

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： 盐酸伊普可泮胶囊

企业名称： 北京诺华制药有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-20 11:40:17	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）	盐酸伊普可泮胶囊	药品类别	西药
① 药品注册分类	化学药品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	2026年12月31日		
核心专利类型1	化合物专利ZL201480050471.1	核心专利权期限届满日1	2034-07
核心专利类型1	化合物专利ZL201480050471.1	核心专利权期限届满日1	2034-07
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	200mg（按C25H30N2O4计）		
上市许可持有人（授权企业）	Novartis Pharma Schweiz AG		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于治疗：①阵发性睡眠性血红蛋白尿症（PNH）成人患者。②C3肾小球病（C3G）成人患者，以降低蛋白尿。		
现行医保目录的医保支付范围	限既往未接受过补体抑制剂治疗的阵发性睡眠性血红蛋白尿症(PNH)成人患者。		
所治疗疾病基本情况	1.C3G是补体过度活化直接介导的罕见肾病，纳入《上海市主要罕见病名录(2025版)》，中位发病年龄21岁，50%的患者10年内进展为终末期肾病需长期透析或肾移植，移植后仍会复发或失功。全球发病率0.2~2/百万，中国无确切流行病学数据，中国24家三甲医院2013-2021年仅确诊59例成人C3G。 2.PNH是致死性罕见溶血性疾病,纳入中国《第一批罕见病目录》。牡丹江地区调研发病率2.85/百万，患病率9.1/百万。约20%的患者使用补体C5抑制剂疗效不佳，需要调整剂量或者转化为近端补体抑制剂。		
中国大陆首次上市时间	2024-04		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	1. C3G:伊普可泮是中国目前唯一获批治疗C3G的靶向治疗药物。除本品外，没有其他药品在中国获批或进入III期临床试验。目前以支持治疗为主（ACEi/ARB、激素和/或霉酚酸酯），治疗效果有限且长期使用副作用明显，70%的患者治疗后仍蛋白尿≥1g/天，长期依赖透析或肾移植，且移植后仍会复发或失功 2. PNH: 伊普可泮是中国目前唯一获批的补体C5抑制剂经治PNH靶向治疗药物。补体C5抑制剂依库珠单抗2018年中国获批，2023年PNH、aHUS、gMG适应症纳入医保。补体C5抑制剂可伐利单抗2024年获批，目前未商业上市。中国PNH指南共识指出：对于已经常规接受C5抑制剂治疗的PNH患者，如果出现疗效不佳，如血管外溶血（EVH）、突破性溶血(BTH)或不耐受等，可以转换近端补体抑制剂——伊普可泮 3. 伊普可泮是全球首个近端补体旁路B因子抑制剂，罕见病1类新药，治疗C3G和PNH均获得中美突破性治疗品种认定，填补治疗空白。在C3G中直击病因，抑制C3裂解和沉积，减少炎症、肾损伤和衰竭，减少透析和肾移植。在PNH中，全面控制血管外溶血和血管内溶血，摆脱输血依赖		
企业承诺书	↓ 下载文件 1企业承诺书_20250714_盐酸伊普可泮胶囊.pdf		
药品适应症或功能主治修改前法定说明书	↓ 下载文件 2盐酸伊普可泮胶囊200mg说明书修改前.pdf		

药品适应症或功能主治修改后法定说明书	↓ 下载文件 3盐酸伊普可泮胶囊200mg说明书修改后.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 4盐酸伊普可泮胶囊药品注册证书.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性信息）	↓ 下载文件 盐酸伊普可泮胶囊【PPT1-含经济性】.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 盐酸伊普可泮胶囊【PPT2-不含经济性】.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	C3肾小球病（C3G）成人患者	2025-04-01
2	补体抑制剂经治阵发性睡眠性血红蛋白尿症（PNH）成人患者	2025-05-27

新增适应症或功能主治的参照药品信息

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）急抢救、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	金额（元） ①	疗程/周期 ①
空白对照	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：1. 靶向治疗C3G、PNH，均具有不可替代性 1)填补治疗空白：医保目录内无C3G、补体抑制剂经治PNH获批治疗药物。2)机制创新：目录内外唯一的补体旁路B因子抑制剂。 2.获多重创新资格认定：FDA/CDE突破性疗法、FDA/EMA孤儿药、EMA优先药品。

其他情况请说明：-

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	C3肾小球病（C3G）成人患者

对主要临床结局指标改善情况	在最佳支持治疗的基础上，治疗6个月伊普可泮vs.安慰剂：蛋白尿减少比例35.1% (p=0.0014)，达到复合肾脏终点(eGFR降低≤15%和蛋白尿降低≥50%)的患者比例达7倍优势比(p=0.0083)，增加eGFR斜率+2.2 ml/min/1.73m2。伊普可泮治疗12个月疗效持续，蛋白尿减少37%，达到符合肾脏终点的患者比例达44.7%，eGFR保持稳定
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 2-1-1伊普可泮关键三期APPEAR-C3G试验及翻译件.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	C3肾小球病（C3G）成人患者
对主要临床结局指标改善情况	在最佳支持疗法的基础上，伊普可泮能够延长无肾脏替代治疗生命年至少10年。APPEAR-C3G III期+ II 期数据（~4.7年治疗时长），伊普可泮治疗前vs.治疗后，eGFR斜率-8.32vs.-0.70, 无肾脏替代治疗生命年延缓10.71年。APPEAR-C3G III期数据（~2年治疗时长），伊普可泮治疗前vs.治疗后，eGFR斜率-7.22vs.-0.29, 无肾脏替代治疗生命年延缓11.85年
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 2-1-2伊普可泮治疗C3G长期获益摘要及翻译件.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	补体C5抑制剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	既往接受过补体抑制剂的阵发性睡眠性血红蛋白尿症（PNH）成人患者
对主要临床结局指标改善情况	头对头研究显示，在既往接受过补体C5抑制剂经治的PNH成人患者中，伊普可泮24周疗效显著优于C5抑制剂p<0.001。1) 血红蛋白水平Hb升高≥2g/dL 82% vs 2%, 实现Hb≥12g/dL 69% vs 2%， 平均Hb变化+3.6g/dL vs. -0.06 g/dL; 2) 摆脱输血依赖 95% vs 26%; 3) FACIT-疲劳评分变化+8.6 vs +0.3
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 2-1-3伊普可泮关键三期APPLY-PNH试验及翻译件.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	C3肾小球病（C3G）成人患者

对主要临床结局指标改善情况	在最佳支持治疗的基础上，治疗6个月伊普可泮vs.安慰剂：蛋白尿减少比例35.1% (p=0.0014)，达到复合肾脏终点(eGFR降低≤15%和蛋白尿降低≥50%)的患者比例达7倍优势比(p=0.0083)，增加eGFR斜率+2.2 ml/min/1.73m2。伊普可泮治疗12个月疗效持续，蛋白尿减少37%，达到符合肾脏终点的患者比例达44.7%，eGFR保持稳定
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 2-1-1伊普可泮关键三期APPEAR-C3G试验及翻译件.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	C3肾小球病（C3G）成人患者
对主要临床结局指标改善情况	在最佳支持疗法的基础上，伊普可泮能够延长无肾脏替代治疗生命年至少10年。APPEAR-C3G III期+ II 期数据（~4.7年治疗时长），伊普可泮治疗前vs.治疗后，eGFR斜率-8.32vs.-0.70, 无肾脏替代治疗生命年延缓10.71年。APPEAR-C3G III期数据（~2年治疗时长），伊普可泮治疗前vs.治疗后，eGFR斜率-7.22vs.-0.29, 无肾脏替代治疗生命年延缓11.85年
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 2-1-2伊普可泮治疗C3G长期获益摘要及翻译件.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	补体C5抑制剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	既往接受过补体抑制剂的阵发性睡眠性血红蛋白尿症（PNH）成人患者
对主要临床结局指标改善情况	头对头研究显示，在既往接受过补体C5抑制剂经治的PNH成人患者中，伊普可泮24周疗效显著优于C5抑制剂p<0.001。1) 血红蛋白水平Hb升高≥2g/dL 82% vs 2%, 实现Hb≥12g/dL 69% vs 2%， 平均Hb变化+3.6g/dL vs. -0.06 g/dL; 2) 摆脱输血依赖 95% vs 26%; 3) FACIT-疲劳评分变化+8.6 vs +0.3
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 2-1-3伊普可泮关键三期APPLY-PNH试验及翻译件.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《补体相关性肾病诊断和治疗专家共识》 伊普可泮治疗C3肾小球病的全球 II 期临床研究显示良好的疗效与安全性，第12周时平均估算的肾小球滤过率（eGFR）相对于基线改善1.04 ml · min-1 · 1.73m-2，延长治疗至12个月，可进一步降低尿蛋白（自基线降低57%）、改善eGFR（6.83 ml · min-1 · 1.73m-2）。移植后复发的C3肾小球病患者，接受伊普可泮长期治疗可稳定eGFR
本次新增的适应症或功能主治	C3肾小球病

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 2-2-1补体相关性肾病诊断和治疗专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《阵发性睡眠性血红蛋白尿症诊断与治疗中国指南（2024年版）》· 盐酸伊普可泮胶囊（Iptacopan）作为一种靶向B因子的近端补体抑制剂，可选择性抑制旁路途径，同时使凝集素途径和经典途径的直接信号传导保持完整，以控制末端补体介导的IVH及C3b介导的血管外溶血（EVH）· 出现补体C5抑制剂相关EVH，可尝试近端补体抑制剂
本次新增的适应症或功能主治	阵发性睡眠性血红蛋白尿症
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 2-2-2阵发性睡眠性血红蛋白尿症诊断与治疗中国指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《阵发性睡眠性血红蛋白尿症克隆筛查及补体抑制剂治疗监测中国专家共识（2024年版）》· 20%的患者在使用依库珠单抗时需要调整剂量。新型补体抑制剂不断获批上市，尤其是近年来开展临床试验的近端补体抑制剂，有望解决依库珠单抗疗效不佳的问题· BTH是补体抑制剂效果不佳或失去疗效的表现。出现BTH，如当前使用C5抑制剂，可以转化为近端补体抑制剂。或在提高C5抑制剂剂量仍无效时，转为近端补体抑制剂
本次新增的适应症或功能主治	阵发性睡眠性血红蛋白尿症
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 2-2-3PNH克隆筛查及补体抑制剂治疗监测中国专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	阵发性睡眠性血红蛋白尿症多学科诊疗专家共识（2024）· 补体旁路途径抑制剂亦对血管内溶血和血管外溶血均有疗效，伊普可泮是首个B因子靶向抑制剂，单药口服控制PNH溶血具有良好的疗效及安全性
本次新增的适应症或功能主治	阵发性睡眠性血红蛋白尿症
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 2-2-4阵发性睡眠性血红蛋白尿症多学科诊疗专家共识.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5	《阵发性睡眠性血红蛋白尿补体抑制剂治疗与管理专家共识（2025）》 • 对于已经常规接受C5抑制剂治疗的PNH患者，如果出现疗效不佳，如血管外溶血（EVH）、突破性溶血(BTH)或不耐受等，可以转换近端补体抑制剂——伊普可泮 • 伊普可泮于2024年4月在中国获批用于PNH成人患者的一线治疗。伊普可泮是目前获批的疗效最优的补体抑制剂，其临床疗效确切、安全，可口服，进一步提升了PNH治疗目标
本次新增的适应症或功能主治	阵发性睡眠性血红蛋白尿症
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 2-2-5阵发性睡眠性血红蛋白尿补体抑制剂治疗与管理专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《补体相关性肾病诊断和治疗专家共识》 伊普可泮治疗C3肾小球病的全球II期临床研究显示出良好的疗效与安全性，第12周时平均估算的肾小球滤过率（eGFR）相对于基线改善1.04 ml·min ⁻¹ ·1.73m ⁻² ，延长治疗至12个月，可进一步降低尿蛋白（自基线降低57%）、改善eGFR（6.83 ml·min ⁻¹ ·1.73m ⁻² ）。移植后复发的C3肾小球病患者，接受伊普可泮长期治疗可稳定eGFR
本次新增的适应症或功能主治	C3肾小球病
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 2-2-1补体相关性肾病诊断和治疗专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《阵发性睡眠性血红蛋白尿症诊断与治疗中国指南（2024年版）》 • 盐酸伊普可泮胶囊（Iptacopan）作为一种靶向B因子的近端补体抑制剂，可选择性抑制旁路途径，同时使凝集素途径和经典途径的直接信号传导保持完整，以控制末端补体介导的IVH及C3b介导的血管外溶血（EVH） • 出现补体C5抑制剂相关EVH，可尝试近端补体抑制剂
本次新增的适应症或功能主治	阵发性睡眠性血红蛋白尿症
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 2-2-2阵发性睡眠性血红蛋白尿症诊断与治疗中国指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《阵发性睡眠性血红蛋白尿症克隆筛查及补体抑制剂治疗监测中国专家共识（2024年版）》 • 20%的患者在使用依库珠单抗时需要调整剂量。新型补体抑制剂不断获批上市，尤其是近年来开展临床试验的近端补体抑制剂，有望解决依库珠单抗疗效不佳的问题 • BTH是补体抑制剂效果不佳或失去疗效的表现。出现BTH，如当前使用C5抑制剂，可以转化为近端补体抑制剂。或在提高C5抑制剂剂量仍无效时，转为近端补体抑制剂
本次新增的适应症或功能主治	阵发性睡眠性血红蛋白尿症
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	↓ 下载文件 2-2-3PNH克隆筛查及补体抑制剂治疗监测中国专家共识.pdf

(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）	
临床指南/诊疗规范推荐情况4	阵发性睡眠性血红蛋白尿症多学科诊疗专家共识（2024） · 补体旁路途径抑制剂亦对血管内溶血和血管外溶血均有疗效，伊普可泮是首个B因子靶向抑制剂，单药口服控制PNH溶血具有良好的疗效及安全性
本次新增的适应症或功能主治	阵发性睡眠性血红蛋白尿症
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 2-2-4阵发性睡眠性血红蛋白尿症多学科诊疗专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《阵发性睡眠性血红蛋白尿补体抑制剂治疗与管理专家共识（2025）》 · 对于已经常规接受C5抑制剂治疗的PNH患者，如果出现疗效不佳，如血管外溶血（EVH）、突破性溶血(BTH)或不耐受等，可以转换近端补体抑制剂——伊普可泮 · 伊普可泮于2024年4月在中国获批用于PNH成人患者的一线治疗。伊普可泮是目前获批的疗效最优的补体抑制剂，其临床疗效确切、安全，可口服，进一步提升了PNH治疗目标
本次新增的适应症或功能主治	阵发性睡眠性血红蛋白尿症
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 2-2-5阵发性睡眠性血红蛋白尿补体抑制剂治疗与管理专家共识.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	APPLY-PNH是一项多中心、随机、开放标签、活性药物对照、III期研究。该研究达到主要血液学应答终点：在未输注RBC的情况下（1）本品组和抗C5组Hb较基线升高≥2 g/dL的应答率差异为80.3% (71.3, 87.6)；（2）血红蛋白水平维持≥12 g/dL的应答率差异为67.0 % (56.3, 76.9)。在多个次要终点中，本品也优于抗C5治疗：两组避免输血应答率差异为70.3%(52.6, 84.9)、血红蛋白较基线变化均值差异为3.6 g/dL (3.2, 4.1)、网织红细胞计数绝对值均值差异为-116.3x109/L(-132.2, -100.4)、FACIT疲劳量表评分均值差异为+8.3分(5.3, 11.3)临床BTH、MAVE年发生率、LDH几何均值方面差异较小。该研究的结果进一步证实了本品作为全新机制的补体系统抑制剂，治疗有效性不受受试者既往是否接受过C5单抗治疗影响，且对于C5单抗治疗后仍有残留贫血的患者而言具有良好的治疗反应，相比已有治疗手段具有临床优势
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 2-3盐酸伊普可泮胶囊-申请上市技术审评报告.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	APPLY-PNH是一项多中心、随机、开放标签、活性药物对照、III期研究。该研究达到主要血液学应答终点：在未输注RBC的情况下（1）本品组和抗C5组Hb较基线升高≥2 g/dL的应答率差异为80.3% (71.3, 87.6)；（2）血红蛋白水平维持≥12 g/dL的应答率差异为67.0 % (56.3, 76.9)。在多个次要终点中，本品也优于抗C5治疗：两组避免输血应答率差异为70.3%(52.6, 84.9)、血红蛋白较基线变化均值差异为3.6 g/dL (3.2, 4.1)、网织红细胞计数绝对值均值差异为-116.3x109/L(-132.2, -100.4)、FACIT疲劳量表评分均值差异为+8.3分(5.3, 11.3)临床BTH、MAVE年发生率、LDH几何均值方面差异较小。该研究的结果进一步证实了本品作为全新机制的补体系统抑制剂，治疗有效性不受受试者既往是否

	接受过C5单抗治疗影响，且对于C5单抗治疗后仍有残留贫血的患者而言具有良好的治疗反应，相比已有治疗手段具有临床优势
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 2-3盐酸伊普可泮胶囊-申请上市技术审评报告.pdf

四、安全性信息

药品说明书刊载的安全性信息	不良反应：伊普可泮安全性良好，三期临床试验未发生死亡，未发生导致治疗终止或中断给药的不良事件。大多数治疗期间出现的不良事件为轻度或中度。最常报告的不良反应为上呼吸道感染。禁忌：对盐酸伊普可泮或其他任何辅料过敏的患者；当前未接种脑膜炎奈瑟菌和肺炎链球菌疫苗的患者，除非延迟本品治疗风险大于发生这类荚膜细菌感染的风险；开始用于荚膜细菌引起的严重感染尚未消退的患者。 注意事项:荚膜细菌引起的严重感染。为了降低感染风险，所有患者必须接种针对荚膜细菌（包括脑膜炎奈瑟菌和肺炎链球菌）的疫苗，建议患者应接种B型流感嗜血杆菌疫苗（如有）。疫苗应在本品首次给药前至少2周接种。如果本品必须在疫苗接种前开始使用，则患者应尽快接种疫苗，并应从接受本品治疗起接受抗菌药物预防治疗，直至疫苗接种后2周。停用本品后监测PNH表现。如果必须停用本品，应在医生的指导下进行，在最后一次给药后至少2周内密切监测患者的溶血征象和症状。如果必须停用本品，可考虑使用替代治疗。如果停用本品后发生溶血，应考虑重新使用本品治疗。 药物相互作用:CYP2C8诱导剂、强效CYP2C8抑制剂
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	药品不良反应监测未发现新的安全性问题。药品上市后，药监部门未发布任何安全性警告、黑框警告、撤市信息。上市后持续进行的药物常规安全监测中未发现新的药物安全性信号，本品的获益/风险评估仍然有利
相关报导文献	↓ 下载文件 3-1伊普可泮安全性证明文件.pdf

五、创新性信息

创新程度	罕见病1类新药，PNH、C3G均获CDE突破性治疗品种认定，填补C3G和补体抑制剂经治PNH目录空白，FDA孤儿药/突破性疗法。全球首个近端补体抑制剂： 1）直击根本病因、减少肾脏中的C3沉积和炎症，延缓肾损伤和衰竭、减少透析和肾移植 2）全面控制PNH血管内和血管外溶血、提升血红蛋白至正常水平，解决末端补体C5抑制剂疗效不佳的问题，摆脱输血依赖，回归正常生活
创新性证明文件	↓ 下载文件 4-1盐酸伊普可泮创新性认定及机制创新文献及翻译件.pdf
应用创新	1) 口服给药，节约输液带来的医疗资源和患者医疗成本，提高依从性；2) 特殊人群也可使用，轻中度肝肾功能不全、60岁以上老人无需调整剂量；3)不超过30℃保存,无特殊贮存条件要求
应用创新证明文件	↓ 下载文件 4-2伊普可泮应用创新.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	C3G、PNH均为罕见病，青壮年为主，严重危害生命质量和社会生产力。伊普可泮治疗C3G体现7倍治疗优势，稳定eGFR，能够大幅延缓透析或肾移植至少10年；治疗PNH实现95%的患者摆脱输血依赖，疗效头对头显著优于补体C5抑制剂，减少长期贫血、疲劳、血栓以及多脏器功能损伤等问题
符合“保基本”原则描述	保障罕见病C3G、PNH的基本治疗需求 C3G：节约长期透析、肾移植带来的医疗费用，及手术、麻醉、住院、并发症处理、护理等医疗资源 PNH：减少因输血、并发症、住院等带来的医疗成本，升级替代目录内补体C5抑制剂
弥补目录短板描述	C3G：全球首个获批药物，无其他药物在中国获批或进入III期临床；我国肾源供体短缺，缺乏替代治疗方案 PNH：补体C5抑制剂疗效不佳的患者无药可用，我国血资源紧张，缺乏替代治疗方案
临床管理难度描述	伊普可泮适应症为罕见疾病、适应症明确，潜在患者人数十分有限，临床和医保管理难度低 口服给药、安全便捷，特殊人群可用