

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：艾曲泊帕乙醇胺片

企业名称：北京诺华制药有限公司

申报信息

申报时间	2023-07-14 16:15:59	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）	艾曲泊帕乙醇胺片	药品类别	西药
药品注册分类	化药5.1类		
是否为独家	是	目录类别	谈判药品
协议到期时间	2023年12月31日		
核心专利类型1	用途专利ZL200880012425.7	核心专利权期限届满日1	2028-02
核心专利类型1	用途专利ZL200880012425.7	核心专利权期限届满日1	2028-02
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	25mg, 50mg		
上市许可持有人（授权企业）	Novartis Pharma Schweiz AG		
说明书全部适应症/功能主治	1.免疫性血小板减少症：本品适用于既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的成人和6岁及以上儿童慢性免疫性（特发性）血小板减少症（ITP）患者，使血小板计数升高并减少或防止出血。本品仅用于因血小板减少和临床条件导致出血风险增加的ITP患者。 2.难治性重型再生障碍性贫血：本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者。		
现行医保目录的医保支付范围	限既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的成人和6岁及以上儿童慢性免疫性(特发性)血小板减少症(ITP)患者		
所治疗疾病基本情况	疾病特点：①ITP是自身免疫性出血性疾病，临床表现为血小板减少、皮肤黏膜出血等 ②再生障碍性贫血(AA)是一种骨髓造血衰竭综合征。临床主要表现为贫血、出血和感染等。仅使用支持疗法两年死亡率高达80% 流行病学：①ITP全人群患病率为20.3/10万人，约65%的患者为激素治疗不佳需进入二线治疗 ②重型AA（SAA）患病率约0.4/10万人，经免疫抑制治疗后35%为难治性患者，每年约1600人		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	①海曲泊帕乙醇胺片，中国上市时间2021年6月，获批适应症（成人ITP、成人SAA）均已纳入医保报销范围 ②注射用罗普司亭，中国上市时间2022年1月，获批适应症（成人ITP）已纳入医保报销范围 ③在ITP适应症中，对比海曲泊帕和罗普司亭，艾曲泊帕是唯一获批可用于儿童ITP的药物。在SAA适应症中，对比附条件获批的海曲泊帕，艾曲泊帕是唯一完全获批的难治性SAA治疗药物；艾曲泊帕疗效证据更完善，累计临床样本量更多（200例 vs. 55例）；具有延长患者无输血期临床数据，以及在肝肾功能损害患者中有临床数据和具体用药指导		
企业承诺书	↓ 下载文件 诺华-企业承诺书-杨磊-18513081979.pdf		
药品修改前法定说明书	↓ 下载文件 艾曲泊帕乙醇胺片_修改前版法定说明书_20220820更新.pdf		
药品修改后法定说明书	↓ 下载文件 艾曲泊帕乙醇胺片_最新版法定说明书_20230221更新.pdf		
最新版《药品注册证书》（国产药品）或《进口药品注册证》	↓ 下载文件 艾曲泊帕乙醇胺片_首次及历次更新药品注册批件_20230221更新.pdf		

(进口药品)。如首次上市版本和最新版不同,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 艾曲泊帕申报药品摘要幻灯片_含经济性信息-final0714.pdf
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 艾曲泊帕申报药品摘要幻灯片_不含经济性信息-final0714.pdf

新增适应症或功能主治	获批时间	用法用量
本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血(SAA)患者	2023-02-21	说明书用法用量:本品的建议起始剂量为25mg,每日一次。治疗开始后,必要时调整剂量使血小板计数达到并维持 $\geq 50 \times 10^9/L$,最高剂量不得超过每日150mg。在本品的治疗过程中,应定期监测临床血液学和肝功能检查以调整剂量。具体详见说明书 临床实际用法用量:根据临床医生调研,实际日用量为75mg,一年用药时长约120天

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 $0.8m^2$ 。
② 成人:18周岁及以上,体重60公斤,体表面积 $1.6m^2$ 。

参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价(元)	用法用量	费用类型	疗程/周期	金额(元)
海曲泊帕乙醇胺片	是	5mg	214.37	初始剂量为7.5mg/天,临床试验中,通常需要达到15mg/天时可发生血液学应答	日均费用	/	643.11

参照药品选择理由:①适应症一致,均适用于难治性SAA ②海曲泊帕临床使用广泛 ③医保目录内药品

其他情况请说明:-

联系人信息

联系人	杨磊	联系电话	18513081979
-----	----	------	-------------

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	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血(SAA)患者

对主要临床结局指标改善情况	在国际研究中，59%（23/39）的患者脱离了血小板输血依赖（28天未输注血小板），27%（10/37）的患者脱离了红细胞输血依赖（56天未输注红细胞）。无缓解者的最长血小板无输血期为27天（中位数）。缓解者的最长血小板无输血期为287天（中位数）。无缓解者的最长RBC无输血期为29天（中位数）。缓解者的最长RBC无输血期为266天（中位数）
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 3-1艾曲泊帕NIH单臂II期临床试验合并说明书截图-包含英文原件和中文翻译件.pdf
试验类型2	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	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者
对主要临床结局指标改善情况	在中国人群中，第26周应答率为70%；第26周80%的患者减少或脱离血小板输注，57%的患者减少或脱离红细胞输注
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 3-2艾曲泊帕中国人群II期研究-包含英文原件和中文翻译件.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	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者
对主要临床结局指标改善情况	在国际研究中，59%（23/39）的患者脱离了血小板输血依赖（28天未输注血小板），27%（10/37）的患者脱离了红细胞输血依赖（56天未输注红细胞）。无缓解者的最长血小板无输血期为27天（中位数）。缓解者的最长血小板无输血期为287天（中位数）。无缓解者的最长RBC无输血期为29天（中位数）。缓解者的最长RBC无输血期为266天（中位数）
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 3-1艾曲泊帕NIH单臂II期临床试验合并说明书截图-包含英文原件和中文翻译件.pdf
试验类型2	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	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者
对主要临床结局指标改善情况	在中国人群中，第26周应答率为70%；第26周80%的患者减少或脱离血小板输注，57%的患者减少或脱离红细胞输注
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 3-2艾曲泊帕中国人群II期研究-包含英文原件和中文翻译件.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《再生障碍性贫血诊断与治疗中国指南（2022年版）》推荐艾曲泊帕用于SAA的治疗

本次新增的适应症或功能主治	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者
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 2022再生障碍性贫血诊断与治疗中国指南-已高亮在原文.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2021《再生障碍性贫血中西医结合诊疗专家共识》推荐艾曲泊帕用于SAA的治疗
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者
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 2021再生障碍性贫血中西医结合诊疗专家共识-已高亮在原文.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	2015英国血液学标准委员会（BCSH）重型再生障碍性贫血指南推荐艾曲泊帕用于免疫抑制难治性SAA的治疗，2B级推荐
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者
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 2015英国BCSH再生障碍性贫血指南-英文原件-高亮并翻译在原件里.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2018版BCSH再生障碍性贫血指南-儿科修订版将艾曲泊帕单药加入二线治疗流程
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者
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 2018英国BCSH再生障碍性贫血指南-儿科修订-英文原件-高亮并翻译在原件里.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	2020版日本再生障碍性贫血指南将艾曲泊帕（联合免疫抑制剂）加入一线和二线的治疗流程
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者
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 2020日本再生障碍性贫血指南-日文原件-高亮并翻译在原件里.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《再生障碍性贫血诊断与治疗中国指南（2022年版）》推荐艾曲泊帕用于SAA的治疗
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者
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 2022再生障碍性贫血诊断与治疗中国指南-已高亮在原文.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2021《再生障碍性贫血中西医结合诊疗专家共识》推荐艾曲泊帕用于SAA的治疗
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者
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 2021再生障碍性贫血中西医结合诊疗专家共识-已高亮在原文.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3	2015英国血液学标准委员会 (BCSH) 重型再生障碍性贫血指南推荐艾曲泊帕用于免疫抑制难治性SAA的治疗, 2B级推荐
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血 (SAA) 患者
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 2015英国BCSH再生障碍性贫血指南-英文原件-高亮并翻译在原件里.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2018版BCSH再生障碍性贫血指南-儿科修订版将艾曲泊帕单药加入二线治疗流程
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血 (SAA) 患者
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 2018英国BCSH再生障碍性贫血指南-儿科修订-英文原件-高亮并翻译在原件里.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	2020版日本再生障碍性贫血指南将艾曲泊帕 (联合免疫抑制剂) 加入一线和二线的治疗流程
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血 (SAA) 患者
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 2020日本再生障碍性贫血指南-日文原件-高亮并翻译在原件里.pdf

中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

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	暂未公开针对其的《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	暂未公开针对其的《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	艾曲泊帕用于难治性SAA适应症总体耐受性良好, 不良反应均为中轻度且均可控 1.不良反应: 本品最常见 (≥10%) 的药物不良反应为恶心、疲劳、咳嗽、头痛、腹泻、肢体疼痛、头晕、口咽疼痛、发热、流涕、腹痛、转氨酶升高、关节痛和肌痉挛。在SAA患者中, 与本品相关的最常见药物不良反应的严重程度均为轻度至中度, 发生较早, 限制治疗的不良反应罕见。 2.用药禁忌: 对艾曲泊帕乙醇胺或任何辅料过敏者禁用; 3.注意事项: 开始本品治疗前, 应测定血清ALT、AST和胆红素水平; 肝病者应慎用本品, 对于肝功能损害的难治性SAA患者, 应以25mg每日一次的剂量开始本品治疗; 已知有血栓栓塞风险因素的患者应慎用本品, 应严格遵守剂量调整指南维持目标血小板计数。 4.药物相互作用: 本品与HMGCoA还原酶抑制剂、细胞色素P450的底物、HCV蛋白酶抑制剂等存在相互作用, 需考虑药物减量并严密检测。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	艾曲泊帕自2008年全球获批上市已累计使用15年真实世界中观察到的不良事件谱与说明书相似, 但不良事件和严重不良事件发生率远低于说明书水平, 总体获益-风险比仍然有利

相关报导文献

↓ 下载文件

艾曲泊帕最新说明书收录的安全性相关报告合并上市后不良反应监测报告.pdf

五、创新性信息

创新程度	①全球首个上市的口服、小分子、非肽类促血小板生成素受体激动剂（TPO-RA）②通过独特的作用机制从多个方面促进三系造血，实现快速应答，减少患者输血依赖③拥有用途专利。具体详述请参考附件
创新性证明文件	↓ 下载文件 艾曲泊帕用途专利.pdf
应用创新	①原适应症填补目录空白，新适应症补齐目录短板。原适应症ITP是唯一可用于儿童，具有不可替代性；新适应症SAA是唯一完全获批，临床疗效证据更全面，有效获益，补齐目录短板②被全军血液学专业委员会推荐作为核辐射造血损伤的救治药物③在肝肾功能障碍患者中，有临床数据和具体用药指导，而海曲泊帕均无④无需空腹服用，依从性提升⑤常温贮存，且药品效期长达48个月，降低医院药品管理成本
应用创新证明文件	↓ 下载文件 艾曲泊帕最新版说明书合并核辐射损伤造血重建策略专家共识.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	①有效降低患者输血需求，帮助患者减轻疾病负担、更好地回归社会和家庭②有助于推进临床科学合理用血，保护血液资源，实现加强医疗机构临床用血管理的指导方针③纳入核辐射造血损伤救治药物，为应对核威胁、维护国家核安全提供坚实后盾
符合“保基本”原则描述	①被国际和国内多个指南一致推荐，是难治性SAA临床治疗基本用药之一，符合保基本原则②此次新增难治性SAA适应症，人群小，对医保基金影响小，纳入医保可以保障这部分小群体的用药公平性和提升用药可及性
弥补目录短板描述	对比目录内附条件获批缺乏确证性临床证据的海曲泊帕，艾曲泊帕临床证据更完善，为临床提供更优的治疗选择，补齐目录短板
临床管理难度描述	①艾曲泊帕用于难治性SAA治疗的获批适应症定义清晰明确，限定为既往对免疫抑制治疗缓解不充分的SAA患者②自2008年全球获批上市已累积了15年临床合理用药经验，无滥用或不合理使用的风险，临床管理难度低