

编码：YPSW202600079

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： 贝组替凡片

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 00:48:47	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）	贝组替凡片	商品名	维利瑞
医保药品分类与代码	XL01XXB272A001010178642	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	化学药品5.1类		
核心专利类型1	化合物专利-芳基醚及其用途- ZL201480049731.3	核心专利权期限届满日1	2034-09
核心专利类型1	化合物专利-芳基醚及其用途- ZL201480049731.3	核心专利权期限届满日1	2034-09
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	40 mg		
上市许可持有人（授权企业）	MERCK SHARP & DOHME (UK) LIMITED		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于治疗不需要立即手术治疗的von Hippel-Lindau（VHL）病相关肾细胞癌（RCC）、中枢神经系统（CNS）血管母细胞瘤或胰腺神经内分泌肿瘤（pNET）成人患者。		
说明书用法用量	推荐剂量:本品推荐剂量为120 mg，口服给药，每日一次，直至疾病进展或出现不可接受的毒性。贝组替凡片应于每天同一时间服用，可与或不与食物同服。建议患者整片吞服。吞咽前请勿咀嚼、压碎或掰开贝组替凡片。如果漏服一剂贝组替凡片，可于同一天尽快补服。第二天恢复贝组替凡片的常规每日给药方案。请勿服用额外的片剂来弥补漏服的剂量。如果在服用贝组替凡片后的任何时间发生呕吐，请勿重新服药。第二天服用下一剂量即可。不良反应的剂量调整:贝组替凡片治疗不良反应的剂量调整总结见表1。推荐的减量方案如下：第一次减少剂量：贝组替凡片80 mg口服，每日一次；第二次减少剂量：贝组替凡片40 mg口服，每日一次；第三次减少剂量：永久停药；推荐的不良反应剂量调整见P3页表1。特殊人群:老年人群（≥65岁），老年患者无需调整推荐剂量。在65岁及以上患者中使用贝组替凡片的数据有限（参见【老年用药】）。肾功能不全:轻度或中度肾功能不全（eGFR≥30 mL/min/1.73 m ² ）患者无需调整贝组替凡片的推荐剂量。尚未在重度肾功能不全患者中进行贝组替凡片的研究（参见【临床药理学】）。肝功能不全:轻度肝功能不全患者无需调整贝组替凡片的推荐剂量。尚未在中度或重度肝功能不全患者中进行贝组替凡片的研究（参见【临床药理学】）。儿童人群:尚未确定贝组替凡片在18岁以下儿童人群中的安全性和有效性。无相关数据。		

所治疗疾病基本情况	Von Hippel-Lindau 综合征（简称“VHL病”）是因位于染色体3p25.3的VHL抑癌基因致病性变异导致的常染色体显性遗传疾病，2023年9月已被纳入《第二批罕见病目录》序号83。英美VHL病发病率约1/91,000~1/38,000，中国尚无相关流病数据，诊断且符合本品适应症目标患者存量总数预估<3000人，每年额外新发患者<150人，由于VHL病认知率和诊断率低，预计纳入目录使用本品的患者平均每年约200人。VHL病可累及多个器官和系统，我国患者中枢神经系统受累率61%，胰腺47%、肾脏43%，会形成多个良性和恶性肿瘤或囊肿，患者长期处于带瘤、新增肿瘤、或肿瘤复发状态。		
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	2024-11	注册证号/批准文号	国药准字HJ20240135
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	2021-08
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	同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况：无。①贝组替凡片作为首个且唯一系统治疗VHL病药物，填补VHL罕见病治疗的临床空白。美国FDA授予其First-in-Class、突破性疗法、优先审评、孤儿药等重大创新资格认定，中国CDE将其纳入优先审评审批并获得常规批准上市。贝组替凡片基于卓越疗效在《中国von Hippel-Lindau综合征诊治专家共识（2025版）》中作为VHL综合征唯一系统性治疗药物被推荐，也获得最新中国CSCO肾癌指南、美国NCCN指南和欧洲EAU指南推荐；②贝组替凡片是目前全球首个且唯一获批的HIF-2 α 抑制剂药物，HIF和氧感知重大科学突破获2019年诺贝尔生理或医学奖。贝组替凡是一种新型口服的缺氧诱导因子2 α （HIF-2 α ）抑制剂，能够与HIF-2 α 结合，阻断因假性缺氧或者VHL蛋白功能受损所致的HIF-2 α 与HIF-1 β 异源二聚化，进而抑制肿瘤相关血管生成、肿瘤细胞增殖和生长等多条信号通路；③VHL综合征，又称“VHL病”已于2023年9月被纳入我国第二批罕见病目录，序号83。VHL病目前治疗方式主要为主动监测和手术，术后反复复发且有并发症，存在巨大未满足需求		
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 贝组替凡片-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》，请扫描成一个文件后上传	↓ 下载文件 贝组替凡片-注册批件.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 贝组替凡片-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	↓ 下载文件 贝组替凡片-PPT2.pdf		

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） ^①	用法用量	费用类型	金额（元） ^①	疗程/周期 ^①
空白	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：
①目前全球尚无治疗VHL病及无同作用机制的其他药物获批，填补“VHL综合征”系统性治疗空白；②HIF和氧感知的重大科学突破获2019年诺贝尔生理学或医学奖，贝组替凡作为全球首个HIF2 α 抑制剂，被中国CDE纳入优先审评审批并获常规批准上市，被FDA授予First-in-Class、突破性疗法、孤儿药、优先审评等创新认定；③澳大利亚、加拿大等主流HTA机构评估时均认定参照药为“空白”。

其他情况请说明：-

二、有效性信息

试验类型1	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	国外LITESPARK-004研究结果：中位随访73.8个月，中位PFS、中位OS均未达到；自使用贝组替凡起的6年中，64%患者未经历过VHL病相关肿瘤的任何手术。其中：①VHL-RCC肾细胞癌，客观缓解率ORR达到70%；②VHL-CNS HB 中枢神经系统血管母细胞瘤，客观缓解率ORR达到52%；③VHL-pNET 胰腺神经内分泌肿瘤，客观缓解率ORR达到91%。
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 2026ASCO-LS004研究6年随访结果.pdf
试验类型2	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	LITESPARK-015中日人群队列研究，中位随访25.1个月，中位PFS、中位OS均未达到：①VHL-RCC肾细胞癌，客观缓解率ORR 88%；②VHL-CNS-HB（实性）中枢神经系统血管母细胞瘤（实性），客观缓解率ORR 81%；VHL-CNS-HB（囊性和实性）中枢神经系统血管母细胞瘤（囊性和实性），客观缓解率ORR 59%；③VHL-pNET胰腺神经内分泌肿瘤，客观缓解率ORR 90%
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 2026ASCO-LS015B1队列中日人群随访结果.pdf
试验类型1	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	国外LITESPARK-004研究结果：中位随访73.8个月，中位PFS、中位OS均未达到；自使用贝组替凡起的6年中，64%患者未经历过VHL病相关肿瘤的任何手术。其中：①VHL-RCC肾细胞癌，客观缓解率ORR达到70%；②VHL-CNS HB 中枢神

经系统血管母细胞瘤，客观缓解率ORR达到52%；③VHL-pNET 胰腺神经内分泌肿瘤，客观缓解率ORR达到91%。

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

2026ASCO-LS004研究6年随访结果.pdf

试验类型2

单臂临床实验

试验对照药品

无

试验阶段

上市前

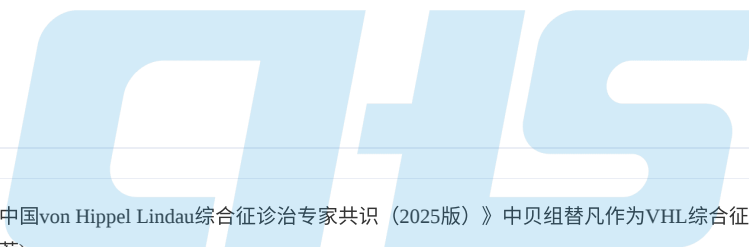
对主要临床结局指标改善情况

LITESPARK-015中日人群队列研究，中位随访25.1个月，中位PFS、中位OS均未达到：①VHL-RCC肾细胞癌，客观缓解率ORR 88%；②VHL-CNS-HB（实性）中枢神经系统血管母细胞瘤（实性），客观缓解率ORR 81%；VHL-CNS-HB（囊性和实性）中枢神经系统血管母细胞瘤（囊性和实性），客观缓解率ORR 59%；③VHL-pNET胰腺神经内分泌肿瘤，客观缓解率ORR 90%

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

2026ASCO-LS015B1队列中日人群随访结果.pdf



临床指南/诊疗规范推荐情况1

《中国von Hippel Lindau综合征诊治专家共识（2025版）》中贝组替凡作为VHL综合征唯一系统性治疗药物被推荐（2b 强推荐）。

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

2025版中国VHL综合征诊治专家共识.pdf



临床指南/诊疗规范推荐情况2

2025年中国CSCO肾癌诊疗指南：针对VHL相关RCC患者，推荐贝组替凡（二级推荐，2A类证据）。

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

2025中国CSCO肾癌指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

美国最新NCCN指南：①针对VHL相关RCC患者 首选推荐贝组替凡；②针对不可立即手术，或对因部位或既往手术或合并症而不宜进行全切手术者，肿瘤生长或有症状的VHL相关CNS 血管母细胞瘤患者，推荐贝组替凡；③VHL胚系突变的进展性pNET, 推荐贝组替凡。

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

↓ 下载文件

2026美国NCCN指南.pdf

（高亮）显示药品名称、适应

(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)

临床指南/诊疗规范推荐情况4

欧盟2026 EAU指南：对于不需要手术的VHL综合征相关RCC以及其他肿瘤，可选择贝组替凡。

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)

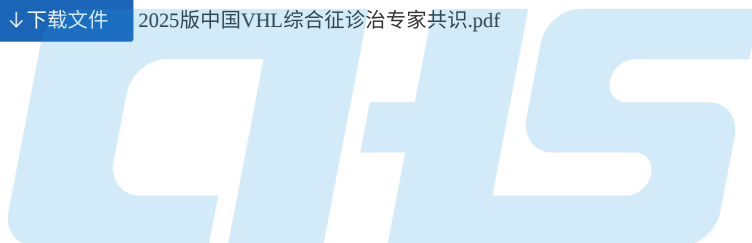
[↓ 下载文件](#) 2026欧洲EAU指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

《中国von Hippel Lindau综合征诊治专家共识(2025版)》中贝组替凡作为VHL综合征唯一系统性治疗药物被推荐(2b 强推荐)。

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](#) 2025版中国VHL综合征诊治专家共识.pdf



中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

临床指南/诊疗规范推荐情况2

2025年中国CSCO肾癌诊疗指南：针对VHL相关RCC患者，推荐贝组替凡(二级推荐，2A类证据)。

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](#) 2025中国CSCO肾癌指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

美国最新NCCN指南：①针对VHL相关RCC患者 首选推荐贝组替凡；②针对不可立即手术，或对因部位或既往手术或合并症而不宜进行全切手术者，肿瘤生长或有症状的VHL相关CNS 血管母细胞瘤患者，推荐贝组替凡；③VHL胚系突变的进展性pNET, 推荐贝组替凡。

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](#) 2026美国NCCN指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

欧盟2026 EAU指南：对于不需要手术的VHL综合征相关RCC以及其他肿瘤，可选择贝组替凡。

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](#) 2026欧洲EAU指南.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

在LITESPARK-004中研究了贝组替凡片的有效性，这是一项在61例至少有一个可测量的肾脏实体瘤且不需要立即手术的VHL病患者中进行的开放性、II期临床试验。患者接受贝组替凡片120 mg每日一次给药。在开始治疗后约12周对患者进行影像学评价，此后每12周进行一次。中位随访时间为21.8个月（范围：4.2-30.1个月），其中：①治疗VHL病相关RCC肿瘤的客观缓解率ORR%为49.2%，②治疗VHL病相关中枢神经系统血管母细胞瘤客观缓解率ORR%为30%；③治疗VHL病相关胰腺神经内分泌肿瘤客观缓解率ORR%为90.9% LITESPARK-015（MK-6482-015）队列B1：一项旨在评价贝组替凡片治疗von Hippel Lindau病相关肿瘤的开放性、II期研究中的中国临床研究数据。23例中国VHL病患者入组，中位随访时间为14.9（范围：12.0-17.1）个月，其中：①治疗VHL病相关RCC肿瘤的客观缓解率ORR%为83.3%；②治疗VHL病相关中枢神经系统血管母细胞瘤客观缓解率ORR%为60.0%；③治疗VHL病相关胰腺神经内分泌肿瘤客观缓解率ORR%为66.7%。

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 贝组替凡片-申请上市技术审评报告.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

在LITESPARK-004中研究了贝组替凡片的有效性，这是一项在61例至少有一个可测量的肾脏实体瘤且不需要立即手术的VHL病患者中进行的开放性、II期临床试验。患者接受贝组替凡片120 mg每日一次给药。在开始治疗后约12周对患者进行影像学评价，此后每12周进行一次。中位随访时间为21.8个月（范围：4.2-30.1个月），其中：①治疗VHL病相关RCC肿瘤的客观缓解率ORR%为49.2%，②治疗VHL病相关中枢神经系统血管母细胞瘤客观缓解率ORR%为30%；③治疗VHL病相关胰腺神经内分泌肿瘤客观缓解率ORR%为90.9% LITESPARK-015（MK-6482-015）队列B1：一项旨在评价贝组替凡片治疗von Hippel Lindau病相关肿瘤的开放性、II期研究中的中国临床研究数据。23例中国VHL病患者入组，中位随访时间为14.9（范围：12.0-17.1）个月，其中：①治疗VHL病相关RCC肿瘤的客观缓解率ORR%为83.3%；②治疗VHL病相关中枢神经系统血管母细胞瘤客观缓解率ORR%为60.0%；③治疗VHL病相关胰腺神经内分泌肿瘤客观缓解率ORR%为66.7%。

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 贝组替凡片-申请上市技术审评报告.pdf

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息

不良反应：LITESPARK-004中评价了贝组替凡片的安全性。接受贝组替凡片的患者发生的不良反应（≥10%）包括贫血（90%）、疲劳（74%）、头晕（46%）、恶心（39%）、呼吸困难（26%）和体重增加（16%）。禁忌：对药物活性成份或辅料过敏者禁用。注意事项：贫血：在开始贝组替凡片治疗前和整个治疗期间定期监测贫血。严重贫血需考虑降低剂量或暂停给药，并根据标准医疗实践进行治疗，包括ESA 给药和/或输血。缺氧：贝组替凡片可引起重度缺氧，可能需要停药、辅助供氧或住院治疗。开始贝组替凡片治疗前和整个治疗期间，应使用脉搏血氧计监测患者的血氧饱和度，开始治疗的最初6个月内应增加监测频率。胚胎-胎儿毒性：基于动物研究结果，贝组替凡片可能导致人类胎儿损害。建议在治疗期间和末次给药后1周内使用高效避孕措施。药物相互作用：预期与UGT2B17或CYP2C19抑制剂同时给药可增加贝组替凡的血浆暴露，可能会增加贝组替凡不良反应的发生率和严重程度；贝组替凡片与CYP3A4底物联合给药可降低CYP3A4底物的浓度，继而可能会降低这些底物的疗效；贝组替凡片与激素避孕药联合给药可能导致避孕失败或突破性出血增加

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

①自全球首次获批（2021-8-13）至2026-2-12，本品已在全球52个国家/地区注册并获批。目前尚无因安全性原因而导致注册吊销或撤销的记录。贝组替凡片在国内于2024年11月15日获批，截至2026-3-31共收到3例患者报告了非严重不良事件，未提示新安全性问题。②出于安全性原因而采取的监管措施描述如下：英国、中国香港、瑞士等监管要求实施额外风险最小化措施（ARMM），提供贝组替凡相关缺氧不良反应的患者警示卡。中国监管机构要求中国说明书添加关于胚胎-胎儿毒性的黑框警告；欧盟、瑞士、以色列要求实施ARMM，包括提示重要潜在风险胚胎-胎儿毒性的患者卡片和医疗保健专业人员（HCP）指南。

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 贝组替凡片说明书.pdf

四、创新性信息

创新程度	①贝组替凡片的全新靶点和创新机制是基于2019年诺贝尔生理学或医学奖的研究成果，是一种新型口服的缺氧诱导因子2α（HIF-2α）抑制剂。②贝组替凡片是目前全球首个且目前唯一获批的HIF-2α抑制剂药物，被中国CDE纳入优先审评审批，并获正式批准上市；获得美国FDA的First-in-Class认证，突破性疗法，优先审评，孤儿药等创新认证。
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新证明文件.pdf
应用创新	口服给药，每日一次；常温储存，易于临床管理使用；老年患者无需调整推荐剂量；轻度或中度肾功能不全（eGFR≥30 mL/min/1.73 m ² ）患者无需调整贝组替凡片的推荐剂量。轻度肝功能不全患者无需调整贝组替凡片的推荐剂量。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 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	①VHL发病年龄早，且呈家族聚集。②中国VHL患者的平均发病年龄早，约30~40岁，死亡风险较高，预期寿命短于自然人群约13年。③现有手术治疗给患者生活质量和心理健康带来严重负面影响，贝组替凡可显著减少患者手术负担，维持器官正常功能，改善患者生活质量，为患者带来生存希望。
符合“保基本”原则（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）	①VHL病已纳入《第二批罕见病目录》序号83，患者人数少，预计纳入目录使用本品的患者年均约200人，对医保基金整体支出可控；②手术治疗费用高昂，反复多次手术使VHL病患者及家庭经济及生活负担沉重，贝组替凡将改变病患无药可用困境，帮助患者回归社会劳动，减轻家庭照护及社会负担；③目前已在52个国家/地区上市，已有36个国家/地区纳入医保报销，包括澳大利亚、加拿大、英国、德国、日本等主流国家/地区。
弥补目录短板	①贝组替凡是目前全球首个且唯一获批用于治疗VHL病的药物，填补临床和目录空白，6年长期随访的中位PFS、中位OS均未达到，ORR持续提高为VHL患者带来临床获益；②显著减少患者手术次数或延长手术间隔，降低手术并发症及死亡发生风险。
临床管理难度	①贝组替凡靶点、适应症及用法用量明确，无临床滥用风险，常温储存，临床和医保管理难度低；②每日一次口服给药，无进食限制，减少注射、门诊等给药成本；③长期耐受性、安全性良好，患者依从性高。

CHINA HEALTHCARE SECURITY