

硫酸氢司美替尼胶囊

(商品名：科赛优®)

阿斯利康医药（青岛）有限公司

协议期内新增罕见病适应症：

伴有症状、无法手术的丛状神经纤维瘤（PN）的I型神经纤维瘤病（NF1）成人患者。

- 现医保支付范围：限3岁及3岁以上伴有症状、无法手术的丛状神经纤维瘤(PN)的I型神经纤维瘤病(NF1)儿童患者。
- 协议期：2026年1月1日至2027年12月31日

中国首个且唯一*获批治疗成人NF1-PN的靶向治疗药物，填补临床治疗空白！



目录

1 基本信息

成人NF1-PN**疾病负担重**¹，预期**寿命减少20年**²，既往**无有效药物治疗**手段³
硫酸氢司美替尼胶囊治疗成人NF1-PN**填补临床治疗空白**，**建议空白对照**

2 有效性

中国患者客观缓解率**54.5%** (vs 安慰剂 0%)⁴，**100%**疾病控制，症状**持续改善**

3 安全性

整体安全性良好，不良事件 (AE) 主要为**1/2级**⁴

4 创新性

中国**首个且唯一***获批治疗成人NF1-PN的靶向治疗药物，**机制创新**，临床获益明确

5 公平性

填补目录空白，提高成人患者健康水平，助力回归社会与工作。



硫酸氢司美替尼胶囊填补成人NF1-PN临床空白，建议空白对照

申请目录类别：国家基本医保目录

基本信息

通用名	硫酸氢司美替尼胶囊	商品名	科赛优®
药品注册分类	化学药品5.1类	注册证书到期时间	2028年4月
说明书适应症	本品适用于3岁及3岁以上伴有症状、无法手术的丛状神经纤维瘤（PN）的I型神经纤维瘤病（NF1）儿童及成人患者。		
注册规格	按C ₁₇ H ₁₅ BrClFN ₄ O ₃ 计 (1) 10 mg (2) 25mg (主规格) 。		
用法用量#	<ul style="list-style-type: none"> 口服。不得咀嚼、溶解或打开胶囊，这可能会影响药物释放和吸收。 本品按体表面积（BSA）给药，单次推荐剂量为25mg/m²，每日口服两次（约每12小时1次）。 按照医保规定成人标准BSA 1.68m²，对应推荐剂量为40mg，每日两次。 		
中国大陆首次上市时间	2023年4月		
大陆地区同通用名药品的上市情况	无		
全球首个上市国家及上市时间	美国，2020年4月		
是否为OTC药品	否		

参照品建议

空白对照（从各角度评估均无适当参照药品）

空白对照选择理由

拟申请医保适应症：**伴有症状、无法手术的丛状神经纤维瘤（PN）的I型神经纤维瘤病（NF1）成人患者**

- ① 中国**首个且唯一***获批治疗成人NF1-PN的靶向药物，填补临床空白。
- ② 注册研究为**安慰剂对照**。
- ③ 司美替尼胶囊获批前，无有效药物治疗手段。

临床主要治疗科室为神经外科



成人NF1-PN疾病负担重，预期寿命减少20年，既往无有效药物治疗手段

疾病基本情况

- ◆ **伴有症状、无法手术的I型神经纤维瘤病(NF1) -丛状神经纤维瘤 (PN)患病率约为0.73-1.83/10万***。
 - I型神经纤维瘤病(NF1)是一种因NF1基因突变导致的全身多系统疾病，已纳入《第二批罕见病目录》，患病率1/3000⁵。
 - **20%-50%**成人NF1患者合并丛状神经纤维瘤 (PN)⁶；
 - **约55%**患者出现疼痛、毁容、神经功能障碍等症⁷；
 - **约20%**患者因瘤体位置复杂或体积较大而无法手术⁸。
- ◆ **NF1患者恶化风险高达13%，较健康人群预期寿命减少20年²**。NF1成人患者恶变为恶性周围神经鞘瘤风险更高，恶变后5年生存率仅21%⁹；终生癌症风险约是普通人的2倍¹⁰。

疾病负担与临床未满足需求

成人NF1-PN患者**疾病负担重**，亟需有效的治疗以降低患者及其家庭负担。

- **成人PN患者疾病进展迅速**。2025年中国疾病调研显示**近87%成人PN患者3年内出现疾病进展**，其中24%快速进展¹¹；28%成人PN患者出现新发瘤体¹²。
- **PN相关症状严重影响患者生活质量**。PN可沿周围神经弥漫性生长，随年龄增长体积逐渐增大，**体积大的PN**可能会导致皮肤、皮下组织和内脏的严重疼痛、毁容和运动障碍¹。
- **既往无有效药物治疗手段，手术复发率高达58.8%⁸**。PN瘤体内富含血管网，手术难以完整切除，甚至无法选择手术治疗；患者常因反复手术而造成不可逆的残疾及医疗资源浪费。35.5%的成人患者表示自己接受过2-4次手术⁸。
- **成人患者生命质量受损比儿童更严重，焦虑抑郁问题尤为突出，且面临沉重的就业问题和家庭负担¹³**。成人患者生命质量评分低于儿童，超过一半的成人患者存在焦虑抑郁问题；约1/3成人患者失业或仅有兼职工作¹³。



中国患者客观缓解率54.5% (vs 安慰剂 0%) ， 疾病控制率100%， 症状持续改善

研究	研究介绍	入组人数	中位随访时间	客观缓解率 (ORR)	疾病控制率 (DCR)	缩瘤率	症状改善
KOMET研究 ^{14,4}	NF1领域首个#国际多中心、前瞻、随机双盲、安慰剂对照研究	<ul style="list-style-type: none"> 全球: 145 中国亚组: 24 	16个周期	<ul style="list-style-type: none"> 中国亚组: 54.5% (安慰剂0%) 	中国亚组: 100%	<ul style="list-style-type: none"> 中国亚组: 中位缩瘤28.1% 最大缩瘤58.1% 	
中国1期研究 ¹⁵	开放标签, 单臂临床研究	16	40个周期 (3年)	69%	-	-	PRO显示PR患者疼痛干扰在整个治疗期间 持续改善
韩国2期研究 ¹⁶	开放标签, 单臂临床研究	20	26个周期	PR: 80%	100%	平均缩瘤39%	神经认知功能及生活质量改善、疼痛减轻

KOMET研究(NCT04924608): 全球多中心、随机、双盲、安慰剂对照III期临床研究, 旨在评估与安慰剂组相比, 伴有症状性、不可手术的成人NF1-PN患者接受司美替尼治疗的疗效与安全性。中国亚组纳入24例患者, 11例接受司美替尼治疗, 13例接受安慰剂治疗, 随访16个周期。中国1期研究(NCT04590235): 司美替尼治疗中国成人和儿童NF1-PN患者的一项1期开放标签研究, 共纳入16例临床诊断为NF1伴有症状且无法手术的成人PN患者, 长期随访40个周期。韩国2期研究(KCT0003700): 司美替尼治疗儿童和成人NF1-PN患者药代动力学、PN体积、生长参数、神经认知功能、咖啡牛奶斑和生活质量的一项开放标签、II期研究, 共纳入30例临床诊断为NF1伴有症状且无法手术的成人PN患者, 中位随访26个周期。20例成人患者使用按体表面积计算25mg/m² 剂量, 每天两次

ORR: 客观缓解率, 截至第16周期结束时, 达到完全缓解(CR: 靶PN完全消失)或部分缓解(PR: 靶PN体积较基线减少≥20%)并在首次应答后3-6个月内连续扫描确认的受试者比例

DCR: 疾病控制率, 从治疗起始到疾病进展之间药物最佳应答(完全/部分缓解或疾病稳定)所占受试者比例

PR: 部分缓解, 与基线相比靶PN体积减少≥20%并至少持续4周的受试者比例

PRO: 患者报告结局

#数据截止到2026.5.29, <https://clinicaltrials.gov/>



中国首个且唯一*获批治疗成人NF1-PN的靶向治疗药物，填补临床治疗空白，获权威指南和专家共识唯一推荐



中华人民共和国国家卫生健康委员会

National Health Commission of the People's Republic of China



中华医学会
CHINESE MEDICAL ASSOCIATION

整形外科分会神经纤维瘤病学组

国家卫生健康委《神经纤维瘤病诊疗指南（2025年版）》¹⁷、
中华医学会整形外科分会及罕见病联盟《丛状神经纤维瘤的全病程管理专家共识（2025年版）》⁶

唯一推荐司美替尼靶向治疗NF1-PN。

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（节选）

暂未发布针对成人NF1-PN适应症的《技术审评报告》

儿童NF1-PN：“在对有效性进行更长时间随访后，本品的有效性（缓解率、靶PN体积变化、非靶PN体积变化及COA）较期中分析时均有进一步的提高，且随着随访时间的延长，本品仍**呈现出较持久的治疗应答**，并与全球关键研究（SPRINT研究）结果趋势一致。中国儿童患者随着暴露时长的增加，没有观察到新的安全性风险，**整体耐受性良好**。对于3岁及以上1型神经纤维瘤（NF1）患者伴有症状性、不能手术的丛状神经纤维瘤(PN)这种会导致严重临床不良结局的疾病本品在中国儿科患者中的获益大于风险。”¹⁸

注：司美替尼在中国获批的适应证为3岁及3岁以上伴有症状、无法手术的丛状神经纤维瘤(PN)的1型神经纤维瘤病(NF1)儿童及成人患者，阿斯利康不推荐任何未被批准的药品/适应症的使用
NF1：1型神经纤维瘤病；PN：丛状神经纤维瘤

⁶ *数据截止到2026.5.29, <https://www.cde.org.cn/>



总体安全性良好，不良事件（AE）主要为1/2级

KOMET研究

中国亚组安全性信号与全球一致，未发现新的安全信号，不良事件(AE)主要为**1/2级**，**无**导致患者停药的TRAE发生⁴

中国1期研究

不良事件轻微，AE主要为**1-2级**，无3级以上AE发生，**无**导致患者停药的AE发生¹⁵

韩国2期研究

不良事件轻微，**无**3级及以上AE发生，且AE频率随着治疗时间延长而降低，**无**导致患者停药的AE发生¹⁶

中国儿童 RWE

以**1/2级**AE为主，**无**导致患者停药的TRAE发生¹⁹

根据临床研究和上市后使用的安全性经验，结合对现有累积疗效和安全性数据的分析，在硫酸氢司美替尼已获批适应症中保持有利的获益-风险特征。药品上市后，各国家或地区药监部门5年内未发布安全性警告、黑框警告、撤市信息。

AE: 不良事件
TRAE: 治疗相关的不良事件



中国首个且唯一*获批治疗成人NF1-PN的靶向治疗药物，机制创新，临床获益明确

主要创新点

- 在欧盟、美国、日本、瑞士、澳大利亚等获得**孤儿药**资格认定²⁰⁻²⁴
- 通过选择性结合MEK1/2蛋白，靶向MAPK通路²⁵，提供药物**治疗NF1-PN的新思路**

应用创新

- 特殊人群可适用**：适用于**儿童**NF1-PN患者，对于轻、中、重度肾功能不全或终末期肾病患者**无需调整剂量**²⁶
- 贮存条件简单，**降低医院管理成本**
- 胶囊上带有规格字迹对于患者**用药简单，操作方便**，避免出现错服的风险

创新点带来的临床获益

- NF1领域首个#全球多中心3期随机、双盲、安慰剂对照试验（KOMET）¹⁴表明，中国亚组治疗16个周期后客观缓解率（ORR）高达**54.5%**（安慰剂对照组0%），疾病控制率高达**100%**，症状持续改善⁴

*数据截止到2026.5.29, <https://www.cde.org.cn/>;

#数据截止到2026.5.29, <https://clinicaltrials.gov/>



硫酸氢司美替尼胶囊填补目录空白，提高成人患者健康水平，助力回归社会与工作。

提升患者健康水平

- 全球三期研究中国亚组客观缓解率（ORR）高达54.5%，安慰剂组0%，疾病控制率高达100%，中位缩瘤28.1%；中国3年长期随访ORR达69%，患者疼痛干扰在整个治疗期间持续改善^{4, 15}。
- 硫酸氢司美替尼胶囊治疗成人NF1-PN，**填补临床空白，可有效降低患者疾病负担，并助力回归社会与工作。**

填补目录空白

- 硫酸氢司美替尼胶囊是**中国首个且唯一***获批治疗成人NF1-PN的靶向治疗药物，**填补临床空白。**
- 获国家卫健委《神经纤维瘤病诊疗指南（2025年版）》⁶、中华医学会《丛状神经纤维瘤的全病程管理专家共识（2025年版）》¹⁷**唯一推荐司美替尼靶向治疗NF1-PN。**

符合“保基本”原则

- 司美替尼为《第二批罕见病目录》相关病种的治疗药物，此次新增适应症目标人群约**3000人**，基金影响有限；
- 使用司美替尼可减轻患者痛疼，改善患者生命质量，帮助患者**回归正常生活**，恢复社会生产力，减轻患者及家庭负担；
- 儿童适应症于2023年获批并纳入目录，成人适应症纳入目录将满足成人的**用药基本需求**，且价格调整将同时直接降低现有儿童患者的治疗负担，**总体预算影响支出有限。**

便于临床管理

- 硫酸氢司美替尼胶囊成人适应症与已获批并纳入医保多年的儿童适应症除年龄限制外完全一致，说明书适应症范围明确，临床诊疗路径清晰，**无临床滥用风险**，医保经办不存在管理问题。



参考文献

1. Ejrskov C, et al. *Oncol Ther*. 2023 Mar;11(1) 97-110.
2. Masocco M, et al. *Orphanet J Rare Dis*. 2011 Mar 25;6:11.
3. Fisher MJ, et al. *Neuro Oncol*. 2022 Nov 2;24(11):1827-1844.
4. 上海整形科技周-神经纤维瘤病专病论坛大会报道, 2026.3.28
5. Wang W, et al. *Front Neurol*. 2021 Sep 8;12:704639.
6. 中华人民共和国国家卫生健康委员会. 2026; 40(1): 1-8
7. Wang ZC, et al. 2025 CTF Abstract book P268.
8. 蔻德罕见病中心。中国1型神经纤维瘤病患者诊疗状况及生命质量调研报告2025。
9. Evans DG, et al. *J Med Genet*. 2002;39:311-4.
10. Uusitalo E, et al. *J Clin Oncol*. 2016 Jun 10;34(17):1978-86.
11. Linguo Li. 2025 CTF abstract book P208.
12. Ly KI, et al. *Neurology*. 2023 Feb14;100(7):e661-e670.
13. Wanxian L, et al. *Front Public Health*. 2024; 12:1398803.
14. Chen AP, et al. *Lancet*. 2025 Jun 21;405(10496):2217-2230.
15. Liu J, et al. 2025 CTF Abstract P187.
16. Kim H, et al. *Neuro Oncol*. 2024 Dec 5; 26(12):2352-2363.
17. 中华医学会整形外科分会神经纤维瘤病学组. 2025; 105(5): 331-345.
18. 国家药品监督管理局药品审评中心。硫酸氢司美替尼胶囊 (JXHS2200053-54) 申请上市技术审评报告。2023年7月
19. Data on file.
20. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/koselugo#authorisation-details-section>(访问日期2026.5.29)
21. https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/applletter/2025/213756Orig1s006ltr.pdf(访问日期2026.5.29)
22. <https://www.pmda.go.jp/files/000279952.pdf>(访问日期2026.5.29)
23. <https://www.swissmedic.ch/swissmedic/en/home/about-us/publications/public-summary-swiss-par/public-...>(访问日期2026.5.29)
24. <https://www.tga.gov.au/resources/designations-determinations/notice-selumetinib-astrazeneca-pty-ltd>(访问日期2026.5.29)
25. Campagne O, et al. *Clin Pharmacokinet*. 2021; 60(3)1283-303.
26. 硫酸氢司美替尼胶囊说明书, 2026年3月25日修订。

