

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： 西罗莫司凝胶

企业名称： 北京金阳利康医药有限公司

申报信息

申报时间	2023-07-12 14:17:50	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2018年1月1日至2023年6月30日(含,下同)期间,经国家药监部门批准上市的新通用名药品。但仅因为转产、再注册等原因,单纯更改通用名的药品除外。符合本条件的新冠抗毒药用可按照程序申报。
- 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,且针对此次变更获得药品批准证明文件的通用名药品。
- 3.纳入《国家基本药物目录(2018年版)》的药品。
- 4.2023年6月30日前经国家药监部门批准上市,纳入卫生健康委等部门《首批鼓励研发申报儿童药品清单》《第二批鼓励研发申报儿童药品清单》《第三批鼓励研发申报儿童药品清单》以及《第一批鼓励仿制药品目录》《第二批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 5.2023年6月30日前经国家药监部门批准上市,说明书适应症或功能主治中包含有卫生健康委《第一批罕见病目录》所收录罕见病的药品。

药品通用名称(中文、含剂型)	西罗莫司凝胶	医保药品分类与代码	XL-XL04-XL04A-XL04AA
药品类别	西药	是否为独家	是
药品注册分类	化药5.1类		
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
当前是否存在专利纠纷	无		
说明书全部注册规格	0.2% (10g:20mg)		
上市许可持有人(授权企业)	NobelpharmaCo., Ltd. (北京金阳利康医药有限公司)		
说明书全部适应症/功能主治	用于治疗成人和6岁及以上儿童患者的结节性硬化症相关面部血管纤维瘤。		
说明书用法用量	应在有结节性硬化症治疗经验的医生指导下使用本品进行治疗。在启用本品之前,应按照现行免疫相关指南的建议完成所有适龄疫苗接种[见注意事项6.预防接种:在本品治疗期间,疫苗接种可能会降低有效性。在启用本品的治疗之前,应按照现行免疫相关指南的建议完成所有适龄疫苗接种。本品使用期间,应避免与活疫苗一起使用]。将本品涂抹于血管纤维瘤的面部患处皮肤,每日两次,分别于早晨和睡前使用。每日最大推荐剂量为:对于6-11岁儿童患者,应为600mg (2cm);对于成人和≥12岁的儿童患者,应为800mg (2.5cm)。如果治疗12周内症状未改善,则重新评价是否有必要继续使用本品。请勿将本品与封闭敷料一起使用。仅供外用。不可口服、眼内或阴道内使用。		
所治疗疾病基本情况	结节性硬化症是一种多系统受累的神经营肤综合征,是罕见的常染色体显性遗传性疾病,患病率1/20000,发病率1/10000~1/6000。致病机制常与哺乳动物雷帕霉素靶蛋白(mTOR)信号通路激活相关,mTOR过度活化导致蛋白合成、细胞生长和血管生成增加,在多个器官系统中形成错构瘤,患者症状多样,约80%患者存在一个或多个特征性皮肤病变,包括色素减退斑、面部血管纤维瘤、鲨革样斑、甲下纤维瘤等。		
中国大陆首次上市时间	2023-03	注册证号/批准文号	国药准字HJ20233148
全球首个上市国家/地区	日本	全球首次上市时间	2018-03
是否为OTC	否		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	本品与西罗莫司片/胶囊/口服溶液和依维莫司片均属于mTOR抑制剂,是TSC的精准治疗药物,对多器官系统的肿瘤增长有显著的改善作用。西罗莫司片1999年9月在美国上市,2007年4月在中国上市,其口服常释剂型和口服液体剂型均为医保乙类,医保支付限定为器官移植后的抗排斥反应。依维莫司片2009年3月在美国上市,2013年1月在中国上市,为协议期内谈判纳入产品。但随着临床对mTOR信号通路及其对肿瘤发生和血管增殖下游作用的认识进展,拓宽了mTOR抑制剂在许多具有挑战性疾病中的临床应用,口服西罗莫司或依维莫司逐渐成为结节性硬化症的靶向治疗选择,但系统治疗具有明显的副作用,外用西罗莫司可在避免系统性不良反应的同时,进行有效的长期治疗。本品是第一个对结节性硬化症血		

管纤维瘤和结节性硬化症头部斑块的疗效得到验证的药物。作为唯一一种可以局部给药的mTOR抑制剂，本品使用简便、无侵袭性，引起全身不良反应风险极小。

企业承诺书

↓ 下载文件

企业承诺书-金阳利康.pdf

药品最新版法定说明书

↓ 下载文件

JXHS1900125-SMS-20230330141329.pdf

所有《药品注册证书》（国产药品）或《进口药品注册证》（进口药品），包括首次上市的批准注册证明文件和历次补充注册、再注册批准证明文件，请扫描成一个文件后上传

↓ 下载文件

药品注册证书2023S00479.pdf

申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）

↓ 下载文件

西罗莫司凝胶-PPT1.pptx

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

西罗莫司凝胶-PPT2.pptx

参照药品信息

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：
 - 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。
 - 急抢救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。
 - 肿瘤、罕见病用药统一按365天用药计算年费用。
 - 其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。
 - 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) !	用法用量	费用类型 !	疗程/周 期	金额 (元)
依维莫司片	是	2.5mg	76.47	本品的推荐剂量为10mg，每日一次。	疗程费用	1个月	9176.4

参照药品选择理由：除本品外无其他适应症为TSC皮肤病变的药物。依维莫司获批适应症为TSC相关的肾血管平滑肌脂肪瘤和室管膜下巨细胞星形细胞瘤，但其对包括皮肤在内的其他器官系统的肿瘤增长同样有改善作用。

其他情况请说明：除本品外，我国上市的mTOR抑制剂还有口服剂型的西罗莫司和依维莫司，依维莫司为西罗莫司的衍生物。该类药因为口服药效个体差异大、不良反应多、药物浓度易受多种因素影响等原因，临床安全用药问题仍然有待探讨。

联系人信息

联系人	王冬梅	联系电话	13240777103
-----	-----	------	-------------

二、有效性信息

试验类型1	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
-------	---------------------

试验对照药品	安慰剂，本品（0.2%），西罗莫司凝胶（0.05%、0.1%）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	0.05%组、0.2%组和本品合并组给药开始后12周时复合变量的分布显著优于安慰剂组（Wilcoxon秩和检验，0.05%组：P=0.010，0.2%组：P<0.001，合并组：P=0.001）。两种给药量都优于安慰剂，但判定疗效最高最为稳定的本品0.2%是最佳剂量。
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 西罗莫司凝胶临床综述中文版.pdf
试验类型2	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	62例患者（儿童27例，成人35例）。随机分配接受西罗莫司凝胶治疗或入安慰剂组。安慰剂组治疗第4、第8和第12周时血管纤维瘤的反应率分别为0，而西罗莫司组分别为20%、43%、26%-63%和60%。安慰剂组可评估患者中没有一例被评为改善或更好。相比之下，西罗莫司组中有5例（17%）和13例（43%）患者分别得到了明显的改善和改善。不良事件为轻度至中度，没有一个试验参与者停止治疗。
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 西罗莫司凝胶治疗与安慰剂治疗结节性硬化症患者面部血管纤维瘤的一项随机临床试验中文翻译稿和英文原版.pdf
试验类型3	无对照病例研究
试验对照药品	无对照药
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	从给药12周后开始，改善趋势放缓，但在52周内一直逐渐升高。另外，给药初期儿童的改善率始终高于成年人，但给药52周时成人与儿童的改善率基本持平。其他皮肤症状也都得到改善。94例中有30例通过中央阅片判定委员会对头部斑块进行了判定，给药52周后其改善率为67.9%。另外，共有17例判定了头部色素脱失斑的改善率，给药52周后的改善率为76.5%。
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 西罗莫司凝胶临床综述中文版.pdf
试验类型1	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂，本品（0.2%），西罗莫司凝胶（0.05%、0.1%）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	0.05%组、0.2%组和本品合并组给药开始后12周时复合变量的分布显著优于安慰剂组（Wilcoxon秩和检验，0.05%组：P=0.010，0.2%组：P<0.001，合并组：P=0.001）。两种给药量都优于安慰剂，但判定疗效最高最为稳定的本品0.2%是最佳剂量。
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 西罗莫司凝胶临床综述中文版.pdf
试验类型2	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂

试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	62例患者（儿童27例，成人35例）。随机分配接受西罗莫司凝胶治疗或入安慰剂组。安慰剂组治疗第4、第8和第12周时血管纤维瘤的反应率分别为0，而西罗莫司组分别为20%、43%、26%-63%和60%。安慰剂组可评估患者中没有一例被评为改善或更好。相比之下，西罗莫司组中有5例（17%）和13例（43%）患者分别得到了明显的改善和改善。不良事件为轻度至中度，没有一个试验参与者停止治疗。
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 西罗莫司凝胶治疗与安慰剂治疗结节性硬化症患者面部血管纤维瘤的一项随机临床试验中文翻译稿和英文原版.pdf
试验类型3	无对照病例研究
试验对照药品	无对照药
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	从给药12周后开始，改善趋势放缓，但在52周内一直逐渐升高。另外，给药初期儿童的改善率始终高于成年人，但给药52周时成年人与儿童的改善率基本持平。其他皮肤症状也都得到改善。94例中有30例通过中央阅片判定委员会对头部斑块进行了判定，给药52周后其改善率为67.9%。另外，共有17例判定了头部色素脱失斑的改善率，给药52周后的改善率为76.5%。
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 西罗莫司凝胶临床综述中文版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	日本皮肤科学会《结节性硬化症诊断及治疗指南修订版》指出皮肤症状是结节性硬化症的重要症状之一，有报告显示96%的患者有皮肤症状。最近，为了减轻这些mTOR抑制剂全身给药的副作用，许多研究人员研究了西罗莫司外用药的使用。从许多病例报告和小规模临床试验的结果来看，这些外用药可以使面部血管纤维瘤的红晕消退，使肿瘤平坦化，有时完全消退，特别是对儿童有效。
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 日本皮肤科学会《结节性硬化症诊断及治疗指南修订版》日文原版及中文翻译稿.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《中国罕见病诊疗指南2019版》建议：mTOR抑制剂成为有效的特异性靶向治疗方法。mTOR抑制剂包括西罗莫司和依维莫司。可有效治疗室管膜下巨细胞星形细胞瘤、肾血管平滑肌脂肪瘤、肺巴管肌瘤病、皮肤血管纤维瘤、TSC相关的癫痫和神经精神障碍等。皮肤神经纤维瘤可以在皮肤局部使用mTOR抑制剂，也可以从口服mTOR抑制剂治疗中受益。
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 中国罕见病诊疗指南2019版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2021年更新的国际结节性硬化症复杂诊断标准和监测和管理建议》建议mTOR抑制剂、脉冲染料或消融激光或手术切除的干预适用于大的或毁容的病变以及容易出血或疼痛来源的病变。许多患者在服用全身mTOR抑制剂治疗其他相关表现时，表现出TSC相关皮肤病变的改善。全身性mTOR抑制剂的风险-效益比通常不包括它们单独用于TSC皮肤病变。目前缺乏证据表明局部西罗莫司对全身治疗患者的附加益处。
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 2021年更新的国际结节性硬化症复杂诊断标准和监测和管理建议中文翻译稿及英文原版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《2018英国结节性硬化的管理和监测指南》指出由于担心系统性副作用，全身mTOR抑制剂的使用受到限制。已经有几个病例报告使用局部西罗莫司凝胶治疗面部血管纤维瘤。一项评估显示0.1%西罗莫司凝胶在临床环境中每天使用一次对治

病例报告使用局部西罗莫司软膏治疗面部血管纤维瘤。客观评估显示0.1%西罗莫司软膏在临床环境中每天使用一次对治疗面部血管纤维瘤有效。它是安全的，耐受性很好。它对患者的生活质量有积极的影响，在儿童时期开始使用可能是最有益的。共识专家一致认为面部血管纤维瘤可以用局部mTOR抑制剂治疗。

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](#) 2018英国结节性硬化的管理和监测指南中文翻译稿及英文原版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

《2012国际TSC共识声明-结节性硬化症皮肤和牙科方面的表现》指出局部使用西罗莫司减少与口服相关的不良事件。并且病例报告和小病例系列已经记录了使用局部西罗莫司治疗面部血管纤维瘤的良好结果。总的来说，这些研究的结果显示，一些人红斑减少，病变几乎完全消失，特别是儿童，副作用最小，如皮肤刺激，几乎检测不到西罗莫司水平。然而，市场上没有市面上的外用西罗莫司，它必须由专业药房配制。目前尚无标准剂量或配方。

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](#) 2012国际TSC共识声明-结节性硬化症皮肤和牙科方面的表现中文翻译稿及英文原版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

日本皮肤科学会《结节性硬化症诊断标准及治疗指南修订版》指出皮肤症状是结节性硬化症的重要症状之一，有报告显示96%的患者有皮肤症状。最近，为了减轻这些mTOR抑制剂全身给药的副作用，许多研究人员研究了西罗莫司外用药的使用。从许多病例报告和小规模临床试验的结果来看，这些外用药可以使面部血管纤维瘤的红晕消退，使肿瘤平坦化，有时完全消退，特别是对儿童有效。

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](#) 日本皮肤科学会《结节性硬化症诊断标准及治疗指南修订版》日文原版及中文翻译稿.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

《中国罕见病诊疗指南2019版》建议：mTOR抑制剂成为有效的特异性靶向治疗方法。mTOR抑制剂包括西罗莫司和依维莫司。可有效治疗室管膜下巨细胞星形细胞瘤、肾血管平滑肌脂肪瘤、肺巴管肌瘤病、皮肤血管纤维瘤、TSC相关的癫痫和神经精神障碍等。皮肤神经纤维瘤可以在皮肤局部使用mTOR抑制剂，也可以从口服mTOR抑制剂治疗中受益。

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](#) 中国罕见病诊疗指南2019版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

《2021年更新的国际结节性硬化症复杂诊断标准和监测和管理建议》建议mTOR抑制剂、脉冲染料或消融激光或手术切除的干预适用于大的或毁容的病变以及容易出血或疼痛来源的病变。许多患者在服用全身mTOR抑制剂治疗其他相关表现时，表现出TSC相关皮肤病变的改善。全身性mTOR抑制剂的风险-效益比通常不包括它们单独用于TSC皮肤病变。目前缺乏证据表明局部西罗莫司对全身治疗患者的附加益处。

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](#) 2021年更新的国际结节性硬化症复杂诊断标准和监测和管理建议中文翻译稿及英文原版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

《2018英国结节性硬化的管理和监测指南》指出由于担心系统性副作用，全身mTOR抑制剂的使用受到限制。已经有几个病例报告使用局部西罗莫司软膏治疗面部血管纤维瘤。客观评估显示0.1%西罗莫司软膏在临床环境中每天使用一次对治疗面部血管纤维瘤有效。它是安全的，耐受性很好。它对患者的生活质量有积极的影响，在儿童时期开始使用可能是最有益的。共识专家一致认为面部血管纤维瘤可以用局部mTOR抑制剂治疗。

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](#) 2018英国结节性硬化的管理和监测指南中文翻译稿及英文原版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

《2012国际TSC共识声明-结节性硬化症皮肤和牙科方面的表现》指出局部使用西罗莫司减少与口服相关的不良事件。并且病例报告和小病例系列已经记录了使用局部西罗莫司治疗面部血管纤维瘤的良好结果。总的来说，这些研究的结果显示

且病情较重的病例亦已观察到仅用局部西罗莫司治疗面部血管纤维瘤的良好效果。总的来说，这三期试验结果显示，一些人红斑减少，病变几乎完全消失，特别是儿童，副作用最小，如皮肤刺激，几乎检测不到西罗莫司水平。然而，市场上没有市面上的外用西罗莫司，它必须由专业药房配制。目前尚无标准剂量或配方。

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药物推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	↓ 下载文件 2012国际TSC共识声明-结节性硬化症皮肤和牙科方面的表现中文翻译稿及英文原版.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	本产品2023年3月28日获批，按《药审中心技术审评报告公开工作规范(试行)》规定，技术审评报告一般在批准后六个月内完成，所以目前还没有收到技术审评报告。
---------------------------------	---

《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 微信图片_20230710110608.jpg
-----------------	--

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	本产品2023年3月28日获批，按《药审中心技术审评报告公开工作规范(试行)》规定，技术审评报告一般在批准后六个月内完成，所以目前还没有收到技术审评报告。
---------------------------------	---

《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 微信图片_20230710110608.jpg
-----------------	--

三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	<p>【不良反应】在日本实施的临床试验中，148例中104例（70.3%）发生不良反应，主要不良反应为皮肤干燥45例（30.4%）、外用药部位刺激40例（27.0%）、痤疮15例（10.1%）、瘙痒症13例（8.8%）、痤疮样皮炎9例（6.1%）、眼刺激8例（5.4%）等。【禁忌】对西罗莫司或本品的任何其他成分有过敏史的患者。【注意事项】本品可能发生光线过敏症，使用本品时，患者应尽量减少或避免暴露于自然或人工日光（日光浴床、日晒灯或UVA/B治疗）。如果患者在使用本品时需要在户外，则应穿着防护衣，并与其医生探讨其他防晒措施。本品局部给药后有极微量剂量的西罗莫司被全身吸收，可能导致胎儿暴露。应告知孕妇孕期服用西罗莫司对于胚胎/胎儿的潜在风险。【孕妇及哺乳期妇女用药】本品局部给药后有极微量剂量的西罗莫司被全身吸收，可能导致胎儿暴露。因为可能对母乳喂养的婴儿产生潜在严重不良反应，因此在本品治疗期间不建议进行母乳喂养。【儿童用药】本品局部给药用于治疗6岁及以上结节性硬化症相关面部血管纤维瘤儿童患者的安全性和有效性已得到证实。不良反应在成人和儿童受试者中的发生率相似。</p>
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	<p>本品的安全性评价使用的临床试验包括 I/II 期临床试验、III 期临床试验和长期试验三项试验。I/II 期临床试验和 III 期临床试验根据 12 周给药数据（分别为 36 例、62 例）、长期试验根据 52 周以上的给药数据（包括终止例在内共计 94 例）进行评价。但是，在长期试验中，最后入组的病例在第 52 周的访视日截止，所以该时间点上还有 45 例给药超过 52 周的病例。本品汇总的主要不良反应中发生率最高的是皮肤干燥 30.4%，其次为给药部位刺激感 27.0%、痤疮 10.1%、瘙痒症 8.8%、痤疮样皮炎 6.1%、眼刺激 5.4%。皮肤干燥、给药部位刺激感、瘙痒症和眼刺激在安慰剂汇总中也分别为 11.4%、25.0%、9.1%、4.5%。主要不良反应中，本品汇总与安慰剂汇总有显著性差异的事件包括皮肤干燥和痤疮（$P=0.011$，$P=0.024$）。严重不良事件 I/II 期临床试验的 0.2% 组出现 1 例 2 件、安慰剂组出现 1 例 1 件、III 期临床试验的本品组出现 1 例 2 件、长期试验出现 7 例 8 件，本品汇总的严重不良事件发生率为 6.1%。所有事件都排除了与试验用药物的因果关系，确认在没有改变试验用药物的给药量的情况下，症状自行消失或恢复。</p>
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	本品是唯一一种可以局部给药的 mTOR 抑制剂，使用简便、无侵袭性。本品是第一个对结节性硬化症血管纤维瘤的疗效得到验证的药物。本品是第一个对结节性硬化症头部斑块的疗效得到验证的药物。本品是一种引起全身不良反应风险极小的药物。
创新性证明文件	-
应用创新	尽管西罗莫司口服剂型未获批与 TSC 相关适应症，但随着临床对 mTOR 信号通路及其对肿瘤发生和血管增殖下游作用的认识进展，口服西罗莫司或依维莫司逐渐成为结节性硬化症的靶向治疗选择，但系统治疗具有明显的副作用，外用西罗莫司凝胶治疗 TSC 皮肤病变，可在避免系统性不良反应的同时，进行有效的长期治疗。

应用创新证明文件	-
传承性（仅中成药填写）	-
传承性证明文件	-

五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	结节性硬化症是罕见的常染色体显性遗传性神经皮肤综合征，以儿童和青少年发病较多见。临床主要表现为外胚层分化增生的多器官错构瘤，常以皮肤损害、幼年时期癫痫发作及不同程度智力障碍为特征，约80%患者存在一个或多个特征性皮肤病变，严重影响容貌，造成患儿和患者的社交和心理障碍。TSC有家族遗传性，一个家庭多位患者的现象常见，患者经济状况普遍较差。将本品纳入医保能够有力支持这一罕见弱势群体的治疗需求。
符合“保基本”原则描述	本品为外用凝胶剂，按说明书用量计算，每位患儿/患者的月用量在1支左右，临床研究显示3个月左右的治疗能让大部分TSC患者的皮肤肿瘤得到有效减轻。作为难治性皮肤肿瘤，本品的疗程整体治疗费用1~2万元，这一罕见病的患者人数在10万多一些，将本品纳入医保后，即便完全满足这一弱势患者群体的总体治疗需求，所占用的医保基金总额也不会很高。
弥补目录短板描述	结节性硬化症收录于我国《罕见病诊疗指南(2019年版)》公布的第1批罕见病目录中，是一种多系统受累的神经皮肤综合征，约80%患者存在一个或多个特征性皮肤病变，严重影响外貌，甚至毁容。医保目录中目前尚未纳入治疗TSC皮肤病变的药物。将本品纳入医保目录将极大解决这部分弱势患者的用药需求。
临床管理难度描述	结节性硬化症可累及几乎所有器官及系统，患者皮肤、脑、眼睛、口腔、心脏、肺脏、肾脏、肝脏和骨骼等多部位器官都可发生良性错构瘤，以皮肤损害为首发症状的患者在就诊时通常存在全身其他器官受累的情况，与其他单纯的皮肤疾病不同。随着政府部门、官方媒体、公益组织的持续宣传，相关临床领域医药学专家的教育推动，临床医生对TSC的诊治日趋规范，本品在TSC患者身上精准应用是能够实现的。