

芦康沙妥珠单抗对比含铂化疗二线治疗 EGFR 突变非小细胞肺癌的成本-效果分析



金立君¹, 张乐乐², 韩璐², 吕振业³

1. 温州市人民医院药剂科 (浙江温州 325041)
2. 中国药科大学附属江宁中医院药学部 (南京 211100)
3. 温州市人民医院胸心外科 (浙江温州 325041)

【摘要】目的 从我国医疗卫生体系角度出发, 评价芦康沙妥珠单抗对比含铂化疗方案二线治疗进展的 EGFR 突变非小细胞肺癌 (NSCLC) 的成本-效果。**方法** 基于 OptiTROP-Lung04 临床试验构建 Markov 模型, 以 28 d 为一个周期, 模拟时间设置为 10 年, 计算两组的总成本、质量调整生命年 (QALYs) 和增量-成本效果比 (ICER), 通过单因素敏感性分析和概率敏感性分析验证研究结果的稳健性并进行相应的情景分析。**结果** 芦康沙妥珠单抗组相对于化疗组的增量成本为 194 521.32 元, 增加了 0.68 QALYs, ICER 为 286 907.68 元·QALY⁻¹, 显著高于 2024 年 2 倍人均国内生产总值的意愿支付阈值。单因素敏感性分析结果显示, 无进展生存期效用值、疾病进展效用值对 ICER 的影响较大, 但不会逆转基础分析的主要结论。概率敏感性分析显示, 在本研究设定的支付阈值下, 芦康沙妥珠单抗组具有成本-效果的概率为 0%。情境分析结果表明, 当该适应证纳入医保或提高支付阈值时, 该方案具有经济性的概率为 100%。**结论** 芦康沙妥珠单抗方案对比含铂化疗方案治疗 EGFR 突变的 NSCLC 在我国现有经济水平下不具有成本-效果优势。

【关键词】 芦康沙妥珠单抗; 非小细胞肺癌; EGFR 突变; 质量调整生命年; 增量-成本效果比; 成本-效果分析; 情景分析

【中图分类号】 R956 **【文献标志码】** A

Cost-effectiveness analysis of sacituzumab tirumotecan versus platinum-based chemotherapy as second-line treatment for progressed EGFR-mutant non-small-cell lung cancer

JIN Lijun¹, ZHANG Lele², HAN Lu², LYU Zhenye³

1. Department of Pharmacy, Wenzhou People's Hospital, Wenzhou 325041, Zhejiang Province, China
2. Department of Pharmacy, Affiliated Jiangning Hospital of Chinese Medicine, China Pharmaceutical University, Nanjing 211100, China
3. Department of Cardiothoracic Surgery, Wenzhou People's Hospital, Wenzhou 325041, Zhejiang Province, China

Corresponding authors: HAN Lu, Email: 1329005595@qq.com; LYU Zhenye, Email: lzy185@163.com

DOI: 10.12173/j.issn.1005-0698.202601096

基金项目: 浙江省卫生健康科技计划 (2022KY1205)

通信作者: 韩璐, 主管中药师, Email: 1329005595@qq.com

吕振业, 主任医师, Email: lzy185@163.com

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

【Abstract】Objective To evaluate the cost-effectiveness of the sacituzumab tirumotecan (sac-TMT) versus platinum-based chemotherapy as second-line treatment for progressed EGFR-mutant non-small cell lung cancer (NSCLC) from the perspective of China's healthcare system. **Methods** A Markov model was constructed based on the OptiTROP-Lung04 trial. The model was set with a 28-day cycle and a 10-year simulation horizon. The primary outcomes included total cost, quality-adjusted life-years (QALYs) and incremental cost-effectiveness ratio (ICER). The robustness of the results was verified through one-way sensitivity analysis and probabilistic sensitivity analysis (PSA), along with corresponding scenario analyses. **Results** Compared with the chemotherapy group, the sac-TMT group was associated with an incremental cost of 194,521.32 yuan and an incremental effectiveness of 0.68 QALYs, yielding an ICER of 286,907.68 yuan·QALY⁻¹, which was considerably higher than the willingness-to-pay (WTP) threshold of two times the 2024 per capita gross domestic product (GDP). One-way sensitivity analysis demonstrated that the utility values of progression-free survival and disease progression had relatively substantial impacts on the ICER, but did not alter the primary findings of the base-case analysis. PSA indicated that the sac-TMT group had a 0% probability of being cost-effective under the predefined WTP threshold in this study. Scenario analysis revealed that the cost-effective probability of this regimen increased to 100% when the indication was covered by medical insurance or the WTP threshold was elevated. **Conclusion** The sac-TMT regimen is unlikely to be cost-effective compared with platinum-based chemotherapy for EGFR-mutant NSCLC under the current economic conditions in China.

【Keywords】 Sacituzumab tirumotecan; Non-small cell lung cancer; EGFR mutation; Quality adjusted life year; Incremental Cost-effectiveness ratio; Cost-effectiveness analysis; Scenario analysis

肺癌是全球发病率和死亡率较高的恶性肿瘤之一^[1]，其中非小细胞肺癌（non-small cell lung carcinoma, NSCLC）占肺癌病例的85%左右^[2]。表皮生长因子受体（epidermal growth factor receptor, EGFR）突变是我国NSCLC最常见的驱动基因突变^[3]。肺癌临床诊疗指南推荐EGFR敏感基因突变的患者使用三代EGFR酪氨酸激酶抑制剂（tyrosine kinase inhibitors, TKIs），其可呈现出良好的安全性，但治疗耐药和疾病进展仍难以避免，因此当前基于铂类的双药化疗仍是现阶段的标准二线治疗方案，但其临床疗效有限，难以满足患者的治疗需求^[4-6]。对于EGFR-TKI耐药的EGFR突变NSCLC患者，仍需更多有效的后线治疗选择以延长患者的长期生存率。

芦康沙妥珠单抗（佳泰莱®）是我国自主研发的靶向人滋养细胞表面抗原2的新型抗体-药物偶联物药物。2024年11月，基于OptiTROP-Breast01研究的结果^[7]，该药获批用于治疗既往至少接受过2种系统治疗的不可切除的局部晚期或转移性三阴性乳腺癌成人患者；2025年3月，基于OptiTROP-Lung03研究的结果^[8]，该药又获批用于经EGFR-TKI和含铂化疗治疗后进展的EGFR基因突变阳性的局部晚期或转移性非鳞状

NSCLC成人患者；同年10月，基于OptiTROP-Lung04研究的结果^[5]，该药适应症进一步拓展至经EGFR-TKI治疗后进展的EGFR突变局部晚期或转移性非鳞状NSCLC成人患者（无需含铂化疗史），覆盖了更多肺癌治疗需求人群。2025年国家医保药品目录调整中，芦康沙妥珠单抗首次被纳入医保目录，但其报销范围仅包含前两项适应症。芦康沙妥珠单抗的每一项适应症获批和医保准入，都建立在扎实的临床试验数据之上，是临床价值与创新价值的双重体现。OptiTROP-Lung04研究显示，芦康沙妥珠单抗治疗EGFR敏感突变、经EGFR-TKI治疗失败的局部晚期或转移性非鳞状NSCLC患者中的疗效和安全性显著优于化疗组^[5]。芦康沙妥珠单抗的成功上市，为EGFR突变晚期肺癌患者在靶向耐药后树立了二线治疗的全新标准，但在医疗资源总量有限、创新抗肿瘤药定价偏高的行业背景下，成本-效果分析作为连接药物临床价值与经济价值的关键桥梁，其对提升医保基金使用效率、引导临床合理用药决策、优化整体医疗资源配置中的作用愈发重要，开展相关研究的必要性也日益凸显。鉴于此，本研究从我国医疗卫生体系出发，评价芦康沙妥珠单抗对比含铂化疗方案二线治疗EGFR-

TKIs 治疗后进展的 EGFR 突变 NSCLC 的成本-效果，以期为 NSCLC 患者的临床用药选择和相关医疗政策制定提供参考依据。

1 资料与方法

1.1 目标人群和治疗方案

本研究的目标人群参考 OptiTROP-Lung04 临床试验研究的纳入和排除标准。本研究纳入标准：①18~75 岁；②经组织学或细胞学检查确诊为局部晚期（IIIB 期/IIIC 期）或转移性（IV 期）非鳞状细胞 NSCLC，且不适合接受根治性手术或确定性化疗；③存在 EGFR 敏感突变；④接受过 1 代/2 代 EGFR-TKIs 治疗后疾病进展，且经证实 T790M 突变阴性或接受过 3 代 EGFR-TKIs 治疗后疾病进展；⑤美国东部肿瘤协作组（Eastern Cooperative Oncology Group, ECOG）体能状态评分为 0 或 1 分；预期生存期 ≥12 周。排除标准：①存在需要类固醇治疗的（非感染性）间质性肺病或非感染性肺炎病史；②组织学或细胞学检查证实合并其他恶性肿瘤。

研究将 376 名符合标准的患者按 1:1 的比例随机分配至芦康沙妥珠单抗组和化疗组。芦康沙妥珠单抗组接受注射用芦康沙妥珠单抗静脉注射治疗（ $5 \text{ mg} \cdot \text{kg}^{-1}$ ），28 d 为 1 个周期，每周期第 1 d 和第 15 d 各给药 1 次。化疗组接受注射用培美曲塞二钠（普来乐[®]， $500 \text{ mg} \cdot \text{m}^{-2}$ ）联合卡铂（波贝[®]，曲线下面积为 $5 \mu\text{g} \cdot \text{min}^{-1} \cdot \text{mL}^{-1}$ ）或顺铂（顺铂注射液[®]， $75 \text{ mg} \cdot \text{m}^{-2}$ ）治疗，21 d 为 1 个周期，每周期给药 1 次。完成 4 个周期后转入培美曲塞维持治疗（治疗方法同上）。所有患者的治疗方案均持续至疾病进展、发生不可耐受的毒性反应、患者自行退出研究或满足任何原因导致的停药标准。结合 OptiTROP-Lung04 研究的后续治疗方案^[5]和《中华医学会肺癌临床诊疗指南（2024 版）》^[6]，本研究假设所有患者在疾病进展（progression disease, PD）后分别接受培美曲塞、奥希替尼（泰瑞沙[®]）或最佳支持治疗，直至患者死亡。

1.2 模型构建

本研究采用 Tree Age Pro 软件构建动态 Markov 模型（图 1），模型包括无进展生存期（progression free survival, PFS）、PD 和死亡（death）3 种状态。研究假设患者初始状态均为

PFS 状态，每一循环都只能处于其中一种状态或保持不变。在不同状态中接受相应的药物治疗方案。根据给药方案，设定模型循环周期为 28 d，研究时限为 10 年，此时间节点下研究纳入的患者中 99% 已发生死亡。参照《中国药物经济学评价指南（2025 中英双语版）》，本研究对治疗成本和效用值以 4.5% 的年贴现率进行贴现，且均进行了半周期矫正^[9]。意愿支付阈值（willingness-to-pay, WTP）设定为 2 倍我国 2024 年人均国内生产总值（gross domestic product, GDP），根据国家统计局发布的相关数据^[10]计算可得 $\text{WTP} = 191\,498 \text{ 元} \cdot \text{QALY}^{-1}$ 。本研究的主要评估指标为总成本、增量-成本效果比（incremental cost-effectiveness ratio, ICER）和质量调整生命年（quality-adjusted life years, QALYs）。

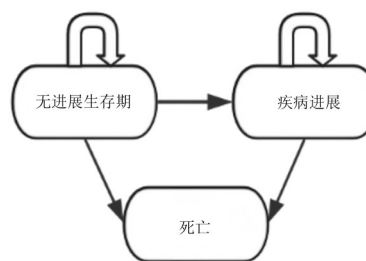


图 1 Markov 模型

Figure 1. Markov model

1.3 临床数据

1.3.1 生存数据提取与重构

本研究采用 Engauge Digitizer 软件，从 OptiTROP-Lung04 研究公布的生存曲线中提取患者的 PFS 和总生存期（overall survival, OS）曲线数据点，参考 Guyot 等^[11]提出的算法，利用 R 4.4.2 软件对数据进行重构，并对比原始数据与重构后患者个体数据的中位生存时间（表 1）。研究选取 Weibull (PH)、Log-normal、Log-logistic、Gompertz、Generalized gamma、Gamma 和 Exponential 7 种不同的分布分别进行曲线拟合和外推，结合赤池信息量准则（Akaike information criterion, AIC）和贝叶斯信息准则（Bayesian information criterion, BIC），同时采用视觉检验法来判断最优参数拟合分布^[12]。不同生存曲线拟合分布的 AIC、BIC 值和最优拟合分布的形状参数、尺度参数见表 2 和表 3。

1.3.2 转移概率

在 Markov 模型中，疾病存在多种状态且各状态间具有特定的转移概率。随着时间的变化，转

表1 生存曲线中位数拟合结果比较

Table 1. Comparison of median fitting results of survival curves

组别	生存指标	中位时间/月 (95%CI)	
		原始曲线	拟合曲线
芦康沙妥珠单抗组	PFS	8.3 (6.7, 9.9)	8.28 (6.8, 9.9)
	OS	NR (21.5, NE)	NA (21.5, NA)
化疗组	PFS	4.3 (4.2, 5.5)	4.36 (4.2, 5.5)
	OS	17.4 (15.7, 20.4)	17.5 (15.8, 20.5)

注：NR为未达到；NE为未评估；NA为不适用。

表2 不同生存曲线拟合分布的AIC、BIC值

Table 2. AIC and BIC values for different survival curve fitting distributions

分布类型	芦康沙妥珠单抗组				化疗组			
	PFS曲线		OS曲线		PFS曲线		OS曲线	
	AIC	BIC	AIC	BIC	AIC	BIC	AIC	BIC
Weibull (PH)	980.88	987.35	637.81	644.28	869.40	875.87	846.05	852.52
Log-normal	976.01	982.48	636.87	643.35	851.38	857.86	851.44	857.91
Log-logistic	978.33	984.81	636.68	643.16	848.94	855.41	848.56	855.04
Gompertz	987.67	994.14	641.32	647.80	896.72	903.19	848.76	855.23
Generalized gamma	977.26	986.97	638.34	648.05	852.90	862.61	847.96	857.67
Gamma	978.63	985.10	637.18	643.65	858.41	864.89	846.56	853.03
Exponential	989.85	993.09	642.71	645.95	905.72	908.96	866.80	870.04

表3 生存曲线参数分布

Table 3. Parametric distribution of survival curves

组别	生存曲线	最优拟合分布	$\mu/(\gamma)$	$\sigma/(\lambda)$
芦康沙妥珠单抗组	PFS	Log-normal	2.020	0.999
	OS	Log-logistic	1.538	27.354
化疗组	PFS	Log-logistic	2.420	4.590
	OS	Weibull (PH)	1.599	0.007

移概率也会随之变化。转移概率的计算方法参考周挺等^[13]研究，具体为：先计算从PFS状态到PFS状态的转移概率（pFTF）；将PFS到死亡的转移概率假设为自然死亡率（pFTD），考虑到本研究模型周期为28 d，参考Gidwani等^[14]的研究对其进行转换，公式如下： $r = -\ln(1-p) \cdot t^{-1}$ 、 $p = 1 - \exp(-rt)$ ，其中自然死亡率参考国家统计局2024年发布的人口死亡率数据（7.76‰）^[10]；从PFS状态转移到PD状态的转移概率（pFTP）等于 $1 - pFTF - pFTD$ ；最后计算从PD到PD的转移概率pPTP，这一步需明确某一周期处于PD的患者数（Npd2），其数值来源于上一周期处于PFS转移到PD的人数（Npfs1*pFTD）和上一周期处于PD的患者仍处于进展的数量（Npdl*pPTD）之和。因此，可得到等式： $Npd2 = Npfs1 \cdot pFTP + Npdl \cdot pPTP$ ，进而计算每一周期的pPTP。

1.4 成本和健康效用值

基于中国卫生体系的研究视角，本研究仅核算直接医疗成本，包括药品成本、最佳支持治疗

成本、不良反应处理成本、随访成本（含检验成本、影像学成本、住院费用）等。药品成本来源于2025年1月—12月的药智网药品中标价格中位数^[15]，鉴于芦康沙妥珠单抗自2026年1月起执行新的医保支付价（4 550元·200 mg⁻¹），沿用2025年价格开展分析难以契合当前临床用药实际，对决策参考意义不足。故本研究采用该药现行医保价格进行测算，以提高研究的时效性与应用价值。随访成本的参考需要具有权威性和可及性，浙江省的经济发展水平和医疗服务定价在全国范围内具有较好的居中参照意义。相较于北上广深等特大城市，其价格泡沫较少；相较于中西部地区，其医疗服务体系和定价又更为规范成熟。此外，卫生经济学研究中，全国性的医疗服务实时成交价往往难以全面获取，而《浙江省基本医疗保险医疗服务项目目录》是政府公开发布的官方定价文件，具有法定效力和权威性。国内许多高质量药物经济学评价文献在缺乏全国统一定价的情况下，常采用某一代表性省份的定价作

为替代^[16-17]。浙江省因其医疗资源丰富且数据公开透明,是此类研究中常用的参照省份之一。这种做法有利于后续研究结果与已发表的同类文献进行横向对比。因此,本研究选取《浙江省基本医疗保险医疗服务项目目录》中公示的价格,其余成本(已根据医疗保健消费价格指数调整)均来源于相关文献^[18-20]。为简化模型,本研究仅纳入OptiTROP-Lung04研究中 ≥ 3 级且发生率 $\geq 5\%$ 的严重不良反应^[5]。为准确计算药品使用剂量及其对应成本,本研究假设患者的平均体重为65 kg,平均体表面积为1.72 m²,肌酐清除率为70 mL·min⁻¹^[21]。PFS、PD效用值和不良反应负效用值优先考虑基于中国人群或亚洲人群的研究数据,Nafees等的研究^[22]虽为国际多中心研究,但包含了中国人群的样本,且被后续多项针对中国人群的药物经济学研究引用并验证,具有良好的跨文化适配性。对于存在多个适用研究数据来源的情况,Nafees的研究引用率较高,更便于研究的横向对比。综上PFS、PD效用值和不良反应负效用值均参考该研究中中国地区的效用值。模型参数见表4。

1.5 不确定性分析

本次研究进行单因素敏感性分析(one-way sensitivity analysis, OWSA)和概率敏感性分析(probabilistic sensitivity analysis, PSA),以验证研究结果的稳健性。在OWSA中,本研究假设贴现率取值范围为0~5%,对于成本等无界参数,取值范围设定为基线值的 $\pm 20\%$ 。对于效用值和不良事件发生率等有明确上下限(0~1之间)的参数,其取值范围则基于已发表文献中^[17, 21]报道的最小值和最大值进行设定,以确保分析过程处于参数的合理取值区间内,符合医学和生物学的客观规律。其他参数的变化范围均设定为基线的 $\pm 20\%$ ^[18],分析结果以旋风图呈现。PSA采用二阶蒙特卡罗模拟1 000次,成本服从Gamma分布,效用值和不良反应发生率服从Beta分布,分析结果以增量成本-效果散点图和成本-效果可接受曲线显示。

1.6 情境分析

情景分析一:为提高抗肿瘤创新药的临床可及性和患者可负担性,国家基本医保目录实施年度动态调整机制并持续纳入符合条件的抗肿瘤新药。根据最新医保目录显示,卡铂和顺铂被列为甲类药品,培美曲塞、奥希替尼和芦康沙妥珠单

抗则属于乙类药品,其中,芦康沙妥珠单抗基于OptiTROP-Lung04研究阳性结果获批的新适应症,因获批时间晚于2025年医保谈判的形式审查截止时间,暂未纳入医保谈判范围。而该药此前获批的2项适应症均已成功纳入医保(乙类管理),并自2026年1月1日起正式执行医保支付价格。故本研究参考其已纳入医保的适应症价格(4 550元·200 mg⁻¹,医保报销比例70%^[23]),对经EGFR-TKIs治疗后进展的EGFR突变阳性NSCLC患者中,芦康沙妥珠单抗对比含铂化疗方案的药物经济学价值进行评估。

情景分析二:鉴于我国各地区经济发展水平与医疗资源可及性存在显著差异,本研究以人均GDP的2倍设定WTP阈值,并结合2024年人均GDP数据,选取北京市、江苏省、浙江省作为代表地区。上述三地均为我国经济发达地区,可较好代表高收入区域医疗支付能力;且三地人均GDP呈梯度差异,便于构建差异化支付情景,进一步提升结果稳健性;同时三地医疗资源集中、肿瘤诊疗规范、创新药临床可及性高,是临床应用的典型区域,且相关数据质量可靠、医保政策具有全国示范意义,研究结论具备较强外推性与参考价值。因此,本研究以北京市、江苏省、浙江省为例,模拟在不同经济背景下芦康沙妥珠单抗治疗方案的成本-效果差异。

2 结果

2.1 基础分析

基础分析结果显示,芦康沙妥珠单抗方案与含铂化疗方案相比,为患者多带来0.68 QALYs,同时治疗总成本增加194 521.32元,ICER为286 907.68元·QALY⁻¹,该数值高于2倍我国人均GDP的WTP阈值(191 498元·QALY⁻¹)。表明在当前的治疗定价与支付标准下,与化疗方案相比,芦康沙妥珠单抗治疗我国EGFR突变的NSCLC患者不具有经济性(表5)。

2.2 单因素敏感性分析

单因素敏感性分析结果显示(图2),横坐标轴ICER范围约为20万至50万元,但基础ICER为28万元。图中显示PFS效用值和PD效用值的变动对ICER影响最大,但即使在其上下限,ICER也高于WTP阈值9万元。

表4 成本模型参数
Table 4. Cost model parameters

模型参数	基线值	下限	上限	分布	来源
药物成本 (元)					药智网 ^[15]
注射用芦康沙妥珠单抗/200mg	4 550.00	3 640.00	5 460.00	Gamma	
注射用培美曲塞二钠/500mg	468.00	374.40	561.60	Gamma	
卡铂注射液/15ml: 150mg	79.00	63.20	94.80	Gamma	
注射用顺铂/20mg	12.22	9.78	14.66	Gamma	
甲磺酸奥希替尼片/80mg	165.54	132.43	198.65	Gamma	
最佳支持治疗成本 (元/周期)	3 115.66	2 492.53	3 738.79	Gamma	文献 ^[18]
检验成本 (元)					浙江省基本医疗保险医疗服务项目目录
血常规/次	15.00	12.00	18.00	Gamma	
血生化/次	180.00	144.00	216.00	Gamma	
尿常规/次	18.00	14.40	21.60	Gamma	
影像学成本 (元)					浙江省基本医疗保险医疗服务项目目录
CT检查/次	80.00	64.00	96.00	Gamma	
MRI检查/次	500.00	400.00	600.00	Gamma	
住院费用 (元)					浙江省基本医疗保险医疗服务项目目录
护理费/日	26.00	20.80	31.20	Gamma	
床位费/日	20.00	16.00	24.00	Gamma	
诊疗费/次	22.00	17.60	26.40	Gamma	
静脉注射费/次	5.80	4.64	6.96	Gamma	
抗肿瘤化学药物配置/次	34.00	27.20	40.80	Gamma	
不良反应处理成本 (元/次)					文献 ^[19]
贫血	3 204.00	2 563.20	3 844.80	Gamma	
血小板减少	20 982.00	16 785.60	25 178.40	Gamma	
中性粒细胞减少	2 904.00	2 323.20	3 484.80	Gamma	
白细胞减少	3 010.00	2 408.00	3 612.00	Gamma	
效用值					文献 ^[20]
PFS	0.804	0.536	0.840	Beta	
PD	0.321	0.031	0.473	Beta	
不良反应负效用值					文献 ^[18, 22]
贫血	0.073	0.058	0.088	Beta	
白细胞减少	0.200	0.160	0.240	Beta	
中性粒细胞减少	0.200	0.160	0.240	Beta	
血小板减少	0.190	0.152	0.228	Beta	
不良反应发生率-单抗组					文献 ^[5]
贫血	0.110	0.088	0.132	Beta	
白细胞减少	0.280	0.224	0.336	Beta	
中性粒细胞减少	0.400	0.320	0.480	Beta	
血小板减少	0.020	0.016	0.024	Beta	
不良反应发生率-化疗组					文献 ^[5]
贫血	0.140	0.112	0.168	Beta	
白细胞减少	0.220	0.176	0.264	Beta	
中性粒细胞减少	0.330	0.264	0.396	Beta	
血小板减少	0.160	0.128	0.192	Beta	

表5 基础分析结果
Table 5. Basic analysis results

方案	成本/元	增量成本/元	效果/QALYs	增量效果/QALYs	ICER (元·QALY ⁻¹)
化疗组	71 537.81	—	0.60	—	—
芦康沙妥珠单抗组	266 059.13	194 521.32	1.28	0.68	286 907.68

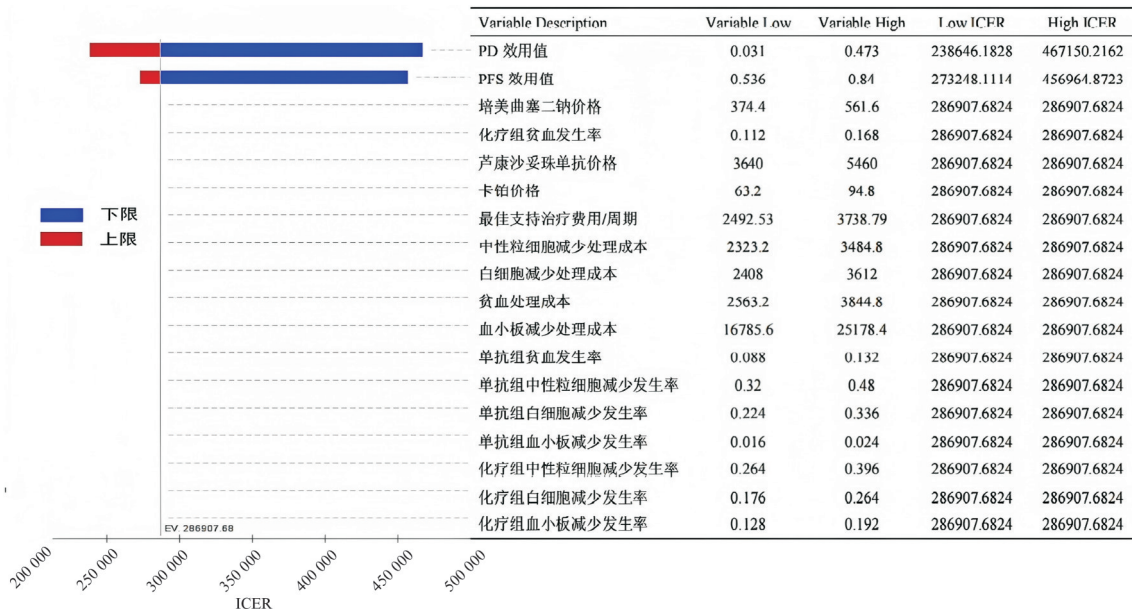


图2 芦康沙妥珠单抗组对比含铂化疗组的单因素敏感性分析旋风图

Figure 2. Tornado diagram of one-way sensitivity analysis of sac-TMT versus platinum-based chemotherapy

2.3 概率敏感性分析

概率敏感性分析结果见增量成本-效果散点图 (图3) 和成本-效果可接受曲线 (图4)。由图3可知, 所有ICER值均在第一象限且均在WTP阈值线之上, 说明该方案具有经济优势的概率为0%。由图4可知, 当WTP为287 000元·QALY⁻¹时, 2种方案的经济性概率均为50%, 随WTP阈值的增加, 单抗组具有经济性的概率逐步提升。当WTP提高至331 700元·QALY⁻¹时, 芦康沙妥珠单抗组具有经济性的概率为100%。

2.4 情境分析

情境分析一 (表6、图5): 药品价格变动仅影响治疗方案的总成本, 而不改变QALY, 随着价格下调, ICER呈显著下降趋势。当芦康沙妥珠单抗按纳入医保价后的价格实施时, 该方案具有经济性的概率为100%。情境分析二 (图6): 查询国家统计局发布的最新数据可知^[10], 我国各地区的人均GDP差异较大。其中北京以228 011元居首, 江苏160 694元第三, 浙江135 565元位列第五, 当WTP阈值为2倍北京、江苏和浙江人均GDP (456 334元·QALY⁻¹、321 388元·QALY⁻¹和271 130元·QALY⁻¹) 时, 该方案具有经济性的概率分别为100%、99.60%和12.00%。

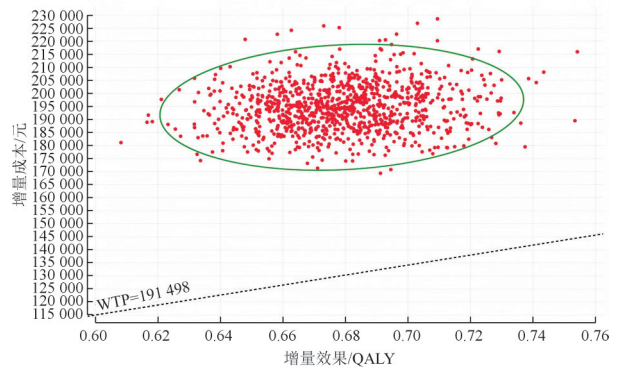


图3 芦康沙妥珠单抗组对比含铂化疗组的增量成本-效果散点图

Figure 3. Incremental cost-effectiveness scatter plot of sac-TMT versus platinum-based chemotherapy

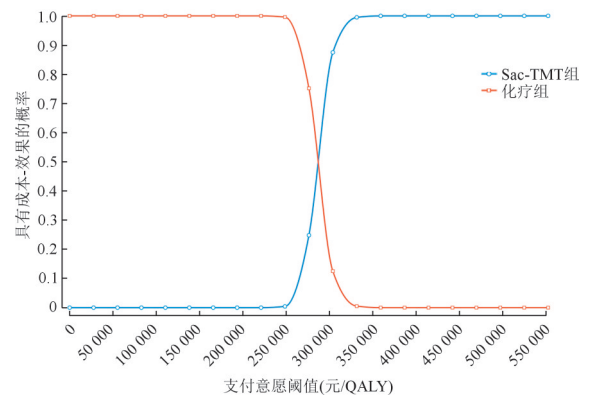


图4 芦康沙妥珠单抗组对比含铂化疗组的成本-效果可接受曲线

Figure 4. Cost-effectiveness acceptability curve of sac-TMT versus platinum-based chemotherapy

表6 情境一的基础分析结果

Table 6. Basic analysis results of scenario 1

方案	成本/元	增量成本/元	效果/QALYs	增量效果/QALYs	ICER (元·QALY ⁻¹)
化疗组	39 753.94	—	0.60	—	—
芦康沙妥珠单抗组	99 446.31	59 692.38	1.28	0.68	88 042.80

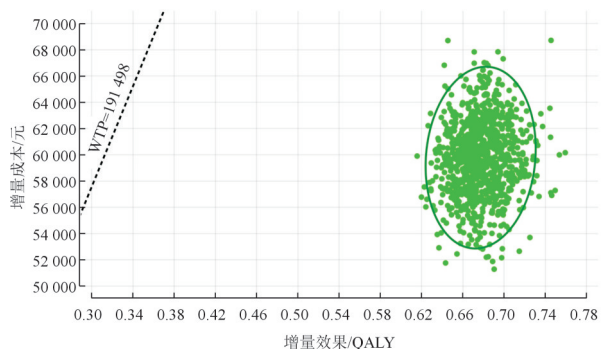


图5 情境一的增量成本-效果散点图

Figure 5. Incremental cost-effectiveness scatter plot of scenario 1

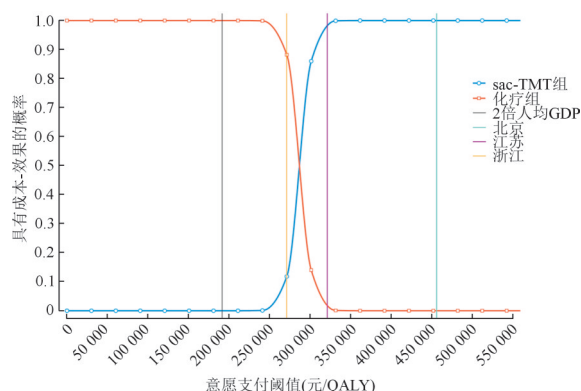


图6 情境二成本-效果可接受曲线

Figure 6. Cost-effectiveness acceptability curve of scenario 2

3 讨论

本研究旨在从我国医疗卫生体系角度出发,评价芦康沙妥珠单抗对比含铂化疗方案治疗EGFR-TKIs治疗后进展的EGFR突变NSCLC的成本-效果。研究结果显示,与含铂化疗方案相比,芦康沙妥珠单抗方案的增量成本为194 521.32元,为患者多带来0.68 QALYs, ICER为286 907.68元·QALY⁻¹,远高于本次研究设定的WTP阈值。概率敏感性分析结果进一步验证,该方案在当前支付标准下具有经济优势的概率为0%。本研究ICER数值高于WTP阈值9万元,这一结果不仅明确提示芦康沙妥珠单抗在当前价格下不具备经济性,更量化了其价格溢价幅度,可为后续医保谈判与价格调整提供直接、量化的参考依据。尽管芦康沙妥珠

单抗能够为患者带来更优的临床获益,在疗效层面体现出独特价值,但在当前定价条件下,从药物经济性角度尚不具备成本-效果优势。

一款新型抗肿瘤药品从研发到成功上市需要历经多重挑战,包括漫长的研发周期、高昂的投入成本、相对偏低的研发成功率和专利保护壁垒等,这些因素共同推高了药品的最终定价^[24-25]。而高定价又引发一系列连锁反应:如药品治疗成本急剧升高,但这种高投入并未带来增量效益的大幅度增加,反而拉高了ICER,使得其很难表现出令人满意的成本效果,进而制约了其在临床实践中的可及性与卫生经济学价值^[26-27]。考虑到芦康沙妥珠单抗方案的成本-效果可能受药品价格的强烈影响,本研究在情境分析中详细讨论了其价格变化对ICER的影响。假设本药品的该适应证纳入医保后按乙类药品管理,结果显示,该方案具有经济性的概率为100%。医保谈判作为一种市场化机制,凝聚了我国13亿参保人的用药需要,与药企进行了以量换价的谈判,从而达到患者、医保、企业三方共赢的支付价格。目前该适应证尚未纳入医保,未来的价格调整也存在不确定性。鉴于芦康沙妥珠单抗疗效突出,结合本研究量化的溢价幅度与明确的价格调整空间,其在纳入医保目录后有望展现出良好的成本-效益。

此外,本研究在情景分析中还深入探讨了WTP门槛对最终经济结果的潜在影响。本次研究严格遵循《中国药物经济学评价指南》^[9]的要求,将WTP阈值设定为2倍人均GDP,但结果显示ICER远超阈值。研究表明^[28],不同疾病的支付阈值理当有所区别,一方面,抗肿瘤药品的定价本身就高于一般药品;另一方面,肿瘤患者对于延长生存期、提升生存质量有着极为迫切的需求,相应的支付意愿也会更高。有学者建议可针对性为抗肿瘤药物设定更高的支付阈值。以美国为例,在开展普通药物的成本-效果评估时,WTP阈值范围通常设定在5~10万美元·QALY⁻¹;而针对抗肿瘤药品,这一阈值范围会相应上调,设定在10~15万美元·QALY⁻¹^[29]。鉴于我国基本

国情，通过设定不同城市的2倍人均GDP为WTP阈值，以模拟在不同经济背景下芦康沙妥珠单抗的成本-效果。结果显示，支付阈值为2倍北京市、江苏人均GDP，该治疗方案具有经济学的概率分别为100%、99.60%，具有经济学优势。当支付阈值为2倍浙江省人均GDP时，其概率仅有12%，其经济性认可度显著下降。这一结果的核心原因，仍在于药品的高定价。

Cai等^[30]基于美国和中国医疗卫生体系评估了德曲妥珠单抗(trastuzumab deruxtecan, T-DXd)作为二线治疗用于人表皮生长因子受体2(human epidermal growth factor receptor 2, HER2)突变型晚期NSCLC的成本-效果，结果显示，在美国医疗卫生体系中，与多西他赛和纳武利尤单抗方案相比，T-DXd分别增加了0.63、0.06 QALYs，ICER分别为338 997.84、1 437 258.33美元·QALY⁻¹。在我国医疗卫生体系中，与多西他赛、纳武利尤单抗和吡咯替尼治疗方案相比，T-DXd分别增加了0.63、0.06、0.13 QALYs，ICER分别为137 959.45、623 805.93、515 447.12美元·QALY⁻¹。其中单抗价格是影响ICER的主要因素。T-DXd虽然为HER2突变NSCLC患者带来了显著的临床获益，但在美国和中国，相比于多西他赛、纳武利尤单抗和吡咯替尼等治疗方案，其成本-效果优势并不显著。这表明定价策略对该治疗方案的经济可行性具有决定性影响。鉴于此，建议医保部门在开展抗肿瘤创新药医保谈判时，应充分考虑肿瘤患者的实际支付能力，以合理的价格让创新药物惠及更广泛的目标人群，真正实现其临床价值和社会效益。

本研究也存在一定局限性。第一，本研究模型构建的核心数据主要基于OptiTROP-Lung04临床试验公开结果及相关文献资料。受限于该研究公开信息较为有限，如二线后具体治疗方案、患者生活质量等关键参数未详细披露，本研究需结合临床诊疗指南及已发表文献进行合理假设，这可能在一定程度上导致研究结果存在偏倚。同时，本研究采用简化模型设计，仅假设患者疾病进展后接受标准后续治疗，未进一步纳入多线治疗对生存结局与医疗成本的综合影响，与真实世界临床实践存在一定差距；第二，在不良反应治疗费用的测算中，本研究仅纳入OptiTROP-Lung04研究中发生率差异≥5%的3-4级不良反应，尽管结果表明治疗相关不良反应成本的变化

对模型几乎没有影响，但也可能导致了成本的低估；第三，针对OptiTROP-Lung04试验的OS分析显示，截至随访时间点，单抗组治疗方案的中位OS尚未达到。尽管统计拟合方法可用于长期生存结局的预测，但此类方法仍可能导致模型预测结果与真实临床场景之间出现偏差，这类局限性在抗肿瘤疗法的模型化药物经济学分析中难以完全规避，这也在一定程度上增加了本研究模型结果的不确定性。

综上所述，在我国医疗卫生体系中，若缺乏药品价格调整或专项医保政策支持，芦康沙妥珠单抗方案对比含铂化疗方案治疗EGFR突变的NSCLC不具有成本-效果优势。本研究开展的情景分析可为该药品的医保准入提供数据支撑，为后续药品谈判提供参考意义。

利益冲突声明：作者声明本研究不存在任何经济或非经济利益冲突。

参考文献

- 1 Sung H, Ferlay J, Siegel RL, et al. Global Cancer Statistics 2020: GLOBOCAN estimates of incidence and mortality worldwide for 36 cancers in 185 countries[J]. *CA Cancer J Clin*, 2021, 71(3): 209-249. DOI: 10.3322/caac.21660.
- 2 Shu Y, Ding Y, Li F, et al. Cost-effectiveness of nivolumab plus ipilimumab versus chemotherapy as first-line therapy in advanced non-small cell lung cancer[J]. *Int Immunopharmacol*, 2023, 114: 109589. DOI: 10.1016/j.intimp.2022.109589.
- 3 任挺,王琳宁,常峰,等. 阿美替尼对比奥希替尼二线治疗EGFR T790M阳性的晚期非小细胞肺癌的成本-效用分析[J]. *中南药学*, 2024, 22(12): 3382-3387. [Ren T, Wang LL, Chang F, et al. Cost-utility Analysis of almonertinib versus osimertinib as second-line therapy for advanced EGFR T790M-positive non-small cell lung cancer[J]. *Central South Pharmacy*, 2024, 22(12): 3382-3387.] DOI: 10.7539/j.issn.1672-2981.2024.12.039.
- 4 樊佳萌,潘蕾. 驱动基因阳性晚期非小细胞肺癌靶向治疗的不良反应及其管理研究进展[J]. *药物流行病学杂志*, 2025, 34(11): 1320-1329. [Fan JM, Pan L. Research advances in adverse reactions and their management of targeted therapy for advanced non-small cell lung cancer with positive driver genes[J]. *Chinese Journal of Pharmacoepidemiology*, 2025, 34(11): 1320-1329.] DOI: 10.12173/j.issn.1005-0698.202507079.
- 5 Fang W, Wu L, Meng X, et al. Sacituzumab tirumotecan in EGFR-TKI-resistant, EGFR-mutated advanced NSCLC[J]. *N Engl J Med*, 2026, 394(1): 13-26. DOI: 10.1056/NEJMoa2512071.
- 6 中华医学会肿瘤学分会. 中华医学会肿瘤临床诊疗指南(2024版)[J]. *中华医学杂志*, 2024, 104(34): 3175-3213. [Chinese Medical Association Oncology Branch. Chinese medical association clinical practice guidelines for lung cancer (2024 Edition)[J]. *Chinese*

- Medical Journal, 2024, 104(34): 3175–3213.] DOI: [10.3760/cma.j.cn112137-20240511-01092](https://doi.org/10.3760/cma.j.cn112137-20240511-01092).
- 7 Yin Y, Fan Y, Ouyang Q, et al. Sacituzumab tirumotecan in previously treated metastatic triple-negative breast cancer: a randomized phase 3 trial[J]. *Nat Med*, 2025, 31(6): 1969–1975. DOI: [10.1038/s41591-025-03630-w](https://doi.org/10.1038/s41591-025-03630-w).
 - 8 ZFang W, Li X, Wang Q, et al. Sacituzumab tirumotecan versus docetaxel for previously treated EGFR-mutated advanced non-small cell lung cancer: multicentre, open label, randomised controlled trial[J]. *BMJ*, 2025, 389: e085680. DOI: [10.1136/bmj-2025-085680](https://doi.org/10.1136/bmj-2025-085680).
 - 9 吴晶, 刘国恩. 中国药物经济学评价指南 2025[M]. 北京: 中国市场出版社, 2025: 53–55. [Wu J, Liu GE. *China Guidelines for Pharmacoeconomic Evaluation 2025*[M]. Beijing: China Market Press, 2025: 53–55.]
 - 10 国家统计局. 中华人民共和国 2024 年国民经济和社会发展统计公报[EB/OL]. (2025-03-15)[2026-02-28]. https://www.stats.gov.cn/sj/zxfb/202502/t20250228_1958817.html.
 - 11 Guyot P, Ades AE, Ouwens MJ, Welton NJ. Enhanced secondary analysis of survival data: reconstructing the data from published Kaplan-Meier survival curves[J]. *BMC Med Res Methodol*, 2012, 12: 9. DOI: [10.1186/1471-2288-12-9](https://doi.org/10.1186/1471-2288-12-9).
 - 12 Liu N, Zhou Y, Lee JJ. IPDfromKM: reconstruct individual patient data from published Kaplan-Meier survival curves[J]. *BMC Med Res Methodol*, 2021, 21(1): 111. DOI: [10.1186/s12874-021-01308-8](https://doi.org/10.1186/s12874-021-01308-8).
 - 13 周挺, 马爱霞. 生存分析在药物经济学评价 Markov 模型转移概率计算中的应用[J]. *中国循证医学杂志*, 2018, 18(10): 1129–1134. [Zhou T, Ma AX. Application of survival analysis in calculating transition probabilities of markov model in pharmacoeconomic evaluation[J]. *Chinese Journal of Evidence-Based Medicine*, 2018, 18(10): 1129–1134.] DOI: [10.7507/1672-2531.201801088](https://doi.org/10.7507/1672-2531.201801088).
 - 14 Gidwani R, Russell L B. Estimating transition probabilities from published evidence: a tutorial for decision modelers[J]. *Pharmacoeconomics*, 2020, 38(11): 1153–1164. DOI: [10.1007/s40273-020-00937-z](https://doi.org/10.1007/s40273-020-00937-z).
 - 15 药智网. 药品中标[EB/OL]. [2026-02-28]. <https://data.yaozh.com/yaopinzhongbiao>.
 - 16 张潇, 卫雅楠, 刘昊, 等. 奥希替尼治疗 I B ~ III A 期完全切除 EGFR 突变非小细胞肺癌的成本效果分析[J]. *药物评价研究*, 2025, 48(4): 946–952. [Zhang X, Wei YN, Liu H, et al. Cost-effectiveness analysis of osimertinib for completely resected stage IB - IIIA EGFR-mutated non-small cell lung cancer[J]. *Drug Evaluation Research*, 2025, 48(4): 946–952.] DOI: [10.7501/j.issn.1674-6376.2025.04.016](https://doi.org/10.7501/j.issn.1674-6376.2025.04.016).
 - 17 胡冬雪, 郑颖, 高倩, 等. 派安普利单抗一线治疗晚期鳞状非小细胞肺癌的药物经济学评价[J]. *中国药房*, 2025, 36(11): 1364–1370. [Hu DX, Zheng Y, Gao Q, et al. Pharmacoeconomic evaluation of penpulimab as first-line therapy for advanced squamous non-small cell lung cancer[J]. *China Pharmacy*, 2025, 36(11): 1364–1370.] DOI: [10.6039/j.issn.1001-0408.2025.11.13](https://doi.org/10.6039/j.issn.1001-0408.2025.11.13).
 - 18 梁森, 刘洋, 王宪英. 埃万妥单抗联合化疗用于 EGFR 突变的晚期 NSCLC 的成本-效果分析[J]. *中国药房*, 2025, 36(6): 715–720. [Liang M, Liu Y, Wang XY. Cost-effectiveness analysis of amivantamab combined with chemotherapy for advanced NSCLC with EGFR mutation[J]. *China Pharmacy*, 2025, 36(6): 715–720.] DOI: [10.6039/j.issn.1001-0408.2025.06.13](https://doi.org/10.6039/j.issn.1001-0408.2025.06.13).
 - 19 Xiang G, Gu L, Chen X, et al. Economic evaluation of first-line camrelizumab for advanced non-small-cell lung cancer in China [J]. *Front Public Health*, 2021, 9: 743558. DOI: [10.3389/fpubh.2021.743558](https://doi.org/10.3389/fpubh.2021.743558).
 - 20 She L, Hu H, Liao M, et al. Cost-effectiveness analysis of pembrolizumab versus chemotherapy as first-line treatment in locally advanced or metastatic non-small cell lung cancer with PD-L1 tumor proportion score 1% or greater[J]. *Lung Cancer*, 2019, 138: 88–94. DOI: [10.1016/j.lungcan.2019.10.017](https://doi.org/10.1016/j.lungcan.2019.10.017).
 - 21 李越, 孔树佳, 赵婧, 等. 阿得贝利单抗联合化疗一线治疗广泛期小细胞肺癌的成本效果分析[J]. *中国现代应用药学*, 2024, 41(9): 1267–1274. [Li Y, Kong SJ, Zhao P, et al. Cost-effectiveness analysis of adrebelimab combined with chemotherapy as first-line treatment for extensive-stage small cell lung cancer[J]. *Chinese Journal of Modern Applied Pharmacy*, 2024, 41(9): 1267–1274.] DOI: [10.13748/j.cnki.issn1007-7693.20231119](https://doi.org/10.13748/j.cnki.issn1007-7693.20231119).
 - 22 Nafees B, Lloyd AJ, Dewilde S, et al. Health state utilities in non-small cell lung cancer: An international study[J]. *Asia Pac J Clin Oncol*, 2017, 13(5): e195–e203. DOI: [10.1111/ajco.12477](https://doi.org/10.1111/ajco.12477).
 - 23 冯乃灿. 医保支付方式改革的策略研究[J]. *经济师*, 2023, (8): 226–227. [Feng NC. Research on strategies for the reform of medical insurance payment methods[J]. *China Economist*, 2023, (8): 226–227.] DOI: [10.3969/j.issn.1004-4914.2023.08.107](https://doi.org/10.3969/j.issn.1004-4914.2023.08.107).
 - 24 Liang X, Chen X, Li H, et al. Cost-effectiveness of camrelizumab plus chemotherapy in advanced squamous non-small-cell lung cancer[J]. *Immunotherapy*, 2023, 15(14): 1133–1142. DOI: [10.2217/imt-2023-0008](https://doi.org/10.2217/imt-2023-0008).
 - 25 Zhang X, Zhang H, Li L, et al. Cost-effectiveness analysis of pembrolizumab plus chemotherapy in squamous non-small-cell lung cancer in China[J]. *Risk Manag Healthc Policy*, 2023, 16: 1849–1857. DOI: [10.2147/rmhp.s429394](https://doi.org/10.2147/rmhp.s429394).
 - 26 Shao T, Ren Y, Zhao M, et al. Cost-effectiveness analysis of camrelizumab plus chemotherapy as first-line treatment for advanced squamous NSCLC in China[J]. *Front Public Health*, 2022, 10: 912921. DOI: [10.3389/fpubh.2022.912921](https://doi.org/10.3389/fpubh.2022.912921).
 - 27 Ye Z, Xu Z, Li H, et al. Cost-effectiveness analysis of durvalumab plus chemotherapy as first-line treatment for biliary tract cancer[J]. *Frontiers in Public Health*, 2023, 11: 1046424. DOI: [10.3389/fpubh.2023.1046424](https://doi.org/10.3389/fpubh.2023.1046424).
 - 28 Ryen L, Svensson M. The willingness to pay for a quality adjusted life year: a review of the empirical literature[J]. *Health Economics*, 2015, 24(10): 1289–1301. DOI: [10.1002/hec.3123](https://doi.org/10.1002/hec.3123).
 - 29 Bae YHJ, Mullins CD. Do value thresholds for oncology drugs differ from nononcology drugs? [J]. *J Manag Care Spec Pharm*, 2014, 20(11): 1086–1092. DOI: [10.18553/jmcp.2014.20.11.1086](https://doi.org/10.18553/jmcp.2014.20.11.1086).
 - 30 Cai Q, You S, Huang J, et al. Cost-effectiveness of trastuzumab deruxtecan as a second-line treatment for HER2-mutant advanced non-small cell lung cancer[J]. *Hum Vaccin Immunother*, 2025, 21(1): 2468070. DOI: [10.1080/21645515.2025.2468070](https://doi.org/10.1080/21645515.2025.2468070).

收稿日期: 2026 年 01 月 23 日 修回日期: 2026 年 03 月 24 日
 本文编辑: 桂裕亮 李绪辉