

编码：YPSW202600078

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： 注射用索特西普

企业名称： 默沙东（中国）投资有限公司

## 申报信息

申报时间	2026-06-06 00:48:34	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

### 一、基本信息

#### 药品申报条件：

- 1.2021年1月1日（含，下同）至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准上市或已完成技术审评的新通用名药品，仅因转产、再注册等单纯更改通用名的药品除外。
- 2.2021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，且针对此次变更获得药品批准证明文件的药品。
- 3.2020年1月1日后国家药监部门附条件批准上市且于2023年1月1日至2026年5月31日期间转为常规批准的新通用名药品（不含新适应症或功能主治）。
- 4.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，纳入现行版《国家基本药物目录》的药品。
- 5.纳入《商业健康保险创新药品目录》（2025年）的药品。
- 6.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，纳入国家卫生健康委等部门《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》《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》《第五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》《第三批鼓励仿制药品目录》《第四批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 7.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，说明书适应症或功能主治中包含有国家卫生健康委《第一批罕见病目录》《第二批罕见病目录》所收录罕见病的药品。
- 8.2020年1月1日以后谈判准入的品种，因未能成功续约而被调出目录的，首个同通用名药品于2021年1月1日至2026年5月31日期间获批上市的，但原谈判企业品种不能申报。

药品通用名称（中文、含剂型）	注射用索特西普	商品名	欣瑞来
医保药品分类与代码	XC02KXS318B001010184833（45mg/瓶）/XC02KXS318B001020184833（60mg/瓶）	是否为独家	是
申报目录类别	基本医保目录		
药品类别	西药		
① 药品注册分类	治疗用生物制品3.1类		
核心专利类型1	生物制品活性成分的序列结构专利 ZL200680051538.9	核心专利权期限届满日1	2026-11
核心专利类型2	生物制品活性成分的序列结构专利 ZL201510282517.9	核心专利权期限届满日2	2026-11
核心专利类型3	组合物专利 ZL200880011454.1	核心专利权期限届满日3	2028-02
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	45mg/瓶，60mg/瓶		
上市许可持有人（授权企业）	Merck Sharp & Dohme LLC		
说明书全部适应症/功能主治	注射用索特西普适用于治疗WHO功能分级（FC）II-III级的肺动脉高压（PAH，WHO第1组）成年患者，以改善患者的运动能力和WHO功能分级		
说明书用法用量	根据患者体重，注射用索特西普每3周一次通过皮下注射给药。1.成人推荐起始剂量：注射用索特西普的起始剂量为0.3mg/kg（见表1，其中：患者体重范围（kg）为30.0-40.8、40.9-57.4、57.5-74.1、74.2-90.8、90.9-107.4、107.5-124.1、124.2-140.8、140.9-157.4时，注射量（mL）分别为0.2、0.3、0.4、0.5、0.6、0.7、0.8、0.9，装量规格均为45mg、1瓶；患者体重范围（kg）为157.5-174.1、174.2-180.0，注射量（mL）分别为1.0、1.1，装量规格均为60mg、1瓶）。在注射用索特西普首次给药前，检测血红蛋白（Hgb）和血小板计数。曾观察到开始治疗后Hgb快速升高幅度超过2g/dL的情况。如果血小板计数<50.0×10 <sup>9</sup> /L（<50,000/mm <sup>3</sup> ），请勿开始治疗（见【用法用量】项下“成人因血红蛋白升高或血小板计数降低而调整剂量”）。2.成人推荐目标剂量。以起始剂量0.3mg/kg单次给药后3周，在确认Hgb和血小板计数在可接受范围内		

后,将剂量上调至推荐目标剂量0.7mg/kg(见表2,其中:患者体重范围(kg)为30.0-31.7、31.8-38.9、39.0-46.0、46.1-53.2、53.3-60.3、60.4-67.4,注射量(mL)分别为0.4、0.5、0.6、0.7、0.8、0.9,装量规格均为45mg、1瓶;患者体重范围(kg)为67.5-74.6、74.7-81.7、81.80-88.9,注射量(mL)分别为1.0、1.1、1.2,装量规格均为60mg、1瓶;患者体重范围(kg)为89.0-96.0、96.1-103.2、103.3-110.3、110.4-117.4、117.5-124.6、124.7-131.7,注射量(mL)分别为1.3、1.4、1.5、1.6、1.7、1.8,装量规格均为45mg、2瓶;患者体重范围(kg)为131.8-138.9、139.0-146.0、146.1-153.2、153.3-160.3、160.4-167.4、167.5及以上,注射量(mL)分别为1.9、2.0、2.1、2.2、2.3、2.4,装量规格均为60mg、2瓶)。以0.7mg/kg的剂量继续治疗,每3周给药一次,除非需要调整剂量(见【用法用量】项下“成人因血红蛋白升高或血小板计数降低而调整剂量”)。漏用药物或药物过量:如果漏用一次注射用索特西普,应尽快用药。如果超过预定日期3天仍未用药,则调整时间表以维持3周的给药间隔。如果发生药物过量,应监测是否有红细胞增多症(见【药物过量】)。3.成人因血红蛋白升高或血小板计数降低而调整剂量。在临床研究中曾观察到Hgb升高超过正常值上限(ULN)2g/dL以上,以及血小板计数降低至 $<50.0 \times 10^9/L$ ( $<50,000/mm^3$ )的情况。前5次给药时,每次给药前,检测Hgb和血小板计数,如果数值不稳定,可监测更长时间。此后,定期监测Hgb和血小板计数,必要时调整剂量。(详见说明书)4.特殊人群:儿童患者-尚未确定注射用索特西普在18岁以下患者中的安全性和有效性。老年患者-无需根据年龄调整注射用索特西普剂量(见【老年用药】和【临床药理】)。肾功能损害:对于肾功能损害患者,无需调整注射用索特西普剂量。在伴有重度肾功能损害(估算的肾小球滤过率(eGFR) $<30mL/min/1.73m^2$ )的PAH患者中使用索特西普的数据有限(见【临床药理】)。肝功能损害:尚未在伴有肝功能损害(Child-Pugh分级A至C级)的患者中研究过注射用索特西普。由于索特西普通过细胞分解进行代谢,因此预计肝功能损害不会影响索特西普代谢(见【临床药理】)。5.制备和给药:注射用索特西普应由医疗保健专业人员制备和给药。下面提供了分步制备和给药说明。复溶说明:从冰箱中取出西林瓶,等待15分钟,让药品达到室温后再制备;检查西林瓶以确保产品未过期,粉末应为白色至类白色,可能看起来像完整或碎裂的冻干块;取下装有注射用索特西普的西林瓶的盖子,用酒精棉片擦拭橡胶塞;用灭菌注射用水复溶西林瓶内容物:对于注射用索特西普45mg/瓶,注入1.0mL灭菌注射用水;对于注射用索特西普60mg/瓶,注入1.3mL灭菌注射用水,最终浓度为50mg/mL。(详见说明书)

所治疗疾病基本情况

肺动脉高压(PAH)是一种以肺小动脉的增殖性重构和进行性管腔狭窄为特征的疾病。由此导致的肺动脉压力升高使心脏负荷增加,患者身体活动受限,病情进展迅速,最终引起右心室衰竭和死亡。中国成人PAH人群发病率约5/百万人年,患病率约22.4/百万。中国PAH患者中超20%生存期不足5年,特发性PAH高危患者5年生存率仅为33%,如不进行针对性治疗,中位生存期仅为2.8年。目前WHO功能分级II~III级的PAH患者人群约25000人,预计纳入目录后接受索特西普治疗的人数平均每年 $<2000$ 人。

是否已获批上市

是,已获得注册批件

中国大陆首次上市时间

2025-12

注册证号/批准文号

国药准字SJ20250032 / 国药准字SJ20250033

该通用名全球首个上市国家/地区

美国

该通用名全球首次上市时间

2024-03

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

1.目前用于治疗肺动脉高压药品中无同药理机制的药物。当前针对PAH的靶向药物机制均为扩张肺血管,不干预肺血管重构这一核心病理机制,70%以上患者无法达到并维持在低危状态,临床存在巨大未满足需求。2.索特西普作为唯一针对PAH核心病理生理机制的全人源生物制剂,有望逆转肺动脉重构,实现治疗范式的跃迁。3.已上市目录内的肺动脉高压的靶向药物分3类,分别作用于内皮素受体通路、一氧化氮通路、前列腺素通路,均为扩张肺血管药物且均已纳入医保常规目录。其中:①内皮素受体通路:波生坦片2006年03月获批,2019年进入国家医保目录;波生坦分散片2019年9月获批,2019年进入国家医保目录;马昔腾坦片2017年9月获批,2019年进入国家医保目录;安立生坦片2010年10月获批,2020年进入国家医保目录;②一氧化氮通路:利奥西呱片2017年9月获批,2019年进入国家医保目录;③前列腺素通路药物:司来帕格片2018年12月获批,2019年进入国家医保目录;曲前列尼尔注射液2013年3月获批,2022年进入国家医保目录。

企业承诺书

↓ 下载文件

企业承诺书.pdf

药品最新版法定说明书(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

注射用索特西普-最新版说明书.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《药品补充申请批准通知书》《药品再注册批准通知书》,请扫描成一个文

↓ 下载文件

注射用索特西普-注册批件.pdf

件后上传	
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 注射用索特西普-PPT1.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示	<a href="#">↓ 下载文件</a> 注射用索特西普-PPT2.pdf

## 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0.8m<sup>2</sup>。  
② 成人：18周岁及以上，体重65公斤，体表面积1.68m<sup>2</sup>。

参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价（元） <sup>!</sup>	用法用量	费用类型	金额（元） <sup>!</sup>	疗程/周期 <sup>!</sup>
司来帕格片	是	0.2mg	46.91	1.6mg，每日两次	年度费用	273,954.40	司来帕格片的年治疗费用计算方法请详见“其他情况说明”

参照药品选择理由：①适应症一致：均用于WHO功能II-III级的PAH（WHO第1组）患者，且已纳入医保；②临床使用场景类似：指南推荐且临床应用最广泛的用于中低风险患者的添加治疗。

其他情况请说明：司来帕格片年度费用以最小规格0.2mg计算，按照说明书目标个体化维持剂量1.6mg每日两次。全年用药365天。其中原研药和仿制药单价（市场份额）分别为原研药47.03元/片（99.16%），仿制药一为32.86元/片（0.69%），仿制药二为32.83元/片（0.14%），以此计算加权平均。

## 二、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	充分背景治疗（三联63%，双联35%）+安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	STELLAR研究在323例平均诊断8.8年的WHO-FC II-III级成人PAH患者中评价了索特西普的有效性和安全性。在充分背景药物治疗基础上，主要终点24周时六分钟步行距离（6MWD）索特西普组较安慰剂组改善40.8米（ $p < 0.001$ ）。索特西普治疗显著降低死亡或临床恶化事件风险达84%（HR 0.16, $p < 0.001$ ），9个预设次要终点中的8个达到统计学显著差异。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 1-Stellar研究.pdf
试验类型2	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析

试验对照药品	充分背景治疗（三联64%，双联34%）+安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	汇总的 PULSAR/STELLAR/ZENITH 总生存分析纳入323例索特西普和278例安慰剂治疗，结果显示索特西普治疗显著降低PAH患者重大疾病-死亡复合事件风险达75%，降低总生存期全因死亡风险达51%，降低肺移植或全因死亡风险56%。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-PULSAR和STELLAR和ZENITH总生存分析.pdf
试验类型3	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	充分背景治疗（三联61%，双联36%）+安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	PULSAR和STELLAR研究的汇总分析显示索特西普治疗显著降低死亡或临床恶化风险达84%（HR 0.16, p<0.001）。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 3-STELLAR和PULASR汇总分析.pdf
试验类型4	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	充分背景治疗（三联64%，双联34%）+安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	一项荟萃分析纳入3个研究（STELLAR、PULSAR和ZENITH研究）共601例PAH患者，显示索特西普显著降低全因死亡风险达54%（RR=0.46；95% CI, 0.22-0.98）。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 4-荟萃分析.pdf
试验类型5	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	标准背景治疗（三联28%，双联72%）+安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	HYPERION研究在320例诊断一年内、已接受双联或三联背景治疗的中危或高危（WHO-FC II或III） PAH患者中评价了索特西普的疗效和安全性。主要终点为至首次临床恶化事件的时间（TTCW）。ZENITH研究公布阳性结果后，HYPERION研究因缺乏临床均势研究提前终止。与安慰剂组相比，索特西普组TTCW的风险显著降低76%（HR=0.24, p<0.001）。
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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 5-HYPERION研究.pdf

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)	
试验类型6	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	充分背景治疗（三联69%，双联31%）+安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	ZENITH研究在172例高死亡风险且接受最大耐受背景PAH治疗的WHO-FC III或IV级的成人PAH患者中评价了索特西普的疗效和安全性。主要终点为至首次发生全因死亡、肺移植或因PAH恶化住院（≥24小时）事件的时间。与安慰剂组比，索特西普组的主要终点风险显著降低76%（HR=0.24，p<0.001）。该研究因中期数据分析显示疗效显著而提前终止。
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)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 6-ZENITH研究.pdf
试验类型7	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	纳入426例PAH受试者的长期随访SOTERIA 研究中期分析显示，从基线观察到的6分钟步行距离（6MWD）、N末端前B型利钠肽（NT-proBNP）、WHO功能分级以及简化法国风险评分的改善在1年时总体上得以维持，包括在安慰剂交叉至索特西普治疗的受试者中结果也相同。SOTERIA研究支持在成人PAH患者中加用索特西普治疗具有有利的获益-风险。
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)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 7-SOTERIA研究.pdf
试验类型8	真实世界数据
试验对照药品	PAH标准治疗
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	一项回顾性研究用倾向评分方法在1378例特发性 PAH 患者中评估了标准治疗（SoC）联合索特西普与SoC（每组689例）的疗效。两组分别随访10.3和13.8个月，分析限定最长12个月。索特西普组全因死亡风险显著降低49%（HR=0.51，p=0.002）。索特西普组全因住院风险显著降低56%（HR=0.44；12个月发生率6.3% vs. 11.5%，p= 0.010）。
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)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 8-真实世界队列研究.pdf
试验类型9	单臂临床实验
试验对照药品	无

对主要临床结局指标改善情况

索特西普在日本开展的开放标签、多中心、III期、单臂临床研究入组46例WHO功能分级II-III级且接受稳定背景治疗的日本 PAH 成人受试者，索特西皮下注射每3周一次。24周时主要疗效终点PVR降低99.2达因·秒/厘米<sup>5</sup>，关键次要终点6MWD增加41.8米。发生6例(13%)严重不良事件(AE)，没有因AE而停药。安全性与索特西普已知的安全性特征一致，不良事件在临床上可管理。

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](#) 9-日本开放标签三期研究.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

2025《PAH所致右心衰竭诊治的中国专家共识》指出，对于PAH所致右心衰竭的患者，由于胃肠道淤血，口服吸收代谢效果差，推荐在制定靶向药物方案时应当包括静脉/皮下应用PPAs(前列环素通路激动剂)或皮下应用激活素信号抑制剂索特西普（其中索特西普可在随访时应用）。推荐高危或中高危PAH患者的治疗方案应包括静脉/皮下应用前列环素通路类药物或皮下应用激活素通路类药物（I类推荐，A级证据）。

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](#) 指南1-《动脉型肺动脉高压所致右心衰竭诊治的中国专家共识》.pdf



临床指南/诊疗规范推荐情况2

2026《成人先天性心脏病相关肺动脉高压诊断与治疗指南》推荐先心病相关PAH患者考虑内皮素受体拮抗剂、5型磷酸二酯酶抑制剂、利奥西呱、前列环素类似物和前列环素受体激动剂、索特西普等靶向药物治疗。推荐无心肺合并症的PAH合并小缺损或先心病术后PAH治疗3-6个月后仍中低危的患者考虑加PRA或索特西普，或PDE5i转换sGCS；高危患者考虑加包括静脉/皮下PCA或索特西普，并评估肺移植。

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](#) 指南2-《成人先天性心脏病相关肺动脉高压诊断与治疗指南》.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

2024《第七届世界肺动脉高压研讨会（WSPH）肺动脉高压治疗原则》推荐随访时中-低危PAH患者应考虑添加或转换治疗，包括添加索特西普或口服/吸入PPAs，或口服PDE5i转换sGCS；随访中-高危和高危患者应添加肠外PPAs（高危一线选择如无）或索特西普。持续中-高危或高危患者应进行最强的4种药物联合治疗，包括胃肠外PPAs、ERA、PDE-5i或sGCS，和索特西普，同时进行肺移植评估。

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](#) 指南3-《第七届世界肺动脉高压研讨会肺动脉高压治疗原则》.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

2024《现代PAH治疗美国专家观点》推荐随访中-低危PAH患者应考虑索特西普，或非胃肠外PPAs或前列环素通路激动

2021《国际心脏与肺移植学会（ISHLT）关于肺动脉高压（PAH）危险分层的共识声明》指出：即使达到低风险状态之后，PAH的进展性病程仍会导致其危险分层随时间推移回退到更高风险等级，从而需要调整治疗。索特西普激活信号传导抑制剂的研发与获批，有望改善PAH患者的临床病程和风险轨迹。

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](#) 指南4-《现代PAH治疗美国专家观点》.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

2025《国际心脏与肺移植学会（ISHLT）关于肺动脉高压（PAH）危险分层的共识声明》指出：即使达到低风险状态之后，PAH的进展性病程仍会导致其危险分层随时间推移回退到更高风险等级，从而需要调整治疗。索特西普激活信号传导抑制剂的研发与获批，有望改善PAH患者的临床病程和风险轨迹。

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](#) 指南5-《国际心脏与肺移植学会关于肺动脉高压危险分层的共识声明》.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

目前尚未收到CDE《技术审评报告》

《技术审评报告》原文（可节选）

中国医疗保障  
CHINA HEALTHCARE SECURITY

### 三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息

①【不良反应】头痛、鼻衄、毛细血管扩张症、腹泻、头晕、皮疹、血小板减少症、血红蛋白升高、血压升高、红斑、心包积液。②【药物相互作用】尚未对索特西普进行正式的药代动力学药物相互作用研究。③【禁忌】禁用于对本品中的活性物质或任何辅料存在超敏反应的患者。禁用于开始治疗前血小板计数持续 $<50.0 \times 109/L$  ( $<50,000/mm^3$ )的患者。④【注意事项】红细胞增多症以及血小板减少症：前5次给药时，每次给药前应监测Hgb和血小板计数，如果数值不稳定，应监测更长时间，此后应定期监测，以确定是否需要调整剂量；如果血小板计数 $<50.0 \times 109/L$  ( $<50,000/mm^3$ )，请勿开始治疗；严重出血：正在接受前列环素背景治疗和/或抗血栓药物，或者血小板计数较低的患者更有可能发生严重出血事件。医生应告知患者失血的症状和体征，并对出血进行相应的评估和治疗；如果患者正在发生严重出血事件，请勿使用注射用索特西普；胚胎-胎儿毒性；生育力受损；本品中所含的索特西普可能使兴奋剂检测结果呈现阳性，运动员慎用。

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

该产品在中国境内于2025年12月30日获批。截至2026年03月25日，本品已在全球63个国家获批。目前尚无因安全性原因而导致注册吊销或撤销的记录。没有监管机构发布的与该产品相关的安全性警告、黑框警告和/或撤市信息。未因安全性原因对本品采取相关监管或生产措施。在肺动脉高压成人患者中，索特西普总体耐受性良好且安全性特征可管理。本品的总体获益-风险比保持良好。

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 注射用索特西普-最新版说明书.pdf

### 四、创新性信息

创新程度

①首个针对肺动脉高压核心病理机制肺血管重构的全人源生物制剂，走向“治本”的里程碑式跨越，获得FDA突破性疗法认定和EMA优先药物（PRIME）认定；②药物类型创新：现有治疗药物都属于化学药品，索特西普是该治疗领域第一个全人源融合蛋白；③靶点创新：索特西普是全球首个且唯一一激活素信号传导抑制剂；④机制创新：索特西普靶向肺血管重构的核心病理机制，突破现有扩肺血管药物治疗的“天花板效应”。

创新性证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 创新证明文件.pdf
应用创新	①减少给药频率：给药方式上，索特西普皮下注射三周一次相较于现有治疗药物需要皮下24小时持续泵入和每天1-3次服药，便利性显著提升；②临床使用更便利：只需要调整一次剂量，与前列环素类药物需多次滴定相比，临床应用更方便；③索特西普不依赖肝肾功能代谢，药物相互作用少，特殊人群（包括肝肾功能损害患者、老年患者）用药无需调整剂量。
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 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	-

## 五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响	①PAH是一种进展迅速的疾病，严重影响患者的身心健康、日常活动和社会功能。PAH患者中青年占比64%，女性占比70%，中位年龄36.2岁，多数患者是家庭的经济支柱。②52%的患者因病不能工作，生产力的丧失带来了高昂的间接成本，且83%的照顾者因需照顾患者不能工作或需减少工作时间，进一步加重患者家庭的经济负担。索特西普减轻家庭和社会双重负担，提升社会生产力。
符合“保基本”原则（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）	①特发性肺动脉高压IPAH列入了国家第一批罕见病目录，序号54；②PAH患病率22.4/百万，发病率5/百万人年，患者数少，预计纳入医保后接受索特西普患者数平均每年<2000人，基金预算影响可控；③索特西普减少85%住院次数，避免4次/千人肺/心肺移植，降低恶化风险和节约医疗资源；④目前已在63个国家/地区上市，并在20多个国家/地区（日本，英国，德国，法国，意大利，中国台湾/澳门等）纳入医保报销
弥补目录短板	①索特西普是近30年来唯一在背景治疗基础上显著降低PAH患者全因死亡率(51%)的药物，填补目录内PAH“治本”用药空白；②当前医保目录内针对PAH的靶向药物机制均为扩张肺血管，不干预肺血管重构这一核心病理机制，70%以上患者无法达到并维持在低危状态，临床存在巨大未满足需求。索特西普作为唯一针对PAH核心病理生理机制的全人源生物制剂，有望逆转肺动脉重构，延长患者生存，实现治疗范式的跃迁。
临床管理难度	①索特西普治疗PAH适应症及临床使用条件、监测与用法用量规定明确，不易滥用，临床管理难度低；②每3周通过皮下注射给药，给药频率低，给药方式便捷，不会增加患者的额外负担；③仅需要调整一次剂量，与前列环素类药物需多次滴定相比，临床应用更方便；④整体安全性可控，患者耐受良好，易于临床管理；⑤不依赖肝肾功能代谢，药物相互作用少，特殊人群（包括肝肾功能损害患者、老年患者）用药无需调整剂量。