

编码：YPSN202600097

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： 硫酸氢司美替尼胶囊

企业名称： 阿斯利康（无锡）贸易有
限公司

申报信息

申报时间	2026-06-08 14:06:21	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）	硫酸氢司美替尼胶囊	商品名	科赛优
药品类别	西药		
① 药品注册分类	化学药品5.1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	化合物专利（硫酸氢盐）	核心专利权期限届满日1	2026-12
核心专利类型2	药物组合物专利	核心专利权期限届满日2	2029-03
核心专利类型3	用于制备苯并咪唑化合物的方法专利	核心专利权期限届满日3	2026-06
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	按C17H15BrClFN4O3计（1）10 mg（2）25mg（主规格）。		
上市许可持有人（授权企业）	ASTRAZENECA UK LIMITED		
说明书全部适应症/功能主治	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。		
现行医保目录的医保支付范围	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。		
说明书用法用量	本品应在具有诊断和治疗I型神经纤维瘤病（NF1）相关肿瘤经验的医生指导下使用。一、给药方法 口服。本品可空腹服用或与食物同服（见【临床药理】）。用水送服整粒胶囊。不得咀嚼、溶解或打开胶囊，这可能会影响药物释放和吸收。无法或不愿意整粒吞服胶囊的患者不得服用本品。应在开始治疗前评估患者吞咽胶囊的能力（见【注意事项】）。二、用量 本品按体表面积（BSA）给药，单次推荐剂量为25mg/m ² ，每日口服两次（约每12小时1次）。根据成人和儿童患者体表面积对给药剂量进行个体化计算（mg/m ² ），并四舍五入至最接近的5mg或10mg剂量（单次最高剂量为50mg）。可合并使用不同规格的本品胶囊以达到所需剂量（表1）。表1 推荐剂量（根据体表面积）体表面积（BSA）a：0.55-0.69m ² ；推荐剂量：早上20mg，晚上10mg；体表面积（BSA）a：0.70-0.89m ² ；推荐剂量：20mg，每日两次；体表面积（BSA）a：0.90-1.09m ² ；推荐剂量：25mg，每日两次；体表面积（BSA）a：1.10-1.29m ² ；推荐剂量：30mg，每日两次；体表面积（BSA）a：1.30-1.49m ² ；推荐剂量：35mg，每日两次；体表面积（BSA）a：1.50-1.69m ² ；推荐剂量：40mg，每日两次；体表面积（BSA）a：1.70-1.89m ² ；推荐剂量：45mg，每日两次；体表面积（BSA）a：≥1.90m ² ；推荐剂量：50mg，每日两次；a BSA小于0.55m ² 的推荐剂量尚未确定。只要观察到临床获益便可持续使用本品治疗，直至丛状神经纤维瘤（PN）进展或出现不可耐受的毒性。三、药物漏服 如漏服一次给药，只有距下一次给药时间大于6小时的情况下才可补服。四、呕吐 如在给药后发生呕吐，则不再额外补服。患者应按计划接受下一次给药。五、剂量调整 考虑个体安全性和耐受性，可能需要暂停、减量或永久停用本品（见【注意事项】和【不良反应】）。推荐的减量方案见表2，每日剂量可能会按不同规格分为两次用药或每日一次用药。两次减量后，		

如果患者仍无法耐受本品，则永久停药。

所治疗疾病基本情况

临床主要治疗科室为神经外科。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1/3000；20%-50%成人患者合并丛状神经纤维瘤(PN)；约55%出现疼痛、毁容、神经功能障碍等症状；约20%因瘤体位置复杂或体积较大而无法手术。NF1患者恶化风险高达13%，较健康人群预期寿命减少20年，终生癌症风险约普通人2倍。成人PN患者疾病进展迅速，相关症状严重影响生活质量，既往无有效药物治疗，生命质量受损更严重，面临沉重就业问题和家庭负担。

中国大陆首次上市时间

2023-04

现行有效药品注册证书的到期时间

2028-04-27

同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况

中国同疾病治疗领域药品有芦沃美替尼，仅获批用于儿童NF1-PN患者。硫酸氢司美替尼胶囊为中国首个且唯一获批用于治疗伴有症状、无法手术的成人NF1-PN，填补临床治疗空白：NF1领域首个且唯一全球多中心3期随机、双盲、安慰剂对照试验(KOMET)表明，司美替尼治疗成人NF1-PN疗效显著，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%，最大缩瘤58.1%；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。司美替尼获国家卫生健康委《神经纤维瘤病诊疗指南(2025年版)》、中华医学会整形外科学分会及罕见病联盟《丛状神经纤维瘤的全病程管理专家共识(2025年版)》唯一推荐。NF1患者使用司美替尼能改善生命质量，减少住院、门诊/急诊相关医疗资源利用，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；司美替尼胶囊NF1-PN儿童适应症于2023年获批并纳入国家基本医保目录，预计NF1-PN成人适应症纳入医保后的价格调整将同时直接降低现有儿童患者的治疗负担，总体基金支出影响有限。

企业承诺书

↓ 下载文件

1企业承诺书阿斯利康医药青岛.pdf

药品适应症或功能主治修改前法定说明书

↓ 下载文件

2药品修改前法定说明书20250301.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

3药品修改后法定说明书20260325.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

4硫酸氢司美替尼药品注册证书.pdf

申报药品摘要幻灯片(含经济性信息)

↓ 下载文件

硫酸氢司美替尼胶囊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

硫酸氢司美替尼胶囊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

本品适用于伴有症状、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。

是，已获得注册批件

2026-03-25

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，如说明书中严格限定了治疗周期，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） [!]	用法用量	费用类型	金额（元） [!]	疗程/周期 [!]
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：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的靶向药物，填补临床空白。注册研究为安慰剂对照。药物获批前，无有效药物治疗手段。因此，从各维度评估均无合适的参照药品。

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
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于伴有症状、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。
对主要临床结局指标改善情况	KOMET研究：NF1领域首个且唯一国际多中心、前瞻、随机双盲、安慰剂对照研究，全球共入组145例，中国亚组入组24例，随访时间16个周期：中国亚组客观缓解率（ORR）高达54.5%（安慰剂0%），中位缩瘤28.1%，最大缩瘤58.1%，疾病控制率高达100%
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 1硫酸氢司美替尼3期研究中国亚组数据.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于伴有症状、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。
对主要临床结局指标改善情况	共纳入16例中国成人PN患者：1. 中国患者中位随访40个周期（3年）长期随访ORR高达69%；2. 患者报告结局数据显示PR患者疼痛干扰在整个治疗期间持续改善
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（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，	↓ 下载文件 2硫酸氢司美替尼中国1期数据.pdf

以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于伴有症状、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。
对主要临床结局指标改善情况	共纳入20例按照BSA方式给药的成人PN患者：1. 中位随访26个周期PR率80%，疾病控制率100%，平均缩瘤39%；2. 神经认知功能及生活质量改善、疼痛减轻
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 3硫酸氢司美替尼韩国2期数据.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	2025版中华人民共和国国家卫生健康委员会《神经纤维瘤病诊疗指南》指出有症状、无法手术完全切除的PN患者，也可用MEK抑制剂司美替尼靶向治疗，这是美国FDA批准用于临床PN的唯一治疗药物。
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于伴有症状、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。
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件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 1国家卫健委神经纤维瘤病诊疗指南2025.pdf



临床指南/诊疗规范推荐情况2	2025版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》，推荐司美替尼治疗年龄超过18岁，且伴有相关症状的NF1-PN患者。
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于伴有症状、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。
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件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 2中华医学会丛状神经纤维瘤的全病程管理专家共识2025.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。
---------------------------------	---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

四、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	全球三期KOMET研究显示，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。【不良反应】已在III期KOMET研究的137例伴有无法手术PN的NF1成人患者中评价了司美替尼单药治疗在成人患者中的安全性。在NF1-PN成人患者中，最常见的任何级别不良反应（发生率≥20%）为痤疮样皮疹、血肌酸磷酸激酶升高、腹泻、非痤疮样皮疹和呕吐。【禁忌】对本品活性成分或任何辅料。重度肝功能不全患者禁用。【注意事项】中国说明书中已列出以下注意事项为了用药和毒性管理（包括暂停用药、剂量减少或永久停药）：左心室射血分数（LVEF）降低、眼毒性、肝功能异常、皮肤及皮下组织疾病、维生素E水平升高和出血风险、呛噎风险、有生育能力的女性。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	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。司美替尼安全性良好，中国儿童患者真实世界研究表明，以1/2级不良事件（AE）为主，无导致患者停药的治疗相关AE发生。
相关报导文献	↓ 下载文件 硫酸氢司美替尼安全性信息.pdf

五、创新性信息

创新程度	在欧盟、美国、日本、瑞士、澳大利亚等获得孤儿药资格认定；通过选择性结合MEK1/2蛋白，靶向MAPK通路，提供药物治疗NF1-PN的新思路；NF1领域首个且唯一全球多中心3期随机、双盲、安慰剂对照试验（KOMET）表明，中国亚组客观缓解率（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。
创新性证明文件	↓ 下载文件 1硫酸氢司美替尼创新性证明文件.pdf
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；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。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 2硫酸氢司美替尼应用创新证明文件.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	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%，最大缩瘤58.1%；中国3年长期随访ORR达69%，患者报告结局数据显示PR患者疼痛干扰在整个治疗期间持续改善。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，并回归社会与工作。
符合“保基本”原则（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）	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仅3000余人，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。
弥补目录短板	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）》、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）》唯一推荐。
临床管理难度	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。