

2023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：利司扑兰口服溶液用散

企业名称：上海罗氏制药有限公司

申报信息

申报时间	2023-07-14 15:10:57	药品目录	药品目录内
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2023年12月31日协议到期，且不申请调整医保支付范围的谈判药品。
- 2.2018年1月1日至2023年6月30日期间，经国家药监部门批准，适应症或功能主治发生重大变化，申请调整医保支付范围的药品。
- 3.2023年12月31日协议到期，适应症或功能主治未发生重大变化，因适应症或功能主治与医保支付范围不一致，主动申请调整支付范围的谈判药品。

药品通用名称（中文、含剂型）	利司扑兰口服溶液用散	药品类别	西药
药品注册分类	化学药品1类		
是否为独家	是	目录类别	谈判药品
协议到期时间	2024年12月31日		
核心专利类型1	化合物专利（ZL201580027306.9）	核心专利权期限届满日1	2023-05
核心专利类型2	制剂专利（ZL201680066250.2）	核心专利权期限届满日2	2036-11
核心专利类型1	化合物专利（ZL201580027306.9）	核心专利权期限届满日1	2023-05
核心专利类型2	制剂专利（ZL201680066250.2）	核心专利权期限届满日2	2036-11
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	每瓶含利司扑兰60mg		
上市许可持有人（授权企业）	F. Hoffmann-La Roche Ltd		
说明书全部适应症/功能主治	适用于治疗 16日龄及以上患者的脊髓性肌萎缩症（SMA）		
现行医保目录的医保支付范围	限2月龄及以上患者的脊髓性肌萎缩症(SMA)		
所治疗疾病基本情况	①SMA是中国第一批罕见病目录品种，16日龄至<2月龄SMA人群占比极小 ②发病年龄越早疾病越重，中位生存期约10个月，位居2岁以下儿童致死性遗传病的首位 ③早期治疗是关键，在出现永久性神经元丢失之前需及时药物干预，不仅可以挽救生命，也有助于运动能力恢复 ④鞘内注射通常需麻醉镇静，小月龄婴儿存在一定风险和难度。亟需更安全、更便捷、无创的治疗药物，减轻治疗痛苦，同时降低就医复杂度		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	诺西那生钠注射液是SMA治疗领域的目录内该年龄段唯一治疗药物，于2019年2月在中国上市，2021年进入医保。1类新药利司扑兰口服溶液用散作为全球首个靶向RNA小分子疾病修正治疗药物，弥补小月龄婴儿SMA临床未满足需求，让患儿尽早获益：①小月龄婴儿尚在发育中，口服更适用，实现居家治疗，依从性好，减轻治疗痛苦，同时降低就医复杂度 ②作为小分子药物，可穿透血脑屏障，实现中枢和外周全身分布，获得更大临床获益 ③全新升级，配制后的溶液可在40℃以下避光保存累计不超过5天；无需住院鞘注治疗，节约医疗资源和患儿直接/间接医疗成本		
企业承诺书	↓ 下载文件	1-1企业承诺书.pdf	
药品修改前法定说明书	↓ 下载文件	1-2药品修改前法定说明书_利司扑兰.pdf	
药品修改后法定说明书	↓ 下载文件	1-3药品修改后法定说明书_利司扑兰.pdf	
最新版《药品注册证书》（国产			

药品)或《进口药品注册证》(进口药品)。如首次上市版本和最新版不同,请分别提供	↓ 下载文件 1-4药品注册证_利司扑兰.pdf
申报药品摘要幻灯片(含经济性/价格费用信息)	↓ 下载文件 利司扑兰口服溶液用散【PPT1】.pptx
申报药品摘要幻灯片(不含经济性/价格费用信息)将要同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 利司扑兰口服溶液用散【PPT2】.pdf

新增适应症或功能主治	获批时间	用法用量
16日龄至 < 2月龄患者的SMA	2023-06-13	口服。每日一次,推荐剂量取决于年龄和体重,具体如下: 16日龄- < 2月龄: 0.15mg/kg

新增适应症或功能主治参照药品

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、罕见病用药统一按365天用药计算年费用。
(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60公斤,体表面积1.6m²。

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 ①	疗程/周期	金额(元)
诺西那生钠注射液	是	12mg	33180	推荐剂量为每次12mg (5ml)。诊断后应尽早开始本品治疗,于第0天、第14天、第28天、第63天给予4次负荷剂量,此后每4个月给予一次维持剂量	疗程费用	45天	99,540

参照药品选择理由:诺西那生钠注射液是SMA治疗领域的目录内该年龄段唯一治疗药物:①医保目录内;②同为疾病修正治疗药物

其他情况请说明:16日-2月龄SMA患者若使用诺西那生钠注射液,45天期间共需给予3次负荷剂量,因此疗费用计算为33180*3=99540元

联系人信息

联系人	罗丹	联系电话	18501725391
-----	----	------	-------------

三、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	获批前

本次新增的适应症或功能主治	16日龄至 < 2月龄患者的SMA
对主要临床结局指标改善情况	RAINBOWFISH研究（开放性、单臂、多中心）中期结果显示，18例症状前入组患者中，6例有2或3个SMN2拷贝数的患者，第12个月时达到以下HINE-2测定的运动里程碑：6例（100%）实现坐立（5例可以转身/转动，1例能够稳坐）；4例（67%）实现站立（3例能够无支撑站立，1例能够支撑站立），3例（50%）能够独立行走。所有6例在12个月时均存活且无需永久通气
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）	↓ 下载文件 3-1RAINBOWFISH研究_利司扑兰.pdf
试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	16日龄至 < 2月龄患者的SMA
对主要临床结局指标改善情况	RAINBOWFISH研究（开放性、单臂、多中心）中期结果显示，18例症状前入组患者中，6例有2或3个SMN2拷贝数的患者，第12个月时达到以下HINE-2测定的运动里程碑：6例（100%）实现坐立（5例可以转身/转动，1例能够稳坐）；4例（67%）实现站立（3例能够无支撑站立，1例能够支撑站立），3例（50%）能够独立行走。所有6例在12个月时均存活且无需永久通气
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）	↓ 下载文件 3-1RAINBOWFISH研究_利司扑兰.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	中国《脊髓性肌萎缩症临床实践指南（2023）》：Risdiplam 治疗1型 SMA 后≥12个月至少 6/7 得以生存；Risdiplam 治疗1型 SMA 后≥12个月至少 4/5 还可无事件生存；治疗1型 SMA 12个月后运动功能有改善；治疗24个月后也能维持或改善（1D）
本次新增的适应症或功能主治	16日龄至 < 2月龄患者的SMA
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	↓ 下载文件 3-2-1脊髓性肌萎缩症临床实践指南_利司扑兰.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	中国《脊髓性肌萎缩症呼吸管理专家共识（2022）》：利司扑兰是目前全球首个用于治疗SMA的口服小分子化合物，可穿过血脑屏障分布于中枢和外周
本次新增的适应症或功能主治	16日龄至 < 2月龄患者的SMA
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	↓ 下载文件 3-2-2SMA呼吸管理专家共识_利司扑兰.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	中国《脊髓性肌萎缩症临床实践指南（2023）》：Risdiplam 治疗1型 SMA 后≥12个月至少 6/7 得以生存；Risdiplam 治疗1型 SMA 后≥12个月至少 4/5 还可无事件生存；治疗1型 SMA 12个月后运动功能有改善；治疗24个月后也能维持或改善（1D）
本次新增的适应症或功能主治	16日龄至 < 2月龄患者的SMA
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	↓ 下载文件 3-2-1脊髓性肌萎缩症临床实践指南_利司扑兰.pdf

资料须同时提供原文及中文翻译件)	
临床指南/诊疗规范推荐情况2	中国《脊髓性肌萎缩症呼吸管理专家共识(2022)》:利司扑兰是目前全球首个用于治疗SMA的口服小分子化合物,可穿过血脑屏障分布于中枢和外周
本次新增的适应症或功能主治	16日龄至<2月龄患者的SMA
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节(外文资料须同时提供原文及中文翻译件)	↓ 下载文件 3-2-2SMA呼吸管理专家共识_利司扑兰.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	新适应症获批不久,暂时没有公开的《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	新适应症获批不久,暂时没有公开的《技术审评报告》
《技术审评报告》原文(可节选)	-



四、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	临床试验表明利司扑兰具有良好的安全性:至今无利司扑兰治疗相关导致退出研究的安全性发现。与其治疗相关的不良反应(ADR)通常为轻中度,无需中断治疗即可缓解。利司扑兰的安全性特征基于两项临床试验,常见不良反应为:腹泻、恶心、口腔溃疡和阿弗他溃疡、皮疹、头痛、发热、尿路感染、关节痛。婴儿型SMA和迟发型SMA患者人群之间的不良事件特征差异可能归因于相应年龄组中常见的疾病和状况。利司扑兰在广泛SMA患者中长期安全性好
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	全球已有超过9000例患者接受利司扑兰治疗,定期对全球安全数据库的信号探测和安全性分析显示利司扑兰在已批准适应症中的获益-风险特征仍然有利。各国家或地区药监部门5年内未发布任何影响安全性的警告、黑框警告或撤市信息
相关报导文献	-

五、创新性信息

创新程度	①全球首个靶向RNA的小分子SMA疾病修正治疗药物,可穿透血脑屏障,有效提高全身功能性SMN蛋白水平,患者全面获益,避免腰椎穿刺术相关并发症等不良反应发生的风险 ②适应症人群由“2月龄及以上”扩展至“16日龄及以上”,可将治疗窗口进一步前移,满足低龄新生儿SMA患者的迫切临床需求 ③我国注册分类为化学药品新注册分类1,专利期到2035年 ④纳入FDA/EMA/NMPA优先审评且实现全球同步上市
创新性证明文件	↓ 下载文件 5-1创新性支持文件_利司扑兰.pdf
应用创新	①适用于特殊人群:小月龄婴儿尚在发育中,口服更适用,治疗简单无痛苦,提高照护者满意度 ②更便捷,依从性高:口服帮助患儿实现居家治疗,患儿依从性好 ③降低贮存转运和使用成本:贮藏方式全新升级,配制后的溶液可在40°C以下避光保存累计不超过5天,进一步提升药物使用的经济性和贮存运输的便捷性。无需住院鞘注治疗,节约医疗资源和患儿直接/间接医疗成本
应用创新证明文件	↓ 下载文件 5-2应用创新支持文件_利司扑兰.pdf
传承性(仅中成药填写)	-

六、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	①SMA为致死致残严重罕见病，>85%患儿在婴幼儿期发病。对于SMA患者尤其是儿童的医保投入，将为其改善生命质量、延长生命提供希望，能够让患者及家庭正常融入社会并创造价值，社会效应更高
符合“保基本”原则描述	①发病年龄越早疾病越重，越早有效治疗，预后越好，2月龄以下患儿亟需更安全、更便捷、无创的治疗药物，减轻患儿治疗痛苦，同时降低就医复杂度 ②2月龄以上SMA适应症通过2022年谈判降价纳入医保，进一步提高可负担性。16日龄至<2月龄SMA患者人群占比极小，此次新增适应症，纳入后保障这部分儿童用药公平性，进一步提高儿童基本医疗保障水平
弥补目录短板描述	①补短板：小月龄婴儿尚在发育中，口服更适用，利司扑兰提供更优的治疗方案，优化患者的选择，更好地满足临床实际用药需求 ②口服居家治疗难度低、可提高药物可及，让患儿及照护者更有获得感
临床管理难度描述	①SMA诊断明确，利司扑兰精准靶向SMA致病基因，人群明确，由医疗卫生专业人士配置后分发居家使用，无临床滥用风险 ②诊断基于基因检测结果，适应症明确，便于医保经办机构审核执行 ③患者诊疗较为集中，在核心三甲医院，便于实行定点管理或双通道管理，有助于医保基金精准管理



中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY