

2025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： 盐酸替洛利生片

企业名称： 琅铎医药（上海）有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-17 20:45:17	药品目录	药品目录内
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2025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。
- 2.2025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。
- 3.2020年1月1日至2025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）	盐酸替洛利生片	药品类别	西药
<input checked="" type="radio"/> 药品注册分类	化药5.1类		
是否为独家	是	所属类别	谈判药品
协议/支付标准到期时间	2025年12月31日		
核心专利类型1	化合物	核心专利权期限届满日1	2026-03
核心专利类型2	晶型	核心专利权期限届满日2	2026-02
核心专利类型1	化合物	核心专利权期限届满日1	2026-03
核心专利类型2	晶型	核心专利权期限届满日2	2026-02
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	按 C17H26ClNO 计 (1) 4.5mg (2) 18mg		
上市许可持有人（授权企业）	Bioprojet Pharma		
说明书全部适应症/功能主治	用于治疗发作性睡病成人、青少年和 6 岁及以上儿童患者的日间过度嗜睡（EDS）或猝倒。		
现行医保目录的医保支付范围	限发作性睡病成人患者。		
所治疗疾病基本情况	发作性睡病是全球公认的罕见病，已被纳入我国《第二批罕见病目录》。该病多于儿童期起病，临床上以日间过度嗜睡（EDS）、猝倒、入睡前幻觉、睡眠瘫痪和夜间睡眠紊乱为核心症状，严重影响患者的生活质量、工作或学习能力以及身心健康，也为社会带来不可估量的劳动力损失和公共安全影响。我国台湾地区的患病率为0.0129%，儿童约占60%。我国患者组织登记约1600人（包括成人于儿童）。替洛利生获批前，我国儿童患者治疗以超说明书和红处方用药为主。		
中国大陆首次上市时间	2023-06		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	同疾病治疗领域内，目前尚无其它在上市药品，也无同作用机制药品。盐酸替洛利生片是首个也是唯一在中国获批发作性睡病儿童及成人适应症的药物。		
企业承诺书	↓ 下载文件 1_1_盐酸替洛利生片_企业承诺书_盖章版.pdf		
药品适应症或功能主治修改前法定说明书	↓ 下载文件 1_2_盐酸替洛利生片_药品修改前法定说明书.pdf		
药品适应症或功能主治修改后法定说明书	↓ 下载文件 1_3_盐酸替洛利生片_药品修改后法定说明书.pdf		

提供首次上市和最新版有效的《药品注册证书》(国产药品)/《进口药品注册证》(进口药品)、《药品再注册批准通知书》,以及证明适应症/功能主治变化前后的《药品补充申请批准通知书》

↓ 下载文件

1_4_盐酸替洛利生片_药品注册证书_成人儿童完整版.pdf

申报药品摘要幻灯片(含经济性信息)

↓ 下载文件

盐酸替洛利生片_PPT1.pdf

申报药品摘要幻灯片(不含经济性信息)将要同其他信息一同向社会公示

↓ 下载文件

盐酸替洛利生片_PPT2.pdf

序号	新增适应症/功能主治或医保支付范围调整部分	获批时间
1	发作性睡病青少年和6岁及以上儿童患者。	2024-05-21

新增适应症或功能主治的参照药品信息

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 $1.6m^2$ 。

CHINA HEALTHCARE SECURITY

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	金额(元)	疗程/周期
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由:针对儿童及成人发作性睡病的治疗,我国目前尚无同适应症药品。盐酸替洛利生片是首个也是唯一在中国获批发作性睡病儿童及成人适应症的药物。

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	发作性睡病青少年和6岁及以上儿童患者
对主要临床结局指标改善情况	治疗8周后,替洛利生组显著改善儿童发作性睡病的主要症状(日间过度嗜睡和猝倒):①替洛利生组Ullanlinna发作性睡病量表(UNS)总评分从基线至治疗结束减少6.3分,而安慰剂组为2.6分, $p=0.0073$,主要终点达成。②替洛利生组在儿童日间嗜睡量表(PDSS)和UNS-猝倒症(CTP)分项评分中,也显著优于安慰剂。

<p>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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p>↓ 下载文件 3_1_盐酸替洛利生片_2023年柳叶刀文章及药品说明书中的临床试验数据.pdf</p>
<p>试验类型1</p>	<p>单个样本量足够的RCT</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>安慰剂</p>
<p>试验阶段</p>	<p>获批前</p>
<p>本次新增的适应症或功能主治</p>	<p>发作性睡病青少年和 6 岁及以上儿童患者</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>治疗8周后，替洛利生组显著改善儿童发作性睡病的主要症状(日间过度嗜睡和猝倒): ①替洛利生组Ullanlinna发作性睡病量表(UNS)总评分从基线至治疗结束减少6.3分，而安慰剂组为2.6分，$p=0.0073$，主要终点达成。②替洛利生组在儿童日间嗜睡量表(PDSS)和UNS-猝倒症(CTP)分项评分中，也显著优于安慰剂。</p>
<p>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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p>↓ 下载文件 3_1_盐酸替洛利生片_2023年柳叶刀文章及药品说明书中的临床试验数据.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>《中国发作性睡病诊断与治疗指南(2022版)》，由中华医学会神经病学分会睡眠障碍学组于2022年发布。针对发作性睡病的多个核心症状(日间过度嗜睡EDS、猝倒、入睡幻觉和睡眠瘫痪)，替洛利生被推荐为首选药物，并获得了最高推荐等级(I级推荐)和最高证据级别(A级证据)。通过评估用药的风险与获益，推荐替洛利生用于儿童日间过度思睡的临床应用。儿童发作性睡病的治疗，参考成人用药推荐(首选替洛利生)。</p>
<p>本次新增的适应症或功能主治</p>	<p>发作性睡病青少年和 6 岁及以上儿童患者。</p>
<p>临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p>↓ 下载文件 3_2a_2022年中国发作性睡病诊断与治疗指南_高亮显示.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>《2023年欧洲儿童和青少年发作性睡病的药物治疗》中：①患者仅有日间过度嗜睡(EDS)症状时，推荐替洛利生为单药一线治疗用药，且为A级证据推荐；②患者同时有EDS与猝倒症状时，推荐替洛利生单药或联合用药治疗；③患者同时有EDS、猝倒与夜间睡眠紊乱(DNS)症状时，推荐替洛利生联合治疗。</p>
<p>本次新增的适应症或功能主治</p>	<p>发作性睡病青少年和 6 岁及以上儿童患者。</p>
<p>临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p>↓ 下载文件 3_2b_2023年欧洲指南儿童和青少年发作性睡病的药物治疗_高亮显示.pdf</p>

临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2021年欧洲成人及儿童发作性睡病治疗指南及专家共识》，由欧洲神经病研究会、欧洲睡眠研究学会和欧洲发作性睡病协作网，于2021年发布。针对发作性睡病儿童的日间过度嗜睡，推荐替洛利生为单药一线治疗。需注意的是，该指南发布时，替洛利生尚未在欧洲获批儿童适应症，因此无法体现最新的临床推荐情况。
本次新增的适应症或功能主治	发作性睡病青少年和 6 岁及以上儿童患者。
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 3_2c_2021年欧洲成人及儿童发作性睡病治疗指南及专家共识_高亮显示.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《中国发作性睡病诊断与治疗指南(2022版)》，由中华医学会神经病学学会睡眠障碍学组于2022年发布。针对发作性睡病的多个核心症状(日间过度嗜睡EDS、猝倒、入睡前幻觉和睡眠瘫痪)，替洛利生被推荐为首选药物，并获得了最高推荐等级(I级推荐)和最高证据级别(A级证据)。通过评估用药的风险与获益，推荐替洛利生用于儿童日间过度思睡的临床应用。儿童发作性睡病的治疗，参考成人用药推荐(首选替洛利生)。
本次新增的适应症或功能主治	发作性睡病青少年和 6 岁及以上儿童患者。
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 3_2a_2022年中国发作性睡病诊断与治疗指南_高亮显示.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《2023年欧洲儿童和青少年发作性睡病的药物治疗》中：①患者仅有日间过度嗜睡(EDS)症状时，推荐替洛利生为单药一线治疗用药，且为A级证据推荐；②患者同时有EDS与猝倒症状时，推荐替洛利生单药或联合用药治疗；③患者同时有EDS、猝倒与夜间睡眠紊乱(DNS)症状时，推荐替洛利生联合治疗。
本次新增的适应症或功能主治	发作性睡病青少年和 6 岁及以上儿童患者。
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 3_2b_2023年欧洲指南儿童和青少年发作性睡病的药物治疗_高亮显示.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2021年欧洲成人及儿童发作性睡病治疗指南及专家共识》，由欧洲神经病研究会、欧洲睡眠研究学会和欧洲发作性睡病协作网，于2021年发布。针对发作性睡病儿童的日间过度嗜睡，推荐替洛利生为单药一线治疗。需注意的是，该指南发布时，替洛利生尚未在欧洲获批儿童适应症，因此无法体现最新的临床推荐情况。
本次新增的适应症或功能主治	发作性睡病青少年和 6 岁及以上儿童患者。
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文	↓ 下载文件 3_2c_2021年欧洲成人及儿童发作性睡病治疗指南及专家共识_高亮显示.pdf

资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

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

CDE尚未公开儿童适应症技术审评报告，此处以儿童适应症上市申请时递交的临床试验报告中的有效性描述代替，附件为成人适应症的技术审批报告草稿。探索性研究和关键性对照研究均已证实：①替洛利生显著改善儿童发作性睡病的主要症状。治疗8周后，替洛利生组Ullanlinna发作性睡病量表(UNS)总评分从基线至治疗结束减少了6.36分，而安慰剂组为2.46分， $p=0.0073$ ，治疗组之间的差异具有统计学意义，表明8周治疗期后，替洛利生在控制发作性睡病主要症状的疗效显著优于安慰剂，主要终点达成。②儿童日间嗜睡量表(PDSS)和清醒维持试验(MWT)评价结果均表明替洛利生的疗效显著优于安慰剂。此外，在UNS-EDS (UNS-日间过度嗜睡)分项评分，和UNS-CTP(UNS-猝倒)分项评分也均优于安慰剂。

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 3_3_盐酸替洛利生片_申请上市技术审评报告_非公开版.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

CDE尚未公开儿童适应症技术审评报告，此处以儿童适应症上市申请时递交的临床试验报告中的有效性描述代替，附件为成人适应症的技术审批报告草稿。探索性研究和关键性对照研究均已证实：①替洛利生显著改善儿童发作性睡病的主要症状。治疗8周后，替洛利生组Ullanlinna发作性睡病量表(UNS)总评分从基线至治疗结束减少了6.36分，而安慰剂组为2.46分， $p=0.0073$ ，治疗组之间的差异具有统计学意义，表明8周治疗期后，替洛利生在控制发作性睡病主要症状的疗效显著优于安慰剂，主要终点达成。②儿童日间嗜睡量表(PDSS)和清醒维持试验(MWT)评价结果均表明替洛利生的疗效显著优于安慰剂。此外，在UNS-EDS (UNS-日间过度嗜睡)分项评分，和UNS-CTP(UNS-猝倒)分项评分也均优于安慰剂。

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 3_3_盐酸替洛利生片_申请上市技术审评报告_非公开版.pdf

四、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息

替洛利生在儿童和青少年的不良反应发生频率、类型和严重程度与成人相似。研究期间大多数AE为轻至中度，未发生SAE和因TEAE导致的停药。最常报告的药物相关不良反应(ADR)为头痛(11%)、失眠(5.5%)、高血压(2.7%)。替洛利生在6至<18岁儿童中的安全性特征良好，不同年龄亚组(6~11岁vs 12~18岁)的安全性特征无差异。

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

① 全球上市7年，>3000例临床试验受试者和上市后>36000患者年的安全性数据，在最长至5年的随访期中，证实了替洛利生良好的耐受性和长期安全性。② 各国家和地区药监部门5年内未发布任何安全性警告、黑框警告、撤市信息。③ 儿童适应症在欧洲2023年1月获批以来，未发布任何安全性警告、黑框警告、撤市信息。④ 其它优势：替洛利生停药后没有出现戒断综合征的风险，没有任何信号提示药物成瘾或滥用可能。

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 4_盐酸替洛利生片_安全性信息.pdf

五、创新性信息

创新程度

①替洛利生是全球首个成药的选择性组胺3受体拮抗剂/反向激动剂，通过阻断组胺自身受体发挥促醒作用，同时调节其他多种神经递质系统。不同于精神兴奋药，替洛利生不在伏隔核中释放多巴胺，无潜在成瘾性。②替洛利生获美国FDA突破性疗法认定，被美国FDA和欧洲EMA授予孤儿药认定，在我国儿童发作性睡病上市申请时被纳入优先审评，还荣获中国“2021-2023同类首创新药First-in-class”认定。

创新性证明文件

[↓ 下载文件](#) 5a_盐酸替洛利生片_创新性证明文件.pdf

应用创新

①替洛利生作为单药使用，可同时改善发作性睡病的多个核心症状(日间过度嗜睡、猝倒、入睡前幻觉和睡眠瘫痪)，无需联用其它药品，并且获得了中国指南的最高证据级别推荐，是唯一获此推荐的在上市药品。②替洛利生是唯一获批的非精神管控药品，不会引起精神运动兴奋、无潜在成瘾性，没有药物滥用风险，患者长期用药安全性好。替洛利生无需麻醉处方(红处方)管理，也为医疗系统降低了管理成本。

应用创新证明文件

[↓ 下载文件](#) 5b_盐酸替洛利生片_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

-

六、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	发作性睡病多起病于儿童青少年时期(8~10岁),严重影响患者的学习能力以及身心健康,也为社会带来不可估量的劳动力损失和公共安全影响:①患者随时面临日间过度嗜睡和猝倒带来的生命威胁。②患者发生交通事故等意外伤害的入院风险是健康人群的6.7倍。③绝大部分患者难以完成正常的学业,成年后43%的患者仅接受过高中及以下教育。④患者的直接与间接医疗支出是无患病人群的8~9倍。
符合“保基本”原则描述	①替洛利生是我国唯一获批发作性睡病儿童及青少年适应症的治疗药品。②替洛利生是唯一可用于儿童发作性睡病治疗的非精神管控类药品。③替洛利生也是唯一可单药使用的药品,能同时改善发作性睡病的多个核心症状,无需联用其它药品,降低患者用药负担。④发作性睡病是罕见病,用药人群小,对医保基金的整体影响有限。
弥补目录短板描述	①医保目录内没有发作性睡病儿童及青少年可用的治疗药品。②替洛利生是中国首个且唯一获批发作性睡病儿童及青少年适应症的创新药,结束了我国患者无药可用的困境,纳入医保后,将直接填补药品目录内发作性睡病儿童用药空白。
临床管理难度描述	①替洛利生是全球唯一上市能同时改善发作性睡病多个核心症状的口服非精神管控类药物,不是兴奋剂或镇静剂,无药物滥用风险,减轻国家禁毒工作负担。②无需麻精红处方特殊管理,降低医疗系统管理成本。③诊断路径清晰,治疗集中,医保管理方便。