

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： 注射用罗特西普

企业名称： 百时美施贵宝（中国）投
资有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-20 16:35:30	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）	注射用罗特西普	药品类别	西药
④ 药品注册分类	治疗用生物制品 3.1 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	生物制品活性成分的序列结构专利 ZL201510979350.1	核心专利权期限届满日1	2030-08
核心专利类型2	生物制品医药用途专利 ZL201510979490.9	核心专利权期限届满日2	2030-08
核心专利类型1	生物制品活性成分的序列结构专利 ZL201510979350.1	核心专利权期限届满日1	2030-08
核心专利类型2	生物制品医药用途专利 ZL201510979490.9	核心专利权期限届满日2	2030-08
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	25mg; 75mg(该规格未在中國大陸商业上市)		
上市许可持有人（授权企业）	Celgene Corporation, a Bristol-Myers Squibb Company		
说明书全部适应症/功能主治	1. 用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者。2. 用于治疗需要定期输注红细胞且红细胞输注≤15 单位/24 周的 β-地中海贫血成人患者。（详情请见药品说明书）		
现行医保目录的医保支付范围	限β-地中海贫血成人患者		
所治疗疾病基本情况	骨髓异常综合征(MDS)是一种恶性血液肿瘤。以无效造血、难治性贫血并可进展为急性髓系白血病(AML)为特征。其诊断复杂且过程漫长。确诊后，根据IPSS-R分级为极低危、低危和中危(≤3.5)的患者称为较低危组（占比70%）。患者预后不佳、生活质量差，疾病负担重。较低危患者32%可进展至较高危或AML，79% 中位生存不足3年。伴贫血者中42.3%为输血依赖，预后更差。MDS在多个国家和地区属罕见病范畴，中国发病率约1.51/10万，结合中国患者中位生存时长48个月估算患病率为 6/10万。预估明年全国可确诊符合适应症的总人数不足1万人，其中罗特西普预估患者份额占25%，实际使用人数约2100人		
中国大陆首次上市时间	2022-01		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	临床长期缺乏有效治疗，存在极高的未满足需求：目前使用的药物如红细胞生成刺激剂（ESA）、免疫调节剂或免疫抑制剂等，均是超适应症用药。不仅疗效有限且长期使用安全性不佳。输血和祛铁仍是重要的支持治疗，但长期输血可造成多种并发症，给患者带来更严重的疾病负担。同时，我国长期处于血荒，医用血源紧张和匮乏，患者规范性输血难以保障。罗特西普是首个可修复患者无效造血的对症治疗药物，也是近20年我国唯一获批适应症用于治疗较低危 MDS 贫血的创新药物，填补了该领域临床治疗和医保用药的空白。多项临床试验数据证实，罗特西普可帮助较低危 MDS 患者1). 显		

	著改善贫血（治疗 24 周，75%的亚洲人群可脱离输血≥12周且平均血红蛋白提升≥1.5g/dL）；2).长期脱离输血（维持脱离输血的中位时间近2.5年）；3). 持续降低输血负担（无论基线输血负担如何, 83% 患者可减少超过50%的输血量），全面实现指南提出的各项治疗目标。罗特西普具突破性临床价值，获得国内外多个权威指南的高级别推荐。患者实现长期脱离输血亦可有效缓解我国血源短缺的矛盾，亦具有重大的社会价值。
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf
药品适应症或功能主治修改前法定说明书	↓ 下载文件 修改前注射用罗特西普药品说明书.pdf
药品适应症或功能主治修改后法定说明书	↓ 下载文件 修改后注射用罗特西普药品说明书.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 注射用罗特西普首次BLA批件.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 注射用罗特西普新增适应症sBLA批件.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性信息）	↓ 下载文件 注射用罗特西普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 注射用罗特西普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	用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者	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	-	-	-	-	-	-
----	---	---	---	---	---	---

参照药品选择理由：无参照药品。罗特西普是全球首创且目前唯一的红细胞成熟剂，是首个针对无效造血病因，也是目前我国唯一明确获批适应症治疗较低危 MDS 患者贫血的药物，填补临床治疗和医保用药空白。

其他情况请说明：罗特西普2022年首次谈判时指定的参照疗法为“输血+祛铁（地拉罗司）”。整体疗法年费用约12万左右 (其中输血年治疗费用约为3.8万，祛铁剂地拉罗司年治疗费用约8.6万)

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	阿法依泊汀
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者
对主要临床结局指标改善情况	COMMANDS(全球III期试验)旨在比较罗特西普与对照组（ESA）一线治疗较低危MDS患者贫血的有效性和安全性。主要终点为24周内至少12周摆脱红细胞输注且平均血红蛋白水平增加≥1.5g/dL。结果显示，罗特西普组达到主要终点的患者比例显著更高，是对照组的近两倍（p<0.0001）。达到主要终点的患者可维持脱离输血的中位时长约126.6周（2.5年），较对照组长约1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 1-COMMANDS研究中英文.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	用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者
对主要临床结局指标改善情况	MEDALIST(全球III期试验)旨在评估罗特西普治疗ESA难治或ESA可能无效的、输血依赖伴环状铁粒幼红细胞的较低危MDS患者贫血的有效性和安全性。主要终点为24周内至少8周摆脱红细胞输注的患者比例。结果显示，24周内罗特西普组实现脱离输血≥8周的患者比例为38%，显著高于安慰剂组的13%（p<0.001）。罗特西普安全性良好，最常见的不良事件包括乏力、腹泻、虚弱等，且发生率随着时间推移下降。
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-MEDALIST研究中英文.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	-
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者
对主要临床结局指标改善情况	MDS-004是MEDALIST试验的桥接研究。旨在评估罗特西普对既往ESA难治/不耐受或不适合的、输血依赖的、中国及日本伴有环状铁粒幼红细胞的较低危MDS患者的有效性和安全性。主要终点为24周内至少8周摆脱红细胞输注。结果显示，

	24周内，罗特西普组实现脱离输血≥8周的患者比例为60%，中位持续时间为24.4周，且安全性与MEDALIST研究一致，无新的安全性信号。
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-MDS-004研究中英文.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	阿法依泊汀
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者
对主要临床结局指标改善情况	COMMANDS(全球III期试验)旨在比较罗特西普与对照组（ESA）一线治疗较低危MDS患者贫血的有效性和安全性。主要终点为24周内至少12周摆脱红细胞输注且平均血红蛋白水平增加≥1.5g/dL。结果显示，罗特西普组达到主要终点的患者比例显著更高，是对照组的近两倍（p<0.0001）。达到主要终点的患者可维持脱离输血的中位时长约126.6周（2.5年），较对照组长约1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 1-COMMANDS研究中英文.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	用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者
对主要临床结局指标改善情况	MEDALIST(全球III期试验)旨在评估罗特西普治疗ESA难治或ESA可能无效的、输血依赖伴环状铁粒幼红细胞的较低危MDS患者贫血的有效性和安全性。主要终点为24周内至少8周摆脱红细胞输注的患者比例。结果显示，24周内罗特西普组实现脱离输血≥8周的患者比例为38%，显著高于安慰剂组的13%（p<0.001）。罗特西普安全性良好，最常见的不良事件包括乏力、腹泻、虚弱等，且发生率随着时间推移下降。
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-MEDALIST研究中英文.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	-
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者

对主要临床结局指标改善情况	MDS-004是MEDALIST试验的桥接研究。旨在评估罗特西普对既往ESA难治/不耐受或不适合的、输血依赖的、中国及日本伴有环状铁粒幼红细胞的较低危MDS患者的有效性和安全性。主要终点为24周内至少8周摆脱红细胞输注。结果显示，24周内，罗特西普组实现脱离输血≥8周的患者比例为60%，中位持续时间为24.4周，且安全性与MEDALIST研究一致，无新的安全性信号。
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-MDS-004研究中英文.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《CSCO恶性血液病诊疗指南（2025版）》I级推荐罗特西普用于治疗较低危 MDS 患者的贫血
本次新增的适应症或功能主治	用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者
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 1-2025CSCO恶性血液病诊疗指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《CSCO恶性血液病诊疗指南（2025版）》I级推荐罗特西普用于治疗较低危 MDS 患者的贫血
本次新增的适应症或功能主治	用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者
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 1-2025CSCO恶性血液病诊疗指南.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	对新增适应症（用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者）的技术审评报告尚未公开，暂无法提供。
《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	对新增适应症（用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者）的技术审评报告尚未公开，暂无法提供。
《技术审评报告》原文（可节选）	-

四、安全性信息

药品说明书刊载的安全性信息	1.说明书不良反应：罗特西普安全性良好。接受注射用罗特西普治疗的患者最常报告（发生率≥15%）的药物不良反应主要为疲劳、腹泻、乏力、恶心、头晕等。且较常发生于治疗前三个月（完整信息见说明书）。用药禁忌：对本品活性成份或任何辅料过敏者禁用。妊娠妇女禁用注射用罗特西普。注意事项：使用罗特西普治疗MDS患者，仅约3.9%的患者报告了血栓栓塞事件，12.5%的患者报告血压升高（完整信息见说明书）。药物相互作用：同时使用铁螯合剂对罗特西普的药代动力学没有产生具有临床意义的影响。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	注射用罗特西普自2019年11月8日在美国首次获批上市至今，未发生各国家或地区药监部门发布的安全性警告、黑框警告、撤市信息。截至2024年6月24日全球已有累计约44,200名患者在上市后接受过本品的各类治疗，公司根据所收到的安全性报告分析，目前尚未发现新的重大安全性问题，基于信号及风险评估，认为罗特西普的获益-风险特征仍是有利的。基于相关临床试验，因不良反应导致的停药率低。
相关报导文献	-

五、创新性信息

创新程度	突破创新：罗特西普是全球首创且目前唯一获批的红细胞成熟剂（First-in-Class），其活性成分（重组融合蛋白）具有100项专利授权。也是目前首个针对 MDS 无效造血病因的药物，能帮助较低危MDS患者显著改善贫血，长期脱离输血，持续降低输血负担，全面实现指南治疗目标。作为近 20 年来我国唯一获批适应症，用以治疗较低危 MDS患者贫血的创新药物，罗特西普有效填补了临床治疗和医保目录空白。
创新性证明文件	↓ 下载文件 罗特西普-专利.pdf
应用创新	罗特西普给药便捷，每 3 周皮下注射一次，有望提高患者治疗依从性。针对特殊人群，如老年（≥65岁）患者或轻中度肾损伤患者，均无需调整起始注射剂量。药品管理难度低，易于贮存，有效期长达 60 个月。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 修改后注射用罗特西普药品说明书.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	MDS 是罕见恶性血液肿瘤，可因无效造血导致贫血并引发一系列病理损伤，患者疾病负担重。临床长期缺乏有效治疗，常用的支持治疗为输血和祛铁。输血依赖的患者预后更差、生活质量更低。罗特西普是突破创新的针对无效造血病因的药物，可帮助患者实现长期稳定的脱离输血。血资源是我国稀缺的医疗资源，罗特西普能够缓解患者输血需求带来的血源紧张问题，有助于优化医疗资源的利用效率，保障公共卫生体系的稳定运行。
符合“保基本”原则描述	罗特西普自2024年续约谈判至今，市场环境无任何变化。经两轮医保谈判，目前价格低于全球次低价(中国台湾省)70%，年治疗费用比输血和祛铁还低30%，价格极具合理性。罗特西普是较低危MDS贫血治疗唯一获批适应症的创新药，价格水平在同治疗领域具显著优势。预计明年实际使用人数仅约2100人基金支出有限可控。同时，罗特西普可帮助患者实现脱离输血 2.5 年，节省宝贵的血资源，将为医保基金带来显著的节省。
弥补目录短板描述	罗特西普成功研发上市前，较低危MDS贫血治疗领域无任何对因治疗药物。作为近20年来我国唯一获批适应症，用以治疗较低危MDS贫血的创新药物，罗特西普填补了临床治疗和医保用长期的空白。
临床管理难度描述	较低危 MDS临床诊断标准清晰，指南用药推荐明确，罗特西普用药监测指标严格，无临床滥用风险。罗特西普使用便捷，每3周皮下注射一次。有望提高治疗依从性，降低患者管理的难度，提高诊疗结局。