

2024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：马来酸阿伐曲泊帕片

企业名称：江苏万邦医药营销有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-10 10:44:00	药品目录	药品目录内
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2024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。
- 2.2024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。
- 3.2019年1月1日至2024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，主动申请调整医保支付范围的谈判药品和目录内其他药品。

药品通用名称（中文、含剂型）	马来酸阿伐曲泊帕片	药品类别	西药
<input checked="" type="radio"/> 药品注册分类	化学药品5.1类		
是否为独家	否	目录类别	谈判药品
协议/支付标准到期时间	2024年12月31日		
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型1	无	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	20mg（按 C29H34Cl2N6O3S2 计）		
上市许可持有人（授权企业）	AkaRx Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	1、既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的慢性原发免疫性血小板减少症（ITP）成人患者，使血小板计数升高并减少或防止出血（新增适应症）；2、本品适用于择期行诊断性操作或手术的慢性肝病相关血小板减少症的成年患者。		
<input checked="" type="radio"/> 现行医保目录的医保支付范围	限择期行诊断性操作或手术的慢性肝病相关血小板减少症的成年患者。		
所治疗疾病基本情况	ITP：原发免疫性血小板减少症（ITP）是一种获得性自身免疫性出血性疾病，发病率约为2-5/100,000。成人ITP患者死亡率比一般人群高1.3-2.2倍，还会因出血和活动受限等问题产生心理负担，生活质量严重受损。然而，ITP目前尚无根治的方法，患者往往需要长期治疗，因此，制订行之有效的ITP患者长期管理方案对改善患者预后至关重要。		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	2023年12月1日，南京正大天晴马来酸阿伐曲泊帕片获批上市；2024年6月28日，北京康蒂尼和成都倍特马来酸阿伐曲泊帕片均获批上市。		
企业承诺书	↓ 下载文件	马来酸阿伐曲泊帕片企业承诺书及境外药品上市许可持有人授权书.pdf	
药品修改前法定说明书	↓ 下载文件	马来酸阿伐曲泊帕片药品修改前法定说明书.pdf	
药品修改后法定说明书	↓ 下载文件	马来酸阿伐曲泊帕片药品修改后法定说明书.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）。如首次上市版本和最新版不同，请分别提供	↓ 下载文件	2024年马来酸阿伐曲泊帕片药品注册证书.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	马来酸阿伐曲泊帕片进口药品注册证.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

马来酸阿伐曲泊帕片信息摘要含经济性.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

马来酸阿伐曲泊帕片信息摘要不含经济性.pdf

新增适应症或功能主治	获批时间	用法用量
既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的慢性原发免疫性血小板减少症(IIT)成人患者,使血小板计数升高并减少或防止出血	2024-06-25	起始剂量20mg(1片),每日1次。应与食物同服。服用最低有效剂量使血小板计数达到并维持 $\geq 50 \times 10^9/L$,以降低出血风险。不得通过服用本品来恢复正常的血小板计数。根据患者的血小板计数选择推荐剂量。每日剂量不得超过40mg(2片)。

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、罕见病用药原则上按365天用药计算年费用,如说明书中严格限定了治疗周期,可按治疗周期计算疗程费用,并予以说明。
(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) ①	用法用量	费用类型 ①	疗程/周期	金额(元)
注射用罗普司亭	是	250 μ g	1536	1、初始剂量1ug/kg每周1次皮下注射。 2、因为需要减低出血的风险,通过增量1 μ g/kg调整每周剂量以达到和维持血小板计数 $50 \times 10^9/L$ 。 3、最大剂量不要超过每周10 μ g/kg。如血小板计数达 $> 400 \times 10^9/L$,不要给药。 4、如在最大剂量4周后血小板计数不增加中断罗米司亭。	日均费用	-	219.43

参照药品选择理由:适应症相同,且在医保目录范围内,临床应用广泛

其他情况请说明:无

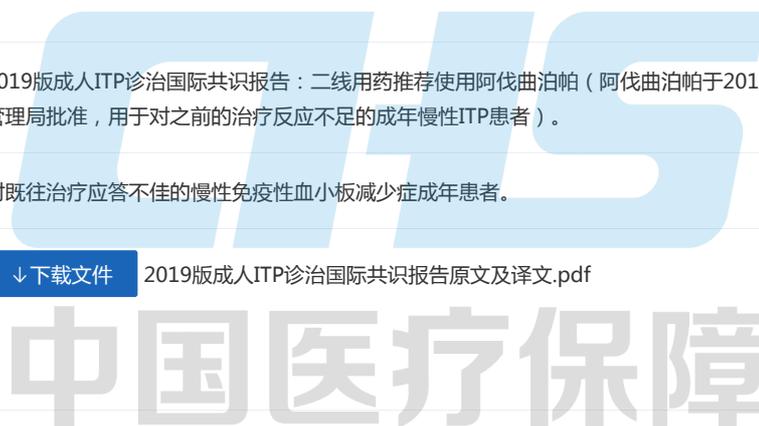
三、有效性信息

试验类型1	单个样本量足够的RCT
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	既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的慢性原发性免疫性血小板减少症（ITP）成人患者，使血小板计数升高并减少或防止出血。
对主要临床结局指标改善情况	阿伐曲泊帕组治疗6周时应答率高达77.08%，显著高于安慰剂组应答率的7.69%，治疗差异在 69.4%， $P < 0.0001$ ；阿伐曲泊帕的反应迅速实现，与安慰剂组相比，阿伐曲泊帕组患者在第 8 天出现血小板反应的比例更高:72.9% VS 3.9%，治疗差异为 69.1%， $P < 0.0001$ 。
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 中国三期阿伐曲泊帕治疗成人慢性原发性免疫性血小板减少症在中国的一项随机三期试验原文及翻译.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
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	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者。
对主要临床结局指标改善情况	结果显示6个月治疗期间，阿伐曲泊帕组累计应答时间达12.4周，显著高于安慰剂组0.0周（ $P < 0.0001$ ）；阿伐曲泊帕起始治疗第8天，阿伐曲泊帕组65.6%患者获得应答，显著高于安慰剂组的0.0%（ $P < 0.0001$ ）。
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 国际三期阿伐曲泊帕治疗慢性免疫性血小板减少症的三期随机研究原文及翻译.pdf
试验类型3	实效性临床研究(PCT)
试验对照药品	艾曲泊帕、罗普司亭
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者。
对主要临床结局指标改善情况	转换为阿伐曲泊帕后血小板计数显著提升，在所有患者（ $N=44$ ）中，艾曲泊帕或罗普司亭的中位血小板计数为 $45 \times 10^9/L$ ，而阿伐曲泊帕为 $114 \times 10^9/L$ （ $p < 0.0001$ ），并且不同原因转换用药的患者均可获得较高比例的应答。
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 大型多中心回顾性观察研究美国多中心TPO-RA转换治疗ITP研究原文及翻译.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
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	既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的慢性原发性免疫性血小板减少症（ITP）成人患者，使血小板计数升高并减少或防止出血。
对主要临床结局指标改善情况	阿伐曲泊帕组治疗6周时应答率高达77.08%，显著高于安慰剂组应答率的7.69%，治疗差异在 69.4%， $P < 0.0001$ ；阿

	伐曲泊帕的反应迅速实现，与安慰剂组相比，阿伐曲泊帕组患者在第 8 天出现血小板反应的比例更高:72.9% VS 3.9%，治疗差异为 69.1%， $P < 0.0001$ 。
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文件）	↓ 下载文件 中国三期阿伐曲泊帕治疗成人慢性原发性免疫性血小板减少症在中国的一项随机三期试验原文及翻译.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
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	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者。
对主要临床结局指标改善情况	结果显示6个月治疗期间，阿伐曲泊帕组累计应答时间达12.4周，显著高于安慰剂组0.0周（ $P < 0.0001$ ）；阿伐曲泊帕起始治疗第8天，阿伐曲泊帕组65.6%患者获得应答，显著高于安慰剂组的0.0%（ $P < 0.0001$ ）。
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文件）	↓ 下载文件 国际三期阿伐曲泊帕治疗慢性免疫性血小板减少症的三期随机研究原文及翻译.pdf
试验类型3	实效性临床研究(PCT)
试验对照药品	艾曲泊帕、罗普司亭
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者。
对主要临床结局指标改善情况	转换为阿伐曲泊帕后血小板计数显著提升，在所有患者（ $N=44$ ）中，艾曲泊帕或罗普司亭的中位血小板计数为 $45 \times 10^9/L$ ，而阿伐曲泊帕为 $114 \times 10^9/L$ （ $p < 0.0001$ ），并且不同原因转换用药的患者均可获得较高比例的应答。
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文件）	↓ 下载文件 大型多中心回顾性观察研究美国多中心TPO-RA转换治疗ITP研究原文及翻译.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	2023年促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识：阿伐曲泊帕是新一代的口服 TPO-RA，不受饮食限制，可与餐同服。年龄（18~86岁）、体重（39~135 kg）、性别、种族、肝功能损害及轻中度肾功能损害均不会对药代动力学产生有临床意义的影响。目前我国获批用于择期行诊断性操作或手术的成人慢性肝病相关血小板减少症（CLDT）患者，在欧美国家还获批用于既往治疗反应不佳的成人慢性ITP患者。
本次新增的适应症或功能主治	既往治疗反应不佳的成人慢性ITP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文件）	↓ 下载文件 2023年促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2019版成人ITP诊治国际共识报告：二线用药推荐使用阿伐曲泊帕（阿伐曲泊帕于2019年6月27日获得美国食品和药物管理局批准，用于对之前的治疗反应不足的成年慢性ITP患者）。
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者。
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文件）	↓ 下载文件 2019版成人ITP诊治国际共识报告原文及译文.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3	2023 血小板生成素受体激动剂在成人免疫性血小板减少症中的应用中欧专家共识：既往治疗（如皮质类固醇或免疫球蛋白）不佳慢性ITP患者的首选TPO-RAs进行二线治疗，如艾曲泊帕，罗普司亭，阿伐曲泊帕；对于有特定饮食要求的ITP患者，推荐阿伐曲泊帕及罗普司亭。对于慢性ITP并伴有肝功能损伤的患者，推荐阿伐曲泊帕。
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者。
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 2023血小板生成素受体激动剂在成人免疫性血小板减少症中的应用中欧专家共识原文及译文.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	2023年促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识：阿伐曲泊帕是新一代的口服 TPO-RA，不受饮食限制，可与餐同服。年龄（18~86岁）、体重（39~135 kg）、性别、种族、肝功能损害及轻中度肾功能损害均不会对药代动力学产生有临床意义的影响。目前我国获批用于择期行诊断性操作或手术的成人慢性肝病相关血小板减少症（CLDT）患者，在欧美国家还获批用于既往治疗反应不佳的成人慢性ITP患者。
本次新增的适应症或功能主治	既往治疗反应不佳的成人慢性ITP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 2023年促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2019版成人ITP诊治国际共识报告：二线用药推荐使用阿伐曲泊帕（阿伐曲泊帕于2019年6月27日获得美国食品和药物管理局批准，用于对之前的治疗反应不足的成年慢性ITP患者）。
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者。
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 2019版成人ITP诊治国际共识报告原文及译文.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	2023 血小板生成素受体激动剂在成人免疫性血小板减少症中的应用中欧专家共识：既往治疗（如皮质类固醇或免疫球蛋白）不佳慢性ITP患者的首选TPO-RAs进行二线治疗，如艾曲泊帕，罗普司亭，阿伐曲泊帕；对于有特定饮食要求的ITP患者，推荐阿伐曲泊帕及罗普司亭。对于慢性ITP并伴有肝功能损伤的患者，推荐阿伐曲泊帕。
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者。
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 2023血小板生成素受体激动剂在成人免疫性血小板减少症中的应用中欧专家共识原文及译文.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	-
《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）	-

四、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	阿伐曲泊帕组中发生率≥3%的不良反应包括：发热、腹痛、恶心、头痛、疲劳、外周性水肿，且发生率与安慰剂组相当。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	接受阿伐曲泊帕治疗的慢性免疫性血小板减少症患者中发生频率≥10%的不良反应包括：头痛、疲劳、挫伤、鼻衄、上呼吸道感染、关节痛、牙龈出血、瘀点、鼻咽炎。
相关报导文献	↓ 下载文件 苏可欣说明书安全性表述.pdf

五、创新性信息

创新程度	马来酸阿伐曲泊帕是新一代血小板生成素受体激动剂（TPO-RA），于2019年5月获得国家药品监督管理局（NMPA）授予优先审评资格，2020年4月被批准用于择期行诊断性操作或者手术的慢性肝病（CLDT）相关血小板减少症的成年患者治疗，2024年在中国获批用于对既往治疗反应不佳的成人慢性免疫性血小板减少症（ITP）的治疗。
创新性证明文件	-
应用创新	阿伐曲泊帕是新一代的口服血小板生成素受体激动剂，较艾曲泊帕具有更强的促血小板生成作用，能够更快速实现患者血小板应答；阿伐曲泊帕为小分子非肽类药物，不会产生中和性抗体，口服方便，没有饮食限制，无潜在肝毒性基团，耐受性良好，使用更方便安全，具有良好的治疗前景。
应用创新证明文件	-
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	ITP是一种获得性自身免疫性出血性疾病，国内尚无基于人口基数的ITP流行病学数据，国外报道的发病率约为2-5/100,000，成人发病总数约20万-100万之间，ITP以无症状血小板减少、皮肤黏膜出血为主，严重者还会出现内脏出血，甚至致命性颅内出血等，ITP不仅影响患者的躯体健康，还会给患者带来很大的心里危害，日常生活中也需避免外伤和出血的发生，所以ITP对患者的生活质量也造成很大影响。
符合“保基本”原则描述	口服制剂更适合基层医疗机构和定点药店使用，可进一步提高基层百姓用药的及可性和便捷性。
弥补目录短板描述	目前唯一一款CLDT和ITP双适应症的原研TPO-RA，唯一一款无肝毒性和可随餐服用，安全便捷的治疗ITP的口服TPO-RA，弥补了目录内无无肝毒性、无饮食限制、随餐服用治疗慢性原发免疫性血小板减少症治疗药物的现状。
临床管理难度描述	药物口服方便，可与食物同服，患者服药便利性强，利于临床管理。