

# 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： 恩曲替尼胶囊

企业名称： 上海罗氏制药有限公司

## 申报信息

申报时间	2025-07-18 19:08:17	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）	恩曲替尼胶囊	药品类别	西药
① 药品注册分类	化学药品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	化合物专利（ZL200880025455.1）	核心专利权期限届满日1	2028-07
核心专利类型2	用途专利（ZL201410135406.0）	核心专利权期限届满日2	2028-07
核心专利类型1	化合物专利（ZL200880025455.1）	核心专利权期限届满日1	2028-07
核心专利类型2	用途专利（ZL201410135406.0）	核心专利权期限届满日2	2028-07
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	200mg, 100mg		
上市许可持有人（授权企业）	Roche Pharma (Schweiz) AG		
说明书全部适应症/功能主治	①实体瘤 本品适用于符合下列条件的成人和1月龄以上儿童实体瘤患者，- 经充分验证的检测方法诊断为携带神经生长因子受体酪氨酸激酶（NTRK）融合基因且不包括已知获得性耐药突变，- 患有局部晚期、转移性疾病或手术切除可能导致严重并发症的患者，以及 - 无满意替代治疗或既往治疗失败的患者。②非小细胞肺癌（NSCLC） 本品适用于ROS1阳性的局部晚期或转移性非小细胞肺癌（NSCLC）成人患者。		
现行医保目录的医保支付范围	①12岁及以上，经充分验证的检测方法诊断为携带神经生长因子受体酪氨酸激酶（NTRK）融合基因且不包括已知获得性耐药突变的实体瘤：患有局部晚期、转移性疾病或手术切除可能导致严重并发症的患者，或无满意替代治疗或既往治疗失败的患者；②ROS1阳性的局部晚期或转移性非小细胞肺癌（NSCLC）成人患者。		
所治疗疾病基本情况	恶性肿瘤是儿童最主要的死亡原因之一，严重威胁儿童的健康成长，我国儿童的癌症负担居世界第二。许多儿科肿瘤无标准治疗方案，目前多达90%药物属于超适应症使用，可能引起远期毒性作用。儿童实体瘤的NTRK融合阳性发病率约为0.34%，一些罕见肿瘤如婴儿纤维肉瘤等肿瘤的NTRK发生率高达75%以上。预估中国每年新发1月龄以上至12岁以下NTRK融合阳性晚期的实体瘤儿童患者约20-30人。		
中国大陆首次上市时间	2022-07		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	NTRK融合阳性实体瘤儿童患者的治疗选择有限。恩曲替尼于2022年7月获批用于成人和12岁及以上儿童实体瘤患者（2023年纳入医保），拉罗替尼于2022年获批条件批准用于全年龄段患者（2024年纳入医保），但在中枢神经系统（CNS）肿瘤的治疗仍存在未满足需求。2024年2月6日，恩曲替尼适应症进一步扩展至1月龄以上至12岁以下儿童。临床研究数据表明恩曲替尼颅内疗效确切且持久，有效弥补NTRK阳性儿童肿瘤的未满足需求。①颅内疗效确切：在原发性中枢神经系统儿童肿瘤全球人群中，BICR确认ORR为50.0%，中位PFS为23.1个月，中位OS可达57.7个月。②中国患者应答显著：在颅外实体瘤或原发性中枢神经系统儿童肿瘤中国人群中，确认的ORR为87.5%、CR率为50%，中位反应持续时间尚未达到（NE，NE）（拉罗替尼尚未披露此类数据）。		

企业承诺书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 1-1企业承诺书.pdf
药品适应症或功能主治修改前法定说明书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 1-2恩曲替尼-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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 1-3恩曲替尼-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》	<a href="#">↓ 下载文件</a> 1-4恩曲替尼-药品注册证-最新版及首次上市版.pdf
申报药品摘要幻灯片 (含经济性信息)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 恩曲替尼胶囊【PPT1】.pptx
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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 恩曲替尼胶囊【PPT2】.pdf

序号 ①	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	本品适用于符合下列条件的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者: - 经充分验证的检测方法诊断为携带神经营养酪氨酸受体激酶 (NTRK) 融合基因且不包括已知获得性耐药突变, - 患有局部晚期、转移性疾病或手术切除可能导致严重并发症的患者, 以及 - 无满意替代治疗或既往治疗失败的患者。	2024-02-06

#### 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。
  - 急抢救、麻醉、检验等用药, 请按一个治疗周期计算次均费用。
  - 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。
  - 其它情况请按说明书用法用量计算费用, 并详细说明。
  - 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。
    - 儿童: 18周岁以下, 体重20公斤, 体表面积0.8m<sup>2</sup>。
    - 成人: 18周岁及以上, 体重60公斤, 体表面积1.6m<sup>2</sup>。

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	金额 (元) ①	疗程/周期 ①
硫酸拉罗替尼胶囊	是	100mg	259.15	儿童患者的剂量基于体表面积 (BSA), 儿童患者的推荐剂量为100 mg/m <sup>2</sup> 拉罗替尼, 最大剂量为100mg/次, 每日两次, 直至出现疾病进展或出	年度费用	189,179.50	-

现不可接受的  
毒性。

参照药品选择理由： 硫酸拉罗替尼胶囊是目前目录内唯一拥有12岁以下儿童（含新生儿）NTRK融合实体瘤适应症，且与本品剂型相同的药物。

其他情况请说明：无

### 三、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	获批前
本次新增的适应症或功能主治	NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者
对主要临床结局指标改善情况	来自于全球3项临床研究（STARTRK-2、STARTRK-NG和TAPISTRY）数据的整合分析中，在NTRK融合的颅外实体瘤或原发性中枢神经系统儿童肿瘤全球人群中，BICR确认的ORR为72.7%（CR率达45.5%），mDOR为NE（25.4, NE），mPFS为NE（27.2, NE），mOS为NE（35.7, NE）。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 3-1-1NTRK融合阳性的颅外实体瘤或原发性中枢神经系统儿童肿瘤全球人群有效性数据-原文及翻译.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者
对主要临床结局指标改善情况	来自于关键性研究（STARTRK-NG）中的中国亚组数据显示，在NTRK融合的颅外实体瘤或原发性中枢神经系统（CNS）肿瘤的中国儿童患者中，中位生存随访时间为17.1个月（范围：13-23个月），中位治疗时间为16.62个月（范围：3.2-22.8个月），由BCIR评估的ORR为87.5%（CR率达50%），mDOR尚未达到，mPFS和mOS均为NE（NE, NE）。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 3-1-2NTRK融合阳性的颅外实体瘤或原发性中枢神经系统儿童肿瘤中国人群有效性数据.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者
对主要临床结局指标改善情况	来自于全球3项临床研究（STARTRK-2、STARTRK-NG和TAPISTRY）数据的整合分析中，在NTRK融合阳性的原发性中枢神经系统儿童肿瘤全球人群中，BICR确认的ORR为50.0%（CR率达25%）。在基线疾病可测量的患者中，NTRK的ORR为58.8%。mDOR为25.4个月（11.8, NE），mPFS为23.1个月（13.0, NE），mOS为57.7个月（28.6, NE）。

<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><a href="#">↓ 下载文件</a> 3-1-3NTRK融合阳性的原发性中枢神经系统儿童肿瘤全球人群有效性数据-原文及翻译.pdf</p>
<p>试验类型1</p>	<p>单臂临床实验</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无</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>NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>来自于全球3项临床研究（STARTRK-2、STARTRK-NG和TAPISTRY）数据的整合分析中，在NTRK融合的颅外实体瘤或原发性中枢神经系统儿童肿瘤全球人群中，BICR确认的ORR为72.7%（CR率达45.5%），mDOR为NE（25.4, NE），mPFS为NE（27.2, NE），mOS为NE（35.7, NE）。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 3-1-1NTRK融合阳性的颅外实体瘤或原发性中枢神经系统儿童肿瘤全球人群有效性数据-原文及翻译.pdf</p>
<p>试验类型2</p>	<p>单臂临床实验</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无</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>NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>来自于关键性研究（STARTRK-NG）中的中国亚组数据显示，在NTRK融合的颅外实体瘤或原发性中枢神经系统（CNS）肿瘤的中国儿童患者中，中位生存随访时间为17.1个月（范围：13-23个月），中位治疗时间为16.62个月（范围：3.2-22.8个月），由BCIR评估的ORR为87.5%（CR率达50%），mDOR尚未达到，mPFS和mOS均为NE（NE, NE）。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 3-1-2NTRK融合阳性的颅外实体瘤或原发性中枢神经系统儿童肿瘤中国人群有效性数据.pdf</p>
<p>试验类型3</p>	<p>单臂临床实验</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无</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>NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>来自于全球3项临床研究（STARTRK-2、STARTRK-NG和TAPISTRY）数据的整合分析中，在NTRK融合阳性的原发性中枢神经系统儿童肿瘤全球人群中，BICR确认的ORR为50.0%（CR率达25%）。在基线疾病可测量的患者中，NTRK的ORR为58.8%。mDOR为25.4个月（11.8, NE），mPFS为23.1个月（13.0, NE），mOS为57.7个月（28.6, NE）。</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）

↓ 下载文件

3-1-3NTRK融合阳性的原发性中枢神经系统儿童肿瘤全球人群有效性数据-原文及翻译.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

《NCCN儿童中枢神经系统肿瘤指南（2025年V2版）》推荐恩曲替尼作为NTRK基因融合阳性的复发或进展性儿童弥漫性高级别胶质瘤的优选治疗方案（2A类推荐）。

本次新增的适应症或功能主治

NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者

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

3-2-1NCCN儿童中枢神经系统肿瘤2025年V2-原文及翻译.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

《JSCO/JSMO/JSPHO关于TRK抑制剂在NTRK融合阳性晚期实体瘤成人和儿童患者中的诊断和使用的临床建议》推荐TRK抑制剂（如恩曲替尼）用于具有NTRK融合基因不可切除/转移性/复发性实体瘤（强烈建议）[SR:20, R:0, ECO:0, NR:0]。

本次新增的适应症或功能主治

NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者

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

3-2-2JSCOJSMOJSPHO关于TRK抑制剂在NTRK融合阳性晚期实体瘤成人和儿童患者中的诊断和使用的临床建议-原文及翻译.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

《儿童和特定成人肿瘤中NTRK基因融合的检测路径推荐：新加坡工作组的共识》推荐在已知携带NTRK基因融合的特定儿童肿瘤中，若无标准治疗可用，可考虑将TRK抑制剂作为一线治疗，或作为后续治疗。

本次新增的适应症或功能主治

NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者

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

3-2-3儿童和特定成人肿瘤中NTRK基因融合的检测路径推荐新加坡工作组的共识-原文及翻译.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

《中国实体瘤NTRK基因融合临床诊疗专家共识》对于NTRK基因融合阳性的实体瘤患者，推荐接受TRK抑制剂（如恩曲替尼）治疗，或参加TRK抑制剂相关临床试验（强烈建议）。

本次新增的适应症或功能主治

NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者

<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><a href="#">↓ 下载文件</a> 3-2-4中国实体瘤NTRK基因融合临床诊疗专家共识-原文及翻译.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>《NCCN儿童中枢神经系统肿瘤指南（2025年V2版）》推荐恩曲替尼作为NTRK基因融合阳性的复发或进展性儿童弥漫性高级别胶质瘤的优选治疗方案（2A类推荐）。</p>
<p>本次新增的适应症或功能主治</p>	<p>NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 3-2-1NCCN儿童中枢神经系统肿瘤2025年V2-原文及翻译.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>《JSCO/JSMO/JSPHO关于TRK抑制剂在NTRK融合阳性晚期实体瘤成人 and 儿童患者中的诊断和使用的临床建议》推荐TRK抑制剂（如恩曲替尼）用于具有NTRK融合基因不可切除/转移性/复发性实体瘤（强烈建议）[SR:20, R:0, ECO:0, NR:0]。</p>
<p>本次新增的适应症或功能主治</p>	<p>NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 3-2-2JSCOJSMOJSPHO关于TRK抑制剂在NTRK融合阳性晚期实体瘤成人 and 儿童患者中的诊断和使用的临床建议-原文及翻译.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>	<p>《儿童和特定成人肿瘤中NTRK基因融合的检测路径推荐：新加坡工作组的共识》推荐在已知携带NTRK基因融合的特定儿童肿瘤中，如果无标准治疗可用，可考虑将TRK抑制剂作为一线治疗，或作为后续治疗。</p>
<p>本次新增的适应症或功能主治</p>	<p>NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 3-2-3儿童和特定成人肿瘤中NTRK基因融合的检测路径推荐新加坡工作组的共识-原文及翻译.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况4</p>	<p>《中国实体瘤NTRK基因融合临床诊疗专家共识》对于NTRK基因融合阳性的实体瘤患者，推荐接受TRK抑制剂（如恩曲替尼）治疗，或参加TRK抑制剂相关临床试验（强烈建议）。</p>

本次新增的适应症或功能主治	NTRK基因融合阳性的1月龄以上至12岁以下儿童实体瘤患者
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 3-2-4中国实体瘤NTRK基因融合临床诊疗专家共识-原文及翻译.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	截至CCOD，全球人群临床数据显示，BICR评估的ORR为69.7%[95%CI: 51.3, 84.4]、中位DOR25.4个月（95%CI: 14.3, NE），中位TTR为1.84个月（范围：1.1, 3.5），CBR为84.8%（95%CI: 68.1, 94.9）体现了显著的快速且持久的临床获益。PFS和OS数据尚不成熟，中位PFS（基于BICR评估结果）为27.2个月（95%CI: 16.1, NE），中位OS未达到（95%CI: 35.7, NE）。按照年龄和肿瘤类型进行的亚群结果分析显示，恩曲替尼治疗显示的客观缓解基本一致。中国亚组的临床数据表明，中国患者经BICR评估的ORR为87.5%（95%CI: [47.4, 99.7]），中位DOR尚未达到，中位至首次客观缓解时间为1.84个月（范围：1.8, 1.9）。CBR为87.5%（95%CI: 47.4, 99.7），无患者发生BICR评估的疾病进展或死亡。在NTRK融合阳性实体瘤儿童患者中，恩曲替尼在大多数患者中产生了快速且持续的抗肿瘤活性，获益程度具有临床意义。中国亚组儿童患者的疗效结果与总体人群获益趋势一致。
《技术审评报告》原文（可节选）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 3-3恩曲替尼-技术审评报告.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	截至CCOD，全球人群临床数据显示，BICR评估的ORR为69.7%[95%CI: 51.3, 84.4]、中位DOR25.4个月（95%CI: 14.3, NE），中位TTR为1.84个月（范围：1.1, 3.5），CBR为84.8%（95%CI: 68.1, 94.9）体现了显著的快速且持久的临床获益。PFS和OS数据尚不成熟，中位PFS（基于BICR评估结果）为27.2个月（95%CI: 16.1, NE），中位OS未达到（95%CI: 35.7, NE）。按照年龄和肿瘤类型进行的亚群结果分析显示，恩曲替尼治疗显示的客观缓解基本一致。中国亚组的临床数据表明，中国患者经BICR评估的ORR为87.5%（95%CI: [47.4, 99.7]），中位DOR尚未达到，中位至首次客观缓解时间为1.84个月（范围：1.8, 1.9）。CBR为87.5%（95%CI: 47.4, 99.7），无患者发生BICR评估的疾病进展或死亡。在NTRK融合阳性实体瘤儿童患者中，恩曲替尼在大多数患者中产生了快速且持续的抗肿瘤活性，获益程度具有临床意义。中国亚组儿童患者的疗效结果与总体人群获益趋势一致。
《技术审评报告》原文（可节选）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 3-3恩曲替尼-技术审评报告.pdf

#### 四、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	恩曲替尼总体安全性良好，最常见的不良反应（≥20%）为疲乏、便秘、腹泻、头晕、味觉倒错、水肿、体重增加、贫血、血肌酐升高、恶心、感觉迟钝、疼痛、呕吐、发热、关节痛、天冬氨酸氨基转移酶升高和呼吸困难、认知障碍、咳嗽和丙氨酸氨基转移酶升高。报告的多数不良反应（ADR）的严重程度为1级或2级。儿童整体人群的总体安全性特征整体与成人用药的安全性特征相似。各年龄组（婴幼儿、儿童和青少年）的安全性特征与恩曲替尼在儿童患者中的总体安全性特征相似。已知对恩曲替尼或任何辅料过敏的患者禁用。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	恩曲替尼胶囊上市后总体安全性良好，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。参考2024年6月18日至2024年12月17日PBRER涵盖的报告期内获得的全部新获益和风险信息的评价，认为恩曲替尼的累积获益-风险特征未发生变化。
相关报导文献	-

#### 五、创新性信息

创新程度	①革新肿瘤治疗理念，精准治疗携带相同基因变异类型的罕见肿瘤，突破瘤种限制，丰富低龄儿童的NTRK融合靶向治疗选择，适用于1月龄以上儿童患者。②全球目前唯一获批具有明确颅内疗效的实体瘤儿童NTRK靶向药，治疗NTRK融合阳性原发性CNS儿童患者疗效明确。③基于优异的疗效和迫切的临床需求，被CDE纳入优先审评，获得FDA优先审评、突破性疗法和孤儿药资格认定。
------	--

创新性证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 5-1恩曲替尼-创新程度证明文件.pdf
应用创新	①适用于1月龄以上儿童患者。②每日仅给药1次，用药便利。③肾功能不全患者无需调整剂量。
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 5-2恩曲替尼-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	-

## 六、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	①突破瘤种界限，长期生存助力罕见靶点肿瘤进入慢病化管理时代。②所治疗疾病为有明确靶点的罕见儿童疾病，为儿童肿瘤患者提供新的治疗选择，对推进我国儿童健康事业发展有重要意义。③颅内疗效确切且持久，有效弥补NTRK融合阳性的原发性CNS儿童肿瘤患者的未满足需求。
符合“保基本”原则描述	①医保目录内儿童肿瘤药物有限，恩曲替尼不限瘤种，缓解儿童肿瘤治疗领域更为迫切的临床需求。②新发患者人数有限，节省医保基金支出，口服用药，节约住院费用，基金影响有限。③相较于同类TRK抑制剂，恩曲替尼的治疗费用更低、经济性更优，有效减轻患者的用药负担。
弥补目录短板描述	针对NTRK融合阳性原发性CNS儿童患者有明确的疗效证据支持，丰富1月龄以上至12岁以下NTRK融合阳性儿童实体瘤患者的用药选择。
临床管理难度描述	①新增适应症仅针对基因检测结果为NTRK融合的患者，精准治疗、无临床滥用风险。②用法用量明确，每天仅需口服一次，方便规范管理并改善患者治疗依从性。

**中国医疗保障**  
CHINA HEALTHCARE SECURITY