

编码：YPSW202600616

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：琥珀酸思普可泮片

企业名称：四川海思科制药有限公司

申报信息

申报时间	2026-06-10 19:55:05	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）	琥珀酸思普可洋片	商品名	优可盼
医保药品分类与代码	-	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	化药1类		
核心专利类型1	一种苯并氮杂芳环衍生物及其在医药上的应用（实审中）	核心专利权期限届满日1	2042-08
核心专利类型2	一种苯并氮杂芳环衍生物的盐、晶型及其在医药上的应用（实审中）	核心专利权期限届满日2	2044-02
核心专利类型3	一种苯并氮杂芳环衍生物的药物组合物及其在医药上的应用（实审中）	核心专利权期限届满日3	2044-02
核心专利类型1	一种苯并氮杂芳环衍生物及其在医药上的应用（实审中）	核心专利权期限届满日1	2042-08
核心专利类型2	一种苯并氮杂芳环衍生物的盐、晶型及其在医药上的应用（实审中）	核心专利权期限届满日2	2044-02
核心专利类型3	一种苯并氮杂芳环衍生物的药物组合物及其在医药上的应用（实审中）	核心专利权期限届满日3	2044-02
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	100mg（按C26H27D3N2O3计）		
上市许可持有人（授权企业）	四川海思科制药有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于治疗既往未接受过补铁抑制剂治疗的阵发性睡眠性血红蛋白尿症（PNH）成人患者。		

说明书用法用量	推荐剂量为 200 mg，口服，每日一次。服用时间不受进食影响。如果漏服一剂或多剂本品，建议患者应尽快补服一剂，第二日起恢复常规用药方案。PNH 是一种需要长期治疗的疾病。除非有临床指征，否则不建议终止本品治疗（见【注意事项】）。		
所治疗疾病基本情况	①阵发性睡眠性血红蛋白尿症(PNH)是X染色体PIGA基因突变导致的后天获得性造血干细胞克隆性疾病，被纳入《第一批罕见病目录》。主要临床表现为血管内溶血、骨髓衰竭、高风险反复并发血栓形成等，致死率高，患者5年死亡率约28%，10年死亡率约50%，且并发症发生比例高，慢性贫血发生率100%，血栓事件44%，慢性肾病65%，肺动脉高压47%，患者生存率及生活质量亟待提高，产生灾难性家庭卫生支出患者比例高达83% ②根据牡丹江地区年发病率1.3-2.85/100万推算，我国每年新发PNH患者仅约2-4千人 ③目录内同类药品仅依库珠单抗和伊普可泮，仍存在疗效有限、依从性差、难以满足特殊人群用药等不足		
是否已获批上市	否，已于6月10日前完成技术审评		
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	2026-06
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	本品为我国首个且唯一每日口服一次补体B因子抑制剂，1类新药，填补重度肝功能不全患者目录内无合适补体B因子抑制剂的空白，肝功能不全患者用药更安全（伊普可泮重度肝功能不全患者不建议使用、依库珠单抗肝功能不全患者无数数据）目录内同类产品：1.C5抑制剂：依库珠单抗2018上市，静脉给药、无法抑制由上游C3介导的血管外溶血，相较该产品：本品①贫血控制更优：机制创新，从近端抑制补体级联反应，避免血管外溶血，中国3期头对头临床试验显示，本品血红蛋白达到 $\geq 120\text{g/L}$ 患者比例较依库珠提高约6倍②快速控制溶血：治疗1周即可观察到溶血控制和贫血改善③显著减少输血需求：中国3期试验显示，未输注红细胞的患者比例显著更高④依从性更好：本品每日口服一次，显著提升用药便利性与依从性，降低因注射导致的医疗资源消耗和医疗成本⑤严重不良反应发生率更低 2.补体B因子抑制剂：伊普可泮2024上市，相较该产品，本品①结构独特，对血清介导红细胞溶血的抑制活性更强，生物利用度更高②每日口服一次，依从性更好，有效降低漏服及突破性溶血风险③严重不良反应发生率更低 目录外：相较兰诺可泮每日两次，本品每日口服一次，依从性更好		
企业承诺书	↓ 下载文件 思普可泮企业承诺书.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 思普可泮药品说明书.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 思普可泮技术审评证明截图.png		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 琥珀酸思普可泮片-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 琥珀酸思普可泮片-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
依库珠单抗注射液	是	300mg/30mL	2518	成人患者 (≥18岁) 的PNH给药方案包含一个4周起始期及随后的维持期：起始期：前4周每周一次静脉 (IV) 输注600mg本品，在25-45分钟内输注完毕。维持期：第5周IV输注900mg本品，在25-45分钟内输注完毕。后续每14±2天IV输注900mg本品，在25-45分钟内输注完毕。	年度费用	208994	-

参照药品选择理由：①依库珠单抗注射液为目录内同适应症药品，临床应用最广、市场份额最大 ②思普可洋片中国III期临床试验以依库珠单抗注射液为对照药 ③作为国际公认的PNH临床一线治疗药物，获权威指南一致推荐

其他情况请说明：一、不选伊普可洋作为参照药的理由：1.伊普可洋非同治疗领域临床应用最广泛的目录内药品。2.暂无头对头临床证据，无法评估两者临床价值。二、患者人群规模说明：思普可洋适应症患者人群规模远小于依库珠单抗和伊普可洋。思普可洋获批PNH初治，依库珠单抗为PNH初治+经治、aHUS等，伊普可洋为PNH初治+经治、C3G等。

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	依库珠单抗注射液
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	中国3期头对头临床研究显示：①本品第18-24周，血红蛋白达到≥120g/L患者比例显著优于依库珠(59.5%vs8.3%，p<0.0001) ②第18-24周，血红蛋白升高≥20g/L患者比例显著提高 (91.9%vs55.6%，p<0.0001) ③脱离输血患者比例更高：治疗2周后，本品较依库珠有更多受试者脱离输血 (94.6%vs69.4%，p=0.0109)
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 思普可洋临床试验.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	依库珠单抗注射液

试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	中国3期头对头临床研究显示：①本品第18-24周，血红蛋白达到 $\geq 120\text{g/L}$ 患者比例显著优于依库珠(59.5%vs8.3%， $p<0.0001$) ②第18-24周，血红蛋白升高 $\geq 20\text{g/L}$ 患者比例显著提高(91.9%vs55.6%， $p<0.0001$) ③脱离输血患者比例更高：治疗2周后，本品较依库珠有更多受试者脱离输血(94.6%vs69.4%， $p=0.0109$)
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 思普可泮临床试验.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《阵发性睡眠性血红蛋白尿症诊断与治疗中国指南（2024年版）》经典型PNH一线治疗为补体抑制剂，可选择依库珠单抗、可伐利单抗、B因子抑制剂。
----------------	--

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 阵发性睡眠性血红蛋白尿症诊断与治疗中国指南2024.pdf
---	--

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《阵发性睡眠性血红蛋白尿症诊断与治疗中国指南（2024年版）》经典型PNH一线治疗为补体抑制剂，可选择依库珠单抗、可伐利单抗、B因子抑制剂。
----------------	--

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 阵发性睡眠性血红蛋白尿症诊断与治疗中国指南2024.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	暂未获得《技术审评报告》
《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	暂未获得《技术审评报告》
《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	①本品安全耐受性良好：本品安全性数据来源于III期试验，最常报告的不良反应为头痛（18.9%），主要发生在给药初期，发生率 $>5\%$ 的不良反应包括头痛低于依库珠单抗（18.9%vs30.6%），III期临床试验显示本品总不良反应发生率低于依库珠单抗（45.9%vs77.8%）。②特殊人群用药适用：老年患者、肝功能不全患者，轻度或中度肾功能不全患者无需调
---------------	--

整剂量。③药物相互作用风险低：主要经CYP2C8代谢，与CYP2C8抑制剂合用（吉非罗齐），无需调整剂量。与CYP2C8诱导剂（如利福平）合用，应监测疗效，疗效显著降低时停用诱导剂。④禁忌：对本品任何成分过敏者禁用；未接种脑膜炎球菌和肺炎链球菌疫苗者禁用（除非延迟治疗风险大于严重荚膜细菌感染风险）；未缓解的荚膜细菌（肺炎链球菌、脑膜炎球菌、B型流感嗜血杆菌）严重感染者。

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

-

相关报导文献

↓ 下载文件

思普可洋说明书收录的安全性信息.pdf

四、创新性信息

创新程度

①我国首个且唯一即将上市的每日口服一次补体B因子抑制剂，1类新药，获CDE优先审评审批。②思普可洋相比依库珠单抗机制创新，从C3近端抑制补体级联反应，更全面控制血管内外溶血，依库珠单抗仅抑制C5末端，无法抑制上游C3介导的血管外溶血。③思普可洋相比伊普可洋结构独特，对血清介导红细胞溶血的抑制活性更强，口服生物利用度更高，实现一天一次，稳控溶血，显著提升患者用药便利性与依从性。

创新性证明文件

↓ 下载文件

思普可洋创新性证明文件.pdf

应用创新

①依从性更好：每日口服一次，突破现有补体抑制剂频繁注射或每日两次口服局限，降低漏服后突破性溶血风险②特殊人群用药安全：填补重度肝功能不全患者目录内无合适补体B因子抑制剂的空白（目录内同类产品不建议使用或无数据），老年、肝功能不全、轻中度肾功能不全患者均无需调整剂量③药物相互作用风险低：本品与强效CYP2C8抑制剂联合使用时无需调整剂量（目录内同类产品尚不明确或不建议联合使用CYP2C8抑制剂）

应用创新证明文件

↓ 下载文件

思普可洋应用创新证明.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

①PNH已纳入《第一批罕见病目录》，思普可洋契合“健康中国2030”完善罕见病用药保障政策方向。②PNH多发于青壮年、死亡风险高、负担沉重，83.3%患者发生灾难性卫生支出，46.7%患者年直接医疗费用超过家庭年收入。③思普可洋血红蛋白 $\geq 120\text{g/L}$ 患者比例显著优于依库珠单抗、减少输血依赖，改善生活质量与长期生存率，降低疾病负担。

符合“保基本”原则（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）

①PNH治疗药物已纳入基本医保目录，思普可洋纳入医保目录不额外增加医保基金支出，且较目录内同类产品（依库珠单抗、伊普可洋）患者人群更小。②我国血资源紧张，思普可洋可有效减少输血依赖及因PNH并发症所导致的医疗资源消耗，从而节约医保基金。③罕见病用药断供风险高，思普可洋为国内生产，供应保障稳定。

弥补目录短板

①目录内同类药品仅依库珠单抗和伊普可洋，仍存在疗效不佳、依从性差、难以满足特殊人群用药等不足。②思普可洋相比依库珠单抗和伊普可洋，填补重度肝功能不全患者目录内无合适补体抑制剂的治疗空白。③提高患者依从性：每日口服一次给药，提升患者用药便利性与依从性。

临床管理难度

①思普可洋适应症明确，用法用量清晰，适应症对疾病阶段（未接受过补体抑制剂治疗）和目标人群（PNH患者）界定严格，医保经办审核路径清晰，无临床滥用及超说明书用药风险。②思普可洋为口服制剂，运输、贮存和使用便利，无需复杂静脉配液及临床输注操作，可降低因注射导致的医疗资源消耗和医疗成本，临床管理难度低。