



科伦药业
KELUN PHARMACEUTICAL

泊沙康唑肠溶片

NMPA 鼓励新增儿童适应症

第十批国家集采品种

新增13-18岁青少年侵袭性曲霉病治疗适应症

新增2岁和2岁以上且体重大于40kg的儿童侵袭性曲霉菌和念珠菌感染预防适应症

四川科伦药业股份有限公司



C 目录 CONTENTS

1

药品基本信息

2

安全性

3

有效性

4

创新性

5

公平性

通用名	泊沙康唑肠溶片			注册规格	100mg/片
适应症	● 治疗侵袭性曲霉病：用于13岁和13岁以上患者的侵袭性曲霉病的治疗。 ● 预防侵袭性曲霉菌和念珠菌感染：用于预防成人、2岁和2岁以上且体重大于40kg的儿童因重度免疫缺陷而导致侵袭性曲霉菌和念珠菌感染风险增加的患者，例如接受造血干细胞移植（HSCT）后发生移植物抗宿主病（GVHD）的患者或化疗导致长时间中性粒细胞减少症的血液系统恶性肿瘤患者。				
用法用量	● 治疗侵袭性曲霉病：13岁和13岁以上患者： 负荷剂量：第1天一日2次，每次300mg（100mg肠溶片3片）。 维持剂量：第2天开始，每日1次，每次300mg（100mg肠溶片3片）。 推荐总疗程6-12周。 注射液和肠溶片间可进行剂型转换。剂型转换时不需采用负荷剂量。 ● 预防侵袭性曲霉菌和念珠菌感染： 成人、2岁和2岁以上且体重大于40kg的儿童患者： 负荷剂量：第1天一日2次，每次300mg（100mg肠溶片3片）。 维持剂量：第2天开始，每日1次，每次300mg（100mg肠溶片3片）。 疗程根据中性粒细胞减少症或免疫抑制的恢复程度而定。 2岁和2岁以上且体重小于或等于40kg的儿童患者不适用。				
全球首次上市时间及国家	2013年，美国	中国首次上市时间	2018年	目前大陆地区同通用名药品的上市情况	9家

参照药品
选择建议

泊沙康唑口服混悬液

参照药品
建议理由

- ✓ 同治疗领域内，
同通用名下的口服制剂，
两者主要治疗成分相同；
- ✓ 国内临床应用较广泛，
能针对曲霉和念珠；
- ✓ 适应症类似，
均有预防及治疗适应症。
- ✓ 参照药品为
2024年医保目录内品种，
临床应用广泛。

欧美临床优先使用的泊沙康唑主流口服剂型、满足临床需求

疾病基本情况

- 据不同地区、不同人群、不同基础疾病等儿童IFD流行病学数据调研，血液恶性肿瘤、接受肿瘤化疗或HSCT的儿童IFD发生率（2.60%~19.30%）与死亡率高（9.10%~26.30%）¹。其中儿童侵袭性曲霉病死亡率可高达55%²。

临床未被满足的需求

- 临床急需疗效与安全并重、预防与治疗兼顾的药物，以改善儿童IFD的现状
- 而目录内同三唑类口服药物**肝毒性大、药物相互作用大、延长QT间期**，导致严重心脏不良事件发生风险增加。

本品与参照药品对比

- **显著提高口服生物利用度**：肠溶片的吸收受饮食影响小，几乎不受胃酸抑制剂/中和剂及促胃动力药物影响，与抗酸剂、H2受体拮抗剂和质子泵抑制剂同时使用不需调整剂量，**显著降低食物效应和个体吸收差异**。
- 混悬液说明书提及：**对于无法正常进餐的患者**，应采用泊沙康唑肠溶片代替泊沙康唑口服混悬液。

1. 李琰冰,等. 中华实用儿科临床杂志.2024;39(1):2-6.

2. Rubio PM, et al. J Pediatr Hematol Oncol.2009;31(9):642-6.

说明书 刊载的 安全性 信息

【不良反应】 使用泊沙康唑肠溶片 300mg 每日一次治疗最常报告 (>25%) 的不良反应为腹泻、发热和恶心。泊沙康唑在儿童患者中报告的不良反应特征与泊沙康唑在成人中的安全性特征一致。最常见的不良反应为发热、发热性中性粒细胞减少症、呕吐、粘膜炎症、瘙痒、高血压、低钾血症和口腔黏膜炎。

【禁忌】 本品的任何成分或其他唑类抗真菌药过敏者禁用本品。禁止本品与西罗莫司、CYP3A4 底物、主要通过 CYP3A4 代谢的HMG-CoA 还原酶抑制剂、麦角生物碱、维奈克拉联用。

【注意事项】 需注意与神经钙蛋白抑制剂的药物相互作用、电解质紊乱、肾功能不全患者的突破性真菌感染、与咪达唑仑联用、长春新碱与维奈克拉联用毒性。

【药物相互作用】 应避免与可能降低泊沙康唑血浆浓度的药物同时给药，通过CYP3A4 代谢的免疫抑制剂/苯二氮卓类药物/钙离子通道阻滞剂与本品联用，应调整剂量。

【儿童用药】 已在 2 岁及以上的因重度免疫缺陷而导致侵袭性曲霉菌和念珠菌感染风险增加的儿童患者，例如接受造血干细胞移植 (HSCT) 后发生移植物抗宿主病 (GVHD) 的患者或化疗导致长时间中性粒细胞减少症的血液系统恶性肿瘤患者中证实了泊沙康唑肠溶片用于预防侵袭性曲霉菌和念珠菌感染的安全性和有效性。已在 13 岁及以上的儿童患者中证实了泊沙康唑肠溶片用于治疗侵袭性曲霉病的安全性和有效性。

其他详见说明书。

国内外 不良反应 发生情况

各国家或地区药监部门5年内未发布任何安全性警告、黑框警告、撤市信息。

截止目前，我公司泊沙康唑肠溶片上市后临床用药中共收到6例不良反应报告，其中3例为严重的不良反应、3例为一般的不良反应，表现为血钾降低、肝功能异常、胃肠疾病、心电图 QT 间期延长、瘙痒；头晕；发热、腹胀；发热；多汗。

更安全耐受

- **肝毒性不良事件少：**与其他三唑类抗真菌药相比，泊沙康唑肝毒性不良事件更少（肝毒性发生率：泊沙康唑 2%-3%、氟康唑 5%-20%、伊曲康唑 8.5%、伏立康唑 10%-23%、艾沙康唑 7.9%）¹⁻²。
- **不良反应发生率显著更低：**与对照组相比（氟康唑、伏立康唑、伊曲康唑），试验组（泊沙康唑）患儿的总体不良反应发生率显著更低（OR=0.59，95% CI：0.36-0.95，P=0.03）³。
- **更少的药物相互作用：**相比其他三唑类抗真菌药，仅抑制 CYP3A4，与真菌感染患者常用的靶向药物、免疫抑制剂间的药物相互作用少⁴⁻⁵。
- **对于轻-重度肾功能不全、肝功能不全、不同性别、老年、肥胖患者安全耐受，均无需调整剂量⁵。**

2025 ECMM/ISHAM/ASM全球指南：念珠菌病的诊断和管理

- 推荐泊沙康唑用于预防急性白血病和异基因HCT患者（年龄 $\geq$ 2岁且体重 >40 kg或年龄 $\geq$ 2岁且体重 <40 kg）侵袭性念珠菌病（A-II t）。

2020 ECIL8 肿瘤或造血细胞移植后儿科患者侵袭性真菌病的诊断、预防和治疗指南

- 初级抗真菌药物推荐泊沙康唑（A-II t）。

2019年ESCMID-ECMM新生儿及儿童侵袭性曲霉病诊治指南

- 异基因造血干细胞移植，GVHD及增强的免疫抑制，原发或复发性白血病，骨髓衰竭综合征且伴有长期且严重的粒细胞减少症，推荐泊沙康唑预防IA（A-II t）；慢性肉芽肿性疾病，推荐泊沙康唑预防IA（A-III）；造血干细胞移植，癌症和骨髓衰竭综合征，推荐泊沙康唑治疗IA（B-II t）。

2012年ESCMID儿童及新生儿侵袭性念珠菌病管理指南

- 异基因造血干细胞移植，AML和复发性白血病，推荐泊沙康唑预防IC（B-II）。

2020年血液病/恶性肿瘤患者侵袭性真菌病指南 (第六次修订版)

- 初级预防推荐抗真菌药物：（1）中性粒细胞缺乏化疗患者：泊沙康唑，（2）异基因造血干细胞移植患者：泊沙康唑。

1. Cornely OA, et al. Lancet Infect Dis. 2025 Feb 13:S1473-3099(24)00749-7.
2. Groll AH, Pana D, Lanternier F, et al. Lancet Oncol. 2021 Jun;22(6):e254-e269.
3. Warris A, Lehnbecher T, Roilides E, et al. Clin Microbiol Infect. 2019 Sep;25(9):1096-1113.
4. Hope WW, Castagnola E, Groll AH, et al. Clin Microbiol Infect. 2012 Dec;18 Suppl 7:38-52.
5. 中国医师协会血液科医师分会,等.中华内科杂志.2020;59(10):754-763.

Meta分析：预防效果显著更优

- 一项荟萃分析结果显示，与对照组相比（氟康唑、伏立康唑、伊曲康唑），试验组（泊沙康唑）患儿的预防效果显著更优（OR=0.24，95% CI：0.14-0.40， $P<0.00001$ ）¹。

《新英格兰医学杂志》：突破性侵袭性真菌感染更少

- 一项单个样本量足够的RCT显示，预防期间，与氟康唑组相比，泊沙康唑组的突破性侵袭性真菌感染更少（2.4%对7.6%， $P=0.004$ ），尤其是侵袭性曲霉病（1.0%对5.9%， $P=0.001$ ）²。

《柳叶刀》：一线治疗侵袭性曲霉病效果不劣于伏立康唑

- 一项III期、多中心、随机对照、非劣效性临床试验（纳入 ≥ 13 岁侵袭性曲霉病患者），表明泊沙康唑一线治疗侵袭性曲霉病相比于伏立康唑具有非劣性，ITT人群第42天全因死亡率为泊沙康唑15%，伏立康唑21%，差异率-5.3%，95% CI：-11.6%~1.0%³。

对比混悬液，在儿童患者中药物浓度更高且达标更快

- 一项单中心研究，纳入泊沙康唑预防的儿童血液肿瘤患者，泊沙康唑肠溶片的血药谷浓度从开始用药就显著高于混悬液，是混悬液的1.8-6.1倍（中位3.2倍），肠溶片在第3天血药谷浓度即可达到中位浓度516ng/ml（治疗浓度 >500 ng/ml），而混悬液第14天才能达到⁴。

1. 范丽萍,孙慧媛,孔祥文,等.泊沙康唑预防血液病儿童侵袭性真菌感染的有效性和安全性Meta分析[J/OL].中国医院药学杂志,1-8[2024-07-30].

2. Andrew J. et al. N Engl J Med 2007;356:335-47.

3. Maertens JA, et al. Posaconazole versus voriconazole for primary treatment of invasive aspergillosis: a phase 3, randomised, controlled, non-inferiority trial. Lancet. 2021 Feb 6;397(10273):499-509.

4. Michaela Döring, et al. J Cancer Res Clin Oncol. 2017 Jul;143(7):1281-1292.

提高生物利用度、降低饮食影响、**更适合儿童人群**

主要创新点

- 显著提高生物利用度

泊沙康唑肠溶片采用pH敏感药物载体技术和热熔挤压工艺，在小肠定点增溶释药，显著提高口服生物利用度。

- 降低饮食影响

吸收受饮食影响小，几乎不受胃酸抑制剂/中和剂及促胃动力药物影响，与抗酸剂、H₂受体拮抗剂和质子泵抑制剂同时使用不需调整剂量，显著降低食物效应，稳定疗效。

- 仅抑制CYP3A4

相比其他三唑类抗真菌药，仅抑制CYP3A4，与真菌感染患者常用的靶向药物、免疫抑制剂间的药物相互作用少。

应用创新

泊沙康唑肠溶片是欧美临床优先使用的主流剂型，与泊沙康唑口服混悬液相比：

- 混悬液说明书提及：对于无法正常进餐的患者，应采用泊沙康唑肠溶片代替泊沙康唑口服混悬液。
- 肠溶片新增2-13岁儿童预防适应症，**更适合儿童特殊人群**，混悬液无此适应症。

新增儿童适应症，弥补目录短板

- 目录内无适用于儿童的兼顾疗效安全、预防与治疗的三唑类药物，本品为**NMPA 鼓励新增儿童适应症产品²**。
- **参照药品既往临床超说明书使用于儿童，本品解决了目录内儿童患者的难题。**
- 与参照药品相比，本品显著提高生物利用度，降低饮食影响，几乎不受胃酸抑制剂/中和剂及促胃动力药物影响。

对公共健康保障有重要意义

- 血液恶性肿瘤、接受肿瘤化疗或HSCT的儿童IFD发生率较高、死亡率高（9.10%~26.30%）。其中儿童侵袭性曲霉病死亡率可高达55%。
- 本品为**国家《第一批鼓励仿制药品目录》品种¹**，有效降低儿童IFD发生率和病死率，减轻经济负担，改善预后。



符合保基本原则

- **国家集中带量采购品种**，价格公平适宜。本品为第十批国家组织集中带量采购产品，价格适宜，相较于参照药而言，大大降低患者负担，与医保基金和参保人承受能力相适应，符合“保基本”原则。
- **新适应症适用于儿童IFD，适应症人群较小，几乎不会对医保基金产生影响。**

临床管理难度小

- 适应症及年龄界定明确，特殊使用级管理，处方审核规范，不存在潜在超说明书用药和临床滥用的风险。
- 药物无成瘾性，无需特殊贮藏，不增加医院管理负担。

1.国家卫生健康委办公厅:<https://www.nhc.gov.cn/wjw/c100175/201910/1f3312c809e044d0ba25074afc7e77a7.shtml>关于印发第一批鼓励仿制药品目录的通知(国卫办药政函〔2019〕744号)
2.NMPA官网: <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/ggtg/ypggtg/ypqtggtg/20240528100830119.html>国家药品监督管理局关于氟马西尼注射液等品种说明书增加儿童用药信息的公告（2024年第66号）