

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：盐酸沙丙蝶呤片

企业名称：山东新时代药业有限公司

申报信息

申报时间	2023-07-14 11:41:42	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)	盐酸沙丙蝶呤片	医保药品分类与代码	XA16AXS241A001010104188
药品类别	西药	是否为独家	是
药品注册分类	新化药4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	否		
说明书全部注册规格	100mg		
上市许可持有人(授权企业)	山东新时代药业有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	1、适用于对本品治疗有反应的四氢生物蝶呤(BH4)缺乏症所导致的高苯丙氨酸血症(HPA)，可用于成人及4岁以上儿童。2、本品在0-4岁儿童中无充分的临床用药经验，若必须使用，须在专科医生的严格指导下慎重使用。		
说明书用法用量	对于BH4缺乏症患者，将每日用药总剂量分2至3次服用，每日分次给药。在成人和儿童BH4缺乏症患者中，盐酸沙丙蝶呤片的初始用药剂量为2至5 mg/kg体重(每日总剂量)。可进行剂量调整，最大不超过20 mg/kg/日。本品为100 mg片剂。根据体重计算日剂量，并四舍五入为100的倍数。例如，计算出的剂量为401 mg至450 mg应四舍五入为400mg，相当于4片。计算出的剂量为451 mg至499 mg应四舍五入为500 mg，相当于5片。当给药剂量低于100 mg时，应将一片药片溶解在100 ml水中，然后按照医生处方的剂量服用相当体积的溶液。应该使用准确的带有适当刻度的装置来量取溶液，以确保所服用溶液的体积与处方剂量相符。		
所治疗疾病基本情况	高苯丙氨酸血症是因苯丙氨酸羟化酶或其辅酶四氢生物蝶呤缺陷，如不治疗将出现智力低下、癫痫和行为问题，会对患者中枢神经系统造成严重的损伤。服用本品的多为幼儿和未成年人，断药将直接影响智力和身体发育。我国1985—2011年3500万新生儿筛查资料显示，发病率为1：10397。2000—2007年我国新生儿筛查资料显示，HPA中12.9%为BH4D，并存在显著的地域差异，南部地区BH4D发病率较高。		
中国大陆首次上市时间	2010-10	注册证号/批准文号	2023S00987；国药准字H20233796
全球首个上市国家/地区	美国	全球首次上市时间	2007-12
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	同治疗领域内原研盐酸沙丙蝶呤片2007年在美国上市，2010年在中国上市，2022年在国内退市，目前该产品为非医保目录品种。		
企业承诺书	↓ 下载文件 山东新时代承诺书.jpg		

药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 盐酸沙丙蝶呤片说明书.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 药品注册证书2023S00987.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 盐酸沙丙蝶呤片PPT1.pptx
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 盐酸沙丙蝶呤片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：（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)	用法用量	费用类型	疗程/周期	金额(元)
盐酸沙丙蝶呤片	否	100mg	249.33	成人每日总剂量120mg-300mg;儿童每日总剂量40mg-100mg	年度费用	365天	154709 疗程

参照药品选择理由：参照药品为同治疗领域内临床应用最广泛的药品（原研科望）

其他情况请说明：单价为单片价格；该产品为罕见病药物，金额为成人和儿童用量日均值的年度费用= $(40+300)/2/100*249.33*365=154709$ 元

联系人信息

联系人	马儒	联系电话	13153957586
-----	----	------	-------------

二、有效性信息

试验类型1	其他
试验对照药品	盐酸沙丙蝶呤片（原研科望）
试验阶段	上市前

对主要临床结局指标改善情况	当受试制剂与参比制剂沙丙蝶呤的药代动力学参数AUC0-t、AUC0-∞和Cmax 的几何均值比的90%置信区间均在80.00%~125.00%等效区间内，则认为两制剂生物等效。（备注：BE实验的部分实验指标不方便对外公开，仅上传适合公开性的部分实验内容）
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 试验数据结果证明文件.pdf
试验类型1	其他
试验对照药品	盐酸沙丙蝶呤片（原研科望）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	当受试制剂与参比制剂沙丙蝶呤的药代动力学参数AUC0-t、AUC0-∞和Cmax 的几何均值比的90%置信区间均在80.00%~125.00%等效区间内，则认为两制剂生物等效。（备注：BE实验的部分实验指标不方便对外公开，仅上传适合公开性的部分实验内容）
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 试验数据结果证明文件.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	四氢蝶呤（BH4）缺乏症的诊断和治疗共识指南（2020年5月） 一线治疗：根据对文献的评估，存在（维持）药物治疗的证据，包括剂量和副作用，用于减少苯丙氨酸的饮食，盐酸沙丙蝶呤，左旋多巴与外周DC抑制剂（卡比多巴或苄丝肼），5-HTP，亚叶酸，多巴胺激动剂，选择性单胺氧化酶抑制剂，抗胆碱能药物，儿茶酚-O-甲基转移酶抑制剂，选择性5-羟色胺再摄取抑制剂，苯二氮卓类药物，褪黑激素，和肉毒杆菌毒素注射。
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 英汉版合并四氢蝶呤BH4缺乏症的诊断和治疗共识指南2020年5月.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	四氢蝶呤（BH4）缺乏症的诊断和治疗共识指南（2020年5月） 一线治疗：根据对文献的评估，存在（维持）药物治疗的证据，包括剂量和副作用，用于减少苯丙氨酸的饮食，盐酸沙丙蝶呤，左旋多巴与外周DC抑制剂（卡比多巴或苄丝肼），5-HTP，亚叶酸，多巴胺激动剂，选择性单胺氧化酶抑制剂，抗胆碱能药物，儿茶酚-O-甲基转移酶抑制剂，选择性5-羟色胺再摄取抑制剂，苯二氮卓类药物，褪黑激素，和肉毒杆菌毒素注射。
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 英汉版合并四氢蝶呤BH4缺乏症的诊断和治疗共识指南2020年5月.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	无
《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	无
《技术审评报告》原文（可节选）	-

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	1、不良反应：免疫系统疾病 未知：超敏反应（包括严重的过敏反应）和皮疹 代谢和营养疾病 常见：低苯丙氨酸血症 神经系统疾病 十分常见：头痛。呼吸系统、胸部和纵隔疾病 十分常见：流涕 常见：咽喉疼痛、鼻塞、咳嗽 胃肠疾病 常见：腹泻、呕吐、腹痛、消化不良、恶心 未知：胃炎、食管炎 儿童 儿童不良反应的频率、类型和严重程度与成人数据非常接近。 2、禁忌：对药物活性成分或“成份”一节中列出的任何辅料过敏。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	本品暂无
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	四氢生物蝶呤作为苯丙氨酸羟化酶的辅助因子,能够显著降低BH4缺乏型和对BH4治疗产生反应的PAH缺乏型患者体内苯丙氨酸浓度。BH4疗法对于BH4反应型PKU尤其是BH4缺乏型PKU具有很好的疗效,且无不良反应。该法不仅能增加患者对苯丙氨酸的耐受性,而且可降低患者对饮食疗法的遵循性,从而提高患者的生活质量。
创新性证明文件	-
应用创新	《四氢蝶呤BH4缺乏症的诊断和治疗共识指南（2020年5月）》 一线治疗：根据对文献的评估，存在（维持）药物治疗的证据，包括剂量和副作用，用于减少苯丙氨酸的饮食，盐酸沙丙蝶呤，左旋多巴与外周DC抑制剂（卡比多巴或苄丝肼），5-HTP，亚叶酸，多巴胺激动剂，选择性单胺氧化酶抑制剂，抗胆碱能药物，儿茶酚-O-甲基转移酶抑制剂，选择性5-羟色胺再摄取抑制剂，苯二氮卓类药物，褪黑激素，和肉毒杆菌毒素注射。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 英汉版合并四氢蝶呤BH4缺乏症的诊断和治疗共识指南2020年5月.pdf
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	1、我国1985-2011年3500万新生儿筛查资料显示，发病率为1：10397。2000—2007年我国新生儿筛查资料显示，HPA中12.9%为BH4D，并存在显著的地域差异，南部地区BH4D发病率较高/2、平均消除时间约为4-7小时，可以每天给药一次。与单纯的饮食限制相比，从小用盐酸沙丙蝶呤片治疗苯丙酮尿症（PKU）对患者来说有更多的优势。
符合“保基本”原则描述	保障参保人员合理的用药需求，药品费用水平与基本医疗保险基金和参保人承受能力相适应。
弥补目录短板描述	1、盐酸沙丙蝶呤片是首个治疗苯丙酮尿症的特异性药物。2、原研科望在中国普遍存在断供现象，对国内患者用药可及性造成了严重影响，因服用本品的多为幼儿和未成年人，断药将直接影响智力和身体发育。3、BH4D患者的长期神经发育结局受早期开始有效治疗的影响很大，因此不能延迟治疗。
临床管理难度描述	1、原研科望在中国普遍存在断供现象，2022年在中国退市，这对中国患者的用药可及性造成了严重影响。2、目前我公司该产品为国内独家品种，我公司该产品年产能保障国内患者市场需求，不会存在国内买不到药的情况。