

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：硫酸氢司美替尼胶囊

企业名称：阿斯利康（无锡）贸易有
限公司

申报信息

申报时间	2023-07-14 12:42:56	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)	硫酸氢司美替尼胶囊	医保药品分类与代码	XL01EEQ180E001010178241, XL01EEQ180E001020178241
药品类别	西药	是否为独家	是
药品注册分类	化学药品5.1类		
核心专利类型1	药物组合物专利	核心专利权期限届满日1	2029-03
核心专利类型2	硫酸氢盐专利	核心专利权期限届满日2	2026-12
核心专利类型3	用于制备苯并咪唑化合物的方法专利	核心专利权期限届满日3	2026-06
核心专利类型1	药物组合物专利	核心专利权期限届满日1	2029-03
核心专利类型2	硫酸氢盐专利	核心专利权期限届满日2	2026-12
核心专利类型3	用于制备苯并咪唑化合物的方法专利	核心专利权期限届满日3	2026-06
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	按C17H15BrCIFN4O3计(1)10mg(主规格)(2)25mg。		
上市许可持有人(授权企业)	ASTRAZENECA UK LIMITED		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于3岁及3岁以上伴有症状、无法手术的丛状神经纤维瘤(PN)的I型神经纤维瘤病(NF1)儿童患者。		
说明书用法用量	本品应在具有诊断和治疗I型神经纤维瘤病(NF1)相关肿瘤经验的医生指导下使用。一、给药方法 口服。本品应空腹服用,在给药前2小时和给药后1小时内不得摄入食物或除水以外的饮料。二、用量 本品按体表面积(BSA)给药,单次推荐剂量为25mg/m ² ,每日口服两次(约每12小时1次)。根据体表面积对给药剂量进行个体化计算(mg/m ²),并四舍五入至最接近的5mg或10mg剂量(单次最高剂量为50mg)。可合并使用不同规格的本品胶囊以达到所需剂量 只要观察到临床获益便可持续使用本品治疗,直至丛状神经纤维瘤(PN)进展或出现不可耐受的毒性。		
所治疗疾病基本情况	儿童NF1-PN是常染色体显性遗传性疾病,累及全身,可导致患儿严重毁容、疼痛、功能、终生认知及学习障碍和社交功能受损等,患高级别肿瘤的风险增加50倍,预期寿命比正常人减少20年,20岁以下住院率是普通人4倍。患儿学业损失达58.2天/年,照护者工作损失达91.2天/年。中国流病数据暂无,根据国外发布数据NF1新生儿发病率约1/3000,其中伴有症状、无法手术的丛状神经纤维瘤患者约占20-35%		
中国大陆首次上市时间	2023-04	注册号/批准文号	JX20230037/国药准字HJ20230044; JX20230037/国药准字HJ20230045;
全球首个上市国家/地区	美国	全球首次上市时间	2020-04

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	无同疾病治疗领域药品，中国已上市的同药理作用药品为曲美替尼，适应症为联合甲磺酸达拉非尼治疗BRAF V600突变阳性的不可切除或转移性黑色素瘤、BRAF V600突变阳性的III期黑色素瘤患者完全切除后的辅助治疗及BRAF V600突变阳性转移性非小细胞肺癌，于2021年3月首次纳入国家基本医保目录，曲美替尼在国内外均未获批I型神经纤维瘤病适应症，与司美替尼适应症人群不同，无法相比
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 硫酸氢司美替尼胶囊说明书.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	↓ 下载文件 药品注册证书.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 硫酸氢司美替尼胶囊PPT1.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含经济性/价格费用信息）将同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 硫酸氢司美替尼胶囊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)
空白对照	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：手术是目前唯一治疗儿童NF1-PN的手段，硫酸氢司美替尼胶囊是全球唯一获批用于儿童NF1-PN的治疗药物，填补临床药物治疗空白，临床应用中无其他治疗药物，且临床试验是单臂研究，从各维度评估均无参照药品

其他情况请说明：-

联系人信息

联系人	张颖	联系电话	13801316278
-----	----	------	-------------

二、有效性信息

试验类型1	单臂临床实验
-------	--------

试验对照药品	无 (自然史组)
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	1.Global II期 Sprint1临床研究中, 司美替尼治疗有症状的无法手术的儿童NF1-PN患者, 确证ORR 68%, 3年PFS率84%, 最佳响应时中位缩瘤体积27.9%, 74%患者疼痛显著缓解, 56%患者得到有临床意义的力量提高, 48%患者和58%家长报告了有临床意义的生活质量提高 2.在中国儿童NF1-PN患者有效性的I期临床研究中, 确证ORR 63%, 最佳响应时中位缩瘤体积36%
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 硫酸氢司美替尼试验数据结果证明文件.pdf
试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无 (自然史组)
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	1.Global II期 Sprint1临床研究中, 司美替尼治疗有症状的无法手术的儿童NF1-PN患者, 确证ORR 68%, 3年PFS率84%, 最佳响应时中位缩瘤体积27.9%, 74%患者疼痛显著缓解, 56%患者得到有临床意义的力量提高, 48%患者和58%家长报告了有临床意义的生活质量提高 2.在中国儿童NF1-PN患者有效性的I期临床研究中, 确证ORR 63%, 最佳响应时中位缩瘤体积36%
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 硫酸氢司美替尼试验数据结果证明文件.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	2023版《I型神经纤维瘤病多学科诊治指南》推荐司美替尼用于治疗2到18岁, 有症状/或进行性, 不可手术的NF1相关丛状神经纤维瘤
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 临床指南诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况1.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2021版《儿童及青少年神经纤维瘤病诊疗规范》推荐使用司美替尼可用于不能手术的NF1儿童患者的长期治疗
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 临床指南诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况2.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	2021版《I型神经纤维瘤病临床诊疗专家共识》推荐使用司美替尼治疗不直手术切除的NF1儿童患者
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 临床指南诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况3.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2020版《法国 I 型神经纤维瘤病国家指南》推荐使用司美替尼长期治疗不能手术的NF1儿童患者
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 临床指南诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况4.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	2023版《I型神经纤维瘤病多学科诊疗指南》推荐司美替尼用于治疗2到18岁，有症状/或进行性，不可手术的NF1相关丛状神经纤维瘤
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 临床指南诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况1.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2021版《儿童及青少年神经纤维瘤病诊疗规范》推荐使用司美替尼可用于不能手术的NF1儿童患者的长期治疗
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 临床指南诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况2.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	2021版《I型神经纤维瘤病临床诊疗专家共识》推荐使用司美替尼治疗不直手术切除的NF1儿童患者
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 临床指南诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况3.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2020版《法国I型神经纤维瘤病国家指南》推荐使用司美替尼长期治疗不能手术的NF1儿童患者
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 临床指南诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况4.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	暂无《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	暂无《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	【不良反应】 安全性特征总结 在74 例儿童患者（20-30mg/m ² 每日两次）中确定了本品单药治疗在患有不能手术的NF1 PN 儿童患者中的安全性特征。最常见的任何级别不良反应（发生率≥45%）为呕吐、皮疹、肌酸磷酸激酶升高、腹泻、恶心、乏力事件、皮肤干燥、发热、痤疮样皮疹、低白蛋白血症、天门冬氨酸氨基转移酶升高和甲沟炎【禁忌】对本品活性成分或任何辅料。重度肝功能不全患者禁用。【注意事项】中国说明书中已列出以下注意事项为了用药和毒性管理（包括暂停用药、剂量减少或永久停药）：左心室射血分数（LVEF）降低、眼毒性、胃肠道反应、肝功能异常、皮肤及皮下组织疾病、肌酸磷酸激酶升高、维生素E 水平升高和出血风险、呛噎风险、有生育能力的女性
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	临床I期和SPRINT研究表明，硫酸氢司美替尼安全性良好。在I期和II期临床研究中，绝大多数不良反应为低级别不良反应（CTCAE分级I级和II级）。硫酸氢司美替尼的获益已被与临床研究及上市后使用中的安全性经验进行权衡，积极的获益风险特征得到验证。药品上市后，各国家或地区药监部门5年内未发布安全性警告、黑框警告、撤市信息。
相关报导文献	↓ 下载文件 安全性信息相关证明文件.pdf

四、创新性信息

创新程度	全球唯一获批的儿童NF1-PN药物，填补临床空白。在美国、欧盟、瑞士、日本等国获孤儿药资格认定，获FDA优先审评和突破性疗法认定，以“符合儿童生理特征的儿童用药品新品种、剂型和规格”纳入CDE优先审评。选择性结合MEK1/2蛋白，靶向MAPK通路提供NF1-PN治疗新思路，ORR达68%，有效缩小瘤体，3年PFS84%，自然队列组仅15%，有效控制瘤体复发与进展。安全性高，依从性好。
创新性证明文件	↓ 下载文件 硫酸氢司美替尼创新性证明文件.pdf
应用创新	1) 特殊人群可用：适用于儿童NF1-PN患者；对于轻、中、重度肾功能不全或终末期肾病患者无需调整剂量。2) 降低管理成本：该药品贮存条件为密封，不超过30°C保存，该贮存条件简单，降低医院管理成本；胶囊上带有规格字迹且胶囊长1.2cm，直径0.4cm，对于患者用药简单，操作方便，避免出现错服和无法服用的风险。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 硫酸氢司美替尼应用创新证明文件.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描述	所治疗疾病为儿童适应症，在美国、欧洲、亚洲多国均被认定为罕见病。儿童NF1-PN累及全身，可导致患儿严重毁容、疼痛、功能、终生认知及学习障碍和社交功能受损等，引发高达13%恶变风险，预期寿命比正常人减少20年。使用硫酸氢司美替尼可持续缩小瘤体体积，减轻患者疼痛，提高患者质量调整生命年(QALY)，确证ORR 68%，3年PFS率84%，82%患者持续应答1年以上，74%患者疼痛强度降低有临床意义
符合“保基本”原则描述	用于儿童I型神经纤维瘤-丛状神经纤维瘤的治疗，符合儿童用药需求，且人群相对有限，对医保基金影响有限，保障其他参保人员的合理需求。使用硫酸氢司美替尼可降低患者疾病相关管理成本，减少患者手术、住院等相关治疗费用和医保基金支出。
弥补目录短板描述	目前中国乃至全球尚无其他获批用于儿童I型神经纤维瘤-丛状神经纤维瘤的治疗药物，硫酸氢司美替尼能够填补治疗领域的临床空白，也能弥补目录内此治疗领域的短板。此外，硫酸氢司美替尼是I型神经纤维瘤-丛状神经纤维瘤的儿童专用药，也能弥补目录中儿童用药少的短板。
临床管理难度描述	I型神经纤维瘤-丛状神经纤维瘤诊疗路径明确，国家卫健委已将神经纤维瘤病纳入儿童恶性疾病病种并发布了最新诊疗规范，中国NF1多中心协作组也相继发布了相关诊疗规范，因而临床诊断非常明确。且硫酸氢司美替尼说明书中规定，用于3岁及以上的儿童，年龄范围明确，减少临床管理难度，也便于医保经办机构审核执行。