2 449	451.95	1 845.44	212.83	11.53	635.08	34.41	902.78	48.92	75.11	4.07	14.58	0.79
2019年	2 586	448.78	1 735.40	203.33	11.72	450.49	25.96	994.83	57.33	72.41	4.17	10.77	0.62
2020年	1 593	257.50	1 616.45	210.67	13.03	400.20	24.76	922.94	57.10	72.01	4.45	10.43	0.65
2021年	2 385	394.78	1 655.26	239.60	14.48	412.57	24.92	917.89	55.45	71.95	4.35	10.88	0.66

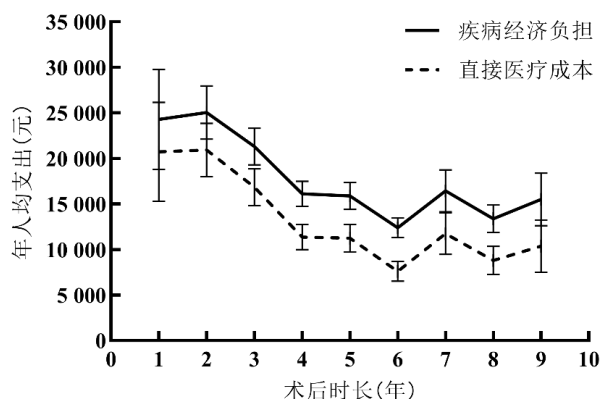


图1 疾病经济负担、直接医疗成本与儿童肝移植术后时长的关系

Figure 1. Relationship between economic burden of disease, direct medical costs, and length of time after pediatric liver transplantation

表5 疾病经济负担、直接医疗成本与术后时长、患者现年龄、手术年龄的相关性分析

Table 5. Analysis of the correlation between disease economic burden, direct medical cost and postoperative time, current age of patients and surgical age of patients

患者特征	疾病经济负担		直接医疗成本	
	$r_s$	$P$	$r_s$	$P$
年龄	-0.034	0.441	-0.085	0.051
手术年龄	0.132	0.003	0.102	0.020
术后时长	-0.234	<0.001	-0.275	<0.001

### 2.3.2 直接非医疗成本和家庭主观疾病经济负担感受

本地就医患儿及陪护人员平均交通费 512.71 元/年, 平均住宿费 123.53 元/年; 异地就医患儿及陪护人员平均交通费 1 933.37 元/年, 平均住宿费 824.75 元/年。根据 2021 年我院 PLT 受者就诊信息估算, 2021 年我院 PLT 受者家庭的直接非医疗成本为 116.90 万元, 人均 2 248.05 元 (95%CI: 2 169.86~2 326.24)。

218 名 (93.2%) 监护人认为肝移植给家庭带来了经济负担, 其中 44 名 (18.8%) 认为家庭经济负担非常重, 84 名 (35.9%) 认为家庭经济负担较重。99 名 (42.3%) 家庭肝移植相关经济支出占家庭年收入 40% 以上。基于问卷调查结果, 不同主观经济负担感受的家庭中患儿原发病类型分布差异有统计学意义 ( $P=0.006$ ), 而保险类型

分布差异无统计学意义 ( $P > 0.05$ )。

### 2.3.3 间接成本

根据《中华人民共和国 2021 年国民经济和社会发展统计公报》<sup>[7]</sup> 全年人均 GDP 为 80 976 元, 日人均 GDP 为 221.85 元。统计得患儿陪护人员年平均误工时长为 13 d。根据 2021 年我院 PLT 受者就诊信息估算, 2021 年我院 PLT 受者家庭的间接成本为 119.62 万元, 人均 2 300.42 元 (95%CI: (2 253.43~2 347.40))。

### 2.4 疾病经济负担

2021 年我院 PLT 术后复诊的疾病经济负担为 929.25 万元, 人均 17 870.12 元 (95%CI: 16 370.87~19 369.37)。PLT 术后复诊的经济负担与术后时长呈负相关, 相关性有统计学意义 ( $r_s=-0.234$ ,  $P < 0.05$ ), 术后前两年的复诊经济负担约 2.5 万元, 之后维持治疗每年约 1.5 万元; 与手术年龄呈正相关, 相关性有统计学意义 ( $r_s=0.132$ ,  $P < 0.05$ ), 见表 5。结构发育异常和遗传代谢病患儿的疾病经济负担显著低于其他诊断的患儿 ( $Z=10.978$ ,  $P < 0.05$ ); 特病医保患儿的疾病经济负担显著高于医疗保险 ( $Z=55.807$ ,  $P < 0.001$ ) 和自费 ( $Z=59.486$ ,  $P < 0.001$ ) 患儿。其他因素的不同亚组患儿直接医疗成本差异均无统计学意义 ( $P > 0.05$ )。

## 3 讨论

器官移植带来的经济负担始终是国家、社会 and 患者家庭的关注热点。2007 年北京市将肝移植术后免疫抑制治疗纳入医保报销, 同一时期全国多地出台地方政策将免疫抑制治疗纳入医疗保险报销范围。2020 年国家医疗保障待遇清单中指明器官移植术后免疫抑制治疗可参照住院管理和支付<sup>[8]</sup>。《2022 年国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录调整工作方案》<sup>[9]</sup> 优化了申报范围, 向罕见病患者、儿童等特殊人群适当倾斜。本研究从全社会角度, 分析近 5 年我院 PLT 受者术后就医的疾病经济负担, 以期完善医保补偿政策、开展相关卫生经济学评估提供数据支持。目前全国共有 114 家医疗机构具有肝脏移植资格, 均为三级甲等医院, 手术、治疗、检查、药品、耗材等各项费用遵循国家统一定价, 本研究所得数据在全国范围内具有参考价值。

近年推出的各项政策有效降低了 PLT 术后就

医花费,使近 5 年人均支出呈下降趋势。但对于患者家庭仍是沉重的经济负担。2021 年我院 PLT 受者疾病经济负担为人均 17 870.12 元,占 2021 年人均可支配收入(35 128 元)<sup>[7]</sup>的 50.87%。42.3% 的家庭认为肝移植相关经济支出占家庭年收入 40% 以上,属于家庭灾难性医疗支出。北美移植人群中存在类似情况,Khera 等<sup>[10]</sup>对 190 例慢性移植抗宿主病患者的调查结果显示,仅 1 例患者无医疗保险,但有 66% 的患者存在经济负担。

PLT 术后并发症主要有细菌或病毒感染、排斥反应、胆道并发症、血管并发症等。随着术后时间增长,患儿复诊频率下降,移植肝功能稳定,免疫抑制方案逐渐由多药联合转变为他克莫司或环孢素单药治疗,直接医疗成本随之下降。近 5 年,门诊和住院患儿的药费支出始终是占比最高的一项,2019 年以来,门诊药占比始终大于 50%。PLT 术后常用药物包括免疫抑制药物,如他克莫司、环孢素、吗替麦考酚酯、霉酚酸钠、甲泼尼龙等;预防不良反应的药物,如奥美拉唑、骨化三醇等。长期使用免疫抑制药物会引起药物不良反应,并造成沉重的经济负担。目前国际上部分学者希望通过停用免疫抑制药物来降低经济负担,提高患儿生活质量。Mohammad 等<sup>[11]</sup>建立 Markov 模型,在胆道闭锁的 PLT 受者中模拟了停用免疫抑制药物对生存、成本和质量调整生命年的影响,结果显示撤除免疫抑制药物可能具有成本-效益优势,但当前证据不足以支持这一临床决策。Feng 等<sup>[12]</sup>对儿童和成人停用免疫抑制药物的研究进行综述,认为儿童术后生存期更长,潜在的未知风险更多,难以制定儿童安全撤药标准。因此,免疫抑制药物仍将是 PLT 术后的主要经济负担。

从全社会的角度考虑,享受特病医保的患儿疾病经济负担和直接医疗成本更高。一方面,这表示特病补偿机制使患儿得到更充分的治疗,有效缓解了患儿家庭的顾虑和经济压力;另一方面,也需要警惕是否因报销比例提高导致医疗资源浪费。Harries 等<sup>[13]</sup>提出对成人肝移植受者实施药师指导的药物治疗计划可以减少二次移植和错误用药的发生,从而降低药费支出。国内外均有研究<sup>[14-16]</sup>显示,临床药师参与慢性疾病药物治疗具有成本-效益优势,开展移植儿童门诊随访管理

是非常有必要的<sup>[17]</sup>。推动临床药师参与 PLT 术后长期药物治疗,制定个体化治疗方案,可能有助于避免医疗资源浪费,从社会层面减轻 PLT 术后就医的经济负担。

本研究也存在一些局限性:①直接医疗成本仅调取了本院数据,患儿监护人在其他医疗机构或网络上购药的支出未能计入,这是微观成本法难以避免的固有弊端;②肝移植直接非医疗成本和间接成本问卷调研数据有限,回收率一般,可能存在应答偏倚,尚待进一步扩大样本量。本院患儿来自全国各地,数据结果具有一定的代表性,但不同移植中心治疗方案可能存在差异,导致最终费用不同,仍然需要进一步开展多中心研究,扩大样本量,提高数据可靠性。

综上,2017—2021 年 PLT 受者术后直接医疗成本呈先增后降趋势,PLT 术后经济负担会随着时间的延长而降低,但对于患儿家庭仍是较重的负担。药费始终是 PLT 术后就医中占比最高的医疗负担,2022 年吗替麦考酚酯胶囊成功进入第 7 批集中采购药品目录,单价由 300~400 元降至 44.5 元,期待更多免疫抑制药物进入集中采购药品目录,并通过优化器官移植医疗资源配置,减少全社会和 PLT 受者家庭经济负担。

## 参考文献

- 1 夏强,朱欣烨.儿童肝移植发展现状及展望[J].临床小儿外科杂志,2022,21(5):401-404.[Xia Q,Zhu XY. Current development and future outlook of pediatric liver transplantation[J]. Journal of Clinical Pediatric Surgery, 2022, 21(5): 401-404.] DOI: 10.3760/ema.j.cn101785-202202028-001.
- 2 高伟.儿童肝移植的手术技术创新[J].器官移植,2022,13(3):296-302.[Gao W. Surgical technical innovations in pediatric liver transplantation[J]. Organ Transplantation, 2022, 13(3): 296-302.] DOI: 10.3969/j.issn.1674-7445.2022.03.003.
- 3 Sanada Y, Sakuma Y, Onishi Y, et al. Long-term outcomes in pediatric patients who underwent living donor liver transplantation for biliary atresia[J]. Surgery, 2022, 171(6): 1671-1676. DOI: 10.1016/j.surg.2021.11.027.
- 4 Ufere NN, Satapathy N, Philpotts L, et al. Financial burden in adults with chronic liver disease: a scoping review[J]. Liver Transpl, 2022, 28(12): 1920-1935. DOI: 10.1002/

- lt.26514.
- 5 郑大喜, 肖艳芳, 程燕. 器官获取、移植相关收费价格政策回顾、操作难点及突破[J]. 中国卫生经济, 2020, 39(12): 57–62. [Zheng DX, Xiao YF, Cheng Y. Review, operation difficulties and breakthrough of organ acquirement and transplanting related charge and price policies[J]. Chinese Health Economics, 2020, 39(12): 57–62.] DOI: 10.7664/CHE20201213.
  - 6 Murray CJ, Kreuser J, Whang W. Cost-effectiveness analysis and policy choices: investing in health systems[J]. Bull World Health Organ, 1994, 72(4): 663–674. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/7923545/>.
  - 7 国家统计局. 中华人民共和国 2021 年国民经济和社会发展统计公报[R]. 2022.
  - 8 国家医疗保障局, 财政部. 国家医保局财政部关于建立医疗保障待遇清单制度的意见[Z]. 2021: 医保发〔2021〕5号.
  - 9 国家医疗保障局. 国家医疗保障局关于公布《2022 年国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录调整工作方案》及相关文件的公告[Z]. 2022.
  - 10 Khera N, Hamilton BK, Pidala JA, et al. Employment, insurance, and financial experiences of patients with chronic graft-versus-host disease in North America[J]. Biol Blood Marrow Transplant, 2019, 25(3): 599–605. DOI: 10.1016/j.bbmt.2018.09.040.
  - 11 Mohammad S, Li Z, Englesbe M, et al. Withdrawal of immunosuppression following pediatric liver transplantation: a Markov analysis[J]. J Pediatr Gastroenterol Nutr, 2014, 59(2): 182–189. DOI: 10.1097/MPG.0000000000000413.
  - 12 Feng S, Bucuvalas J. Tolerance after liver transplantation: Where are we?[J]. Liver Transpl, 2017, 23(12): 1601–1614. DOI: 10.1002/lt.24845.
  - 13 Harries L, Gwiasda J, Qu Z, et al. Potential savings in the treatment pathway of liver transplantation: an inter-sectorial analysis of cost-rising factors[J]. Eur J Health Econ, 2019, 20(2): 281–301. DOI: 10.1007/s10198-018-0994-y.
  - 14 陈强, 徐娟, 王进, 等. 临床药师对心血管慢病患者开展药物重整服务的成本-效益[J]. 中国临床药学杂志, 2019, 28(6): 426–429. [Chen Q, Xu J, Wang J, et al. Cost-benefit analysis of clinical pharmacists in medication reconciliation care provided for patients with cardiovascular diseases[J]. Chinese Journal of Clinical Pharmacy, 2019, 28(6): 426–429.] DOI: 10.19577/j.1007-4406.2019.06.006.
  - 15 Obreli-Neto PR, Marusic S, Guidoni CM, et al. Economic evaluation of a pharmaceutical care program for elderly diabetic and hypertensive patients in primary health care: a 36-month randomized controlled clinical trial[J]. J Manag Care Spec Pharm, 2015, 21(1): 66–75. DOI: 10.18553/jmcp.2015.21.1.66.
  - 16 张莹, 王华光, 刘丽宏. 临床药师参与肝移植患者治疗的作用分析[J]. 临床药物治疗杂志, 2017, 15(2): 67–70. [Zhang Y, Wang HG, Liu LH. Analysis of the role of clinical pharmacists in the treatment of patients undergoing liver transplantation[J]. Journal of Clinical Drug Therapy, 2017, 15(2): 67–70.] DOI: 10.3969/j.issn.1672-3384.2017.02.015.
  - 17 Lu YF, He K, Xia Q. Long-term outpatient management of pediatric patients after liver transplantation[J]. Ann Transplant, 2021, 26: e933806. DOI: 10.12659/AOT.933806.

收稿日期: 2022 年 10 月 13 日 修回日期: 2023 年 07 月 31 日  
本文编辑: 杨燕 钟巧妮