

编码：YPSN202600080

2026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：海曲泊帕醇胺

企业名称：江苏恒瑞医药股份有限公司

申报信息

申报时间	2026-06-06 15:32:08	药品目录	药品目录内
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

(一) 基本医保目录

- 1.2026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。
- 2.2026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。
- 3.2021年1月1日至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准或已完成技术审评，适应症或功能主治发生重大变化，主动申请调整医保支付范围的谈判药品和目录内其他药品。

(二) 商保创新药目录

- 1.2021年1月1日至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准或已完成技术审评，适应症或功能主治发生重大变化，主动申请调整的商保创新药目录内药品。

药品通用名称（中文、含剂型）	海曲泊帕 α 醇胺 α	商品名	恒曲
药品类别	西药		
① 药品注册分类	化药1类		
是否为独家	是	所属类别	谈判药品
协议/支付标准到期时间	2027年12月31日		
核心专利类型1	双环取代吡唑酮偶氮类衍生物、其制备方法及其在医药上的应用	核心专利权期限届满日1	2029-01
核心专利类型2	双环取代吡唑酮偶氮类衍生物的盐，及其制备方法和应用	核心专利权期限届满日2	2030-05
核心专利类型3	一种含有双环取代吡唑酮偶氮类衍生物或其盐的药物组合物及其制备方法	核心专利权期限届满日3	2037-01
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	2.5mg ; 3.75mg ; 5mg		
上市许可持有人（授权企业）	江苏恒瑞医药股份有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	1. 本品适用于既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的慢性原发免疫性血小板减少症（ITP）成人患者，使血小板计数升高并减少或防止出血。 2. 本品适用于对免疫抑制治疗（IST）疗效不佳的重型再生障碍性贫血（SAA）成人患者。 3. 本品联合免疫抑制治疗适用于15岁及以上初治重型再生障碍性贫血（SAA）患者。		
现行医保目录的医保支付范围	限：1.既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的慢性原发免疫性血小板减少症(ITP)成人患者；2.对免疫抑制治疗(IST)疗效不佳的重型再生障碍性贫血(SAA)成人患者。		
说明书用法用量	本品早晨空腹口服，口服2小时后方可进餐或晚餐后至少2小时服药，避免与餐同服。以下产品应在服药前至少4小时或服药后至少2小时以后食用，包括乳制品（例如牛奶、酸奶、乳酪和冰淇淋等）或者含多价阳离子（例如铝、钙、镁、铁、硒和锌）的矿物质补充剂。（1）成人原发免疫性血小板减少症（ITP）患者：初始剂量：本品在ITP患者中建议的初始剂量为2.5mg，每日1次。监测和剂量调整：在治疗过程中，应监测血小板计数，根据血小板计数情况，采 α 能使 α 板计数达到并维持 $\geq 50 \times 10^9/L$ 的最低剂量，最 α 剂量不可超过每 α 7.5mg。（2）重型再 α 障碍性贫血（SAA）患者：15岁及以上初治SAA患者：本品应与免疫抑制治疗同时开始使用，不宜减少初始给药剂量。初始剂量：本品在初治SAA患者中建议的初始剂量为15mg，每天一次。监测和剂量调整：在治疗过程中，应定期监测血小板计数，根据血小板计数情况调整本品用量。（3）重型再 α 障碍性贫血（SAA）患者：IST 疗效不佳的成人SAA患者：本品在SAA患者中建议的初始剂量为		
	7.5mg 每日1次 监测和剂量调整：在治疗过程中，应定期监测 α 板计数，根据 α 板计数情况，每日调整 α 板剂量		

7.5mg，每日一次。血细胞计数测定：在开始治疗前，应定期监测血细胞计数，根据血细胞计数情况，每日调整口服剂量，直到达到并维持血小板应答的最低剂量。最大剂量不可超过每日15mg。基于血小板计数情况剂量调整办法详见说明书。

所治疗疾病基本情况

本次申请新增一线SAA适应症。再生障碍性贫血（AA）是一种骨髓造血衰竭（BMF）综合征，年发病率0.74/10万人，病种罕见，其中重型AA（SAA）约占20%，每年约2000位患者，适应症人群小。一项中国RWS研究显示，在当前治疗模式下，SAA 5年生存率仅66.6%，面临长期预后不佳的困局。尽管免疫抑制治疗（IST）在一定程度上提高了治疗效果，但初始应答率仍相对较低，30%以上患在治疗后无法恢复造血功能。部分患者未能脱离感染、出血风险，仍存在血制品输血依赖。国内外指南推荐SAA一线非移植治疗首选IST+TPO-RA，目前仅海曲泊帕为明确获批一线SAA的TPO-RA。

中国大陆首次上市时间

2021-06

现行有效药品注册证书的到期时间

2031-06-14

同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况

海曲泊帕乙醇胺片是国内首个获批SAA适应症的TPO-RA，2021年06月获批上市即填补了AA患者临床用药空白，为患者带来治疗新希望。本次海曲泊帕新增一线SAA适应症，也是中国首个且唯一同时获批一线SAA和二线SAA的TPO-RA类药物，填补临床用药空白，助力SAA患者全线治疗。目录内其他TPO-RA类药物均未获批一线SAA：①艾曲泊帕乙醇胺片，原研2018年1月上市，ITP及二线SAA适应症医保目录内；②马来酸阿伐曲泊帕片，原研2020年4月上市，CLDT医保目录内；③注射用罗普司亭及注射用罗普司亭N01，分别于2022年1月及2024年4月上市，ITP适应症均医保目录内；④芦曲泊帕片，原研2023年6月上市，CLDT适应症医保目录内。海曲泊帕作为国内首个且唯一获批一线SAA的TPO-RA，较标准IST可显著提高患者血液学CR率14.4%，更早实现血液学缓解（提前54天），帮助患者减轻疾病负担、有效减少和脱离输血依赖。本品安全性良好，大多数不良反应的严重程度均为轻中度。

企业承诺书

[↓ 下载文件](#) 企业承诺书-江苏恒瑞.pdf

药品适应症或功能主治修改前法定说明书

[↓ 下载文件](#) 海曲泊帕乙醇胺片适应症或功能主治修改前法定说明书.pdf

药品适应症或功能主治修改后法定说明书（**预申报药品请先上传提交至药监部门审批的说明书，并在规定时间内上传经药监部门审核的说明书**）

[↓ 下载文件](#) 海曲泊帕乙醇胺片适应症或功能主治修改后法定说明书.pdf

提供首次上市和最新版有效的《药品注册证书》（国产药品）/《进口药品注册证》（进口药品）、《药品再注册批准通知书》，以及证明适应症/功能主治变化前后的《药品补充申请批准通知书》（**预申报药品请上传可证明已完成技术审评的相关文件或截图，并在规定时间内补充上传经药监部门批准的证明文件**）

[↓ 下载文件](#) 海曲泊帕乙醇胺片药品注册证书及药品补充申请批准通知书.pdf

申报药品摘要幻灯片（含经济性信息）

[↓ 下载文件](#) 海曲泊帕乙醇胺片PPT1.pdf

申报药品摘要幻灯片（不含经济性信息）将要同其他信息一同向社会公示

[↓ 下载文件](#) 海曲泊帕乙醇胺片PPT2.pdf

序号 ①	新增适应症/功能主治或医保支付范围扩大部分	是否已获批	获批时间
1	新增适应症为“本品联合免疫抑制治疗适用于15岁及以上初治重型再生障碍性贫血（SAA）患者。”	是，已获得注册批件	2026-03-10

新增适应症或功能主治的参照药品信息

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、罕见病用药原则上按365天用药计算年费用，如说明书中严格限制了治疗周期，可按治疗周期计算疗程费用，并予以说明。
（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65公斤，体表面积1.68m²。

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	金额（元） ^①	疗程/周期 ^①
空白参照	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：1.本品为中国首个且唯一获批用于一线SAA的TPO-RA类药物，目录内无同适应症的TPO-RA。 2.艾曲泊帕未获批一线用药，不宜作为医保参照药。

其他情况请说明：/

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+IST组(免疫抑制治疗(IST)：抗胸腺细胞球蛋白(ATG)和环孢素(CsA))
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品联合免疫抑制治疗适用于15岁及以上初治重型再生障碍性贫血(SAA)患者。
对主要临床结局指标改善情况	一项纳入240例15岁及以上初治SAA患者的临床研究显示：海曲泊帕联合IST组研究主要终点6个月完全血液学应答率(CR)为28.1%，是安慰剂+IST组的2倍以上，组间率差为14.4%(p=0.0129)，本品联用IST作为SAA一线治疗可显著提高血液学缓解率，且安全性良好。海曲泊帕联合IST可更早实现血液学缓解，首次实现血液学缓解的中位时间比安慰剂组提前54天(87天 vs 141天)。
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(除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 海曲泊帕乙醇胺片新增适应症有效性证明文件.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	再生障碍性贫血诊断与治疗中国指南(2022年版)：IST(ATG/ALG+CsA)联合TPO-RA为不适合移植SAA患者的一线治疗方案。TPO-RA包括海曲泊帕、艾曲泊帕、阿伐曲泊帕、罗米司亭等。(目前仅海曲泊帕明确获批一线SAA适应症)
本次新增的适应症或功能主治	本品联合免疫抑制治疗适用于15岁及以上初治重型再生障碍性贫血(SAA)患者。
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出(高亮)显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件(除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译	↓ 下载文件 海曲泊帕乙醇胺片指南推荐情况.pdf

件的一致性、准确性和客观性)

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

一项随机、双盲、安慰剂对照的III期临床试验 (HR-TPO-SAA-III) 评价了海曲泊帕乙醇胺片联合标准免疫抑制治疗在15岁及以上初治重型再生障碍性贫血患者的安全性和有效性。研究共入组240例受试者,结果显示,海曲泊帕联合标准IST治疗有效提升了患者的血液学应答率:3个月时,试验组部分血液学应答率和总血液学应答率显著高于对照组,已经体现出优势;6个月时CRR为28.1%,与安慰剂组比较的组间率差为14.4%(4.1%, 24.6%; p=0.0129),达到预设终点。次要终点与主要终点保持一致的趋势。主要终点的敏感性分析、补充分析和亚组分析结果均支持主分析结论,优效性结论较为稳健。同时海曲泊帕联合标准IST治疗较安慰剂相比,在首次应答时间、脱离成分血细胞输注方面亦具有明显优势。在延展性研究中,大多数受试者能够持续获益,且以CR为主。

《技术审评报告》原文(可节选)

[↓ 下载文件](#) 海曲泊帕乙醇胺片技术审评报告.pdf

四、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息

【不良反应】海曲泊帕乙醇胺的安全性特征总结数据来自5项共计686例接受海曲泊帕乙醇胺给药的临床研究。其中,所有级别的不良反应发生率为56.4%,常见不良反应(发生率≥3%)包括:丙氨酸氨基转移酶升高(12.4%), 血胆红素升高(11.5%), 天门冬氨酸氨基转移酶升高(10.1%), 血乳酸脱氢酶升高(9.9%), 血小板计数升高和高尿酸血症(各6.9%), 肝功能异常(6.3%), γ 谷氨酰转移酶升高(5.8%), 血碱性磷酸酶升高(3.5%)和头痛(3.1%)。研究中所报告的大多数不良反应的严重程度均为轻中度。【禁忌】对本品活性成分或任何辅料过敏者禁用。【注意事项】包括血栓形成/血栓栓塞、肝毒性、腹泻、骨髓网硬蛋白形成和骨髓纤维化风险等,详见说明书。【药物相互作用】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

自2021年6月在中国获批上市以来,药监部门未发布安全性警告、黑框警告、撤市等安全性信息。对海曲泊帕获批上市以来的安全性数据进入综合评估,海曲泊帕在已获批的适应症中获益-风险仍保持有利。

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 海曲泊帕乙醇胺片安全性证明文件.pdf

五、创新性信息

创新程度

1.国产1类新药,本品结构升级,用苯并饱和和碳环取代二甲苯,用杂环羧基取代联苯结构基团,增强亲脂性,提高药效,降低肝脏毒性。2.海曲泊帕专利“双环取代吡唑酮偶氮类衍生物、其制备方法及其在医药上的应用”荣获第二十五届中国专利金奖。3.本品机制创新,可通过激活PI3K/AKT通路重塑骨髓巨噬细胞极化,恢复AA患者的造血和免疫稳态。

创新性证明文件

[↓ 下载文件](#) 海曲泊帕乙醇胺片创新性证明文件.pdf

应用创新

基于结构升级及机制创新,本品是首个且唯一获批一线SAA的TPO-RA,填补临床空白;本品也是中国唯一同时获批一线、二线SAA治疗的TPO-RA类药物,助力SAA全线治疗。

应用创新证明文件

[↓ 下载文件](#) 海曲泊帕乙醇胺片应用创新证明文件.pdf

传承性(仅中成药填写)

-

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

1.SAA疾病负担严峻,患者起病急、病程进展快,且病死率高。SAA患者接受IST治疗初始应答率仍相对较低,存在临床未满足需求。2.海曲泊帕联合IST较单用IST可显著提高患者血液学CR率和ORR率,更早实现血液学缓解,帮助患者减轻疾病负担、有效减少和脱离输血依赖,从而减少医疗资源及医保基金支出。

符合“保基本”原则(仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写)

1.国内外指南均推荐TPO-RA联合IST作为不适合移植SAA患者的一线治疗方案,仅海曲泊帕明确获批一线SAA适应症,符合保基本原则。2.此次新增一线SAA适应症,人群少,对医保基金影响极小,纳入医保可以保障这部分小群体的用药公平性和提升用药可及性。

弥补目录短板

1.填补目录空白,海曲泊帕为中国首个且唯一获批一线SAA的TPO-RA。2.海曲泊帕为唯一同时获批一线、二线SAA治疗的TPO-RA类药物,二线SAA已由附条件批准转常规批准,助力SAA患者全线治疗。

临床管理难度

1.海曲泊帕为首个且唯一明确获批一线SAA的TPO-RA类药物，获批适应症定义清晰明确，无超说明书用药风险，无临床滥用风险。2.海曲泊帕已纳入医保目录四年，临床及医保管理经验丰富。3.口服剂型，临床使用更便捷。