

编码：YPSW202600448

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： 布罗索尤单抗注射液

企业名称： 协和发酵麒麟（中国）制
 药有限公司

申报信息

申报时间	2026-06-10 11:33:48	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）	布罗索尤单抗注射液	商品名	麟平
医保药品分类与代码	10mg（1ml）/ 瓶:XM05BXB247B002010182988; 20mg （1ml）： XM05BXB247B002020182988; 30mg （1ml）： XM05BXB247B002030182988	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		
④ 药品注册分类	治疗用生物制品		
核心专利类型1	生物制品活性成分的序列结构专利：抗FGF23抗体和含有该抗体的药物组合物/200880004814.5	核心专利权期限届满日1	2028-02
核心专利类型2	生物制品活性成分的序列结构专利：抗FGF23抗体和含有该抗体的药物组合物/201210161119.8	核心专利权期限届满日2	2028-02
核心专利类型1	生物制品活性成分的序列结构专利：抗FGF23抗体和含有该抗体的药物组合物/200880004814.5	核心专利权期限届满日1	2028-02
核心专利类型2	生物制品活性成分的序列结构专利：抗FGF23抗体和含有该抗体的药物组合物/201210161119.8	核心专利权期限届满日2	2028-02
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	西林瓶装：10mg（1ml）/瓶、20 mg（1ml）/瓶、30 mg（1ml）/瓶 30mg未来不做销售，多地已撤销挂网		
上市许可持有人（授权企业）	Kyowa Kirin Co.,Ltd.		

说明书全部适应症/功能主治	用于成人和 1 岁及以上儿童患者的 X 连锁低磷血症（XLH）。用于成人无法根治性切除或定位的磷酸盐尿性间充质肿瘤相关的肿瘤性骨软化症（TIO）中的 FGF23 相关性低磷血症。		
说明书用法用量	本品皮下注射，应由医务人员操作。XLH 儿童患者（1 岁至 18 岁以下）推荐的起始剂量方案是 0.8 mg/kg，四舍五入至最近的 10mg，每 2 周一次。XLH 成人患者（18 岁及以上）的推荐剂量方案为 1 mg/kg，四舍五入至最近的 10 mg，每 4 周一次。TIO 成人患者一般情况下，本品给药剂量为 0.3 mg/kg，皮下注射，给药周期 4 周。可根据血磷浓度和症状增加或减少剂量。		
所治疗疾病基本情况	中国大陆无 XLH 和 TIO 的流行病学数据，国内在治 XLH 患者人数约 1000 人，儿童患者约占 75%；TIO 患者约 400 人，多见于成人。中国台湾：XLH 患病率约为 1/20 万 2 德国：TIO 发病率和患病率分别为 $\leq 0.094/10$ 万和 $0.187/10$ 万。矮身材：XLH 成人终身高仅为 138.8 ± 8.1 cm (-4.6 ± 2.1 SD)；椎体畸形 TIO 患者身高可缩减 $>40\%$ 。畸形：40-67% 的 XLH 患者需要外科治疗矫正畸形；60.4% 的 TIO 患者合并椎体畸形。骨折：39% 成人 XLH 患者发生过至少 1 次骨折；84.6% 的 TIO 患者发生过病理性骨折		
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	2021-01	注册证号/批准文号	10mg（1ml）：国药准字 SJ20210001、20 mg（1ml）/瓶：国药准字 SJ20210002、30 mg（1ml）/瓶：国药准字 SJ20210003
该通用名全球首个上市国家/地区	欧盟	该通用名全球首次上市时间	2018-02
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	磷酸二氢钠磷酸氢二钠颗粒，2024 年 3 月上市，未进医保。传统治疗效果不理想，只是对症治疗，不是对病因治疗。无法改善肾性失磷及磷稳态，碱性磷酸酶水平改善有限；下肢畸形改善有限，青春期完全丧失追长效应；每日需用药 4-5 次且肠道症状明显，导致患者依从性差、疗效不佳；血磷波动大显著增加继发性甲旁亢的发生风险；长期服用活性维生素 D 可引起高钙尿症（可能为一过性未被检测到），继而引起肾钙质沉积和肾小球滤过率降低。布罗索尤单抗（麟平）是首个针对 FGF23 的全人源化 IgG1 单克隆抗体，可结合并抑制 FGF23 活性从而改善肾磷阈，进而改善患者磷稳态，最终改善骨骼矿化、下肢畸形及身高。多项儿童 XLH 研究证实，布罗索尤单抗相比传统治疗可显著改善磷代谢和骨转换相关生化指标，第 4 周时平均血磷及肾磷阈（TmP/GFR）显著提高至正常范围，治疗 12 个月碱性磷酸酶（ALP）达标率为 80%；第 40 周时麟平组骨骼矿化显著改善比例达 72% 而传统组仅为 6%，第 64 周时麟平组骨骼矿化显著改善比例达 87%，而传统组仅为 19%。治疗一年后，下肢畸形及身高开始显著改善，运动能力显著提升。2 周或 4 周一次的给药方案提高患者依从性。		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书-维健中国盖章版.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 中国麟平说明书.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 布罗索尤单抗注射液再注册合并注册证.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 布罗索尤单抗注射液 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 布罗索尤单抗注射液 PPT2.pdf		

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
无	-	-	-	-	-	-	-

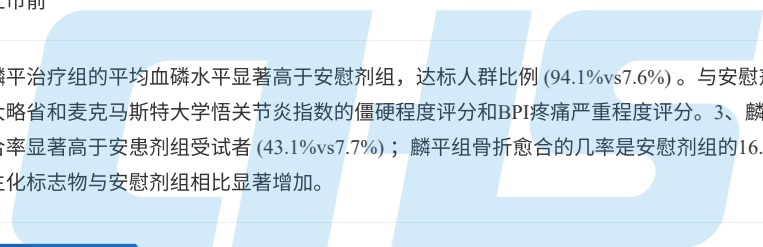
参照药品选择理由：填补国家医保药品目录、商保创新药治疗空白

其他情况请说明：传统治疗效果不理想，只是对症治疗，不是对病因治疗。且非靶向治疗药物。

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	口服磷酸盐联合活性维生素D
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	1、显著改善佝偻病严重程度：第40周时佝偻病显著改善比例(72%)明显高于传统(6%)，磷平组的患者在影像学总体印象变化评分(RGI-C)、总佝偻病严重程度评分显著改善。2、显著改善生长发育和运动能力：磷平组的身高Z评分、6分钟步行实验行走距离的改善显著高于传统治疗组的患者。3、显著改善血磷、碱性磷酸酶和肾磷阈相关指标：磷平组改善幅度显著高于传统治疗组。
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布罗索尤单抗与传统治疗X连锁低磷血症儿童的比较.pdf
试验类型2	真实世界数据
试验对照药品	无参照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	93名儿童（<12岁n=65）和青少年（12-18岁n=28）XLH患者接受布罗索尤单抗治疗12个月后，两组患者血磷z值分别从基线-4.3、-5.6提升至-2.3、-2.1；TmP/GFR z值分别从-6.9、-5.6升至-2.7、-2.4；ALP z值分别从2.8、2.7降至1.2、1.3，均具有显著性且在儿童和青少年患者中疗效相当。约42%患者血磷恢复至正常，80% ALP达标。
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布罗索尤单抗治疗对X连锁低磷血症儿童及青少年矿物质代谢的影响.pdf

试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无参照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在41例股骨远端和胫骨近端生长板未闭合的儿童中，从基线至第160周，佝偻病严重程度总评分显著降低0.9±0.1(P<0.0001)。在整个研究期间磷平可升高血磷并维持正常范围(3.2-6.1mg/dl)内，第160周时血磷平均值为3.35mg/dl(P<0.0001)。92%的儿童最大磷重吸收率在正常范围内、站立身高、步行距离、身体功能和疼痛都得到改善。大多数不良事件的严重程度为轻至中度
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布罗索尤单抗在儿童X连锁低磷血症患者中的持续疗效和安全性研究.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	麟平治疗组的平均血磷水平显著高于安慰剂组，达标人群比例(94.1%vs7.6%)。与安慰剂相比，麟平组显著降低了西安大略省和麦克马斯特大学悟关节炎指数的僵硬程度评分和BPI疼痛严重程度评分。3、麟平组受试者活动性骨折的完全愈合率显著高于安慰剂组受试者(43.1%vs7.7%)；麟平组骨折愈合的几率是安慰剂组的16.8倍。麟平组的骨形成和骨吸收的生化标志物与安慰剂组相比显著增加。
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 4一项评价布罗索尤单抗在X连锁低磷血症成人患者中有效性的研究.pdf
试验类型5	单臂临床实验
试验对照药品	无参照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	22周评估时治疗组血磷水平显著升高，并维持至第144周，大多数骨软化症相关组织形态学指标在治疗后改善，类骨质体积/骨体积比值降低(p<0.05)。骨折/假性骨折愈合加快，新发骨折数量减少，至第144周33%完全愈合，13%部分愈合。基线时身体健康总评的平均评分低于一般人群平均值。第144周所有评分均改善，身体功能、疼痛和健康总评分显著增加，坐立试验的重复次数增加，在第24周发现显著改善。
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，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 5布罗索尤单抗治疗肿瘤性骨软化症.pdf
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	口服磷酸盐及活性维生素D
试验阶段	上市后



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

对主要临床结局指标改善情况	1、布罗索尤单抗治疗3年后，50%（126/254）患儿下肢机械股骨胫骨角（mFTA）获得改善，显著高于传统疗法的28%（5/18），恶化率仅9%（22/254）。转为布罗索尤单抗对畸形改善的优势是传统疗法的4.38倍（ $p=0.0469$ ）。2、持续传统治疗者下肢畸形改善有限，提示布罗索尤单抗可有效纠正儿童XLH下肢畸形，尽早使用效果更佳。
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 6从活性维生素D与磷酸盐补充治疗转换为布罗索单抗可显著纠正儿童X连锁低磷血症患者的下肢力线异常.pdf
试验类型7	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	布罗索尤单抗治疗后血清磷浓度升高0.88 mg/dl（95% CI 0.70~1.07），RSS降低1.86（95% CI -2.5~-1.21），血清ALP降低162.84 U/L（95% CI -250.77~-74.95），TmP/GFR升高1.22 mg/dl（95% CI 0.70~1.74），儿童青少年获益更显著。治疗未增加肾钙质沉着症风险，抗体产生率低，耐受性良好。
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 荟萃分析.pdf
试验类型8	真实世界数据
试验对照药品	口服磷酸盐及活性维生素D
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	相较于传统治疗单抗治疗1年后成人XLH患者血磷较基线升高0.78 mg/dL，PTH降低13.82 pg/mL（Pi/D组升高11.79 pg/mL， $p=0.006$ ）。骨关节炎指数中疼痛评分、物理功能评分及总分改善显著，计时起立-行走测试时间缩短1.19秒（ $p=0.011$ ）。65.6%患者血磷达正标，显著高于Pi/D组的29.9%（ $p=0.008$ ）。安全性与既往研究一致。
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 8真实世界研究.pdf
试验类型9	真实世界数据
试验对照药品	未接受布罗索尤单抗治疗者（大部分为口服磷酸盐及活性维生素D，小部分可能未接受治疗）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	相较于未接受布罗索尤单抗治疗者，单抗组儿童身高Z评分额外增加0.085/年（ $P\leq 0.0001$ ），青少年额外增加0.121/年（ $P\leq 0.0001$ ）；绝对身高分别多增长0.31 cm/年（ $P=0.0007$ ）与1.35 cm/年（ $P\leq 0.0001$ ）。模型预测患儿2-17岁全程单抗治疗可使男性终身增高增加约10 cm、女性约8 cm。
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	↓ 下载文件 9真实世界研究.pdf

<p>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)</p>	
<p>试验类型10</p>	<p>真实世界数据</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市后</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>经布罗索尤单抗治疗中位2.2年后，iPTH较基线显著降低 ($p<0.05$)，治疗后中位iPTH z值为1.12 ($p<0.001$)，24.3%患者存在继发性甲状旁腺功能亢进 (iPTH>2.0 z-score)。与转换为单抗治疗组相比，初治使用布罗索尤单抗治疗组iPTH水平更低 (z-score 0.28 vs 1.13)，提示早期干预有助于改善甲状旁腺功能趋势 ($p=0.11$)。</p>
<p>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)</p>	<p>↓ 下载文件 10真实世界研究.pdf</p>
<p>试验类型1</p>	<p>单个样本量足够的RCT</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>口服磷酸盐联合活性维生素D</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市前</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>1、显著改善佝偻病严重程度：第40周时佝偻病显著改善比例(72%) 明显高于传统(6%)，磷平组的患者在影像学总体印象变化评分(RGI-C)、总佝偻病严重程度评分显著改善。2、显著改善生长发育和运动能力：磷平组的身高Z评分、6分钟步行实验行走距离的改善显著高于传统治疗组的患者。3、显著改善血磷、碱性磷酸酶和肾磷阈相关指标：磷平组改善幅度显著高于传统治疗组。</p>
<p>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)</p>	<p>↓ 下载文件 1布罗索尤单抗与传统治疗X连锁低磷血症儿童的比较.pdf</p>
<p>试验类型2</p>	<p>真实世界数据</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无参照</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市后</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>93名儿童 (<12岁 n=65) 和青少年 (12-18岁 n=28) XLH 患者接受布罗索尤单抗治疗12个月后，两组患者血磷z值分别从基线-4.3、-5.6提升至-2.3、-2.1；TmP/GFR z值分别从-6.9、-5.6升至-2.7、-2.4；ALP z值分别从2.8、2.7降至1.2、1.3，均具有显著性且在儿童和青少年患者中疗效相当。约42%患者血磷恢复至正常，80% ALP 达标。</p>
<p>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)</p>	<p>↓ 下载文件 2布罗索尤单抗治疗对X连锁低磷血症儿童及青少年矿物质代谢的影响.pdf</p>
<p>试验类型3</p>	<p>单臂临床实验</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无参照</p>

试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在41例股骨远端和胫骨近端生长板未闭合的儿童中，从基线至第160周，佝偻病严重程度总评分显著降低0.9±0.1(P<0.0001)。在整个研究期间磷平可升高血磷并维持正常范围(3.2-6.1mg/dl)内，第160周时血磷平均值为3.35mg/dl(P<0.0001)。92%的儿童最大磷重吸收率在正常范围内、站立身高、步行距离、身体功能和疼痛都得到改善。大多数不良事件的严重程度为轻至中度
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布罗索尤单抗在儿童X连锁低磷血症患者中的持续疗效和安全性研究.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	麟平治疗组的平均血磷水平显著高于安慰剂组，达标人群比例(94.1%vs7.6%)。与安慰剂相比，麟平组显著降低了西安大略省和麦克马斯特大学关节炎指数的僵硬程度评分和BPI疼痛严重程度评分。3、麟平组受试者活动性骨折的完全愈合率显著高于安慰剂组受试者(43.1%vs7.7%)；麟平组骨折愈合的几率是安慰剂组的16.8倍。麟平组的骨形成和骨吸收的生化标志物与安慰剂组相比显著增加。
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 4一项评价布罗索尤单抗在X连锁低磷血症成人患者中有效性的研究.pdf
试验类型5	单臂临床实验
试验对照药品	无参照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	22周评估时治疗组血磷水平显著升高，并维持至第144周，大多数骨软化症相关组织形态学指标在治疗后改善，类骨质体积/骨体积比值降低(p<0.05)。骨折/假性骨折愈合加快，新发骨折数量减少，至第144周33%完全愈合，13%部分愈合。基线时身体健康总评的平均评分低于一般人群平均值。第144周所有评分均改善，身体功能、疼痛和健康总评分显著增加，坐立试验的重复次数增加，在第24周发现显著改善。
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，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 5布罗索尤单抗治疗肿瘤性骨软化症.pdf
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	口服磷酸盐及活性维生素D
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	1、布罗索尤单抗治疗3年后，50%（126/254）患儿下肢机械股骨胫骨角（mFTA）获得改善，显著高于传统疗法

中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

的28% (5/18)，恶化率仅9% (22/254)。转为布罗索尤单抗对畸形改善的优势是传统疗法的4.38倍 ($p=0.0469$)。2、持续传统治疗者下肢畸形改善有限，提示布罗索尤单抗可有效纠正儿童XLH下肢畸形，尽早使用效果更佳。

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](#) 6从活性维生素D与磷酸盐补充治疗转换为布罗索尤单抗可显著纠正儿童X连锁低磷血症患者的下肢力线异常.pdf

试验类型7 系统评价或荟萃分析

试验对照药品 无

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

布罗索尤单抗治疗后血清磷浓度升高0.88 mg/dl (95% CI 0.70~1.07)，RSS降低1.86 (95% CI -2.5~-1.21)，血清ALP降低162.84 U/L (95% CI -250.77~-74.95)，TmP/GFR升高1.22 mg/dl (95% CI 0.70~1.74)，儿童青少年获益更显著。治疗未增加肾钙质沉着症风险，抗体产生率低，耐受性良好。

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](#) 荟萃分析.pdf

试验类型8 真实世界数据

试验对照药品 口服磷酸盐及活性维生素D

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

相较于传统治疗单抗治疗1年后成人XLH患者血磷较基线升高0.78 mg/dL，PTH降低13.82 pg/mL (Pi/D组升高11.79 pg/mL, $p=0.006$)。骨关节炎指数中疼痛评分、物理功能评分及总分改善显著，计时起立-行走测试时间缩短1.19秒 ($p=0.011$)。65.6%患者血磷达正标，显著高于Pi/D组的29.9% ($p=0.008$)。安全性与既往研究一致。

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](#) 8真实世界研究.pdf

试验类型9 真实世界数据

试验对照药品 未接受布罗索尤单抗治疗者（大部分为口服磷酸盐及活性维生素D，小部分可能未接受治疗）

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

相较于未接受布罗索尤单抗治疗者，单抗组儿童身高Z评分额外增加0.085/年 ($P\leq 0.0001$)，青少年额外增加0.121/年 ($P\leq 0.0001$)；绝对身高分别多增长0.31 cm/年 ($P=0.0007$) 与1.35 cm/年 ($P\leq 0.0001$)。模型预测患儿2-17岁全程单抗治疗可使男性终身增高增加约10 cm、女性约8 cm。

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真实世界研究.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10	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	经布罗索尤单抗治疗中位2.2年后，iPTH较基线显著降低 ($p<0.05$)，治疗后中位iPTH z值为1.12 ($p<0.001$)，24.3%患者存在继发性甲状旁腺功能亢进 (iPTH>2.0 z-score)。与转换为单抗治疗组相比，初治使用布罗索尤单抗治疗组iPTH水平更低 (z-score 0.28 vs 1.13)，提示早期干预有助于改善甲状旁腺功能趋势 ($p=0.11$)。
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 10真实世界研究.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	2024年出版的《低磷佝偻病/骨软化症诊疗实践指南》建议将布罗索尤单抗作为1岁或以上XLH儿童以及具有严重骨异常放射学证据的青少年一线治疗。对于伴有明显骨软化症、假骨折、对传统治疗无效或不耐受的成人XLH患者建议将布罗索尤单抗作为优选治疗。对于无法根治性切除或定位的TIO成人患者建议布罗索尤单抗作为首选治疗。
----------------	---

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低磷性佝偻病骨软化症诊疗实践指南.pdf
--	--

临床指南/诊疗规范推荐情况2	2025年欧洲出版的《X连锁低磷性佝偻病的诊断与管理临床实践指南》指出对合并相关症状的XLH患儿，布罗索尤单抗是目前推荐的一线治疗，该疗法可使大部分患者的磷酸盐稳态恢复正常并促进佝偻病痊愈。一旦确诊X连锁低磷性佝偻病 (XLH) 且存在佝偻病体征 (包括腿部畸形、总碱性磷酸酶 (ALP) 水平升高和/或佝偻病影像学证据)，应尽早使用布罗索尤单抗治疗 (B级推荐，中等强度推荐)。
----------------	--

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 2025X连锁低磷性佝偻病的诊断与管理临床实践推荐意见整合.pdf
--	--

临床指南/诊疗规范推荐情况3	2021年中国出版《Consensus on clinical management of tumor-induced osteomalacia》指出在条件允许的情况下，布罗索尤单抗或活性维生素D合并磷酸盐用药应作为首选药物。布罗索尤单抗是近期最有前途的药物。
----------------	--

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	↓ 下载文件 3肿瘤性骨软化症的临床管理共识.pdf
--	--

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

2024年出版的《低磷佝偻病/骨软化症诊疗实践指南》建议将布罗索尤单抗作为1岁或以上XLH儿童以及具有严重骨异常放射学证据的青少年一线治疗。对于伴有明显骨软化症、假骨折、对传统治疗无效或不耐受的成人XLH患者建议将布罗索尤单抗作为优选治疗。对于无法根治性切除或定位的TIO成人患者建议布罗索尤单抗作为首选治疗。

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低磷性佝偻病骨软化症诊疗实践指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

2025年欧洲出版的《X连锁低磷性佝偻病的诊断与管理临床实践指南》指出对合并相关症状的XLH患儿，布罗索尤单抗是目前推荐的一线治疗，该疗法可使大部分患者的磷酸盐稳态恢复正常并促进佝偻病痊愈。一旦确诊X连锁低磷性佝偻病(XLH)且存在佝偻病体征(包括腿部畸形、总碱性磷酸酶(ALP)水平升高和/或佝偻病影像学证据)，应尽早使用布罗索尤单抗治疗(B级推荐，中等强度推荐)。

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

2025X连锁低磷性佝偻病的诊断与管理临床实践推荐意见整合.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

2021年中国出版《Consensus on clinical management of tumor-induced osteomalacia》指出在条件允许的情况下，布罗索尤单抗或活性维生素D合并磷酸盐用药应作为首选药物。布罗索尤单抗是近期最有前途的药物。

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)

↓ 下载文件

3肿瘤性骨软化症的临床管理共识.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

1、认可UX023-CL303研究和UX023-CL301研究评价指标的选择和分析方法，审评复核结果与申请人一致。不管是在总体人群还是亚洲人群中，以上两项研究均可认为布罗索尤单抗注射液优于安慰剂或阳性对照药。在以成人XLH患者为研究对象的安慰剂对照试验，以儿童XLH患者为研究对象的现有疗法的对照试验的结果表明，XLH患者给予KRN23可获得使血磷浓度升高并持续改善磷稳态、改善佝偻病/骨软化症的骨骼临床症状、改善儿童患者的生长发育、改善QOL和运动机能等益处。2.在针对成人TIO患者的研究中，亚洲人群与非亚洲人群之间的PK/PD、疗效和安全性特征无临床显著差异。在两项TIO关键性临床研究中，布罗索尤单抗治疗导致血磷随时间一致性增加且具有可比性。在FGF23抑制的其他药理学指标中也观察到一致的治疗效果，例如TmP/GFR和维生素D水平升高。显然，这两个人群的基线疾病都是TIO人群的典型基线疾病，包括磷酸盐重吸收受损、低磷血症和1,25(OH)₂D合成减少。虽然两项研究缺乏对照组，但这些关键生化疾病参数随时间推移较基线的一致改善证实了布罗索尤单抗对TIO中磷酸盐体内稳态的明确治疗获益。

《技术审评报告》原文(可节选)

↓ 下载文件

布罗索尤单抗注射液申请上市技术审评报告.pdf

国家药监局药品审评中心《技术

1、认可UX023-CL303研究和UX023-CL301研究评价指标的选择和分析方法，审评复核结果与申请人一致。不管是在总体

审评报告》中关于本药品有效性的描述	人群还是亚洲人群中，以上两项研究均可认为布罗索尤单抗注射液优于安慰剂或阳性对照药。在以成人XLH患者为研究对象的安慰剂对照试验，以儿童XLH患者为研究对象的现有疗法的对照试验的结果表明，XLH患者给予KRN23可获得使血磷浓度升高并持续改善磷稳态、改善佝偻病/骨软化症的骨骼临床症状、改善儿童患者的生长发育、改善QOL和运动机能等益处。2.在针对成人TIO患者的研究中，亚洲人群与非亚洲人群之间的PK/PD、疗效和安全性特征无临床显著差异。在两项TIO关键性临床研究中，布罗索尤单抗治疗导致血磷随时间一致性增加且具有可比性。在FGF23抑制的其他药效学指标中也观察到一致的治疗效果，例如TmP/GFR和维生素D水平升高。显然，这两个人群的基线疾病都是TIO人群的典型基线疾病，包括磷酸盐重吸收受损、低磷血症和1,25(OH)2D合成减少。虽然两项研究缺乏对照组，但这些关键生化疾病参数随时间推移较基线的一致改善证实了布罗索尤单抗对TIO中磷酸盐体内稳态的明确治疗获益。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 布罗索尤单抗注射液申请上市技术审评报告.pdf

三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	临床试验中最常见不良反应为头痛及注射部位反应，注射部位反应的严重程度通常为轻度，无需治疗，且所有病例均消退。对本品活性成分或任何辅料过敏的患者禁用，如果发生严重超敏反应则停止使用本品，并给予适当的治疗。禁忌与口服磷酸盐、活性维生素D类似物（如骨化三醇、帕立骨化醇、度骨化醇、骨化二醇）合并给药。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	临床试验中最常见不良反应为头痛及注射部位反应。注射部位反应的严重程度通常为轻度，无需治疗，且所有病例均消退。2025年FDA及EMA说明书更新对于存在高钙血症风险的患者（主要是成人患者；如既存三发性甲状旁腺功能亢进、长期制动、脱水、维生素D中毒或肾功能损害者），应在启动磷平治疗前评估血清钙及甲状旁腺激素水平。
相关报导文献	↓ 下载文件 安全性文件整合.pdf

四、创新性信息

创新程度	布罗索尤单抗系全球首个且唯一获批的FGF23靶向全人源化单克隆抗体，通过抑制FGF23下游信号通路，从致病机理层面实现对XLH和TIO的对因治疗，填补了该领域靶向治疗空白。半衰期约19天。儿童2周、成人4周给药，有效维持磷稳态，促进儿童及青少年身高增长和下肢畸形改善。已获国家发明专利。FDA和EMA分别授予孤儿药资格。FDA批准的首个用于XLH和TIO的突破性疗法。被列入第二批临床急需境外新药名单
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新性.pdf
应用创新	布罗索尤单抗半衰期约19天，儿童2周、成人4周给药，可有效维持患者磷稳态。相较于传统治疗有效减少用药次数，提高用药依从性。针对口服磷酸盐+活性维生素D疗效不佳、出现严重肾钙质沉着症、持续胃肠道不适、腹泻、甲状旁腺功能亢进或高钙血症等不良反应，以及无法坚持传统治疗或存在持续性矮身材的患者，共识建议转换为布罗索尤单抗治疗显著扩展了临床适用人群。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 布罗索尤单抗注射液说明书.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	XLH多以儿童患者为主，慢性低磷患儿可出现生长发育迟缓、下肢畸形且疾病严重程度随年龄增长而递增。致残致畸率高(约40%患者需要辅具帮助行走)，严重影响生活质量。TIO多发与成年，60.4%的TIO患者合并椎体畸形，84.6%的TIO患者发生过病理性骨折。布罗索尤单抗长期使用改善患儿下肢畸形，保障患儿正常回归社会。
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	本品为弥补目录空白的原研新药物，商保目录内无同类适应症药品 布罗索尤单抗疗效优异、耐受性良好、长期管理方便，可弥补目前临床药物治疗上的不足
临床管理难度	布罗索尤单抗说明书中的适应症标明针对儿童/成人XLH和成人TIO，其诊断方法明确，在医疗专业人员指导下用药，无

临床滥用风险。XLH和TIO为罕见病，患者人数少，且诊疗集中于三甲医院，患者人数相对可控。