

2023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： 泽布替尼胶囊

企业名称： 百济神州（北京）生物科
 技有限公司

申报信息

申报时间	2023-07-14 14:33:35	药品目录	药品目录内
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2023年12月31日协议到期，且不申请调整医保支付范围的谈判药品。
- 2.2018年1月1日至2023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，申请调整医保支付范围的药品。
- 3.2023年12月31日协议到期，适应症或功能主治未发生重大变化，因适应症或功能主治与医保支付范围不一致，主动申请调整支付范围的谈判药品。

药品通用名称（中文、含剂型）	泽布替尼胶囊	药品类别	西药
药品注册分类	化药1类		
是否为独家	是	目录类别	谈判药品
协议到期时间	2023年12月31日		
核心专利类型1	泽布替尼化合物专利	核心专利权期限届满日1	2034-04
核心专利类型2	泽布替尼晶型专利	核心专利权期限届满日2	2037-08
核心专利类型1	泽布替尼化合物专利	核心专利权期限届满日1	2034-04
核心专利类型2	泽布替尼晶型专利	核心专利权期限届满日2	2037-08
当前是否存在专利纠纷	无中国专利纠纷		
说明书全部注册规格	80mg		
上市许可持有人（授权企业）	百济神州（苏州）生物科技有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	①既往至少接受过一种治疗的成人套细胞淋巴瘤（MCL）患者；②成人慢性淋巴细胞白血病（CLL）/小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）患者；③成人华氏巨球蛋白血症（WM）患者		
现行医保目录的医保支付范围	【医保支付范围】限：①既往至少接受过一种治疗的成人套细胞淋巴瘤(MCL)患者；②既往至少接受过一种治疗的成人慢性淋巴细胞白血病(CLL)/小淋巴细胞淋巴瘤(SLL)患者。分别基于一项单臂临床试验的客观缓解率结果附条件批准上述适应症，完全批准将取决于正在开展中的确证性随机对照临床试验结果；③既往至少接受过一种治疗的成人华氏巨球蛋白血症(WM)患者。基于一项单臂临床试验的主要缓解率结果附条件批准上述适应症，完全批准将取决于正在开展中的确证性随机对照临床试验结果。【备注】2023年5月6日，两项新增适应症获批同时，国家药品监督管理局将既往至少接受过一种治疗的成人CLL/SLL和WM患者两项适应症由附条件批准转为常规批准		
所治疗疾病基本情况	①慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细胞淋巴瘤（CLL/SLL）是一种成熟B淋巴细胞克隆增殖性肿瘤，多为老年发病，中国的中位发病年龄为65岁，诊断时预后差异很大；②华氏巨球蛋白血症（WM）也是一种惰性淋巴瘤，发病率极低，多见于老年人；③两类疾病发病率随着中国老龄化进程发病率逐渐升高；④既往治疗以化疗为主，以泽布替尼为代表的BTK抑制剂显著改善患者的治疗结局，让患者获得更长的生存和更好的生活质量		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	伊布替尼胶囊，2017年国内首次上市，并于2018年8月获批一线CLL/SLL，2018年11月获批一线WM；其所有适应症均已纳入医保，包括：一线及复发/难治CLL/SLL及WM，复发/难治MCL。【优势对比】①泽布替尼作为创新结构优化的新一代BTK抑制剂，显著改善伊布替尼存在的靶点抑制不完全及脱靶效应问题，在头对头研究中证实疗效及安全性全面优于更优；②在CLL/SLL的全球多中心头对头研究中，对比伊布替尼，泽布替尼显著延长患者的无进展生存期（PFS），同时总缓解率（ORR）也显著更高，安全性也更优，导致停止治疗的不良事件及心脏事件均更少；③在WM的全球多中心头对头研究中，泽布替尼能为MYD88突变WM患者带来更高的完全缓解/非常好的部分缓解率（CR/VGPR）、更长的PFS和更好的安全性；对既往伊布替尼治疗无效，主要反应率（MRR）和VGPR率仅为0%的MYD88野生型患者，泽布替		

尼治疗的MRR率仍高达65%；④目前泽布替尼医保覆盖的患者数更少（仅覆盖复发/难治CLL、WM、MCL患者），但治疗费用较伊布替尼却更低（CLL/SLL、WM低28%；MCL低46%）

企业承诺书	↓ 下载文件 1企业承诺书.pdf
药品修改前法定说明书	↓ 下载文件 2药品修改前法定说明书.pdf
药品修改后法定说明书	↓ 下载文件 3药品修改后法定说明书.pdf
最新版《药品注册证书》（国产药品）或《进口药品注册证》（进口药品）。如首次上市版本和最新版不同，请分别提供	↓ 下载文件 4药品注册证书.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 泽布替尼胶囊PPT1.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含经济性/价格费用信息）将同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 泽布替尼胶囊PPT2.pdf

新增适应症或功能主治	获批时间	用法用量
新诊断的成人慢性淋巴细胞白血病（CLL）/小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）患者	2023-04-28	推荐的泽布替尼每日口服总剂量为320mg。给药方案为每次160mg（2粒80mg胶囊），每日两次，直到发生疾病进展或出现不可耐受的毒性
新诊断的成人华氏巨球蛋白血症（WM）患者	2023-04-28	推荐的泽布替尼每日口服总剂量为320mg。给药方案为每次160mg（2粒80mg胶囊），每日两次，直到发生疾病进展或出现不可耐受的毒性

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，原则上计算日费用，如有治疗周期，标注治疗周期。
（2）急救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。
（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。
① 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m²。
② 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积1.6m²。

参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价(元) ①	用法用量	费用类型 ①	疗程/周期	金额（元）
伊布替尼胶囊	是	140mg	157.17	①套细胞淋巴瘤（MCL）：本品治疗MCL的推荐剂量为560mg（4粒140mg的胶囊），每日一次直至疾病进展或出现不可接受的毒性； ②慢性淋巴细胞白血病（CL	年度费用	-	①MCL：229,468.20； ②CLL/SLL、WM：172,101.15

L) /小淋巴瘤 (SL) 和华氏巨球蛋白血症 (WM) :本品单药治疗CLL/SLL和WM, 或与利妥昔单抗联合治疗WM的推荐剂量为420mg (3粒140mg的胶囊), 每日一次直至疾病进展或出现不可接受的毒性

参照药品选择理由: ①最相似: 同适应症 (均获批CLL/SLL、WM、RR MCL), 同为BTK抑制剂, 同口服给药, 目录内; ②最广泛: 初治CLL和WM临床应用最广泛的方案; ③两项头对头试验对照药

其他情况请说明: -

联系人信息

联系人	李保华	联系电话	18610647805
-----	-----	------	-------------

三、有效性信息

试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	伊布替尼
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	成人慢性淋巴细胞白血病 (CLL) 或小淋巴瘤细胞瘤 (SLL) 患者
对主要临床结局指标改善情况	ALPINE: 全球III期多中心头对头研究, 纳入652例RR CLL/SLL患者, 结果显示: ①对比伊布替尼, 泽布替尼显著延长患者的PFS (24个月PFS率为78.4% vs 65.9%; 风险比 (HR) =0.65; P=0.002); ②中国亚组显示泽布替尼能为中国患者带来更显著的获益 (HR=0.24, P=0.0002); ③泽布替尼治疗的总缓解率显著更高 (86.2% vs 75.7%, P=0.0007)
试验数据结果证明文件 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)	↓ 下载文件 ALPINE研究NEJM原文及中国亚组摘要.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	伊布替尼
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人华氏巨球蛋白血症 (WM) 患者
对主要临床结局指标改善情况	ASPEN: 全球III期多中心头对头研究, 纳入201例WM患者, 其中初治37例, 44.4个月随访显示: ①MYD88突变WM患者, 泽布替尼带来更高的CR/VGPR率 (36.3% vs 25.3%) 和更长的PFS (42个月PFS率为78.3% vs 69.7%); ②MYD88野生型单臂队列, 泽布替尼的CR/VGPR率达30.7%, MRR率达65%, 而伊布替尼既往在此人群的MRR和VGPR率仅为0%
试验数据结果证明文件 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)	↓ 下载文件 ASPEN研究44个月随访EHA摘要.pdf

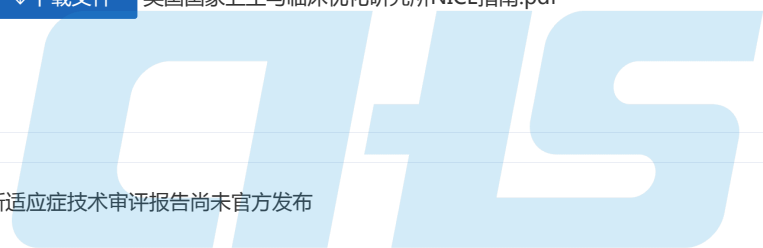
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人慢性淋巴细胞白血病 (CLL) 或小淋巴瘤细胞瘤 (SLL) 患者
对主要临床结局指标改善情况	AU003 : 纳入123例CLL/SLL患者, 其中22例初治、101例复发难治, 47.2个月随访显示: ①总体ORR为95.9%, 其中初治组100%, 复发难治组95%; ②初治组中位PFS未达到, 复发难治组中位PFS预估为61.4个月, 是目前已报告最长的中位PFS数据; ③未观察到额外的需要关注的不良事件, 长期随访安全性良好
试验数据结果证明文件 (外文资料须同时提供原文及中文翻译文件)	↓ 下载文件 AU003研究CLL患者BJH原文.pdf
试验类型4	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人华氏巨球蛋白血症 (WM) 患者
对主要临床结局指标改善情况	AU003 : 纳入77例华氏巨球蛋白血症患者, 其中初治24例, 中位随访时间为23.5个月, 结果显示: ①ORR达100%, CR/VGPR率达33.3%, 87.5%的患者达到主要缓解; ②24个月的PFS率高达91.5%, 24个月的OS率高达100%
试验数据结果证明文件 (外文资料须同时提供原文及中文翻译文件)	↓ 下载文件 AU003研究WM患者3年随访数据.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	伊布替尼
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	成人慢性淋巴细胞白血病 (CLL) 或小淋巴瘤细胞瘤 (SLL) 患者
对主要临床结局指标改善情况	ALPINE : 全球III期多中心头对头研究, 纳入652例RR CLL/SLL患者, 结果显示: ①对比伊布替尼, 泽布替尼显著延长患者的PFS (24个月PFS率为78.4% vs 65.9%; 风险比 (HR) =0.65; P=0.002); ②中国亚组显示泽布替尼能为中国患者带来更显著的获益 (HR=0.24, P=0.0002); ③泽布替尼治疗的总缓解率显著更高 (86.2% vs 75.7%, P=0.0007)
试验数据结果证明文件 (外文资料须同时提供原文及中文翻译文件)	↓ 下载文件 ALPINE研究NEJM原文及中国亚组摘要.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	伊布替尼
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人华氏巨球蛋白血症 (WM) 患者
对主要临床结局指标改善情况	ASPEN : 全球III期多中心头对头研究, 纳入201例WM患者, 其中初治37例, 44.4个月随访显示: ①MYD88突变WM患者, 泽布替尼带来更高的CR/VGPR率 (36.3% vs 25.3%) 和更长的PFS (42个月PFS率为78.3% vs 69.7%); ②MYD88野生型单臂队列, 泽布替尼的CR/VGPR率达30.7%, MDP率达65%, 而伊布替尼既往在此人群的MDP和

	<p>②MPC00对主要人群队列，泽布替尼的CR/VGPR率达90.7%，ORR率达95%，而伊布替尼既往在此人群中的ORR和VGPR率仅为0%</p>
试验数据结果证明文件（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	<p>↓ 下载文件 ASPEN研究44个月随访EHA摘要.pdf</p>
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人慢性淋巴细胞白血病（CLL）或小淋巴瘤细胞瘤（SLL）患者
对主要临床结局指标改善情况	AU003：纳入123例CLL/SLL患者，其中22例初治、101例复发难治，47.2个月随访显示：①总体ORR为95.9%，其中初治组100%，复发难治组95%；②初治组中位PFS未达到，复发难治组中位PFS预估为61.4个月，是目前已报告最长的中位PFS数据；③未观察到额外的需要关注的不良事件，长期随访安全性良好
试验数据结果证明文件（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	<p>↓ 下载文件 AU003研究CLL患者BJH原文.pdf</p>
试验类型4	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人华氏巨球蛋白血症（WM）患者
对主要临床结局指标改善情况	AU003：纳入77例华氏巨球蛋白血症患者，其中初治24例，中位随访时间为23.5个月，结果显示：①ORR达100%，CR/VGPR率达33.3%，87.5%的患者达到主要缓解；②24个月的PFS率高达91.5%，24个月的OS率高达100%
试验数据结果证明文件（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	<p>↓ 下载文件 AU003研究WM患者3年随访数据.pdf</p>

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《中国临床肿瘤学会（CSCO）淋巴瘤诊疗指南2023》：①对于有治疗指征初治CLL患者，不论是否伴有del(17p)/p53基因突变，泽布替尼单药治疗均作为I级推荐（最高推荐级别），且推荐顺序为BTK抑制剂第一顺位；②指南强调：“伊布替尼出于不良反考量，使用前需完善基线心脏评估”，对泽布替尼无限制；③指南强调“伊布替尼不耐受的患者中换为阿可替尼、泽布替尼或奥布替尼可以避免出现类似副作用”
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人慢性淋巴细胞白血病（CLL）/小淋巴瘤细胞淋巴瘤（SLL）患者
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	<p>↓ 下载文件 2023CSCO淋巴瘤诊疗指南CLL.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《中国临床肿瘤学会（CSCO）恶性血液病诊疗指南2023》：推荐泽布替尼单药为初治WM的I级推荐（最高推荐级别）
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人华氏巨球蛋白血症（WM）患者
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	<p>↓ 下载文件 2023CSCO恶性血液病诊疗指南WM.pdf</p>

件)	
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2023V3版美国国立综合癌症网络 (NCCN) CLL/SLL临床实践指南》：①推荐泽布替尼单药为所有初治CLL患者的优先推荐方案 (最高推荐级别)，伊布替尼单药治疗作为其它推荐方案；②更新中对伊布替尼降级做了如下解释“专家组一致同意,考虑到伊布替尼的毒副反应及用药前必须作全面心脏功能评估,将伊布替尼降级到其它推荐中”
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人慢性淋巴细胞白血病 (CLL) /小淋巴细胞淋巴瘤 (SLL) 患者
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)	↓ 下载文件 美国国立综合癌症网络NCCN临床实践指南CLLSLL.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《2023V1版美国国立综合癌症网络 (NCCN) WM临床实践指南》：推荐泽布替尼单药为淋巴浆细胞淋巴瘤/华氏巨球蛋白血症 (LPL/WM) 患者的优先推荐1类方案 (最高推荐级别)
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人华氏巨球蛋白血症 (WM) 患者
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)	↓ 下载文件 美国国立综合癌症网络NCCN临床实践指南WM.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《英国国家卫生与临床优化研究所 (NICE) 指南》：推荐泽布替尼用于治疗既往接受过一种治疗的华氏巨球蛋白血症患者，是首个也是唯一一个被推荐用于治疗WM的常规药物
本次新增的适应症或功能主治	成人华氏巨球蛋白血症 (WM) 患者
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)	↓ 下载文件 英国国家卫生与临床优化研究所NICE指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《中国临床肿瘤学会 (CSCO) 淋巴瘤诊疗指南2023》：①对于有治疗指征初治CLL患者，不论是否伴有del(17p)/p53基因突变，泽布替尼单药治疗均作为I级推荐 (最高推荐级别)，且推荐顺序为BTK抑制剂第一顺位；②指南强调：“伊布替尼出于不良反应考量，使用前需完善基线心脏评估”，对泽布替尼无限制；③指南强调“伊布替尼不耐受的患者中换为阿可替尼、泽布替尼或奥布替尼可以避免出现类似副作用”
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人慢性淋巴细胞白血病 (CLL) /小淋巴细胞淋巴瘤 (SLL) 患者
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)	↓ 下载文件 2023CSCO淋巴瘤诊疗指南CLL.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《中国临床肿瘤学会 (CSCO) 恶性血液病诊疗指南2023》：推荐泽布替尼单药为初治WM的I级推荐 (最高推荐级别)
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人华氏巨球蛋白血症 (WM) 患者
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)	↓ 下载文件 2023CSCO恶性血液病诊疗指南WM.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2023V3版美国国立综合癌症网络 (NCCN) CLL/SLL临床实践指南》：①推荐泽布替尼单药为所有初治CLL患者的优先推荐方案 (最高推荐级别)，伊布替尼单药治疗作为其它推荐方案；②更新中对伊布替尼降级做了如下解释“专家组一致同意,考虑到伊布替尼的毒副反应及用药前必须作全面心脏功能评估,将伊布替尼降级到其它推荐中”
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人慢性淋巴细胞白血病 (CLL) /小淋巴细胞淋巴瘤 (SLL) 患者

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	↓ 下载文件 美国国立综合癌症网络NCCN临床实践指南CLLSLL.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《2023V1版美国国立综合癌症网络（NCCN）WMI临床实践指南》：推荐泽布替尼单药为淋巴浆细胞淋巴瘤/华氏巨球蛋白血症（LPL/WM）患者的优先推荐1类方案（最高推荐级别）
本次新增的适应症或功能主治	新诊断的成人华氏巨球蛋白血症（WM）患者
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	↓ 下载文件 美国国立综合癌症网络NCCN临床实践指南WM.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《英国国家卫生与临床优化研究所（NICE）指南》：推荐泽布替尼用于治疗既往接受过一种治疗的华氏巨球蛋白血症患者，是首个也是唯一一个被推荐用于治疗WM的常规药物
本次新增的适应症或功能主治	成人华氏巨球蛋白血症（WM）患者
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	↓ 下载文件 英国国家卫生与临床优化研究所NICE指南.pdf



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述	新适应症技术审评报告尚未官方发布
《技术审评报告》原文（可节选）	-
国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述	新适应症技术审评报告尚未官方发布
《技术审评报告》原文（可节选）	-

四、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	<p>在最新版说明书中，泽布替尼的安全性特性基于十项单药临床试验中1550例接受泽布替尼治疗的B细胞恶性肿瘤患者的汇总数据。【不良反应】十分常见的不良反应（≥20%）为中性粒细胞计数降低、血小板减少、上呼吸道感染、青肿、出血/血肿、骨骼肌肉疼痛、皮疹、血红蛋白降低和感染性肺炎。最常见的3级或以上不良反应（≥5%）为中性粒细胞计数降低、感染性肺炎、血小板减少和高血压。【禁忌】禁用于已知对泽布替尼或辅料超敏（速发过敏和类速发过敏反应）的患者。【注意事项】接收泽布替尼单药治疗血液系统恶性肿瘤患者，应警惕以下注意事项：出血事件，感染事件，乙型肝炎病毒再激活，血细胞减少症，第二原发恶性肿瘤，心律失常事件，肿瘤溶解综合征及高血压事件。【药物相互作用】泽布替尼与中效或强效CYP3A抑制剂联合给药会增加泽布替尼的暴露量，可能导致药物相关毒性增加，应降低泽布替尼的剂量。泽布替尼与中效或强效CYP3A诱导剂联合给药会降低泽布替尼的暴露量，可能会降低泽布替尼的疗效</p>
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	<p>【不良反应监测】泽布替尼在全球最早上市时间为2019年11月14日。在中国第一个适应症获批时间为2020年6月2日。自泽布替尼全球上市以来，未收到过任何国家药监部门发布的安全性警告、黑框警告、撤市等信息。在2019年11月14日至2022年11月13日年度定期获益风险评估报告（PBRER）中对泽布替尼的安全性特征（包括上市后安全性数据）进行了总结，报告期内产品的安全性与已获批的产品说明书安全性一致，未发现本品新的安全性信号或风险。基于临床试验和上市后经验以及总体情况评估了泽布替尼治疗的获益和风险，表明泽布替尼治疗获益大于风险。【药品安全性研究】两项全球III期头对头研究证实，泽布替尼相比伊布替尼整体安全性更优（AE导致停药：8.9% vs 20.4%），尤其是心脏安</p>

全性显著更优（房颤/房扑发生率：7.9% vs 23.5%，严重心脏不良事件：1.9% vs 7.7%），无致死性心脏事件（0 vs 1.9%）

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 获益风险评估报告.pdf

五、创新性信息

创新程度	①泽布替尼创新结构优化，改善伊布替尼存在的抑制靶点不完全以及脱靶效应的问题，显著提升疗效和安全性；②首个囊括美国FDA四大满贯（快速通道、突破性疗法、优先审评、加速批准），首个海外上市的本土抗癌1类新药；③荣获素有“生物制药领域诺贝尔奖”之称的瑞士盖伦奖2023年“最具创新性的新型抗肿瘤药物”；④基于多项全球多中心头对头试验，已在美国、欧盟等全球65+个国家/地区获批上市，40多项药政申请在审评中
创新性证明文件	↓ 下载文件 国家重大专项及盖伦奖.pdf
应用创新	①重度肝功能损害患者，泽布替尼降低剂量，而伊布替尼禁止使用；中度肝功能损害患者，泽布替尼无需调整剂量，而伊布替尼禁止使用；中度肾功能损害，泽布替尼无需调整剂量；②与强效CYP3A抑制剂联用，泽布替尼调整剂量，而伊布替尼避免同时给药；③泽布替尼对于MYD88野生及突变的WM患者均有效，可降低患者因基因检测而带来的额外成本；④泽布替尼口服用药，提高患者依从性
应用创新证明文件	-
传承性（仅中成药填写）	无
传承性证明文件	-

六、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	①CLL/SLL及WM均是一种罕见的惰性淋巴瘤亚型，发病率较低且多发于老年患者，随着老龄化发病率升高；②既往以化疗为主，以泽布替尼为代表的BTK抑制剂显著改善患者的治疗结局，让患者获得更长的生存和更好的生活质量
符合“保基本”原则描述	①2020年首次进入医保目录，价格降幅高达44%；2021年经治WM新适应症纳入目录，进一步降价14%；②泽布替尼拥有更充足国际临床医学证据和疗效优势的同时，治疗费用在已纳入医保目录的BTK抑制剂中最低，较伊布替尼低28%（CLL/WM）和46%（MCL），患者可负担性更强
弥补目录短板描述	①目前指南推荐的一线CLL/SLL治疗方案仅伊布替尼国内上市，但伊布替尼不能完全持久精准抑制BTK，导致存在长期心血管安全性问题，且疗效有进一步提升空间；②泽布替尼能为一二线CLL/SLL及WM患者带来更优疗效、更好安全性的治疗选择
临床管理难度描述	①泽布替尼适应症范围明确，本次新增适应症外的其他适应症均已纳入医保，超说明书用药可能性极低；②本次新增的新诊断的CLL/SLL和WM适应症，泽布替尼均为中外指南的一线首选推荐，无临床滥用风险