



领袖视角

## 美国市场临床试验的致胜因素：兜底患者治疗费用

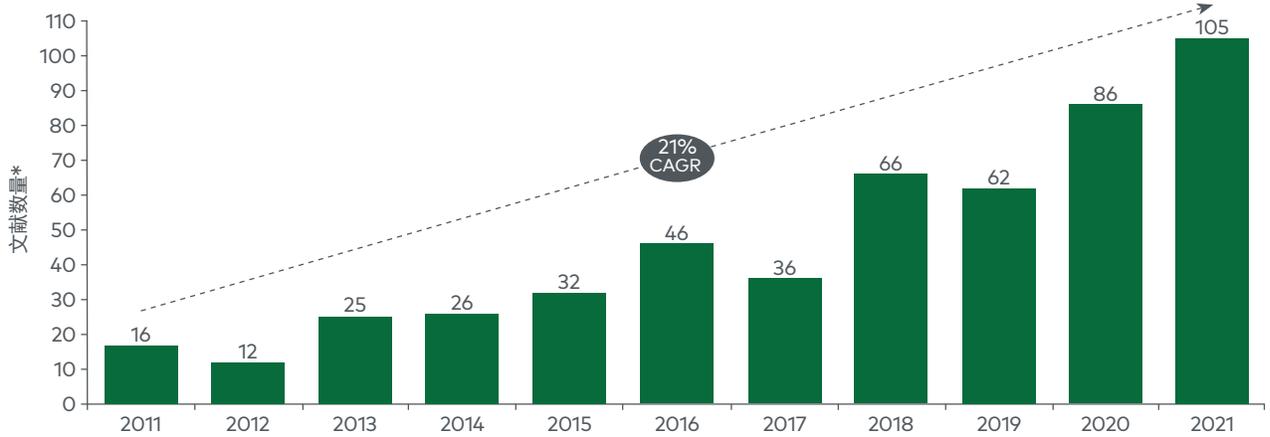
患者招募困难是导致临床试验进度延误的主要原因之一。美国目前仅有2%-5%的患者参与临床试验。<sup>1</sup>然而，患者是临床试验的核心，没有他们，新疗法的开发或医疗服务创新都将无法推进。因此，临床试验申办方需确保足够的患者参与并完成试验。目前，已经有大量研究集中探讨阻碍患者参与临床试验的因素，但大部分研究都聚焦于如何提高临床试验的患者可及性（例如，为社区人群提供更多参与临床试验的机会）或支付间接费用（例如，旅行和住宿费用）上。

缺乏全方位的患者支持可能是导致美国市场中临床试验参与度不足的原因之一。此外，申办方是否兜底基线或对照药物（即标准诊疗方式）的费用同样会影响患者参与度，甚至导致患者中途退出（在英国等其他国家，基线或对照药物的费用通常由临床试验的申办方承担）<sup>2</sup>。经济困难的弱势群体尤其会受到较大影响。

### 美国癌症药物临床试验中，基线或对照药物的医保覆盖现状

得益于《平价医疗法案》<sup>3</sup>和各州立法<sup>4</sup>，美国的医保覆盖范围在过去二十年中有所改善，但仍然存在一些重大漏洞。如果临床试验不是在指定医疗机构进行，或者这些药物不在保险计划的药品福利设计范围之内，即使是标准疗法，也可能不被医保报销。2010年3月23日之前制定的保险计划不需要改变药品福利结构，也可以覆盖临床试验相关的医疗费用。此外，临床试验中药物的超适应症使用也可能会导致医保覆盖失效。所有这些不确定性都会带来“财务毒性”（financial toxicity），进而引发患者以及临床试验申办方的担忧。过去10年中，全球关于“财务毒性”的研究不断增多（图1），患者调研同样显示，经济方面的担忧是最常被提及的话题，16%-47%正在积极接受治疗的患者表示面临着较重的经济负担。<sup>5</sup>

**图1**  
 学术文献中关于“财务毒性”这一主题的研究数量的增长



\*关于乳腺癌患者“财务毒性”的出版物数量  
 注释：CAGR=复合年均增长率  
 资料来源：Cheng et al., Medicine (Baltimore), 2023

医保对临床试验相关治疗覆盖的缺乏或失效会对临床试验申办方产生一系列负面影响，例如拉低患者的参与率，并延缓药物的开发进程。随之而来的问题是，申办方是否应该考虑兜底基线或对照药物的医药费用，以提高患者参与率？这样做是否对申办方有好处？

整体来看，为患者的治疗费用兜底能够让申办方、医院、医疗人员以及患者都从中获益。申办方可通过避免保险审批等流程障碍来提高临床试验效率，以提高药物的可及性，惠及更多患者。此外，申办方还可以通过降低临床试验参与者的经济负担来加速患者招募，从而加快创新疗法的开发进程。医院和医疗人员可参与前沿研究，同时为寻求创新疗法的患者提供优质医疗服务。参加临床试验的患者则可以接受治疗并继续参与试验，其经济负担也会相对减少，他们的参与还能推进药物的开发进程，并为后续研究奠定基础。

### 制定分析框架以了解申办方兜底患者基线治疗费用的综合影响

如果申办方兜底患者的所有治疗费用，其经济获益是否足够覆盖相关支出？是否还会带来其他隐性好处？为了回答上述问题，我们对影响临床试验的关键成本和因素进行了分析。我们建议申办方从总试验成本的角度进行评估，而不是仅关注短期支付的药品费用。评估应力求全面，还要考虑患者群体的多样性等因素（尤其考虑到最近美国FDA发布了关于增加临床试验患者多样性的指南）。

临床试验运营相关的成本通常是固定的，而与患者相关的成本通常可变。临床试验延误也会带来巨大的隐性成本，而延误的主要原因通常包括患者招募周期拉长、患者因经济负担过重/治疗效果不佳/出现不良事件而退出试验。一些研究表明，临床试验延误一天可能导致高达800万美元的药品收入损失。<sup>6</sup>

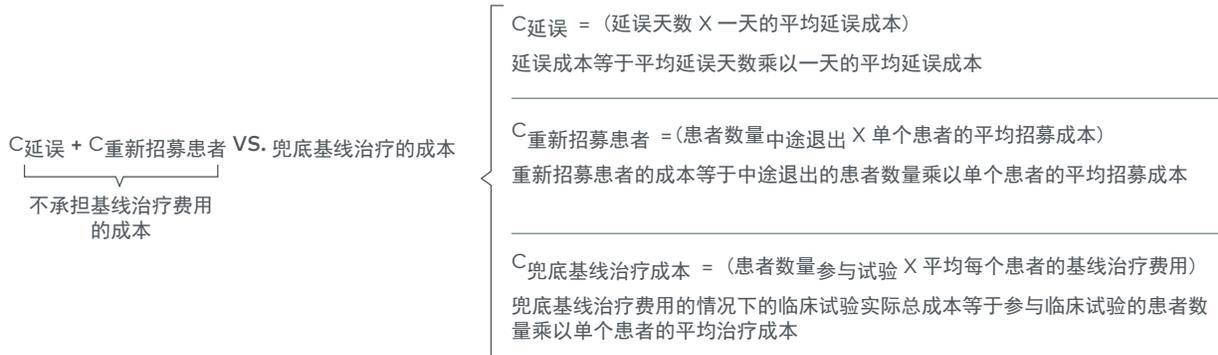
如果申办方兜底患者的基线治疗费用，就必须将每个患者所需治疗费用作为可变成本纳入考量，同时，因经济原因而导致的患者退出带来的相关可变成本（重新招募患者、试验延误）将不复存在。然而，如果申办方不兜底基线治疗费用，可能导致的结果是临床试验的参与者数量减少，临床实验数据和结果的可靠度也会下降。

根据上述逻辑，我们基于已知成本（不包括固定成本），制定了一个成本框架来帮助申办方对临床试验成

本进行量化分析。我们将这一框架总结为一个公式，申办方可用其对比承担和不承担基线治疗费用的临床试验总成本。

图2

兜底基线治疗费用和不承担基线治疗费用的主要成本对比



资料来源：L.E.K.研究与分析

如果申办方不承担基线治疗费用，临床试验成本可分为两个主要部分：与临床试验延误相关的成本以及因患者因经济原因中途退出而导致的患者重新招募成本。相反，如果申办方兜底基线治疗费用，就只需要考虑为所有参与试验的患者提供基线治疗的费用成本。

### 申办方不承担基线治疗费用vs.兜底基线治疗费用的关键成本

为了更清晰地说明这一临床试验成本框架，我们以早期癌症临床试验为例。假设试验需要100名参与者，据此我们提出了三种成本模型（保守、适中和激进）。无论申办方承担还是不承担基线治疗费用，我们都将患者退出以及相关成本纳入了考量。

在“适中”型成本示例中，我们假设申办方不承担基线治疗费用。为了招募到100名参与者，申办方必须扩大其筛选合格的患者库，以填补拒绝参与试验的患者的空缺。试验启动后，约有9%的参与者因经济负担过重而退出，也有部分参与者因其他原因退出。最终将有75名合格的患者参与并完成试验，另外还需要重新招募25名患者。考虑到重新招募患者的成本及其造成的试验延误，最终临床试验的总成本约为6400万美元。

如果申办方兜底基线治疗费用，因经济负担拒绝参与试验的患者数量将会降低为零，最初参与试验的患者数量增加至148人。此外，试验过程中也没有患者因经济压力退出，最后有124名合格患者能参与并完成试验。申办方还可以进一步筛选患者，确保有100名患者完成试验即可。这种情况下，申办方必须计算每位患者的基线治疗费用。假设所有患者都接受基线治疗，且只需承担（扣除医保后）自付部分的费用，临床试验的总成本约为700万美元。

对比来看，申办方兜底基线治疗费用可节省5700万美元的临床试验成本，其中大部分是因为临床试验延误的情况减少了，并实现加速药品上市。基于之前的逻辑，我们对患者的自付费用做出了更加保守或激进的假设，据此推算出申办方能够节省1600万美元到1.44亿美元不等的临床试验成本。

需要注意的是，上述结果全部基于我们对试验规模、延误时间、收入损失和基线治疗费用的假设。实际也可能出现试验规模过大、基线治疗的费用过高或开发药物的预期收入不够高的情况，但也可能出现申办方兜底基线治疗费用可节省大量成本的情况。在试验初步规划阶段，申办方应该对整体的成本和收益进行评估，并全面考量所有潜在选择，以实现更好的经济性结果。

图3

对比申办方不承担基线治疗费用vs.兜底基线治疗费用的临床试验实际总成本（示例）

患者数量 (不承担基线治疗费用)	患者数量 (兜底基线治疗费用)	假设	保守	适中	激进
筛选合格的患者数量	238	不承担基线治疗费用的临床试验实际总成本	-	-	-
因经济原因拒绝参与试验*	(48)	延误成本 = (30天 <sup>^^</sup> × 一天的平均延误成本)	-\$18M <sup>^^^</sup>	-\$60M <sup>^^</sup>	-\$150M <sup>^^</sup>
因其他原因拒绝参与试验**	(90)	重新招募患者的成本 = (25名患者 × 单个患者的平均招募成本)	-\$930K <sup>^^</sup>	-\$4M <sup>^^^</sup>	-\$75M <sup>^^^</sup>
因经济原因中途退出试验***	100	不承担基线治疗费用的临床试验实际总成本 = 延误成本 + 重新招募患者的成本	-\$19M	-\$64M	-\$157M
因其他原因中途退出试验 <sup>^</sup>	(9)	兜底基线治疗费用的临床试验实际总成本 = 参加试验的患者数量 × 单个患者的基线治疗费用	-\$3M <sup>^^^</sup>	-\$7M <sup>^</sup>	-\$13M <sup>^^</sup>
筛选合格并完成试验的患者数量	75	节省的成本 = 不承担基线治疗费用的临床试验实际总成本 - 兜底基线治疗费用的临床试验实际总成本	-\$16M	-\$57M	-\$144M
	将需要重新招募25名患者	多出24名患者，可进一步削减至100名			

\*假设58%的患者拒绝参加，这58%的患者中有35%（即约20%）因经济原因拒绝参与试验  
 \*\*剩余38%的患者因其他原因拒绝参与试验  
 \*\*\*假设25%的患者中途退出，这25%的患者中有35%（即9%）因经济原因中途退出  
 ^其余16%的患者因其他原因中途退出  
 ^^预估延误30天，统计数据显示94%的临床试验延误时间超过1个月  
 ^^“保守”模型中，预估每天可能损失60万美元的收入  
 \*^临床一期试验中，每名患者的招募费用为37.050美元  
 \*\*^假设患者服用某新型口服药物的平均治疗成本为13.5万美元，共同保险支付比例为25%  
 ^\* “适中”模型中，预估每天可能损失200万美元的收入  
 ^^^临床一期试验中，每名患者的招募费用为17.5万美元  
 \*假设患者服用某新型口服药物的平均治疗成本为13.5万美元，共同保险支付比例为50%  
 ^^ “激进”模型中，预估每天可能损失500万美元的收入  
 \*\*\*临床一期试验中，每名患者的招募成本为30万美元  
 \*\*^假设患者服用某新型口服药物的平均治疗成本为13.5万美元，保险公司不承保

资料来源：Strategic Patient Screening Q&A, Clinical Performance Partners (2014); Chino and Zafar, American Society of Clinical Oncology Educational Book (2019); Advarra; Bell et al., British Medical Journal (2013); Alexander, Pharmacy and Therapeutics (2013); Avantor; Chaudhari et al., Perspectives in Clinical Research (2020); CenterWatch; Sertkaya et al., Clinical Trials (2016); Health Cost Institute and Dusetzina SB, The Journal of the American Medical Association Oncology (2016); American Society of Clinical Oncology (ASCO); Employer Health Benefits Survey, Kaiser Family Foundation (2022)

### 申办方兜底患者基线药物费用的案例

如上文所示，在早期癌症临床试验中，兜底患者的基线治疗费用很有可能会帮助申办方节约大量成本。除了经济效益，这种做法还有其他好处，包括提高试验参与度、减少患者退出的情况（例如，如果申办方兜底患者的基线治疗费用，只有90名患者拒绝参加试验；如果不承担，就会有138名患者拒绝参加）。

申办方兜底基线治疗费用后，患者将不会面临高昂的自付费用或其他无法预料的花销，患者招募会因此得

到极大改善，之前因担心医疗费用或无法获得基线/标准疗法而选择退出的患者将更有可能留下完成整个试验。这样做能够消除患者在医疗费用方面的后顾之忧，使参与试验的患者人数增加，申办方也可能因此可以减少试验参加机构数量，从而进一步节省成本（试验地点成本，不包括人力资源，预估在约40万美元至300万美元之间<sup>7</sup>）。此外，申办方承担患者的基线医疗费用还能带来一系列隐性好处，包括提升申办方“首选申办方”的声誉，让更广泛、更多样化的患者群体获得治疗，使患者能够助力创新药物的未来发展，以及加快药物开发进程。

这种简化的计算方式虽然不能全方位反映临床试验的复杂性，但我们能从中看出，在特定情况下，申办方应该考虑兜底所有临床试验患者的基线和参照药物费用，这样做不仅是为了降低成本，也是为了让更多患者获得所需治疗，缩短药物开发时间。最终，这些措施能吸引更多原本不会参与临床试验的患者。

总体而言，临床试验的患者参与度仍然受限。目前申办方正在探索多种不同的解决方案（例如，改善可及性、提升患者教育、减少间接费用等），其中减少患者参与临床试验的经济压力正在获得越来越多的关注。患者往往担心药物无法被医保覆盖，或医保覆盖失效。申办方可通过兜底患者的基线治疗费用来减少试验延误、避免不必要的患者重新招募，假设有100名患者参与临床试验，这样做可帮助申办方节省约1600万至1.44亿美元，同时提高其“首选申办方”的声誉。除了申办方，患者也能从中获利：患者可继续参与试验而不必担心过高的治疗费用，同时推动医学进步。

如欲了解更多信息，请联系 [apac.healthcare@lek.com](mailto:apac.healthcare@lek.com)。

## 尾注

1 Journal of Oncology Practice, "Enrollment of Patients With Lung and Colorectal Cancers Onto Clinical Trials." <https://ascopubs.org/doi/full/10.1200/JOP.2012.000598>

2 European Medicines Agency, "ICH E6 (R3) Guideline on good clinical practice (GCP)." [https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/draft-ich-e6-r3-guideline-good-clinical-practice-gcp-step-2b\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/draft-ich-e6-r3-guideline-good-clinical-practice-gcp-step-2b_en.pdf)

3 Clinical Cancer Research, "The Impact of Insurance on Access to Cancer Clinical Trials at a Comprehensive Cancer Center." <https://aacrjournals.org/clincancerres/article/16/24/5997/75943/The-Impact-of-Insurance-on-Access-to-Cancer>

4 Journal of Clinical Oncology, "Financial Concerns About Participation in Clinical Trials Among Patients With Cancer." <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4872013/>

5 American Society of Clinical Oncology Educational Book, "Financial Toxicity and Equitable Access to Clinical Trials." [https://ascopubs.org/doi/10.1200/EDBK\\_100019](https://ascopubs.org/doi/10.1200/EDBK_100019)

6 Journal of Medical Internet Research, "Online Patient Recruitment in Clinical Trials: Systematic Review and Meta-Analysis." <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33146627/>

7 Clinical Trials, "Key cost drivers of pharmaceutical clinical trials in the United States." <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/26908540/>

## 关于作者



### Ian Tzeng

Ian Tzeng 是 L.E.K. 董事总经理兼合伙人，常驻波士顿，负责生命科学领域的医药外包服务相关业务。Ian 于1998年加入L.E.K.，他在增长战略制定、市场监管、创新、定价以及并购交易等方面拥有丰富经验，致力于在医药、疫苗、医疗器械、CRO、CDMO、供应链运营与分销、商业化、医学以及市场准入等领域为客户制定战略。



### Matt Wheeler

Matt Wheeler 是 L.E.K.董事总经理兼合伙人，常驻波士顿，负责医药外包服务相关业务。自2010年加入L.E.K.以来，Matt致力于在企业 and 业务单元增长战略制定、平台与产品组合开发、新市场进入以及战略并购等一系列关键领域为客户提供建议。在医药外包服务领域，他在临床服务、电子临床工具以及商业化服务方面拥有深厚的行业知识和丰富的项目经验。



### Kevin Giffels

Kevin Giffels是L.E.K.高级项目经理，常驻波士顿，专注于生命科学行业的医药外包服务领域，致力于与医药外包服务和生物制药企业客户展开合作。Kevin于2016年加入L.E.K.，他在产品组合优化、战略并购以及增长战略制定方面拥有丰富的项目经验。



### Parth Trivedi

Parth Trivedi 是 L.E.K. 顾问，常驻波士顿，专注生命科学行业。Parth致力于在企业 and 业务单元增长战略制定、研发组合优化与管理以及并购交易支持等一系列关键战略问题上为生物制药、诊断、生物加工和医药外包服务领域的企业客户提供支持。

## 关于L.E.K.咨询

我们是L.E.K.咨询，一家全球性的战略咨询公司，致力于帮助业务领导者把握竞争优势，获取持续增长。我们的深刻洞见能够帮助客户重塑业务发展轨迹，发掘机遇，并为其赋能，以把握每一个关键时刻。自1983年创立以来，我们遍布全球的团队在跨越美洲、亚太和欧洲的区域，与来自各个行业的跨国企业、创业企业以及私募股权投资者展开合作，为其提供战略咨询服务。如欲了解更多信息，请访问 [lek.com](http://lek.com)。

L.E.K. Consulting是L.E.K. Consulting LLC的注册商标。本文中提及的所有其他产品和品牌均为其各自所有者的财产。  
© 2024 L.E.K. Consulting