

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：琥珀酸莫博赛替尼胶囊

企业名称：武田（中国）国际贸易有
限公司

申报信息

申报时间	2023-07-14 16:34:24	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)	琥珀酸莫博赛替尼胶囊	医保药品分类与代码	XL01EBM180E001010184503
药品类别	西药	是否为独家	是
药品注册分类	化药1类		
核心专利类型1	用于激酶抑制的杂芳基化合物	核心专利权期限届满日1	2035-05
核心专利类型1	用于激酶抑制的杂芳基化合物	核心专利权期限届满日1	2035-05
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	40mg		
上市许可持有人(授权企业)	Takeda Pharmaceuticals U.S.A., Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于治疗含铂化疗期间或之后进展且携带表皮生长因子受体(EGFR)20号外显子插入突变的局部晚期或转移性非小细胞肺癌(NSCLC)成人患者。		
说明书用法用量	本品的推荐剂量为160mg，口服，每日一次，直至疾病进展或出现无法耐受的不良反应。		
所治疗疾病基本情况	EGFR 20号外显子插入突变(ex20ins)是EGFR突变的一个亚型，在我国占非小细胞肺癌(NSCLC)患者仅约2%，属于罕见突变。我国大陆地区每年新发含铂化疗期间或之后进展的EGFR ex20ins NSCLC患者为4000人左右。EGFR ex20ins区别于EGFR常见突变，恶性程度更高，预后更差，临床无有效治疗药物，存在高度未被满足的临床需求。		
中国大陆首次上市时间	2023-01	注册号/批准文号	国药准字HJ20230001
全球首个上市国家/地区	美国	全球首次上市时间	2021-09
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	EGFR ex20ins NSCLC既往无有效治疗，莫博赛替尼为突破性的first-in-class药物，获得我国“1类新药”及“突破性治疗品种”的认定，同时获得美国FDA突破性疗法和孤儿药认定，英国社会保障部门认为“莫博赛替尼是突破性药物，是此类罕见突变患者的救命药”。EGFR ex20ins NSCLC传统非特异性治疗获益有限，患者预后差，mPFS仅2.6个月，mOS仅9.8个月。因此莫博赛替尼的CDE《技术审评报告》认为该领域“存在高度未被满足的临床需求”。此前上市的EGFR TKI仅针对EGFR常见突变，无EGFR ex20ins适应症，尝试性治疗(含3倍剂量尝试)的效果也不明确(见2023 EGFR ex20ins NSCLC专家共识)。莫博赛替尼是EGFR ex20ins突变位点被发现20年来首个且唯一获批的靶向药，为患者带来空前的生存获益(mPFS延长2倍，mOS延长超1倍)。2023 CSCO专家共识认为“莫博赛替尼作为国内首个且唯一获批口服靶向药，填补了临床空白，开启了该领域靶向治疗的新纪元”。		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书-TCIT-签字盖章.pdf		

药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 药品法定说明书.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 琥珀酸莫博赛替尼胶囊-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 琥珀酸莫博赛替尼胶囊-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)	用法用量	费用类型	疗程/周期	金额(元)
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：①无同适应症靶向药，是该领域首个且唯一获批的靶向药②无同机制药物，为1类新药和突破性治疗品种③治疗领域既往无标准疗法④CSCO指南唯一I级推荐④国际权威机构英国NICE认可无标准疗法，无合适参照

其他情况请说明：EGFR ex20ins是2004年发现的全新靶点，自该靶点被发现后20年内无靶向药获批。莫博赛替尼是国内首个且唯一获批的靶向药，实现该领域从“有靶无药”到“有靶有药”

联系人信息

联系人	李博	联系电话	13810357077
-----	----	------	-------------

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I/II期临床研究显示，莫博赛替尼实现生存突破：经25.8个月的长期随访，治疗含铂化疗多线经治患者（60%为亚裔患者，其中中国患者占43%；59%为三线及以上的重度经治患者），莫博赛替尼mPFS达7.3个月，mOS达20.2个月（亚裔患者mPFS 7.6个月，mOS 25.3个月，与整体结果一致）；ORR（研究者评估）35%，疾病控制率（DCR）78%，中位缓解持续时间（mDOR）15.8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 2-1-1注册临床研究-单臂临床试验.pdf
试验类型2	其他
试验对照药品	真实世界传统治疗方案
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	间接比较分析显示，莫博赛替尼相较真实世界传统治疗方案（加权），显著改善生存结局：mPFS延长近200%，疾病进展风险降低72%（mPFS 7.3月 vs 2.6月，HR=0.28，P<0.0001）；mOS延长超100%，死亡风险降低58%（mOS 20.2月 vs. 9.8月，HR=0.42，P=0.0035）；大幅突破传统治疗低应答率（ORR 35% vs 0%，P<0.0001）
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 2-1-2间接比较分析.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	真实世界研究显示，莫博赛替尼真实世界获益与临床研究获益一致：mOS达22.4个月，DCR达76.9%
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 2-1-3真实世界研究.pdf
试验类型4	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I/II期研究表明莫博赛替尼明显改善肺癌症状及总体健康状况和生活质量：基于EORTC生活质量量表，与基线相比，患者咳嗽症状评分下降9.3分（P<0.001），胸痛下降8.2分（P<0.001），呼吸困难下降3.2分（P=0.019）；46.7%患者咳嗽症状改善，38.9%患者胸痛症状改善，54.4%患者呼吸困难症状改善。注：评分下降代表症状改善
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 2-1-4生活质量分析.pdf
试验类型5	其他
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	莫博赛替尼是EGFR ex20ins NSCLC领域唯一获批的靶向药，为我国1类新药并获得突破性治疗品种认定，获得CSCO指南唯一的I级推荐。莫博赛替尼实现EGFR ex20ins从“有靶无药”到“有靶有药”，在其治疗领域内无可比药物
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）	-
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I/II期临床研究显示，莫博赛替尼实现生存突破：经25.8个月的长期随访，治疗含铂化疗多线经治患者（60%为亚裔患者，其中中国患者占43%；59%为三线及以上的重度经治患者），莫博赛替尼mPFS达7.3个月，mOS达20.2个月（亚裔患者mPFS 7.6个月，mOS 25.3个月，与整体结果一致）；ORR（研究者评估）35%，疾病控制率（DCR）78%，中位缓解持续时间（mDOR）15.8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 2-1-1注册临床研究-单臂临床试验.pdf
试验类型2	其他
试验对照药品	真实世界传统治疗方案
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	间接比较分析显示，莫博赛替尼相较真实世界传统治疗方案（加权），显著改善生存结局：mPFS延长近200%，疾病进展风险降低72%（mPFS 7.3月 vs 2.6月，HR=0.28，P<0.0001）；mOS延长超100%，死亡风险降低58%（mOS 20.2月 vs. 9.8月，HR=0.42，P=0.0035）；大幅突破传统治疗低应答率（ORR 35% vs 0%，P<0.0001）
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 2-1-2间接比较分析.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	真实世界研究显示，莫博赛替尼真实世界获益与临床研究获益一致：mOS达22.4个月，DCR达76.9%
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 2-1-3真实世界研究.pdf
试验类型4	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I/II期研究表明莫博赛替尼明显改善肺癌症状及总体健康状况和生活质量：基于EORTC生活质量量表，与基线相比，患者咳嗽症状评分下降9.3分（P<0.001），胸痛下降8.2分（P<0.001），呼吸困难下降3.2分（P=0.019）；46.7%患者咳嗽症状改善，38.9%患者胸痛症状改善，54.4%患者呼吸困难症状改善。注：评分下降代表症状改善
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 2-1-4生活质量分析.pdf
试验类型5	其他
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	莫博赛替尼是EGFR ex20ins NSCLC领域唯一获批的靶向药，为我国1类新药并获得突破性治疗品种认定，获得CSCO指南唯一的I级推荐。莫博赛替尼实现EGFR ex20ins从“有靶无药”到“有靶有药”，在其治疗领域内无可比药物
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）	-

临床指南/诊疗规范推荐情况1	CSCO指南：《中国临床肿瘤学会(CSCO)非小细胞肺癌诊疗指南（2023）》推荐莫博赛替尼用于EGFR ex20ins NSCLC一线系统治疗进展后的治疗，获得最高级别（I级）推荐，且是唯一的I级推荐
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 2-2-1CSCO非小细胞肺癌指南2023.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	CSCO专家共识：《EGFR ex20ins NSCLC规范化诊疗中国专家共识（2023）》优选推荐莫博赛替尼用于EGFR ex20ins NSCLC的后线治疗，是唯一的优选推荐，并认可莫博赛替尼填补临床空白
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 2-2-2CSCO专家共识2023.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	NCCN指南：《美国国立综合癌症网络(NCCN)非小细胞肺癌指南（2023 v3）》推荐莫博赛替尼用于EGFR ex20ins NSCLC一线系统治疗进展后的治疗，是推荐药物中唯一已在国内获批的药物
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 2-2-3NCCN非小细胞肺癌指南2023.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	CSCO指南：《中国临床肿瘤学会(CSCO)非小细胞肺癌诊疗指南（2023）》推荐莫博赛替尼用于EGFR ex20ins NSCLC一线系统治疗进展后的治疗，获得最高级别（I级）推荐，且是唯一的I级推荐
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 2-2-1CSCO非小细胞肺癌指南2023.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	CSCO专家共识：《EGFR ex20ins NSCLC规范化诊疗中国专家共识（2023）》优选推荐莫博赛替尼用于EGFR ex20ins NSCLC的后线治疗，是唯一的优选推荐，并认可莫博赛替尼填补临床空白
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 2-2-2CSCO专家共识2023.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	NCCN指南：《美国国立综合癌症网络(NCCN)非小细胞肺癌指南（2023 v3）》推荐莫博赛替尼用于EGFR ex20ins NSCLC一线系统治疗进展后的治疗，是推荐药物中唯一已在国内获批的药物
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 2-2-3NCCN非小细胞肺癌指南2023.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	该报告指出，EGFR第20外显子插入突变的晚期NSCLC，存在高度未被满足的临床需求。具体描述：目前可用的治疗包括常见EGFR TKI、化疗和免疫治疗，这些治疗方案在EGFR外显子20插入突变阳性NSCLC患者的临床获益有限。截至本品本次NDA申请，我国境内尚无特异性靶向药物获批用于EGFR第20外显子插入突变的晚期NSCLC，存在高度未被满足的临床需求。在既往含铂化疗分析集中，.....通过确认缓解的Kaplan-Meier估计值的中位 DOR为17.5 个月，中位 PFS 为7.3个月。IRC评估结果与研究一致；中国亚组分析结果与整体结果一致。现有数据支持本品在经含铂化疗进展的携带EGFR 20号外显子插入突变的局部晚期或转移性NSCLC 成人患者中具有疗效获益。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 2-3莫博赛替尼技术审评报告节选.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	该报告指出，EGFR第20外显子插入突变的晚期NSCLC，存在高度未被满足的临床需求。具体描述：目前可用的治疗包括常见EGFR TKI、化疗和免疫治疗，这些治疗方案在EGFR外显子20插入突变阳性NSCLC患者的临床获益有限。截至本品本次NDA申请，我国境内尚无特异性靶向药物获批用于EGFR第20外显子插入突变的晚期NSCLC，存在高度未被满足的临床需求。在既往含铂化疗分析集中，.....通过确认缓解的Kaplan-Meier估计值的中位 DOR为17.5 个月，中位 PFS 为7.3个月。IRC评估结果与研究一致；中国亚组分析结果与整体结果一致。现有数据支持本品在经含铂化疗进展的携带EGFR 20号外显子插入突变的局部晚期或转移性NSCLC 成人患者中具有疗效获益。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 2-3莫博赛替尼技术审评报告节选.pdf

三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	① CSCO专家共识指出，莫博赛替尼毒性谱与已知的EGFR-TKIs相似，多为轻症(1-2级)，整体可控可管理。最常见的治疗相关AEs为胃肠道和皮肤相关,可通过剂量调整、药物治疗得到有效控制。常见不良反应≥3级发生率：腹泻20.3%，皮疹3.4%，贫血7%；亚洲人群≥3级腹泻发生率更低，为16% ② 常见不良反应可短时间内消退：中位消退时间 腹泻 3 天，呕吐 5天，恶心 22天 ③ 适用于特殊人群：轻度肝损伤、轻中度肾损伤以及年龄≥65岁的患者无需调整剂量 ④ 说明书提及QTc间期延长和尖端扭转型室性心动过速。截至2023年3月的上市后真实世界数据显示，全球仅有3例上报，无死亡病例
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	① 药品上市后，各国家或地区药监部门5年内没有发布过安全性警告、黑框警告、撤市信息 ② 基于上市前后累积的临床和安全性信息，在已获批的适应症内，莫博赛替尼具有良好的获益-风险比 ③ 真实世界研究中≥3级腹泻发生率较临床研究更低
相关报导文献	↓ 下载文件 莫博赛替尼安全性信息.pdf

四、创新性信息

创新程度	① 20年来的重大创新：莫博赛替尼是自靶点被发现20年来我国首个且唯一获批的靶向药 ② 结构创新：独特的异丙酯结构解决EGFR ex20ins突变与药物结合的难题，实现精准选择、高度亲和、强效抑制 ③ 长生存获益：中位OS达20.2个月，显著改善生存结局 ④ 为我国1类新药，获得突破性治疗品种认定和优先审评审批；与全球同步上市，最快惠及中国患者；获得美国FDA突破性疗法、孤儿药认定和优先审批
创新性证明文件	-
应用创新	① 一天一次口服，提升依从性，便于临床管理；减少住院和注射相关费用；改善患者生活质量 ② 英国NICE认为具有创新性且实现治疗的跨越式进展（innovative and a step-change in treatment）；NHS认为改变肺癌治疗现状（game-changing）；英国社会保障部门认为是突破性药物和此类罕见突变患者的救命药 ③ 被称为癌症领域精准肿瘤学中“卓越典范”
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	EGFR ex20ins NSCLC 既往中位总生存期（mOS）仅9.8个月，莫博赛替尼为患者带来长生存希望(mOS达20.2个月），
----------------	---

述	助力实现健康中国2030提升总体癌症生存率的目标
符合“保基本”原则描述	① EGFR ex20ins NSCLC患者既往无有效的治疗手段，基本治疗需求未被满足。莫博赛替尼填补临床治疗空白 ② 莫博赛替尼针对罕见突变，覆盖人群小，对医保基金影响小 ③ 一天一次口服，无需住院，节约住院和注射相关费用
弥补目录短板描述	EGFR ex20ins NSCLC目录内无靶向药物，莫博赛替尼填补目录空白
临床管理难度描述	① EGFR ex20ins NSCLC诊断明确，诊疗规范，保障医保基金的安全运营 ② 莫博赛替尼有明确的适应症和靶点，精准治疗提升基金使用效率