

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： 乌帕替尼缓释片

企业名称： 艾伯维医药贸易（上海）
 有限公司

申报信息

申报时间	2023-07-14 15:24:29	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）	乌帕替尼缓释片	药品类别	西药
药品注册分类	化药2.4类		
是否为独家	是	目录类别	谈判药品
协议到期时间	2024年12月31日		
核心专利类型1	发明专利、发明名称：新的三环化合物	核心专利权期限届满日1	2030-12
核心专利类型2	发明专利、发明名称：新的三环化合物	核心专利权期限届满日2	2030-12
核心专利类型1	发明专利、发明名称：新的三环化合物	核心专利权期限届满日1	2030-12
核心专利类型2	发明专利、发明名称：新的三环化合物	核心专利权期限届满日2	2030-12
当前是否存在专利纠纷	是，第三方向国家知识产权局专利局发起的请求专利权无效的程序正在进行中。目前相关专利权仍为有效状态。		
说明书全部注册规格	15mg, 30mg, 45mg		
上市许可持有人（授权企业）	AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG		
说明书全部适应症/功能主治	特应性皮炎：本品适用于对其他系统治疗（如激素或生物制剂）应答不佳或不适宜上述治疗的成人和12岁及以上青少年的难治性、中重度特应性皮炎患者。类风湿关节炎：本品适用于对一种或多种TNF抑制剂应答不佳或不耐受的中重度活动性类风湿关节炎成人患者。银屑病关节炎：本品适用于对一种或多种改善病情抗风湿药（DMARD）应答不佳或不耐受的活动性银屑病关节炎成人患者。本品可与甲氨蝶呤（MTX）联用。溃疡性结肠炎：本品适用于治疗对一种或多种TNF抑制剂应答不佳或不耐受或禁忌的中度至重度活动性溃疡性结肠炎成人患者。克罗恩病：本品适用于治疗对一种或多种TNF抑制剂应答不佳或不耐受或禁忌的中度至重度活动性克罗恩病成人患者。		
现行医保目录的医保支付范围	限：1.12岁及以上患者难治性、中重度特应性皮炎的二线治疗；2.活动性银屑病关节炎成人患者的二线治疗；3.中重度活动性类风湿关节炎成人患者的二线治疗。		
所治疗疾病基本情况	●炎症性肠病（IBD）是慢性自身免疫性消化道疾病，主要包括溃疡性结肠炎(UC)和克罗恩病(CD)。UC临床表现主要为腹泻、腹痛和黏液脓血便，或合并贫血；CD临床表现主要为腹痛、腹泻、可并发肠梗阻、脓肿、瘘管、肛门病变等，疲劳程度和癌症患者相当。两者均可合并不同程度的全身症状。严重者每天腹泻次数可达20次以上●UC和CD中国的年龄标准化患病率分别为17.24/10万人和3.39/10万人		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	乌帕替尼（本品）同疾病治疗领域药物维得利珠单抗在中国大陆于2020年3月获批，获批适应症及医保覆盖范围均为溃疡性结肠炎与克罗恩病。本品是中国目前首个且唯一获批用于溃疡性结肠炎和克罗恩病治疗的口服高选择性JAK抑制剂。●本品是小分子制剂，无免疫原性，无抗药抗体产生，可避免相关的严重副作用及失应答等潜在后果。●本品是系统性治疗药物，可实现肠内/外表现全面获益，弥补现有目录内药物不足。●本品两个适应症的三期临床试验均设置并达到了主要研究终点及更严苛的治疗目标。●本品是口服制剂，可在门诊随访使用，减轻患者就医负担及医疗体系负担。		
企业承诺书	↓ 下载文件 承诺书.pdf		

药品修改前法定说明书	↓ 下载文件 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 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 最新药品注册证.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 乌帕替尼缓释片PPT1.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含经济性/价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 乌帕替尼缓释片PPT2.pdf

新增适应症或功能主治	获批时间	用法用量
溃疡性结肠炎	2023-02-14	诱导治疗：推荐本品用于诱导治疗的剂量为每日一次，每次45mg，持续8周。维持治疗：推荐本品用于维持治疗的剂量为每日一次，每次15mg。对于难治性、重度或广泛性疾病患者，可考虑使用30mg每日一次的维持剂量。如果30mg剂量治疗应答不佳，则停用本品。使用维持应答所需的最低有效剂量。
克罗恩病	2023-06-30	诱导治疗：推荐本品用于诱导治疗的剂量为每日一次，每次45mg，持续12周。维持治疗：推荐本品用于维持治疗的剂量为每日一次，每次15mg。对于难治性、重度或广泛性疾病患者，可考虑使用30mg每日一次的维持剂量。如果30mg剂量治疗应答不佳，则停用本品。使用维持应答所需的最低有效剂量。

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)
维得利珠单抗	是	300mg	4980	本品的建议剂量为300mg，静脉输注给药，在第0、2和6周以及随后每8周给药1次	年度费用	年	43663.9

参照药品选择理由：医保谈判目录内唯一同时可治疗中重度活动性溃疡性结肠炎和克罗恩病的成人患者的创新药物

其他情况请说明：维得利珠单抗年治疗费用计算方法：诱导治疗【300mg*3周】+维持治疗【300mg*(365天-6周*7天)/(8周*7天)】

联系人信息

联系人	刘明	联系电话	13601301103
-----	----	------	-------------

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	安慰剂（允许合并支持治疗）
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
对主要临床结局指标改善情况	“诱导治疗8周，3成患者实现临床缓解；维持治疗52周，可实现超4成患者的临床缓解”● 8周临床缓解率（改良Mayo评分）U-ACHIEVE（本品26% vs安慰剂5%， $\Delta = 21.6\%$ ）U-ACCOMPLISH（本品33% vs安慰剂4%， $\Delta = 29.0\%$ ）● 52周临床缓解率（改良Mayo评分）：本品15mg 42% vs.安慰剂12%， $\Delta = 30.7\%$ 。以上p值均小于万分之一。
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 试验类型1.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂（允许合并支持治疗）
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
对主要临床结局指标改善情况	“维持治疗52周可实现近6成患者无激素缓解及多维度有效黏膜愈合”● 52周无激素缓解率（改良Mayo评分）：本品15mg 57% vs. 安慰剂22% ●本品是目前国内首个将黏膜深度愈合指标设为研究终点的UC治疗药物；在内镜改善（ESS \leq 1）、组织学内镜黏膜改善（HEMI，ESS \leq 1且GS \leq 3.1）和黏膜深度愈合（组织学内镜黏膜愈合，ESS=0且GS $<$ 2.0）达到统计学显著获益。
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 试验类型2.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂（允许合并支持治疗）
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
对主要临床结局指标改善情况	“一日起效，快速改善UC患者腹泻血便症状；超6成患者诱导治疗2周获临床应答”●相比安慰剂，统计学显著实现更多患者一日内达到稀便频率亚评分 \leq 1,稀便频率亚评分=0，直肠出血亚评分=0 ●2周临床应答率(部分改良Mayo评分)U-ACHIEVE: 本品60%vs安慰剂27%, $\Delta = 33.3\%$;U-ACCOMPLISH:63%vs26%, $\Delta = 37.0\%$ ；p值均小于万分之一。
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 试验类型3.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂（允许合并支持治疗）
试验阶段	获批前

本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
对主要临床结局指标改善情况	“在anti-TNF-IR亚组人群中，临床获益与三期临床试验人群结果相似”
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 试验类型4.pdf
试验类型5	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	维得利珠单抗等创新疗法
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
对主要临床结局指标改善情况	一项系统综述和NMA分析结果表明，与其他生物制剂和小分子药物治疗中重度UC相比，乌帕替尼在诱导中重度UC患者临床缓解和内镜缓解方面均为最优；两项间接比较结果显示，在生物制剂治疗失败的UC患者中，乌帕替尼的临床缓解率和内镜下改善（ESS≤1）比例均显著高于维得利珠单抗。
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 试验类型5.pdf
试验类型6	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂（允许合并支持治疗）
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	克罗恩病
对主要临床结局指标改善情况	“诱导治疗12周，近5成患者实现临床缓解；维持治疗52周，可近4成患者的临床缓解” ● 12周临床缓解率（CDAI评分）U-EXCEL（本品49.5% vs安慰剂29.1%， $\Delta = 20.8$ ）U-EXCEED（本品38.9% vs安慰剂21.1%， $\Delta = 17.9\%$ ） ● 52周临床缓解率（CDAI评分）：本品15mg 37.3% vs.安慰剂15.1%， $\Delta = 23.7$ 。以上p值均小于千分之一。
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 试验类型6-CN5LS-B5719G3.pdf
试验类型7	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂（允许合并支持治疗）
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	克罗恩病
对主要临床结局指标改善情况	“维持治疗52周可实现近4成患者无激素缓解及在更高治疗目标中达到显著获益” ● 52周无激素缓解率(CDAI评分)本品15mg 36.7% vs. 安慰剂14.5%, $\Delta = 23.8\%$, p 值 < 0.001 ● 乌帕替尼在内镜应答(SES-CD较基线降低 > 50%或基线SES-CD为4分的患者较基线降低 ≥ 2)和深度缓解(平均每日SF ≤ 2.8 且APS ≤ 1.0 且均不超过基线评分；临床缓解和内镜缓解)达到显著获益
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 试验类型7.pdf

试验类型8	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂（允许合并支持治疗）
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	克罗恩病
对主要临床结局指标改善情况	“3天起效，快速改善CD患者腹泻、腹痛症状” 乌帕替尼相比安慰剂，更多患者3日内可达平均每日稀便或水样便频率<3和平均每日腹痛评分≤1
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 试验类型8.pdf
试验类型9	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂（允许合并支持治疗）
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	克罗恩病
对主要临床结局指标改善情况	anti-TNF-IR亚组人群也展现了在临床缓解率上的获益
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 试验类型9.pdf
试验类型10	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	维得利珠单抗等创新疗法
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	克罗恩病
对主要临床结局指标改善情况	一项纳入多种CD创新疗法的网状荟萃分析表明，本品在中重度CD患者中维持治疗的临床缓解率高于其他药物。
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 试验类型10.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂（允许合并支持治疗）
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
对主要临床结局指标改善情况	“诱导治疗8周，3成患者实现临床缓解；维持治疗52周，可实现超4成患者的临床缓解” ● 8周临床缓解率（改良Mayo评分）U-ACHIEVE（本品26% vs安慰剂5%， $\Delta = 21.6\%$ ）U-ACCOMPLISH（本品33% vs安慰剂4%， $\Delta = 29.0\%$ ）● 52周临床缓解率（改良Mayo评分）：本品15mg 42% vs.安慰剂12%， $\Delta = 30.7\%$ 。以上p值均小于万分之一。
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 试验类型1.pdf

IT /	
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂 (允许合并支持治疗)
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
对主要临床结局指标改善情况	“维持治疗52周可实现近6成患者无激素缓解及多维度有效黏膜愈合” ● 52周无激素缓解率 (改良Mayo评分) : 本品15mg 57% vs. 安慰剂22% ●本品是目前国内首个将黏膜深度愈合指标设为研究终点的UC治疗药物; 在内镜改善 (ESS≤1)、组织学内镜黏膜改善 (HEMI, ESS≤1且GS≤3.1) 和黏膜深度愈合 (组织学内镜黏膜愈合, ESS=0且GS<2.0) 达到统计学显著获益。
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 试验类型2.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂 (允许合并支持治疗)
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
对主要临床结局指标改善情况	“一日起效, 快速改善UC患者腹泻血便症状; 超6成患者诱导治疗2周获临床应答”●相比安慰剂, 统计学显著实现更多患者一日内达到稀便频率亚评分≤1, 稀便频率亚评分=0, 直肠出血亚评分=0 ●2周临床应答率 (部分改良Mayo评分) U-ACHIEVE: 本品60%vs安慰剂27%, Δ=33.3%; U-ACCOMPLISH: 63%vs26%, Δ =37.0%; p值均小于万分之一。
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 试验类型3.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂 (允许合并支持治疗)
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
对主要临床结局指标改善情况	“在anti-TNF-IR亚组人群中, 临床获益与三期临床试验人群结果相似”
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 试验类型4.pdf
试验类型5	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	维得利珠单抗等创新疗法
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
对主要临床结局指标改善情况	一项系统综述和NMA分析结果表明, 与其他生物制剂和小分子药物治疗中重度UC相比, 乌帕替尼在诱导中重度UC患者

临床缓解和内镜缓解方面均为最优; 两项间接比较结果显示, 在生物制剂治疗失败的UC患者中, 乌帕替尼的临床缓解率和内镜下改善 (ESS≤1) 比例均显著高于维得利珠单抗。

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](#) 试验类型5.pdf

试验类型6 单个样本量足够的RCT

试验对照药品 安慰剂 (允许合并支持治疗)

试验阶段 获批前

本次新增的适应症或功能主治 克罗恩病

对主要临床结局指标改善情况 “诱导治疗12周, 近5成患者实现临床缓解; 维持治疗52周, 可近4成患者的临床缓解” ● 12周临床缓解率 (CDAI评分) U-EXCEL (本品49.5% vs安慰剂29.1%, $\Delta = 20.8$) U-EXCEED (本品38.9% vs安慰剂21.1%, $\Delta = 17.9\%$) ● 52周临床缓解率 (CDAI评分): 本品15mg 37.3% vs.安慰剂15.1%, $\Delta = 23.7$ 。以上p值均小于千分之一。

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](#) 试验类型6-CN5LS-B5719G3.pdf

试验类型7 单个样本量足够的RCT

试验对照药品 安慰剂 (允许合并支持治疗)

试验阶段 获批前

本次新增的适应症或功能主治 克罗恩病

对主要临床结局指标改善情况 “维持治疗52周可实现近4成患者无激素缓解及在更高治疗目标中达到显著获益” ● 52周无激素缓解率(CDAI评分)本品15mg 36.7% vs. 安慰剂14.5%, $\Delta = 23.8\%$, p 值 < 0.001●乌帕替尼在内镜应答(SES-CD较基线降低>50%或基线SES-CD为4分的患者较基线降低 ≥ 2)和深度缓解(平均每日SF ≤ 2.8 且APS ≤ 1.0 且均不超过基线评分; 临床缓解和内镜缓解)达到显著获益

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](#) 试验类型7.pdf

试验类型8 单个样本量足够的RCT

试验对照药品 安慰剂 (允许合并支持治疗)

试验阶段 获批前

本次新增的适应症或功能主治 克罗恩病

对主要临床结局指标改善情况 “3天起效, 快速改善CD患者腹泻、腹痛症状” 乌帕替尼相比安慰剂, 更多患者3日内可达平均每日稀便或水样便频率<3和平均每日腹痛评分 ≤ 1

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](#) 试验类型8.pdf

试验类型9 单个样本量足够的RCT

试验对照药品 安慰剂 (允许合并支持治疗)

试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	克罗恩病
对主要临床结局指标改善情况	anti-TNF-IR亚组人群也展现了在临床缓解率上的获益
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 试验类型9.pdf
试验类型10	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	维得利珠单抗等创新疗法
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	克罗恩病
对主要临床结局指标改善情况	一项纳入多种CD创新疗法的网状荟萃分析表明，本品在中重度CD患者中维持治疗的临床缓解率高于其他药物。
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 试验类型10.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《2022 ECCO UC药物治疗指南》一线推荐靶向治疗用于中重度UC的诱导和维持治疗，小分子药物与生物制剂处于同等推荐地位（中等证据）
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
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 临床指南推荐情况1.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《2019 ACG 成人UC临床指南》一线推荐靶向治疗用于TNF抑制剂应答不佳的中重度UC诱导期治疗；诱导缓解后推荐使用同种靶向药物进行维持治疗（中等证据）
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
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 临床指南推荐情况2.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2019 ACG 成人CD临床指南》一线推荐靶向治疗用于TNF抑制剂应答不佳的中重度CD诱导期治疗；诱导缓解后推荐使用同种靶向药物进行维持治疗（高等证据）
本次新增的适应症或功能主治	克罗恩病
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 临床指南推荐情况3.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《2019 ECCO CD药物治疗指南》一线推荐靶向治疗用于TNF抑制剂应答不佳的中重度CD的诱导治疗；使用靶向治疗诱导缓解后，推荐使用同种靶向药物进行维持治疗（中至高等证据）

本次新增的适应症或功能主治	克罗恩病
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 临床指南推荐情况4.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《2022 ECCO UC药物治疗指南》一线推荐靶向治疗用于中重度UC的诱导和维持治疗，小分子药物与生物制剂处于同等推荐地位（中等证据）
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
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 临床指南推荐情况1.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《2019 ACG 成人UC临床指南》一线推荐靶向治疗用于TNF抑制剂应答不佳的中重度UC诱导期治疗；诱导缓解后推荐使用同种靶向药物进行维持治疗（中等证据）
本次新增的适应症或功能主治	溃疡性结肠炎
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 临床指南推荐情况2.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2019 ACG 成人CD临床指南》一线推荐靶向治疗用于TNF抑制剂应答不佳的中重度CD诱导期治疗；诱导缓解后推荐使用同种靶向药物进行维持治疗（高等证据）
本次新增的适应症或功能主治	克罗恩病
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 临床指南推荐情况3.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《2019 ECCO CD药物治疗指南》一线推荐靶向治疗用于TNF抑制剂应答不佳的中重度CD的诱导治疗；使用靶向治疗诱导缓解后，推荐使用同种靶向药物进行维持治疗（中至高等证据）
本次新增的适应症或功能主治	克罗恩病
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 临床指南推荐情况4.pdf

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	-
《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	-

四、安全性信息

药品说明书刊载的安全性信息	本品不良反应包括上呼吸道感染、血脂升高、痤疮、头痛、超敏反应等。患有活动性结核或严重感染、重度肝功能损害、妊娠或对本品过敏的患者应避免使用本品。本品治疗时避免接种活疫苗。使用本品时应密切监测患者的感染体征，一旦出现感染症状，应暂停治疗。已患有恶性肿瘤（已经治愈的非黑色素瘤皮肤癌除外）的患者、治疗期间出现恶性肿瘤的患者，应谨慎使用。本品由CYP3A4代谢，因此其血浆浓度会受到强效CYP3A4抑制剂或诱导剂的影响。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	●本品多项关键三期试验均包含了上市后的盲态扩展阶段，能够进一步提供上市后的监测数据。数据涵盖5个适应症，累计暴露时长逾5.5年，累计暴露受试者人数达8,299例，累计暴露超过15,000患者·年；全球已有190,716例患者接受乌帕替尼治疗；均未发现新的安全性信号●本品于2019年8月首次在美国获批上市至今，已在全球70多个国家批准上市。2022年2月，欧盟针对托法替布ORAL Surveillance (OS)研究的结果，要求更新包括乌帕替尼在内的所有JAK抑制剂的产品特性概要（SmPC），以反映OS研究中确定的风险。2022年8月–2023年2月，“严重超敏反应”和“胃肠道(GI)穿孔”被添加到欧盟说明书不良反应列表中，频率为不常见。作为预防措施，RMP和风险控制最小化措施也随之作相应更新。●目前，尚无任何国家及监管机构要求乌帕替尼开展与托法替布相同或类似的安全性监测研究。
相关报导文献	↓ 下载文件 安全性信息1.pdf

五、创新性信息

创新程度	乌帕替尼是我国目前唯一获批中重度活动性溃疡性结肠炎和克罗恩病适应症的对JAK1高选择性的口服JAK抑制剂。本品可在胞内发挥作用，精准抑制下游炎症通路，实现对致病促炎细胞因子的广泛覆盖。本品作为系统性治疗药物，可实现肠内/外表现全面获益。41.7%的UC患者及24.6%的CD患者在维持治疗52周后可实现肠外表现消退。
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新性信息1.pdf
应用创新	乌帕替尼是胞内发挥作用的对JAK1高选择性的JAK抑制剂，起效更快。无免疫原性，无抗药抗体产生。半衰期短，需要的洗脱时间更短，术前停药更方便。轻中度肾功能损害患者无需调整剂量。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 创新性信息2.pdf
传承性（仅中成药填写）	- CHINA HEALTHCARE SECURITY
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	随着生活方式及环境变化，中国IBD虽然人数少，但发病率逐年提高，将乌帕替尼纳入医保可更好的适应疾病谱变化。IBD疾病负担重，重症患者一日多达20次腹泻，患者难以正常生活。UC患者的累积复发风险为80%，75%的CD患者需一次或多次肠切除术。同时IBD早发于18-49岁，可导致1/3的CD成人失业，严重损害劳动力。同时，回顾性研究显示，UC/CD患者的年直接医疗费用比一般人群高出3-5倍。
符合“保基本”原则描述	医保准入后，本品价格远低于国际参考水平；现价格下，IBD的本品年治疗费用仅为3.5万（365天），患者自付约1万元，尚不及人均居民可支配收入1/3；本品较目录内已有同适应症药物的年费用低，可直接降低患者经济负担。同时因疗效改善、无需注射、可有效降低住院率、手术率，大幅节约相关医疗资源利用成本，纳入医保后年可节约医保资金。
弥补目录短板描述	我国医保目录内尚无治疗IBD的口服靶向药物，目录空白亟需填补。目录内药物均为大分子药物，存在免疫原性，可能导致抗药抗体产生进而导致副作用或失应答。此外，使用谈判目录内生物制剂，患者在实现维持缓解尤其是无激素缓解上获益有限。以UC为例，仍有2/3患者在治疗1年后无法达到或维持缓解。临床实践中，谈判目录内IBD药物均需住院注射给药，产生额外费用，且依从性不佳。
临床管理难度描述	中重度UC及CD的评估标准明确，使用药物的合理性可准确评判；本品为口服制剂，无需冷链运输，方便储存与管理。同时由于本品在UC上可实现近6成的无激素缓解，在CD上可实现近4成的无激素缓解，可极大程度的降低激素滥用风险及激素的临床管理难度。