

# 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： 佩索利单抗注射液

企业名称： 勃林格殷格翰（中国）投  
资有限公司

## 申报信息

申报时间	2023-07-13 18:50:16	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病毒用药可按程序申报。
- 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)	佩索利单抗注射液	医保药品分类与代码	XL04ACP147B002010180023; XL04ACP147B002010280023
药品类别	西药	是否为独家	是
药品注册分类	治疗用生物制品, 1类		
核心专利类型1	抗IL-36R抗体	核心专利权期限届满日1	2032-11
核心专利类型1	抗IL-36R抗体	核心专利权期限届满日1	2032-11
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	450 mg ( 7.5 mL ) /瓶		
上市许可持有人(授权企业)	Boehringer Ingelheim International GmbH		
说明书全部适应症/功能主治	用于治疗成人泛发性脓疱型银屑病(GPP)发作。		
说明书用法用量	本品剂量为900 mg单次静脉输注给药,持续90分钟。如GPP发作症状持续,可在首次给药后1周再次给予一次900 mg静脉输注给药(持续90分钟)。		
所治疗疾病基本情况	泛发性脓疱型银屑病(GPP)是可危及生命的罕见病。最新研究显示,中国GPP粗患病率约为1.403/10万。发作时患者周身泛发无菌性脓疱,常伴有严重的系统性症状,若不能及时控制,可因败血症、多系统器官衰竭等并发症而死亡,死亡率约为2%-7%。严重的皮肤及全身症状导致患者生活质量差,发作期就医次数多,甚至进入ICU治疗,带来较大的医疗资源消耗。调研显示,71%的患者因过去最严重的发作住院治疗1至5周。		
中国大陆首次上市时间	2022-12	注册证号/批准文号	国药准字SJ20220020
全球首个上市国家/地区	美国	全球首次上市时间	2022-09
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	暂无同适应症药品获批上市。佩索利单抗是中国唯一经全球多中心RCT验证获批用于治疗成人泛发性脓疱型银屑病(GPP)发作、唯一靶向GPP疾病核心通路IL-36的创新药物,获得中国药监局突破性疗法认定,通过优先审评程序与全球同步上市。目录内治疗药物以传统药物系统治疗为主,疗效不佳,严重影响患者生活质量;不良事件频发,不适合长期治疗。		
企业承诺书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 企业承诺书.pdf		
药品最新版法定说明书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 佩索利单抗注射液说明书.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.pdf

申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）

↓ 下载文件 佩索利单抗注射液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 佩索利单抗注射液PPT2.pdf

## 参照药品信息

说明：

- 1、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。
- 2、中成药：一律填写日均费用。
- 3、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）急抢救、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0.8m<sup>2</sup>。  
② 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积1.6m<sup>2</sup>。

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)
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：-

其他情况请说明：无参照药品。获得中国、美国等国的突破性疗法认定，纳入优先审评。是中国唯一经全球多中心RCT验证获批治疗该适应症、唯一靶向疾病核心通路IL-36的创新药，填补治疗空白，目录内无相同适应症、作用机制的药物

## 联系人信息

联系人	陈春在	联系电话	13001261973
-----	-----	------	-------------

## 二、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
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	24小时内，有11.4%的患者经佩索利单抗治疗后达到脓疱完全清除。54%的患者在1周内皮肤脓疱完全清除，而安慰剂组仅为6%（ $p < 0.001$ ）。在12周的研究期间，60%的患者维持脓疱完全清除。同时，在治疗1周内，患者的疼痛、银屑病症状、疲劳和皮肤病生活质量指数（DLQI）均在基线基础上有明显改善。
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 试验数据证明文件1.pdf

试验类型2	无对照病例研究
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	患者因急性全身性脓疱型皮肤病被送往急诊科，皮肤病变迅速扩大至全身，伴有严重皮肤按压疼痛、40°C发烧、寒战、心动过速和白细胞增多，收治入ICU。接受佩索利单抗 900mg静脉滴注治疗后18小时内，患者的脓疱及面部、颈部、躯干和四肢的红斑几乎完全清除。40小时后，患者剩余的脓疱和红斑完全清除。患者未出现不良事件，在治疗两天后出院。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验数据证明文件2.pdf
试验类型3	无对照病例研究
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	5名中国GPP患者入院时GPPGA评分均超过3分（中至重度），其中2名患者出现高烧。在接受佩索利单抗900mg单次静脉注射后均显示了显著疗效：治疗后12小时，1名患者的脓疱几乎完全消除；24小时内，3名患者实现了脓疱消除；48小时内，4名患者实现了脓疱消除；1名患者在治疗后96小时实现脓疱消除。5名患者的GPPGA和GPPASI评分均得到了快速持续的改善。在治疗期间未出现严重不良反应。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验数据证明文件3.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
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	24小时内，有11.4%的患者经佩索利单抗治疗后达到脓疱完全清除。54%的患者在1周内皮肤脓疱完全清除，而安慰剂组仅为6%（ $p < 0.001$ ）。在12周的研究期间，60%的患者维持脓疱完全清除。同时，在治疗1周内，患者的疼痛、银屑病症状、疲劳和皮肤病生活质量指数（DLQI）均在基线基础上有明显改善。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验数据证明文件1.pdf
试验类型2	无对照病例研究
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	患者因急性全身性脓疱型皮肤病被送往急诊科，皮肤病变迅速扩大至全身，伴有严重皮肤按压疼痛、40°C发烧、寒战、心动过速和白细胞增多，收治入ICU。接受佩索利单抗 900mg静脉滴注治疗后18小时内，患者的脓疱及面部、颈部、躯干和四肢的红斑几乎完全清除。40小时后，患者剩余的脓疱和红斑完全清除。患者未出现不良事件，在治疗两天后出院。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验数据证明文件2.pdf

试验类型3	无对照病例研究
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	5名中国GPP患者入院时GPPGA评分均超过3分（中至重度），其中2名患者出现高烧。在接受佩索利单抗900mg单次静脉注射后均显示出了显著疗效：治疗后12小时，1名患者的脓疱几乎完全消除；24小时内，3名患者实现了脓疱消除；48小时内，4名患者实现了脓疱消除；1名患者在治疗后96小时实现脓疱消除。5名患者的GPPGA和GPPASI评分均得到了快速持续的改善。在治疗期间未出现严重不良反应。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验数据证明文件3.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《中国银屑病诊疗指南（2023版）》：IL-36通路在脓疱型银屑病尤其是泛发性脓疱型银屑病发病中起关键作用。IL-36R抑制剂佩索利单抗已在急性期GPP患者国际多中心 I 期和 II 期临床研究（包括中国患者）中显示出较好的疗效和安全性。该研究显示，患者接受佩索利单抗单次治疗，即可在1周内快速清除脓疱、改善红斑和脱屑；亚洲人群数据与全球实验结论保持一致，总体安全性良好。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 中国银屑病诊疗指南2023版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《脓疱型银屑病诊疗中国专家共识（2022版）》：IL-36R 抑制剂spesolimab已在急性期GPP患者国际多中心 I 期和 II 期临床研究（包括中国患者）中显示出较好的疗效和安全性。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 脓疱型银屑病诊疗中国专家共识2022版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《银屑病生物制剂达标治疗专家共识》：治疗泛发性脓疱型银屑病的IL-36R 抑制剂spesolimab 已获美国食品药品监督管理局批准并在中国获批上市。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 银屑病生物制剂达标治疗专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《中国银屑病诊疗指南（2023版）》：IL-36通路在脓疱型银屑病尤其是泛发性脓疱型银屑病发病中起关键作用。IL-36R抑制剂佩索利单抗已在急性期GPP患者国际多中心 I 期和 II 期临床研究（包括中国患者）中显示出较好的疗效和安全性。该研究显示，患者接受佩索利单抗单次治疗，即可在1周内快速清除脓疱、改善红斑和脱屑；亚洲人群数据与全球实验结论保持一致，总体安全性良好。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 中国银屑病诊疗指南2023版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《脓疱型银屑病诊疗中国专家共识（2022版）》：IL-36R 抑制剂spesolimab已在急性期GPP患者国际多中心 I 期和 II 期临床研究（包括中国患者）中显示出较好的疗效和安全性。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 脓疱型银屑病诊疗中国专家共识2022版.pdf

资料须同时提供原文及中文翻译件)	
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《银屑病生物制剂达标治疗专家共识》：治疗泛发性脓疱型银屑病的IL-36R 抑制剂spesolimab 已获美国食品药品监督管理局批准并在中国获批上市。
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)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 银屑病生物制剂达标治疗专家共识.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	暂未发布
《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	暂未发布
《技术审评报告》原文(可节选)	-

### 三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	1. 经佩索利单抗治疗1周后, 报告不良反应的程度和数量较对照组无显著差异, 均为常规治疗可控的不良反应。临床试验中常见的不良反应( $\geq 5\%$ )为乏力和疲劳, 恶心和呕吐, 头痛, 瘙痒和皮疹, 输液部位血肿和瘀伤, 尿路感染。2. a. 本品禁用于对佩索利单抗或本品中的任何辅料有重度或危及生命超敏反应的患者。反应包括药物反应伴嗜酸粒细胞增多和全身性症状(DRESS)。b. 临床重要的活动性感染。3. 未对佩索利单抗进行正式的药物相互作用研究。其他注意事项详见说明书。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	1. 无安全性警告、□框警告、撤市信息; 2. 临床研究验证, 佩索利单抗安全性良好, 与安慰剂相比不良反应发生率无显著差异。临床试验中常见的不良反应( $\geq 5\%$ )为乏力和疲劳, 恶心和呕吐, 头痛, 瘙痒和皮疹, 输液部位血肿和瘀伤, 尿路感染, 均为常规治疗可控的不良反应。3. 病例研究中展示出良好的安全性。
相关报导文献	-

### 四、创新性信息

创新程度	1. 佩索利单抗被中国国家药审中心授予突破性治疗药物认定, 并获得优先审评。此外, 在美国、日本、台湾地区等多个国家和地区获得突破性治疗药物认定、孤儿药认定和(或)优先审评。2. IL-36信号通路是GPP核心致病通路。佩索利单抗是首个且唯一获批的靶向IL-36受体的人源化单克隆IgG1抗体, 直接抑制促炎机制, 起效迅速, 安全性良好, 填补治疗GPP发作的空白。专利期至2032年11月。
创新性证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 创新性证明文件1.pdf
应用创新	1. 佩索利单抗应用于罕见病患者。2. 直击IL-36, 靶点核心, 起效迅速, 疗效持续, 安全性良好, 减少住院时长, 节约医疗资源利用, 降低了患者的直接和间接医疗支出。3. 用药指征明确, 仅在发作时使用, 同时作为静脉给药药物便于临床规范管理, 无滥用风险。4. 单次用药后快速起效, 用药次数少, 降低药品使用成本
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	GPP患者发作时病情严重可危及生命，发作期间就医次数多，甚至需要收入ICU治疗，带来较大的医疗资源消耗，给患者及医疗体系带来沉重负担。调研显示，71%的患者因过去最严重的发作住院治疗1至5周。严重的皮肤及全身症状导致患者生活质量差，社会功能严重受损。佩索利单抗起效快，疗效佳，显著提升患者生活质量，助其尽快恢复正常生活。
符合“保基本”原则描述	虽然泛发性脓疱型银屑病为罕见病，患者人数少，但患者群体及其最基本的治疗需求不容忽视。目前医保目录内尚无治疗泛发性脓疱型银屑病的靶向药物，佩索利单抗纳入医保可提高这一药品的可及性，带来显著的临床获益，降低患者疾病负担，提升患者生活质量，增加幸福感和满意度，维持社会稳定。
弥补目录短板描述	目录中没有治疗GPP的创新靶向药物，佩索利单抗作为唯一获批治疗成人GPP发作的药品，弥补高度未满足的临床需求，减少疾病相关的直接和间接成本，补足国家医保目录短板。医保目录内用于治疗GPP的药物以传统药物系统治疗为主，疗效不佳，不良事件频发，不适合长期治疗。
临床管理难度描述	拥有单独的ICD编码，适应症清晰明确，国内指南及共识可提供明确的诊断和治疗依据，且佩索利单抗仅在发作时住院使用，不易误诊和滥用。随着中国静脉用药管理水平的提高与静脉用药调配中心的建设，佩索利单抗作为静脉给药药物便于临床规范管理，更加不易滥用。佩索利单抗仅有治疗成人GPP发作的适应症，医保管理难度低。