

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： 注射用伏尼凝血素 α ，注射
剂

企业名称： 武田（中国）国际贸易有
限公司

申报信息

申报时间	2025-07-18 19:19:26	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- ☒ 1.2020年1月1日至2025年6月30日(含，下同)期间，经国家药监部门批准上市的新通用名药品，仅因转产、再注册等单纯更改通用名的药品除外。
- ☐ 2.2020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，且针对此次变更获得药品批准证明文件的药品。
- ☐ 3.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入《国家基本药物目录(2018年版)》的药品。
- ☐ 4.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入国家卫生健康委等部门《首批鼓励研发申报儿童药品清单》《第二批鼓励研发申报儿童药品清单》《第三批鼓励研发申报儿童药品清单》《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》《第五批鼓励研发申报儿童药品清单》以及《第一批鼓励仿制药品目录》《第二批鼓励仿制药品目录》《第三批鼓励仿制药品目录》的药品。
- ☒ 5.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，说明书适应症或功能主治中包含有国家卫生健康委等部门《第一批罕见病目录》《第二批罕见病目录》所收录罕见病的药品。

药品通用名称（中文、含剂型）	注射用伏尼凝血素α，注射剂	医保药品分类与代码	XB02BCF751B001010184503
药品类别	西药	是否为独家	是
申报目录类别	基本医保目录		
① 药品注册分类	治疗用生物制品3.1类		
核心专利类型1	配方专利	核心专利权期限届满日1	2029-10
核心专利类型2	医药用途专利	核心专利权期限届满日2	2032-06
核心专利类型1	配方专利	核心专利权期限届满日1	2029-10
核心专利类型2	医药用途专利	核心专利权期限届满日2	2032-06
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	650 IU/瓶；1300 IU/瓶（推荐谈判主规格）		
上市许可持有人（授权企业）	Takeda Pharmaceuticals U.S.A., Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于诊断为血管性血友病（VWD）的成人患者（年龄为18岁及以上）：• 按需治疗和出血事件的控制；• 围手术期出血管理。		
说明书用法用量	给药剂量和频率需根据临床判断并基于患者体重、出血事件严重程度/手术干预等多因素个体化制定		
所治疗疾病基本情况	VWD为血管性血友病因子（VWF）基因突变导致患者体内VWF数量减少或质量异常的罕见遗传性出血性疾病。患者关键部位出血，存在致死风险。致死风险：患者发生胃肠道、中枢神经系统等内脏部位出血有致死风险；因创伤及女性产后出血，可能出血不止，进展为休克乃至死亡。致残风险：关节出血可能致患者关节受损，进而致残。截至2022年，中国VWD登记患者不到600人，VWD III型已被纳入第二批罕见病目录		
中国大陆首次上市时间	2024-07	注册证号/批准文号	国药准字SJ20240032、国药准字SJ20240033
该通用名全球首个上市国家/地区	美国	该通用名全球首次上市时间	2015-12
是否为OTC	否		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	1) 医保目录内外均无同适应症产品。尤其针对大出血，伏尼凝血素α是国内截至目前唯一获批针对性治疗药物 2) 伏尼凝血素α是全球首个且唯一重组纯化VWF，具有全新作用机制，精准补充VWF，国内无同作用机制药物 3) 临床无其他针对		

	性治疗药物，不得不采用冷沉淀或新鲜血浆等血液制品治疗，但血液制品在有效性、安全性和可及性方面均有局限：VWF含量不确定，疗效不确切；存在感染风险，如艾滋病、梅毒等输血传播疾病；因含有FVIII，多次输注将增加FVIII蓄积导致的血栓风险；使用限制多，可及性差。患者对高纯度VWF产品需求迫切。尤其大出血患者无药可用，存在高度未满足需求 4) 伏尼凝血素α在有效性、安全性、创新性、公平性以及可及性方面价值明显。有效性：三期临床结果显示，可实现快速100%止血，获国内外权威指南推荐；安全性：安全性良好，无凝血因子VIII蓄积，无血源感染风险；创新性：全球首个且唯一重组纯化VWF；国内唯一获批VWD针对性治疗药物；纳入中国优先评审，获FDA孤儿药认证；公平性：满足患者大出血时对高效治疗方案的迫切需求；患者人数少，对医保基金影响极小；适应症为按需治疗，临床滥用风险低
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 1-2-伏尼凝血素α最新说明书.pdf
所有《药品注册证书》（国产药品）或《进口药品注册证》（进口药品），包括首次上市的批准注册证明文件和历次《药品补充申请批准通知书》《药品再注册批准通知书》，请扫描成一个文件后上传	↓ 下载文件 1-3-伏尼凝血素α注册证-两个规格合并.pdf
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 1-4-注射用伏尼凝血素α_PPT1.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 1-5-注射用伏尼凝血素α_PPT2.pdf

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0.8m²。

② 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积1.6m²。

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 [!]
无合适参照药物	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：

1.无同适应症药物：国内唯一获批VWD针对性治疗药物；尤其针对大出血，是国内截至目前唯一获批治疗药物。2.机制创新：全球首个且唯一重组纯化VWF。3.上市注册研究无对照药物

其他情况请说明：-

二、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	上市前

对主要临床结局指标改善情况	对于VWD患者的按需治疗，注射用伏尼凝血素α可实现快速100%高效止血： 1. 所有严重程度的出血事件（n=192）均成功止血，止血成功率达100% 2. 快速起效，输注15分钟后，超大型VWF多聚体的水平从0增加至30% 3. 止血时间长，半衰期长达22.6小时，所有出血事件的中位输注次数仅为1次，输注中位剂量为48.2IU/kg
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-伏尼凝血素α按需治疗三期临床试验.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	对于VWD患者的围手术期治疗，注射用伏尼凝血素α止血疗效100%： 1. 所有大手术、小手术和口腔手术（n=15）的总体止血疗效为100%； 2. 术中止血疗效为100%，平均实际术中失血量为预计失血量的70%
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-伏尼凝血素α围手术期三期临床试验.pdf
试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	对于VWD患者的按需治疗，注射用伏尼凝血素α可实现快速100%高效止血： 1. 所有严重程度的出血事件（n=192）均成功止血，止血成功率达100% 2. 快速起效，输注15分钟后，超大型VWF多聚体的水平从0增加至30% 3. 止血时间长，半衰期长达22.6小时，所有出血事件的中位输注次数仅为1次，输注中位剂量为48.2IU/kg
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-伏尼凝血素α按需治疗三期临床试验.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	对于VWD患者的围手术期治疗，注射用伏尼凝血素α止血疗效100%： 1. 所有大手术、小手术和口腔手术（n=15）的总体止血疗效为100%； 2. 术中止血疗效为100%，平均实际术中失血量为预计失血量的70%
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，	↓ 下载文件 2-1-2-伏尼凝血素α围手术期三期临床试验.pdf

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1	血管性血友病诊断与治疗中国指南（2022 年版）：推荐在VWD患者出血发作或围手术期，建议应用提升血浆VWF水平的药物行替代治疗
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-血管性血友病诊断与治疗中国指南-2022年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	3型VWD患者需要使用血管性血友病因子（VWF）浓缩制剂才能显著提高VWF活性水平。
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-ASH_ISTH_NHF_WFH-2021指南推荐.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	血管性血友病诊断与治疗中国指南（2022 年版）：推荐在VWD患者出血发作或围手术期，建议应用提升血浆VWF水平的药物行替代治疗
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-血管性血友病诊断与治疗中国指南-2022年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	3型VWD患者需要使用血管性血友病因子（VWF）浓缩制剂才能显著提高VWF活性水平。
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-ASH_ISTH_NHF_WFH-2021指南推荐.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	1. 中国缺少针对VWD的高纯度VWF浓缩物，多数患者因为出血无法得到良好控制，生活、学习和工作受到严重影响，对高纯度的VWF产品存在迫切的临床需求； 2. 注射用伏尼凝血素α是纯化的重组VWF，是首个也是目前唯一的重组VWF 产品； 3. 注射用伏尼凝血素α作为一种重组VWF浓缩物产品，治疗血管性血友病的机制明确； 4. 一项关键的、开放标签3期临床试验评估了重组VWF治疗VWD患者出血发作的安全性和有效性。主要疗效结局方面，治疗成功的受试者比例为100%。敏感性分析证实了主要分析的结果，治疗任何出血所需的实际输注次数（中位数：1.0）与估计的输注次数（中位
---------------------------------	---

	数1.0) 无差异； 5. 一项在接受择期手术的重度遗传性VWD受试者（≥18岁）中评价重组VWF的疗效和安全性的研究，显示所有接受治疗的受试者的术中止血有效性评分为“极好”或“良好”
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 2-3-伏尼凝血素α上市审评报告.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	1. 中国缺少针对VWD的高纯度VWF浓缩物，多数患者因为出血无法得到良好控制，生活、学习和工作受到严重影响，对高纯度的VWF产品存在迫切的临床需求； 2. 注射用伏尼凝血素α是纯化的重组VWF，是首个也是目前唯一的重组VWF产品； 3. 注射用伏尼凝血素α作为一种重组VWF浓缩物产品，治疗血管性血友病的机制明确； 4. 一项关键的、开放标签3期临床试验评估了重组VWF治疗VWD患者出血发作的安全性和有效性。主要疗效结局方面，治疗成功的受试者比例为100%。敏感性分析证实了主要分析的结果，治疗任何出血所需的实际输注次数（中位数：1.0）与估计的输注次数（中位数1.0）无差异； 5. 一项在接受择期手术的重度遗传性VWD受试者（≥18岁）中评价重组VWF的疗效和安全性的研究，显示所有接受治疗的受试者的术中止血有效性评分为“极好”或“良好”
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 2-3-伏尼凝血素α上市审评报告.pdf

三、安全性信息

药品说明书刊载的安全性信息	1. 发生率高于0.127%的不良反应包括头痛、头晕、眩晕、呕吐、恶心。本品治疗后未观察到抗潜在杂质（如rFurin、CHO蛋白或小鼠IgG）的结合抗体，在本品的临床试验中未观察到抗 VWF 中和抗体 2. 用药禁忌：本品禁用于对本品或其组成成分会产生危及生命的超敏反应的患者 3. 药物相互作用： 尚未开展本品与其他药品的相互作用研究
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	1. 已在中国、美国、欧盟、英国、瑞士、加拿大、日本等地获批； 2. 2015年首次上市以来，各国家或地区药监部门均未发布任何黑框警告，无因安全性问题导致的撤市信息等
相关报导文献	↓ 下载文件 3-伏尼凝血素α最新说明书.pdf

四、创新性信息

创新程度	1.伏尼凝血素α是全球首个且唯一重组纯化VWF，精准补充VWF。三期临床研究结果显示，可实现高效100%、快速长效止血；安全性良好，无FVIII因子蓄积风险，无血源感染风险 2.是国内唯一获批的VWD针对性治疗药物，可填补医保目录空白 3.具有完整的多聚体结构，是全球首个且唯一含超大多聚体药物，比常规多聚体具有更强血小板黏附和稳定FVIII能力，发挥更强止血疗效 4.已获美国孤儿药资格认定以及中国优先审评资格
创新性证明文件	↓ 下载文件 4-1-伏尼凝血素α创新程度说明.pdf
应用创新	伏尼凝血素α半衰期长达22.6小时，减少输注次数，按需治疗中位输注次数仅1次。有助于提高患者依从性，降低临床管理难度
应用创新证明文件	↓ 下载文件 4-2-伏尼凝血素α应用创新说明.pdf
传承性（仅中成药填写）	-
传承性证明文件	-

五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	1. VWD III型已被纳入第二批罕见病目录病种，是一种罕见遗传性疾病 2. 伏尼凝血素α为罕见病VWD患者提供安全高效精准治疗方案
符合“保基本”原则描述	1. VWD患者大出血缺乏有效的治疗方案，难以有效止血，临床存在巨大未满足需求，伏尼凝血素α可以满足VWD罕见病患者的基本医疗需求 2. 目前国内注册登记的VWD患者不到600人，使用人数及临床应用场景有限 3. 伏尼凝血素α的使用可规范VWD患者诊疗，节约血液制品、住院等不必要医疗成本支出
弥补目录短板描述	1. 伏尼凝血素α具有独特临床价值，可满足VWD患者，尤其发生大出血时对有效治疗方案的迫切需求 2. 稳定供应、使用便利，可高效应对VWD患者急诊、手术急性出血的临床治疗需求 3. 伏尼凝血素α是国内唯一获批VWD适应症的针对性治

	疗药物，填补医保目录空白
临床管理难度描述	1. 伏尼凝血素α为纯化VWF，精准治疗VWD，不适用于其他血友病 2. 伏尼凝血素α适应症为VWD按需或围手术治疗，临床滥用风险低