

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：乙磺酸尼达尼布软胶囊

企业名称：石药集团恩必普药业有限
公司

申报信息

申报时间	2023-07-14 16:05:28	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）	乙磺酸尼达尼布软胶囊	药品类别	西药
药品注册分类	化学药品4类		
是否为独家	否	目录类别	常规药品
核心专利类型1	一种乙磺酸尼达尼布的制备方法	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型1	一种乙磺酸尼达尼布的制备方法	核心专利权期限届满日1	-
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	按C31H33N5O4计算（1）100mg（2）150 mg。		
上市许可持有人（授权企业）	石药集团恩必普药业有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	①用于特发性肺纤维化（IPF）。（IPF适应症为原研专利保护内，石药尚未获批。）②用于系统性硬化病相关间质性肺疾病（SSc-ILD）。③用于具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病。		
现行医保目录的医保支付范围	限特发性肺纤维化(IPF)或系统性硬化病相关间质性肺疾病(SSc-ILD)患者。		
所治疗疾病基本情况	发病机制：反复的慢性上皮或血管损伤导致细胞破坏和不受控制的修复，从而导致自身持续性的肺纤维化。症状：以进行性肺纤维化，呼吸道症状恶化，肺功能下降为特征，是一种进行性、不可逆的具有严重致残性、致命性的肺部疾病。发病率：临床患病率估值为2/10000，ILDs患者通常在症状出现9-12个月后才确诊PF-ILD，确诊后患者平均生存时间为30-45个月。		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	临床常用抗纤维化药物为尼达尼布和吡非尼酮，吡非尼酮2013年上市，吡非尼酮的作用机制尚不完全清楚。说明书适应症为用于轻、中度特发性肺间质纤维化，医保限特发性肺纤维化。尼达尼布2017年9月在中国获批，尼达尼布是一种小分子酪氨酸激酶抑制剂，具有抗纤维化和抗炎活性，作用机制更为明确。其靶向是参与纤维化的受体酪氨酸激酶，包括PDGF、FGF、VEGF和TGF-β，以及参与炎症和增殖的非受体激酶(Src家族激酶)，以及巨噬细胞的激活和极化(集落刺激因子-1)；还可以抑制血管细胞的增殖并调节成纤维细胞的活性。说明书适应症为本品用于治疗特发性肺纤维化（IPF）、系统性硬化病相关间质性肺疾病（SSc-ILD）、具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病（PF-ILD）。医保限特发性肺纤维化（IPF）或系统性硬化病相关间质性肺疾病（SSc-ILD）患者。尼达尼布适应症更为广泛，并且是PF-ILD、SSc-ILD唯一获批的抗纤维化药物，可填补医疗保障空白。		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf		
药品修改前法定说明书	↓ 下载文件 尼达尼布适应症修改前说明书.pdf		
药品修改后法定说明书	↓ 下载文件 尼达尼布适应症修改后说明书.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	↓ 下载文件 尼达尼布注册证书.pdf		

和最新版不同，请分别提供

申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）

↓ 下载文件 乙磺酸尼达尼布软胶囊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 乙磺酸尼达尼布软胶囊PPT2.pptx

新增适应症或功能主治	获批时间	用法用量
用于具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病。	2020-12-15	应该由具有诊断和治疗本品适应症经验的医师启动本品的治疗。在开始本品治疗前，进行肝功能检查和妊娠试验。本品推荐剂量为每次 150mg，每日两次，给药间隔大约为12小时。本品应与食物同服，用水送服整粒胶囊。本品有苦味，不得咀嚼或碾碎服用。尚不清楚咀嚼或碾碎胶囊对尼达尼布药代动力学的影响。如果漏服了一个剂量的药物，应在下一个计划服药时间点继续服用推荐剂量的药物，不应补服漏服的剂量。不应超过推荐的每日最大剂量300mg。有轻度肝损伤的患者慎用，推荐尼达尼布剂量为100mg，每日两次，相隔约12小时，并与食物同服。

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）
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：目前已上市品种，除尼达尼布外，无正式获批治疗用于具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病（PF-ILD）的药物，尼达尼布是唯一获批PF-ILD的抗纤维化药物。

其他情况请说明：-

联系人信息

联系人	刘晓鑫	联系电话	18333159527
-----	-----	------	-------------

三、有效性信息

试验类型1	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	用于具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病。

对主要临床结局指标改善情况	INBUILD研究是首个针对不同类型PF-ILD患者的大型临床试验，结果显示：在整体人群中，治疗52周，安慰剂组下降187.8mL/年，尼达尼布组下降80.8mL/年，尼达尼布延缓PF-ILD患者FVC下降，年FVC下降量减少57%。急性加重或死亡风险降低33%。
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 INBUILD试验尼达尼布在进展性间质性肺病中的应用.pdf
试验类型1	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	用于具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病。
对主要临床结局指标改善情况	INBUILD研究是首个针对不同类型PF-ILD患者的大型临床试验，结果显示：在整体人群中，治疗52周，安慰剂组下降187.8mL/年，尼达尼布组下降80.8mL/年，尼达尼布延缓PF-ILD患者FVC下降，年FVC下降量减少57%。急性加重或死亡风险降低33%。
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 INBUILD试验尼达尼布在进展性间质性肺病中的应用.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	2022年ATS联合ERS、JRS、ALAT共同发布的“成人IPF和进行性肺纤维化（PPF）管理指南”建议尼达尼布用于治疗除IPF以外的纤维化ILD标准治疗失败的进展性肺纤维化（PPF）患者。2023欧洲进行性肺纤维化专家共识：无论免疫抑制治疗结果如何，抗纤维化治疗都能减少肺功能下降。相比吡非尼酮，尼达尼布有更可靠的数据证明其的疗效。
本次新增的适应症或功能主治	用于具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病。
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 进行性肺纤维化相关指南尼达尼布相关推荐.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	2022年ATS联合ERS、JRS、ALAT共同发布的“成人IPF和进行性肺纤维化（PPF）管理指南”建议尼达尼布用于治疗除IPF以外的纤维化ILD标准治疗失败的进展性肺纤维化（PPF）患者。2023欧洲进行性肺纤维化专家共识：无论免疫抑制治疗结果如何，抗纤维化治疗都能减少肺功能下降。相比吡非尼酮，尼达尼布有更可靠的数据证明其的疗效。
本次新增的适应症或功能主治	用于具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病。
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 进行性肺纤维化相关指南尼达尼布相关推荐.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	“具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病”的Ⅲ期国际多中心临床试验：从整体试验结果看，通过1年期的给药，可明显减缓患者的肺功能恶化（差异106.96 mL/年），使首次ILD急性加重或死亡风险降低了32%，使死亡风险降低了30%。试验结果提示本品在明显抑制肺功能恶化的同时可以改善临床结局。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 乙磺酸尼达尼布软胶囊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	“具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病”的Ⅲ期国际多中心临床试验：从整体试验结果看，通过1年期的给药，可明显减缓患者的肺功能恶化（差异106.96 mL/年），使首次ILD急性加重或死亡风险降低了32%，使死亡风险降低了30%。试验结果提示本品在明显抑制肺功能恶化的同时可以改善临床结局。

四、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	不良反应：在临床试验中，与使用尼达尼布相关的最常见不良事件包括腹泻、恶心和呕吐、腹痛、食欲减退、体重下降和肝酶升高。特定不良反应的描述：腹泻是最常见的胃肠道事件。在大多数患者中，事件强度为轻度至中度。超过三分之二的患者腹泻的首次发生是在治疗的前三个月。大多数患者可以通过止泻治疗，降低剂量或中断治疗来控制该类事件。肝酶升高：肝酶的升高是可逆的，并且与具有临床表现的肝脏疾病没有关联。血小板减少症可能会发生，导致出血的严重病例已有报道。仔细观察患者，例如定期进行血液测试。如果观察到任何异常情况，应采取适当的措施，比如停止本品的治疗。用药禁忌：本品禁用于已知对尼达尼布、花生、大豆或任何本品辅料过敏的患者。妊娠期间禁用本品。药物相互作用：尼达尼布联合P-gp 强效抑制剂（例如，酮康唑或红霉素）给药可增加尼达尼布暴露量。尼达尼布是一种VEGFR抑制剂，可能会增加出血风险，应密切监测接受全剂量抗凝治疗的患者以防出血，必要时调整抗凝治疗。（详情查看药品说明书）
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	药品上市后，各国家或地区药监部门无安全性警告、黑框警告、撤市信息。
相关报导文献	↓ 下载文件 尼达尼布治疗进行性纤维化性间质性肺疾病.pdf

五、创新性信息

创新程度	创新的作用机制：尼达尼布是一种小分子酪氨酸激酶抑制剂（TKI）。通过阻断成纤维细胞生长因子FGF、血小板源生长因子PDGF和血管内皮生长因子VEGF受体酪氨酸激酶的磷酸化，即阻断受体介导的下游信号传导，从而抑制成纤维细胞的增殖、迁移和转化，起到抗纤维化、抗炎作用，从而减缓疾病进展。
创新性证明文件	↓ 下载文件 尼达尼布治疗特发性肺纤维化.pdf
应用创新	尼达尼布是唯一获批PF-ILD适应症的抗纤维化药物，解决临床针对此类患者人群无药可用的问题，填补医疗保障空白。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 结缔组织疾病CTD相关间质性肺病ILDs进行性纤维化机制.pdf
传承性（仅中成药填写）	-
传承性证明文件	-

六、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	进行性表型的慢性纤维化间质性肺疾病(PF-ILD)是一种进行性、不可逆的具有严重致残性、致命性的肺部疾病，临床急需能有效地管理疾病进程的药物。尼达尼布显著改善患者肺功能，降低首次急性加重或死亡风险。
符合“保基本”原则描述	2020年国谈降价66%，是2022年版国家基本医疗保险目录内“常规目录”药品，支付范围限IPF或SSc-ILD患者。PF-ILD患者人数少，对医保基金的影响有限；
弥补目录短板描述	尼达尼布唯一获批PF-ILD的抗纤维化药物，弥补目录短板，显著提升目录公平性。
临床管理难度描述	疾病诊断明确，支付范围与说明书保持一致，方便规范管理。不存在临床滥用或超说明书用药的可能，医保基金支出有限可控。