

# 2022年国家医保药品目录调整 申报材料（公示版）



## 中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

药品名称：重组人血小板生成素注射液

企业名称：沈阳三生制药有限责任公司

## 申报信息

申报时间	2022-07-13 16:50:59	药品目录	药品目录内
------	---------------------	------	-------

### 一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2022年12月31日协议到期的谈判药品。协议有效期包括谈判协议有效期和续约协议有效期。
- 2.2017年1月1日至2022年6月30日期间，经国家药监部门批准，适应症或功能主治发生重大变化的谈判药品和目录内其他药品。

药品通用名称（中文、含剂型）	重组人血小板生成素注射液	药品类别	西药
是否为独家	是	说明书全部注册规格	7500U/1ml, 15000U/1ml
上市许可持有人	沈阳三生制药有限责任公司		
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部适应症/功能主治	1、本品适用于治疗实体瘤化疗后所致的血小板减少症，适用对象为血小板低于 $50 \times 10^9/L$ 且医生认为有必要升高血小板治疗的患者。2、本品用于原发免疫性血小板减少症（ITP）的辅助治疗，适用对象为血小板低于 $20 \times 10^9/L$ 的糖皮质激素治疗无效（包括初始治疗无效、或有效后复发而再度治疗无效）的未接受脾切除治疗的患者。本品仅用于血小板减少及临床状态具有增加的出血风险的患者，不应用于试图使血小板计数升至正常数值的目的。		
现行医保目录的限定支付范围	限实体瘤化疗后所致的严重血小板减少症或特发性血小板减少性紫癜。		
说明书中联合用药规定	无		

新增适应症或功能主治	获批时间	用法用量
无。我司申请将现行医保限定支付范围中“严重”删除，调整为“限实体瘤化疗后所致的血小板减少症或特发性血小板减少性紫癜”，以便于临床合理施治。	2005-05-10	本品应在临床医师指导下使用。具体用法、剂量和疗程因病而异，推荐剂量和方法如下：1、恶性实体肿瘤化疗时，预计药物剂量可能引起血小板减少及诱发出血且需要升高血小板时，可于给药结束后6-24小时皮下注射本品，剂量为每日每公斤体重300U，每日一次，连续应用14天；用药过程中待血小板计数恢复至 $100 \times 10^9/L$ 以上，或血小板计数绝对值升高 $\geq 50 \times 10^9/L$ 时即应停用。当化疗中伴发白细胞严重减少或出现贫血时，本品可分别与重组人粒细胞集落刺激因子（rhG-CSF）或重组人红细胞生成素（rhEPO）合并使用。2、糖皮质激素治疗无效的原发免疫性血小板减少症（ITP），糖皮质激素治疗无效（包括上述适应症第2条中所涵盖的范围）时，可皮下注射本品，剂量为每日每公斤体重300U，每日一次，连续应用14天；若不足14天血小板计数已经升至 $\geq 100 \times 10^9/L$ 时则停止使用本品。若出现口、鼻或内脏等部位出血时，可给予输注血小板、抗纤溶止血药等应急处理。

### 新增适应症或功能主治参照药品

- 说明：
- 参照药品原则上应为同治疗领域内临床应用最广泛的目录内药品，最终参照药品认定以专家评审意见为准。
  - 中成药：一律填写日均费用。
  - 西药：（1）慢性病用药，若说明书中有治疗周期，请按说明书计算疗程费用；若无治疗周期，请按365天计算年费用。（2）急抢救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算疗程费用。（3）肿瘤、罕见病用药统一按365天用药计算年费用。（4）其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。（5）计算过程中如涉及以下指标，请统一按以下标准计算上述费用，如未按以下标准，请说明。
    - 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积 $0.8m^2$ 。
    - 成人：18周岁以上，体重60公斤，体表面积 $1.6m^2$ 。

参照药品名称	是否医保目录内
-	-

参照药品选择理由：-

### 三、有效性信息

试验类型1	RCT随机对照试验的系统评价或
试验对照药品	艾曲泊帕
试验阶段	获批后
本次新增的适应症或功能主治	无，对应的适应症为中国成人原发免疫性血小板减少症
对主要临床结局指标或替代性指标改善情况	• 治疗14天后，血小板计数升高至 $50 \times 10^9/L$ 的患者比例：特比澳75% vs. 艾曲泊帕43.75%；• 整体疗效（14天治疗的有效率）：特比澳76.47% vs. 艾曲泊帕47.83%；• 升高血小板的速度：特比澳每天 $1.48 \times 10^9/L$ vs. 艾曲泊帕每天 $0.46 \times 10^9/L$ ；• 升高血小板后维持作用：特比澳97.3% vs. 艾曲泊帕80.8%
试验类型2	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	白介素-11
试验阶段	获批后
本次新增的适应症或功能主治	无，对应的适应症为肿瘤化疗所致血小板减少症
对主要临床结局指标或替代性指标改善情况	与重组人白细胞介素-11相比，重组人血小板生成素可改善血小板最低值，提高血小板最高值，缩短血小板 $\leq 50 \times 10^9/L$ 的持续时间，缩短血小板恢复至 $\geq 75 \times 10^9/L$ 及恢复至 $\geq 100 \times 10^9/L$ 的时间。且血小板输注比例及不良反应发生比例更低。

临床指南/诊疗规范推荐情况1	2019版CACA发布的《中国肿瘤化疗相关性血小板减少症专家诊疗共识》建议，应在血小板计数 $< 75 \times 10^9/L$ 时应用rhTPO，可于化疗结束后6~24h皮下注射，剂量为 $300 U \cdot kg^{-1} \cdot d^{-1}$ ，1次/d，连续应用14d（1A类推荐）。
本次新增的适应症或功能主治	无新增，我司申请将限定支付范围中“严重”删除，调整为“限实体瘤化疗后所致血小板减少症或特发性血小板减少性紫癜”，以便于临床合理施治。
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《CSCO肿瘤治疗所致血小板减少症(CTIT)诊疗指南（2022版）》建议，应在血小板计数 $< 75 \times 10^9/L$ 时应用rhTPO，可于化疗结束后6~24h皮下注射，剂量为 $300 U \cdot kg^{-1} \cdot d^{-1}$ ，1次/d，连续应用14d（1A类推荐）。指南还建议，不符合血小板输注指征的血小板减少症患者，应在血小板计数 $< 100 \times 10^9/L$ 时应用rhTPO，通常于化疗结束后6~24h皮下注射。
本次新增的适应症或功能主治	无新增，我司申请将限定支付范围中“严重”删除，调整为“限实体瘤化疗后所致血小板减少症或特发性血小板减少性紫癜”，以便于临床合理施治。
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《感染诱发的老年多器官功能障碍综合征诊断与治疗中国指南2019》推荐，当血小板 $< 75 \times 10^9/L$ 时，应当考虑注射rhTPO，直至血小板数量连续2d增加量超过 $50 \times 10^9/L$ ，停止注射（II a类推荐，B级证据）
本次新增的适应症或功能主治	无新增，我司申请将限定支付范围中“严重”删除，调整为“限实体瘤化疗后所致血小板减少症或特发性血小板减少性紫癜”，以便于临床合理施治。
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《新型冠状病毒肺炎诱发的老年多器官功能障碍综合征诊疗专家建议（试行第1版）》推荐，当血小板 $< 75 \times 10^9/L$ 时，应当考虑注射rhTPO，直至血小板数量连续2d增加量超过 $50 \times 10^9/L$ ，停止注射（II a类推荐，B级证据）
本次新增的适应症或功能主治	无新增，我司申请将限定支付范围中“严重”删除，调整为“限实体瘤化疗后所致血小板减少症或特发性血小板减少性紫癜”，以便于临床合理施治。

国家药监局药品审评中心《技术	-
----------------	---

#### 四、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	较少发生不良反应，偶有发热、肌肉酸痛、头晕等，一般不需处理，多可自行恢复。在III期临床试验中未见严重不良反应。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	-

#### 五、创新性信息

创新程度	特比澳是由中国仓鼠卵巢细胞表达、经提炼而制成的全长糖基化重组蛋白类产品，全球独家上市，是国际上最被看好的基因工程蛋白药物之一。-863计划报告-“研制进度和水平在国际上处于领先地位，拥有自主知识产权，已经获得两项国家发明专利授权，在国际上最先实现该产品的规模化生产，标志着我国基因重组多肽药物的研发及产业化能力达到了国际领先水平。“rhTPO的研制成功是治疗血小板减少症的一个重要进展。”
应用创新	-机制更全面，与内源性血小板生成素具有相似的升高血小板的药理作用；-皮下注射较口服吸收起效快，对于危重症患者也可保证药物吸收；-对比口服类TPO-RAs不经肝脏代谢，较少出现与药物之间的相互作用，也较少发生肝毒性；-稳定快速升高血小板计数的同时安全性良好，不会出现rhIL-11及艾曲泊乙醇胺片应用中发生应用中的不良反应
传承性（仅中成药填写）	-

#### 六、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	血小板减少会增加出血倾向，其中以皮肤黏膜出血最为常见，尿道和胃肠道出血次之，但也可能引起胃肠道大量出血和颅内出血（ICH），危及生命。ITP患者的HRQoL与糖尿病人的相似，生存质量较癌症病人更低；化疗导致血小板减少将直接增加患者出血风险进而增加患者输血次数，造成患者化疗剂量降低、化疗时间推迟，最终减弱化疗效果、增加医疗费用，对患者的生存质量及生存时间带来严重影响。
符合“保基本”原则描述	初步估算每个患者接受治疗时，个人支付费用大约为1136元，占居民人均可支配收入的3.70%，人均消费支出的比重为5.27%，个人费用较低可负担。在同治疗领域内的市场占有率高，已覆盖全国绝大多数城市，易于获得，可及性较好。
弥补目录短板描述	-实体瘤化疗后所致的血小板减少 目前临床常用的治疗措施包括药物治疗和血小板输注，其中药物仅为特比澳和rhIL-11，血小板输注存在来源紧缺、感染风险高、输注无效及单次治疗金额较大的问题。而特比澳的升高血小板的速度和有效率以及安全性更为胜出。-原发免疫性血小板减少症 相对于口服药物，特比澳可确保吸收快、起效快，短期用药快速升高血小板计数，稳定患者生命体征，为后续的治疗赢得时机。
临床管理难度描述	-保证吸收：特比澳是皮下注射，对于呕吐、反胃、吸收不佳、同时服用多种矿物质补充剂或者同时服用多种经肝胆代谢药物的患者，特比澳可以保证吸收；-使用便利：不用考虑用药与食物的间隔，不用考虑调整其它会相互影响代谢的药物的剂量；-确保安全：相比患者自行使用，使用特比澳安全监管有一定保证，很大程度上避免了过量应用或者患者自作主张调整剂量等错误应用，也能及时发现不良事件并进行处理，保证了用药安全。