

编码：YPSW202600410

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： 波哌达可基注射液

企业名称： 上海信致医药科技有限公
司

申报信息

申报时间	2026-06-10 09:24:17	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）	波哌达可基注射液	商品名	信玖凝
医保药品分类与代码	XB02BDB273B002010185418	是否为独家	是
申报目录类别	商保创新药目录		
药品类别	西药		
① 药品注册分类	治疗用生物制品1类		
核心专利类型1	病毒衣壳	核心专利权期限届满日1	2039-06
核心专利类型2	基因表达盒	核心专利权期限届满日2	2038-05
核心专利类型1	病毒衣壳	核心专利权期限届满日1	2039-06
核心专利类型2	基因表达盒	核心专利权期限届满日2	2038-05
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	8.0×10 ¹² vg (2mL) /瓶		
上市许可持有人（授权企业）	上海信致医药科技有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	用于治疗中重度血友病B（先天性凝血因子IX缺乏症）成年患者		
说明书用法用量	用法：单次静脉输注。用量：根据患者体重计算用药体积；本品的用量为5×10 ¹² vg/kg体重。用药体积（ml）=体重*1.25；瓶数（瓶）=用药体积/2；按照公式计算均向上取整。举例：65kg体重患者，用药体积81.25ml；所需药品41瓶		
所治疗疾病基本情况	血友病B(HB)是凝血因子IX（FIX）缺乏的X连锁隐性遗传疾病，疾病严重程度与体内FIX水平相关；中重度HB患者（FIX活性水平<5 IU/dl）会经历自发性出血，受伤或手术后出血。关节出血最为常见，同时患者长期表现为慢性疼痛、功能障碍、焦虑抑郁以及由关节损伤引起的残疾。另外，部分出血事件可致命。重度患者的死亡率是普通人群的2.7倍，预期寿命减少达15年。目前国内注册登记的血友病B患者数约3782例，但其中符合基因治疗标准的患者数约600例		
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	2025-04	注册证号/批准文号	国药准字S20250016
该通用名全球首个上市国家/地区	中国	该通用名全球首次上市时间	2025-04
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.医保目录内外均无同作用机制治疗药物，本品为中国首个AAV基因治疗药物。2.补充外源凝血因子九（FIX）是目前治疗血友病B的主要手段，包括重组FIX，血源性FIX和人凝血酶原复合物（PCC）。但以上药物在体内半衰期短，均需要频繁输注，患者每年静脉输注次数最高可达176次，这给患者带来了沉重的“针头负担”。此外，尽管采用外源性FIX进行足量预防治疗，患者仍然会存在出血风险，进而带来关节损伤；反复静脉输注会增加感染和血栓风险；高强度凝血因子暴露增加抑制物风险，导致疗效降低或治疗无效。3.本品为中国首个自主研发和生产的AAV基因治疗产品，作用机制创新，单次输注后，患者可长期稳定高位表达内源性FIX，显著降低患者出血风险，避免长期外源性FIX输注，减少靶关节的产生，节约医疗资源使用，显著改善患者生存质量		
企业承诺书	↓ 下载文件 1-承诺书签字.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 1-2-波哌达可基说明书.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 1-3-波哌达可基注册证.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 1-4-1波哌达可基-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 1-4-1波哌达可基-PPT2.pdf		



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

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
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由： 医保目录内无同作用机制药物：本品为我国首个AAV基因治疗药物，一次性治疗方案，重塑当前终生反复注射治疗模式。本品具有革新作用机制：包括新型工程化强嗜肝性新型衣壳AAV843及优化的FIX-Padua，一次输注长期有效；突破性治疗品种，国家1类创新药。本品关键III期研究临床试验为单臂试验

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	本品一次输注后，III期给药后52周随访结果显示：（1）显著减少出血事件发生。平均年化出血率低至0.6，80.8%（21/26）的患者在治疗后一年内无出血；（2）带来持久卓越关节保护。平均靶关节数从治疗前的1.1降至0；（3）显著减少外源性因子注射，52周FIX药物的平均输注次数，从治疗前的58.2次降至2.9次；（4）FIX水平长期高位稳定表达。52周时测得平均FIX活性达55.08IU/dL
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 2-1-1-波哌达可基三期临床试验.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	针对10例受试者治疗后长期随访5年的疗效数据显示：（1）所有受试者最长随访时间为270周，最后一次随访FIX活性平均值为46.27%；（2）接受治疗后，各时间点平均FIX活性>35%；（3）长期随访期间，90%的受试者FIX持续稳定较高表达，未发生出血事件，年化出血率为0，且完全停止外源性FIX产品的替代治疗
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 2-1-2-5年随访研究中英文合并.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	本品一次输注后，III期给药后52周随访结果显示：（1）显著减少出血事件发生。平均年化出血率低至0.6，80.8%（21/26）的患者在治疗后一年内无出血；（2）带来持久卓越关节保护。平均靶关节数从治疗前的1.1降至0；（3）显著减少外源性因子注射，52周FIX药物的平均输注次数，从治疗前的58.2次降至2.9次；（4）FIX水平长期高位稳定表达。52周时测得平均FIX活性达55.08IU/dL
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 2-1-1-波哌达可基三期临床试验.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	针对10例受试者治疗后长期随访5年的疗效数据显示：（1）所有受试者最长随访时间为270周，最后一次随访FIX活性平均值为46.27%；（2）接受治疗后，各时间点平均FIX活性>35%；（3）长期随访期间，90%的受试者FIX持续稳定较高表达，未发生出血事件，年化出血率为0，且完全停止外源性FIX产品的替代治疗
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 2-1-2-5年随访研究中英文合并.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	中国血友病管理指南（2024版）：中国首个成功的血友病B基因治疗临床试验纳入了10例患者，均接受 5×10^{12} vg/kg 剂量载体输注，在随访1年时平均FIX：C为36.9IU/dl。同时该研究中1例FIX：C>50IU/dl的患者成功接受左膝关节置换术。目前BBM-H901在中国人群中3期临床试验已经进入组结束，预期成为中国首个提交NDA的血友病B基因治疗产品
----------------	---

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 2-2-1-中国血友病管理指南-2024年版.pdf
---	---

临床指南/诊疗规范推荐情况2	中国血友病B腺相关病毒载体基因治疗临床应用指导意见（2025）：近年来血友病B基因治疗得到了长足的发展，国内外共有3种腺相关病毒（AAV）载体血友病B基因治疗产品获得上市许可，其中波哌达可基在中国新近获批；波哌达可基（Ponparvovec）是由中国公司自主研发的血友病B基因治疗药物
----------------	--

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）	-
---	---

临床指南/诊疗规范推荐情况1	中国血友病管理指南（2024版）：中国首个成功的血友病B基因治疗临床试验纳入了10例患者，均接受 5×10^{12} vg/kg 剂量载体输注，在随访1年时平均FIX：C为36.9IU/dl。同时该研究中1例FIX：C>50IU/dl的患者成功接受左膝关节置换术。目前BBM-H901在中国人群中3期临床试验已经进入组结束，预期成为中国首个提交NDA的血友病B基因治疗产品
----------------	---

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 2-2-1-中国血友病管理指南-2024年版.pdf
---	---

临床指南/诊疗规范推荐情况2	中国血友病B腺相关病毒载体基因治疗临床应用指导意见（2025）：近年来血友病B基因治疗得到了长足的发展，国内外共有3种腺相关病毒（AAV）载体血友病B基因治疗产品获得上市许可，其中波哌达可基在中国新近获批；波哌达可基（Ponparvovec）是由中国公司自主研发的血友病B基因治疗药物
----------------	--

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）	-
---	---

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	尚未发布
《技术审评报告》原文（可节选）	-
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	尚未发布
《技术审评报告》原文（可节选）	-

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	不良反应：最常见的与研究药物相关TEAE为肝酶异常（ALT、AST升高）和输液相关反应，严重程度均为1~2级；基本无需治疗或通过对症药物干预即可痊愈，与本品既往已完成研究结果以及同类基因治疗产品相比，未观察到新的安全性信号和非预期AE。用药禁忌：1. 已知对本品活性成分或任何辅料发生超敏反应的患者禁用；2. 活动性肝炎患者禁用；3. 有潜在的肝脏疾病患者禁用；4. 存在未清除的FIX抑制物的患者禁用；5. 对FIX过敏的患者禁用。注意事项：包括1. 输液相关反应；2. 肝毒性；3. 预先存在的抗AAV843抗体；4. 血栓栓塞事件；5. 致癌性风险；6. 对男性及女性生育的影响；7. 肝肾功能不全的特殊人群；8. 其他，详见说明书。药物相互作用：无药物相互作用的数据。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	无
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	中国首个且目前唯一自主研发上市的AAV基因治疗药物，为突破性治疗品种，国家1类创新药并获优先审评审批。药物包含具有强肝靶向性的新型腺相关病毒衣壳rAAV843和优化的人凝血因子FIX-Padua基因表达盒。工程化改造的AAV呈低免疫原性、无致病性、高靶向性等特点；优化的FIX突变体因子表现出更高凝血活性。两者结合使用既提升治疗效果，又减少基因载体用量，提高安全性
创新性证明文件	↓ 下载文件 4-1-波哌达可基创新程度.pdf
应用创新	本品一次输注即可实现患者内源性FIX水平长期高位稳定表达，显著降低患者出血风险，减少外源性FIX的频繁长期输注；避免了患者依从性的影响，同时可节约患者整体治疗成本
应用创新证明文件	↓ 下载文件 4-2-波哌达可基应用创新.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	波哌达可基一次输注，长期有效，帮助患者逐步摆脱血友病羁绊，重启正常生活，融入社会，实现自身价值
符合“保基本”原则（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）	-
弥补目录短板	1.当前血友病B成人患者仅保障按需治疗，患者仍会发生出血及产生靶关节；2.波哌达可基可以帮助血友病B成年患者实现一次输注，长期0出血的健康改善，助力患者重获自由人生
临床管理难度	1.血友病B患者人数有限，估算潜在符合基因治疗标准的患者仅约600例，管理难度及成本很低； 2.波哌达可基为单次输注，接受基因治疗前患者需要进行严格的检测和评估，无临床滥用和超说明书用药风险，理赔风险可控。



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY