

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：磷酸索立德吉胶囊

企业名称：浙江杭煜医药有限公司

申报信息

申报时间	2023-07-13 22:13:13	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2018年1月1日至2023年6月30日(含，下同)期间，经国家药监部门批准上市的新通用名药品。但仅因为转产、再注册等原因，单纯更改通用名的药品除外。符合本条件的新冠抗病毒用药可按程序申报。
- 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，且针对此次变更获得药品批准证明文件的通用名药品。
- 3.纳入《国家基本药物目录(2018年版)》的药品。
- 4.2023年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入卫生健康委等部门《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》以及《第一批鼓励仿制药品目录》《第二批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 5.2023年6月30日前经国家药监部门批准上市，说明书适应症或功能主治中包含有卫生健康委《第一批罕见病目录》所收录罕见病的药品。

药品通用名称(中文、含剂型)	磷酸索立德吉胶囊	医保药品分类与代码	-
药品类别	西药	是否为独家	是
药品注册分类	化药5.1类		
核心专利类型1	化合物专利	核心专利权期限届满日1	2029-09
核心专利类型1	化合物专利	核心专利权期限届满日1	2029-09
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	200mg		
上市许可持有人(授权企业)	Sun pharmaceutical Industries Limited		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于不宜手术或放疗，以及手术或放疗后复发的局部晚期基底细胞癌(BCC)成年患者。		
说明书用法用量	推荐服用剂量为每次200mg，口服，每日一次，直至发生疾病进展或出现不可接受的毒性。		
所治疗疾病基本情况	BCC局部浸润性生长，85%生长在颜面部，易破坏面部重要功能和组织，好发在关键的器官部位(如眼睛、耳朵、鼻子或嘴唇)，引起这些器官功能障碍，导致残疾。有部分患者BCC也会转移淋巴结、骨骼或其它器官，成为mBCC(转移性，晚期BCC)，危及患者的生命。中国局部晚期的基底细胞癌(laBCC)患者约占BCC患者的6%，发病率为7.2/百万，相当于罕见病的发病率。		
中国大陆首次上市时间	2021-07	注册号/批准文号	国药准字HJ20210061
全球首个上市国家/地区	美国	全球首次上市时间	2015-07
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	磷酸索立德吉胶囊我国首款且唯一基底细胞癌的靶向治疗药物。		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf		
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 磷酸索立德吉胶囊---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	↓ 下载文件 药品注册证书.pdf		

注册证明文件和历次补充注册、再注册批准证明文件，请扫描成一个文件后上传

申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）

↓ 下载文件 磷酸索立德吉胶囊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 磷酸索立德吉胶囊PPT2.pptx

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：1、索立德吉为国内上市的唯一治疗该适应症药品；2、目录内无同适应症同作用机制药品；3、临床试验无对照。

其他情况请说明：-

联系人信息

联系人	饶秀丽	联系电话	13911720599
-----	-----	------	-------------

二、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	上市前
对主要临床结局指标改善情况	全球多中心的注册临床研究BOLT研究（NCT01327053）是一项II期、多中心、双盲、随机研究，66例laBCC接受索立德吉200mg QD治疗。结果显示，接受索立德吉200mg每日一次口服的laBCC患者的ORR为56%（95% CI 43-68）。42个月分析，索立德吉持续有效性总缓解持续时间DOR为26.1个月，无进展生存时间PFS为22.1个月。
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 国际多中心随机双盲临床试验.pdf
试验类型2	无对照病例研究
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	一项回顾性、多中心、描述性研究，共包括西班牙15个中心。纳入索立德吉治疗3个月以上的laBCC患者82例，索立德吉治疗的中位持续时间为6个月（范围3-16个月），收集流行病学、有效性和安全性数据。结果显示，中位随访时间为34.2个月（范围11-60个月），81.7%患者显示出临床缓解（PR 52.4%，CR 29.3%），12.2% SD，6.1% PD。
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 索立德吉西班牙最新真实世界研究82例.pdf
试验类型3	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	一项单中心、观察性、非比较性回顾性研究（PaSoS研究），对经组织学证实不能接受放射治疗、治疗性手术或其他局部治疗的基底细胞癌患者进行了分析，评估真实世界条件下，患者使用索立德吉的有效性和安全性。共纳入21名患者。中位随访时间为18.7个月。结果显示，ORR为81%（CR 29%，PR 52%），DCR 100%。
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 索立德吉法国单中心RWS.pdf
试验类型4	无对照病例研究
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	一项澳大利亚双中心、观察性、非比较性回顾性研究，评估索立德吉应用于复杂性BCC的疗效和安全性；入组10例患者，中位用药时间6个月，8例患者达到完全缓解（CR），2例患者肿瘤缩小（PR）后实现手术切除；研究证实：索立德吉对大多数的BCC患者是有效的，甚至可以一定比例的完全清除复杂的BCC肿瘤，治疗过程中无严重AE发生，安全性高。
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 澳大利亚.pdf
试验类型5	无对照病例研究
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	一项意大利单中心、观察性、非比较性回顾性研究，评估索立德吉应用于laBCC的有效性；入组9例患者，1例患者达到完全缓解（CR），8例患者肿瘤缩小超过50%，达到部分缓解（PR）；研究证实：奥昔朵（索立德吉）可应用于有多种合并症老年的laBCC患者，并且，AE的发生率低，多为轻中度并可耐受，使用安全性高。
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 意大利.pdf
试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前

对主要临床结局指标改善情况	全球多中心的注册临床研究BOLT研究 (NCT01327053) 是一项II期、多中心、双盲、随机研究, 66例laBCC接受索立德吉200mg QD治疗。结果显示, 接受索立德吉200mg每日一次口服的laBCC患者的ORR为56% (95% CI 43-68)。42个月分析, 索立德吉持续有效性总缓解持续时间DOR为26.1个月, 无进展生存时间PFS为 22.1个月。
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 国际多中心随机双盲临床试验.pdf
试验类型2	无对照病例研究
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	一项回顾性、多中心、描述性研究, 共包括西班牙15个中心。纳入索立德吉治疗3个月以上的laBCC患者82例, 索立德吉治疗的中位持续时间为6个月 (范围3-16个月), 收集流行病学、有效性和安全性数据。结果显示, 中位随访时间为34.2个月 (范围11-60个月), 81.7%患者显示出临床缓解 (PR 52.4%, CR 29.3%), 12.2% SD, 6.1% PD。
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 索立德吉西班牙最新真实世界研究82例.pdf
试验类型3	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	一项单中心、观察性、非比较性回顾性研究 (PaSoS研究), 对经组织学证实不能接受放射治疗、治疗性手术或其他局部治疗的基底细胞癌患者进行了分析, 评估真实世界条件下, 患者使用索立德吉的有效性和安全性。共纳入21名患者。中位随访时间为18.7个月。结果显示, ORR为81% (CR 29%, PR 52%), DCR 100%。
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 索立德吉法国单中心RWS.pdf
试验类型4	无对照病例研究
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	一项澳大利亚双中心、观察性、非比较性回顾性研究, 评估索立德吉应用于复杂性BCC的疗效和安全性; 入组10例患者, 中位用药时间6个月, 8例患者达到完全缓解 (CR), 2例患者肿瘤缩小 (PR) 后实现手术切除; 研究证实: 索立德吉对大多数的BCC患者是有效的, 甚至可以一定比例的完全清除复杂的BCC肿瘤, 治疗过程中无严重AE发生, 安全性高。
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 澳大利亚.pdf
试验类型5	无对照病例研究
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	一项意大利单中心、观察性、非比较性回顾性研究, 评估索立德吉应用于laBCC的有效性; 入组9例患者, 1例患者达到

完全缓解（CR），8例患者肿瘤缩小超过50%，达到部分缓解（PR）；研究证实：奥昔朵（索立德吉）可应用于有多种合并症老年的laBCC患者，并且，AE的发生率低，多为轻中度并可耐受，使用安全性高。

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](#) 意大利.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

《NCCN肿瘤学临床实践指南-基底细胞癌》（2023年）推荐索立德吉用于接受手术或放疗后复发的laBCC治疗的成人患者，或不适合手术或放疗的成人患者。

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](#) NCCN肿瘤学临床实践指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

《基底细胞癌的诊断和治疗：基于欧洲共识的跨学科指南》（2019年）推荐索立德吉适用于不适合手术或放疗的laBCC患者的治疗。NBCCS患者中的多发BCC归为laBCCs，可应用索立德吉（HHI）治疗。

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](#) 基底细胞癌欧洲治疗指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

《中国皮肤基底细胞癌诊疗专家共识》（2021年）FDA批准 hedgehog通路抑制剂索立德吉用于晚期 BCC的治疗，但我国尚未获批。

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）

-

临床指南/诊疗规范推荐情况1

《NCCN肿瘤学临床实践指南-基底细胞癌》（2023年）推荐索立德吉用于接受手术或放疗后复发的laBCC治疗的成人患者，或不适合手术或放疗的成人患者。

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](#) NCCN肿瘤学临床实践指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

《基底细胞癌的诊断和治疗：基于欧洲共识的跨学科指南》（2019年）推荐索立德吉适用于不适合手术或放疗的laBCC患者的治疗。NBCCS患者中的多发BCC归为laBCCs，可应用索立德吉（HHI）治疗。

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](#) 基底细胞癌欧洲治疗指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

《中国皮肤基底细胞癌诊疗专家共识》（2021年）FDA批准 hedgehog通路抑制剂索立德吉用于晚期 BCC的治疗，但我国尚未获批。

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）

-

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	
《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	-
《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	在关键性临床研究中接受本品 200 mg 治疗的患者最常见药物不良反应（发生率≥10%）为肌肉痉挛，脱发，消化不良，疲乏，恶心，肌肉骨骼疼痛，腹泻，体重减轻，食欲下降，肌痛，腹痛，头痛，疼痛，呕吐和瘙痒。最常见的3/4级药物不良反应（≥2%）是疲劳、体重减轻和肌肉痉挛。用药禁忌：对本品所含活性物质或任何辅料过敏者禁用。妊娠和哺乳期女性禁用。服药期间和治疗结束后20个月内有妊娠计划者禁用。注意事项：在关键性临床研究中，观察到肌肉痉挛、肌痛、肌病和CK升高。大多数患者的肌肉症状和CK升高可以在相应的临床干预后消退。孕妇服用本品可能导致胚胎-胎儿死亡或重度出生缺陷。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	索立德吉在全球上市8年，安全性数据与说明书中显口信息口致，主要不良事件符合说明书口平：1. 全球试验证实，未发现说明书之外的新安全性问题。2. 药品上市后，全球累计超2000例患者临床使口经验，安全数据监测显口，安全性良好。
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	1、磷酸索立德吉胶囊是我国首款且唯一晚期基底细胞癌的靶向治疗药物。2、索立德吉以高亲和力结合SMO蛋白，直接对SMO产生抑制作用，阻断Hh通路的信号传导，快速修复异常激活的Hh信号通路。
创新性证明文件	-
应用创新	突破性治疗创新药，中国第1款Hh通路抑制剂，为中国BCC患者提供个体化治疗的新选择。
应用创新证明文件	-
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描述	基底细胞癌可能导致患者面部功能器官的损毁和残疾，甚至危及生命。本品为这类患者带来唯一的药物治疗的新选择，大大提升患者生活质量和心理健康。
符合“保基本”原则描述	满足中国局部晚期的BCC患者的治疗需求；索立德吉药物经济学评估证实其具有显著的成本-效用优势，目前最低中标价24980元/盒，为全球最低价，年治疗费用约30万元，在此基础上，实行买二赠一，基金影响有限，符合“保基本”原则。
弥补目录短板描述	局部晚期基底细胞癌患者无法直接手术或放射治疗，或者手术后多次复发；本品作为中国首个且唯一获批的BCC口服靶向治疗药物，能够满足该类患者的临床治疗需求，填补目录空白。
临床管理难度描述	索立德吉所治患者人群小，用药评估标准明确可查，全口服治疗，1天1次，临床使用便捷。