

请注意！本次申请新增的适应症截至目前尚未获得批准上市，本资料中的相关产品信息还存在变化的可能。应以最终获批的信息为准。

甲磺酸达拉非尼胶囊 + 曲美替尼片

协议到期申请新增：BRAF V600E突变阳性、放射性碘难治或不适用、且血管内皮生长因子受体酪氨酸激酶抑制剂（VEGFR-TKI）治疗失败的局部晚期或转移性分化型甲状腺癌成人患者*

* 适应症描述参考最终获批的药品说明书

北京诺华制药有限公司
2026年6月

目录

1

基本信息

VEGFR-TKI 治疗失败的碘难治性分化型甲状腺癌诊疗现状

2

有效性

达拉非尼+曲美替尼临床疗效和指南推荐概述

3

安全性

临床研究及真实世界安全性特征总结

4

创新性

作用机制和创新特点

5

经济性

本版本不含经济性内容

6

公平性

临床实践与医保管理

达拉非尼联合曲美替尼新增：

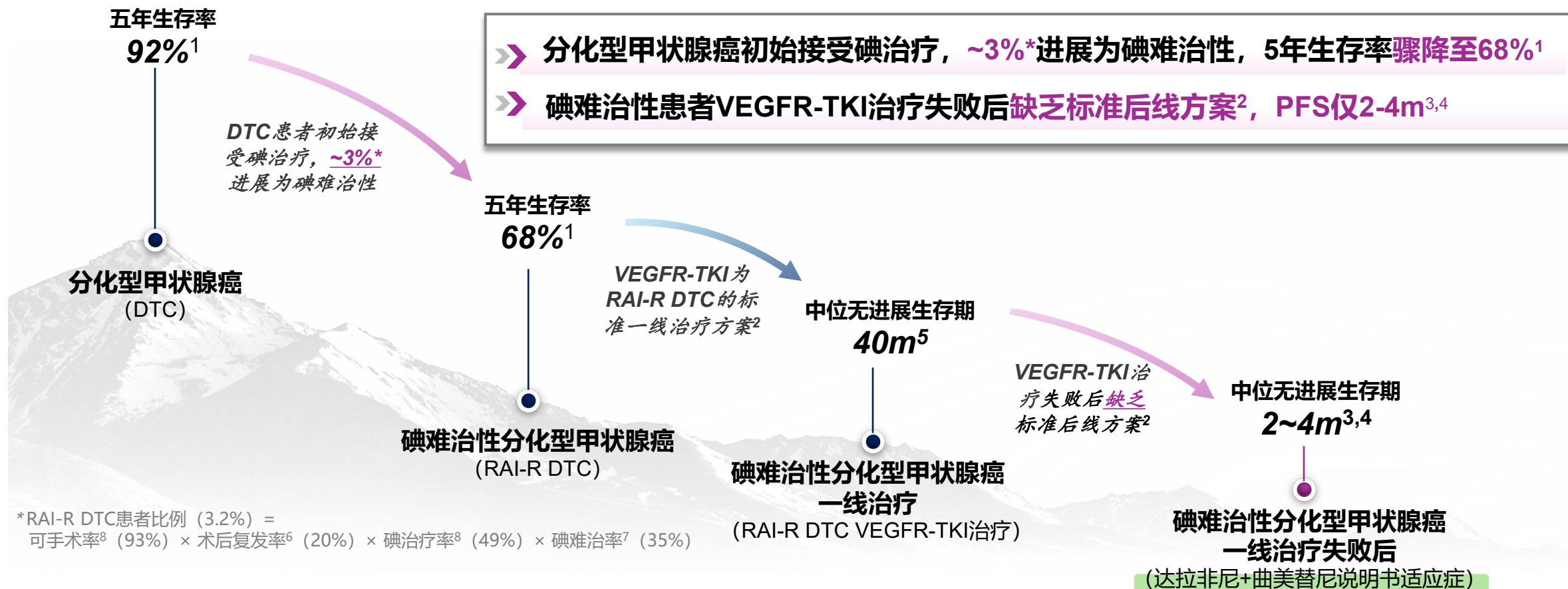
BRAF V600E突变阳性放射性碘难治或不适用，且VEGFR-TKI治疗失败的局部晚期或转移性分化型甲状腺癌¹

通用名称	甲磺酸达拉非尼胶囊	曲美替尼片
注册规格	75mg/片（主规格），50mg/片	2mg/片（主规格），0.5mg/片
用法用量	全适应症一致，150mg/次，每日两次	全适应症一致，2mg/次，每日一次
同通用名药品上市情况	独家药品，化合物专利保护至2029年5月	独家药品，制剂专利保护至2031年12月
现行医保支付范围	<ol style="list-style-type: none"> 1. BRAF V600 不可切除或转移性黑色素瘤【目录内同适应症产品为维莫非尼】 2. BRAF V600 黑色素瘤术后辅助治疗【目录内无同适应症产品】 3. BRAF V600 转移性非小细胞肺癌【目录内无同适应症产品】 	
新增适应症信息	4. BRAF V600E突变阳性、放射性碘难治或不适用、且血管内皮生长因子受体酪氨酸激酶抑制剂（VEGFR-TKI）治疗失败的局部晚期或转移性分化型甲状腺癌成人患者 ¹ 【目录内无同适应症产品】	
参照药品	空白	
参照药品选择理由	<ul style="list-style-type: none"> • 拟新增适应症填补VEGFR-TKI治疗失败后的碘难治性分化型甲状腺癌临床空白 • 既往准入时医保部门确定的参照药品为空白 • 核心三期临床研究以安慰剂为对照 	

备注：1. 适应症描述参考最终获批的药品说明书

BRAF V600E突变，VEGFR-TKI治疗失败的碘难治性分化型甲状腺癌疾病负担和未满足需求

DTC: 分化型甲状腺癌; RAI-R DTC: 碘难治性分化型甲状腺癌; VEGFR-TKI: 血管内皮生长因子受体酪氨酸激酶抑制剂



1. Evaluating the Prognostic Factors Associated with Cancer-specific Survival of Differentiated Thyroid Carcinoma Presenting with Distant Metastasis; 2. 放射性碘难治性分化型甲状腺癌诊治管理指南(2024); 3. Efficacy and Safety of Dabrafenib Plus Trametinib in Patients With Radioactive Iodine-Refractory BRAFV600-Mutant Differentiated Thyroid Cancer; 4. BroseMS, et al. Cancer. 2022;128(24):4203-4212; 5. Anlotinib in Locally Advanced or Metastatic Radioiodine-Refractory Differentiated Thyroid Carcinoma: A Randomized, Double-Blind, Multicenter Phase II Trial; 6. 2025 CSCO 滤泡上皮来源甲状腺癌诊疗指南; 7. 碘治疗分化型甲状腺癌指南 (2021版). 中华核医学与分子影像杂志; 8. A multicenter, prospective study to observe the initial management of patients with differentiated thyroid cancer in China (DTCC study)

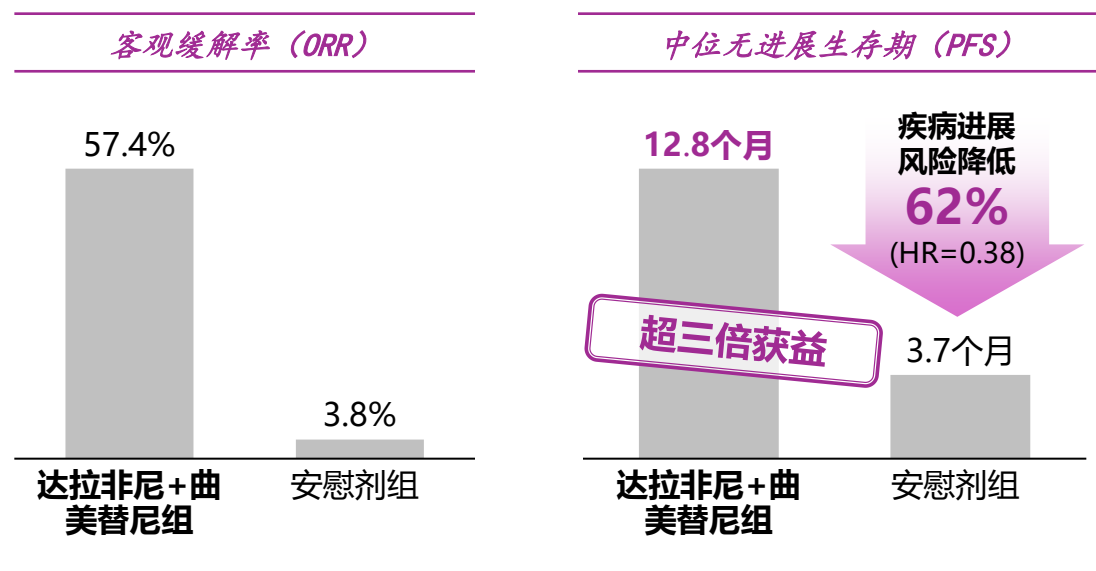
达拉非尼联合曲美替尼RCT和RWE研究结果：

RCT：取得超3倍PFS获益（12.8m vs. 3.7m）；**RWE**：进一步延长PFS至17~19m

核心三期RCT (vs. 安慰剂) 研究结果

达拉非尼+曲美替尼治疗BRAF V600E突变VEGFR-TKI治疗失败的碘难治性分化型甲状腺癌核心三期研究¹：

- 本研究中国人群占比超50%
- 由于缺少标准治疗方案，研究对照组为安慰剂



亚洲人群RWE研究结果

- **【中国台湾真实世界研究²】** 分析中纳入了21例局部晚期或转移性BRAF V600E突变DTC患者，研究评估接受达拉非尼+曲美替尼二线治疗后患者无进展生存期和总生存期数据
- **【韩国真实世界研究³】** 分析中纳入27例BRAF V600E突变DTC患者，研究评估接受达拉非尼+曲美替尼二线治疗后患者的无进展生存期和总生存期数据

	中位随访时间	无进展生存期 (PFS)	总生存期 (OS)
中国台湾真实世界研究	-	18.9m	39.4m
韩国真实世界研究	19.8m	16.9m	19.3m

缩写：ORR=客观缓解率；PFS=无进展生存期；HR=风险比；RCT=随机对照研究；RWE=真实世界研究；DTC=分化型甲状腺癌

1. Efficacy and Safety of Dabrafenib Plus Trametinib in Patients With Radioactive Iodine-Refractory BRAFV600-Mutant Differentiated Thyroid Cancer; 2. Clinical outcomes of dabrafenib plus trametinib in locally advanced or metastatic BRAF V600E-mutant papillary thyroid cancer. 3. Combination of Dabrafenib and Trametinib in Patients with Metastatic BRAFV600E-Mutated Thyroid Cancer

达拉非尼联合曲美替尼指南推荐情况：

在所有获批RAI-R DTC药物中，针对BRAF精准靶向治疗方案的**唯一推荐***，**高等级证据**

中国CSCO 滤泡上皮来源甲状腺癌诊疗指南¹

美国国立综合癌症网络-甲状腺癌诊疗指南²

美国甲状腺结节与分化型甲状腺癌诊治指南³

ASCO甲状腺癌系统治疗指南⁴

推荐意见*



唯一推荐



唯一推荐



唯一且强推荐



唯一且强推荐

* 在所有获批碘难治甲状腺癌适应症的药物中，针对BRAF 精准靶向二线治疗的推荐意见

推荐等级

II级、2A类证据
(由于尚未获得医保报销)

2A类证据

中等程度证据

中等程度证据

缩写：RAI-R DTC=碘难治性分化型甲状腺癌

1. 2025 CSCO 滤泡上皮来源甲状腺癌诊疗指南； 2. 美国NCCN指南； 3. 美国ATA指南； 4. Systemic Treatment of Thyroid Cancer: ASCO Guideline

达拉非尼联合曲美替尼安全性特征总结： 因AE导致停药率为2%；国际已上市使用超12年



新适应症说明书 安全性特征总结¹

- 常见不良反应可通过剂量调整和症状处理进行有效控制
- **三级以上不良事件发生率低**：最高的为脂肪酶升高，发生率为6.9%
- **因三级以上AE导致停药发生率为2%，与安慰剂组相当**



上市后安全性监测 信息总结

- 中国**
- 上市至今使用超过7年，未发布安全性警告等信息
 - 根据最新药品定期安全性更新报告和不良反应监测报告显示²，达拉非尼联合曲美替尼的**总体获益-风险比仍然有利，与说明书中描述的安全性信息一致**

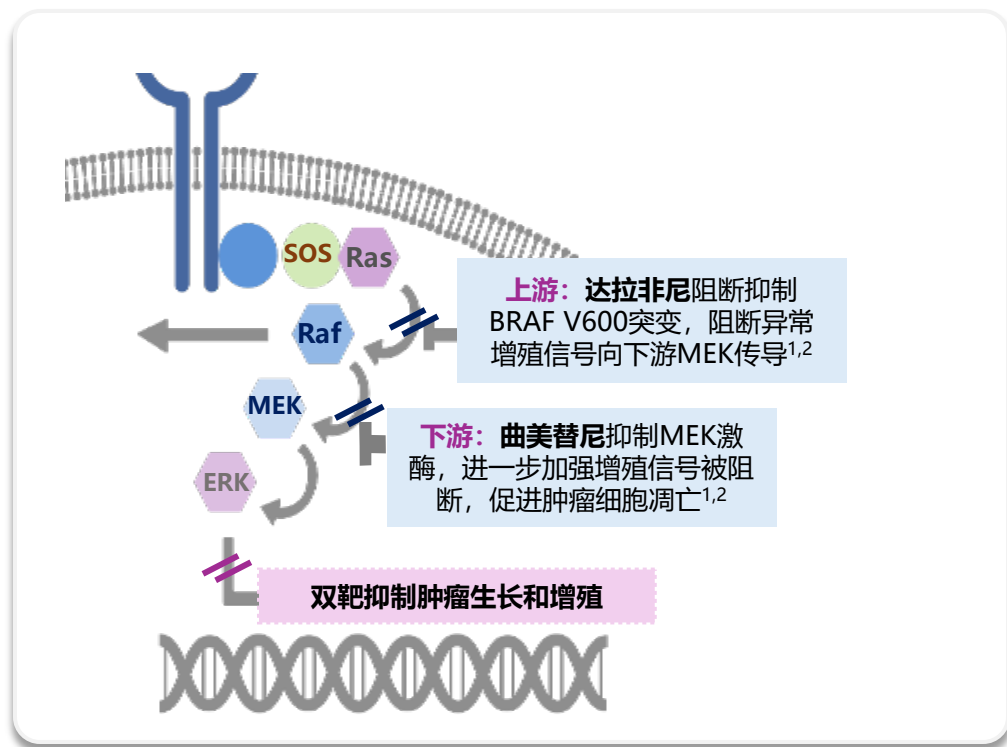
- 国际**
- 国际上市使用超过12年，各国家或地区药监部门**未发布安全性警告、黑框警告、撤市信息**
 - 已在**国际获批用于儿童脑胶质瘤适应症**，安全性得到进一步验证

1. Efficacy and Safety of Dabrafenib Plus Trametinib in Patients With Radioactive Iodine-Refractory BRAFV600-Mutant Differentiated Thyroid Cancer; 2. 诺华中国上市后不良反应监测报告

达拉非尼联合曲美替尼作用机制和创新特点：

多项适应症首个且目前*唯一上市，国内三期研究管线无同适应症在研药品

创新机制：上下游双重抑制



多项适应症首个且目前*唯一上市，多项创新性认定



1. Sanchez-Torres, et al. Transl Lung Cancer Res. 2013;2:244-25.; 2. Beeram M, et al. J Clin Oncol. 2005;23:6771-6790.

* 截至该材料递交时

达拉非尼联合曲美替尼纳入医保近6年，丰富管理经验

弥补目录短板

- 达拉非尼+曲美替尼**填补**BRAF V600E突变VEGFR-TKI治疗失败的碘难治性分化型甲状腺癌**临床空白**，提高整体健康水平
- BRAF V600E甲状腺癌目前**国内三期研究管线无同适应症在研产品**，为该适应症的先行者

公共健康影响

- 甲状腺癌患者大多手术可切，患者预后良好。患者初始接受碘治疗，一旦疾病进展为碘抵抗/碘难治性，**生存期仅3-5年**；晚期一线治疗以VEGFR-TKI为主，**进展后缺乏标准治疗方案，患者PFS仅2-4m¹⁻²，疾病负担严重**

符合“保基本”原则

- 分化型甲状腺癌中**~3%***进展为碘难治性，进一步考虑BRAF V600E突变率³（60%）、基因检测率和治疗率等，预估**目标患者不足6千人**
- 达拉非尼联合曲美替尼已**经历三轮医保降价**，年治疗费用已经被充分评估

临床管理难度低

- 达拉非尼联合曲美替尼为口服治疗方案，**已纳入医保目录多年**，临床医生和医保部门有丰富管理经验
- **新增的甲状腺癌适应症说明书适应症描述清晰**、临床诊断标准和指南推荐意见明确，不易发生滥用

1. Efficacy and Safety of Dabrafenib Plus Trametinib in Patients With Radioactive Iodine-Refractory BRAFV600-Mutant Differentiated Thyroid Cancer; 2. BroseMS, et al. Cancer. 2022;128(24):4203-4212; 3. 2025 CSCO 滤泡上皮来源甲状腺癌诊疗指南; * RAI-R DTC患者比例 (3.2%) =可手术率 (93%) × 术后复发率 (20%) × 碘治疗率 (49%) × 碘难治率 (35%)

总结：简易新增BRAF V600E突变VEGFR-TKI治疗失败后RAI-R DTC

DTC: 分化型甲状腺癌; RAI-R DTC: 碘难治性分化型甲状腺癌; VEGFR-TKI: 血管内皮生长因子受体酪氨酸激酶抑制剂



填补空白

- 分化型甲状腺癌初始接受碘治疗，但仍有患者进展为碘难治性，5年生存率从92%骤降至68%¹
- 碘难治性DTC患者经VEGFR-TKI治疗失败后缺乏标准后线方案⁵，PFS仅2-4m²⁻³
- 达拉曲美填补上述治疗失败后临床空白，指南唯一推荐⁴，取得PFS超3倍获益² (12.8m vs 3.7m)

1. Evaluating the Prognostic Factors Associated with Cancer-specific Survival of Differentiated Thyroid Carcinoma Presenting with Distant Metastasis; 2. Efficacy and Safety of Dabrafenib Plus Trametinib in Patients With Radioactive Iodine-Refractory BRAFV600-Mutant Differentiated Thyroid Cancer; 3. BroseMS, et al. Cancer. 2022;128(24):4203-4212; 4. 2025 CSCO 滤泡上皮来源甲状腺癌诊疗指南; 5. 放射性碘难治性分化型甲状腺癌诊治管理指南 (2024);