

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： 注射用重组人凝血因子VIIa
N01

企业名称： 正大天晴药业集团股份有
限公司

申报信息

申报时间	2025-07-19 10:02:09	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）	注射用重组人凝血因子VIIa N01	医保药品分类与代码	-
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3.4类		
核心专利类型1	人凝血因子VIIa的纯化方法： ZL202010330060.5	核心专利权期限届满日1	2040-04
核心专利类型2	重组人凝血因子VIIa的药物组合物： ZL202410278314.1	核心专利权期限届满日2	2044-03
核心专利类型1	人凝血因子VIIa的纯化方法： ZL202010330060.5	核心专利权期限届满日1	2040-04
核心专利类型2	重组人凝血因子VIIa的药物组合物： ZL202410278314.1	核心专利权期限届满日2	2044-03
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	1mg（50KIU）/瓶		
上市许可持有人（授权企业）	正大天晴药业集团南京顺欣制药有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	用于凝血因子VIII或IX的抑制物>5个Bethesda单位（BU）的成人及青少年（12岁以上）先天性血友病患者的出血治疗。		
说明书用法用量	【用药剂量和用药间隔】 应在对于血友病和出血性疾病方面有经验的医师监督下开始本品的治疗。伴有抑制物的血友病A或B的患者 应在出血发作开始后尽早给予本品。静脉推注给药，推荐剂量为90μg/kg体重。初次注射本品后可能需要再次注射。疗程和注射的间隔将随出血的严重性而不同。轻度/中度出血每间隔3小时，重度出血每间隔2小时给药，直至止血，最多给药至首次给药后24小时。 若需继续给药，建议咨询医生。【用药方法】每瓶冻干粉使用1ml注射用组氨酸溶剂复溶后，进行静脉推注给药。		
所治疗疾病基本情况	血友病是罕见的X染色体连锁隐性遗传性疾病，已被纳入我国《第一批罕见病目录》，我国血友病患病率约为2.73/10万。血友病患者终身具有轻微创伤后出血倾向，临床表现为关节、肌肉/软组织等全身各部位的自发性出血，伴有剧烈疼痛，严重时危及生命。抑制物是患者接受凝血因子替代治疗后机体形成的抗FVIII/ FIX抗体，导致原本有效的治疗方案失效，是血友病治疗最严重的并发症。相比阴性患者，抑制物阳性患者临床表现和预后更差。国内外诊疗指南均推荐采用旁路途径止血药物治疗血友病伴抑制物患者，rFVIIa是治疗方案首选。根据调研，我国血友病患者因受到经济条件、药物可获得性等方面的影响，治疗选择受限，rFVIIa药物可及性低。		
中国大陆首次上市时间	2025-06	注册号/批准文号	国药准字S20250034

该通用名全球首个上市国家/地区	中国	该通用名全球首次上市时间	2025-06
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	国内外血友病诊疗指南推荐采用旁路途径止血药物治疗伴抑制物的血友病患者，包括重组人凝血因子VIIa（rFVIIa）和活化凝血酶原复合物（aPCC），但aPCC未在国内上市。进口rFVIIa目前已纳入医保目录，但进口rFVIIa存在着供应短缺、患者可及性差的问题。本品打破进口依赖，实现了rFVIIa的本土化生产，可大幅提高rFVIIa供应链的稳定性和安全性，大幅提高血友病患者用药的可及性。本品相比于进口rFVIIa，采用了更优的细胞表达体系；优化生产工艺、降低杂质；同时建立了更严格完善的质控体系，为我国血友病患者带来治疗新选择。		
企业承诺书	↓ 下载文件	1-1企业承诺书及授权书.pdf	
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件	1-2注射用重组人凝血因子VIIaN01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注射用重组人凝血因子VIIaN01药品注册证书.pdf	
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件	注射用重组人凝血因子VIIaN01-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	注射用重组人凝血因子VIIaN01-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） ^①	用法用量	费用类型	金额（元） ^①	疗程/周期 ^①
注射用重组人凝血因子VIIa	是	1mg（50KI U）/支	3903.5	应在出血发作开始后尽早给予本品，静脉推注给药，推荐起始剂量为推荐剂量为90 μg/kg体重。初次注射本品后可能需要再次注射。疗程和注射的间隔	次均费用	70263	-

				将随出血的严重性、所进行的有创操作或外科手术而不同。用药间隔 最初间隔2-3小时，以达到止血效果。如需继续治疗，一旦能够达到有效的止血效果，只要治疗需要，给药间隔可增加至每4、6、8或12小时给药。		
--	--	--	--	---	--	--

参照药品选择理由：1、注射用重组人凝血因子VIIa为目前医保目录内唯一的凝血因子VIIa药物。2、二者药理机制和药物分类相同。3、均用于先天性血友病伴抑制物患者的出血治疗。

其他情况请说明：按每次控制出血事件需注射3次计算，不考虑余液留用。 成人次均费用：单次注射90μg/kg*60kg=5400μg，按6支（6mg）计算，单次出血治疗费用=6支*3次*3903.5元/支=70263元

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	III期临床：53例受试者发生551次出血事件的止血有效率为88.93%(95%CI 86.01,91.43)。56例受试者首次用药的增量回收率（平均值±标准差）为0.8602±0.2149[IU/dl]/[IU/kg]。559次出血事件8小时内止血有效率为78.89%(95%CI75.27,82.20)。48例受试者重复给药后的增量回收率为0.9066±0.2000[IU/dl]/[IU/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注射用重组人凝血因子VIIaN01临床研究.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	III期临床：53例受试者发生551次出血事件的止血有效率为88.93%(95%CI 86.01,91.43)。56例受试者首次用药的增量回收率（平均值±标准差）为0.8602±0.2149[IU/dl]/[IU/kg]。559次出血事件8小时内止血有效率为78.89%(95%CI75.27,82.20)。48例受试者重复给药后的增量回收率为0.9066±0.2000[IU/dl]/[IU/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注射用重组人凝血因子VIIaN01临床研究.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《血友病患者出血急诊管理中国指南（2024年版）》：对于伴抑制物的患者，可使用重组活化人凝血因子VII（rFVIIa）或

	凝血酶原复合物等旁路制剂治疗。
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血友病患者出血急诊管理中国指南2024年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《血友病合并抑制物诊断与治疗中国指南（2023年版）》：低滴度低反应抑制物患者或者高反应抑制物患者在抑制物滴度<5 BU/ml时，如发生危及生命的出血，可选择加大剂量的FVIII治疗。在抑制物滴度升高至≥5 BU/ml或止血疗效欠佳时再选择旁路制剂。也可直接选择旁路制剂，其中首选rFVIIa。高滴度抑制物患者在发生出血时，建议直接选择旁路制剂，其中首选rFVIIa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 2-3血友病合并抑制物诊断与治疗中国指南2023年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《获得性血友病A诊断与治疗中国指南(2021年版)》：旁路途径止血治疗药物包括重组活化人凝血因子VII(rFVIIa)和活化凝血酶原复合物(aPCC)。aPCC未在国内上市，一般使用凝血酶原复合物(PCC)，但PCC的疗效仅基于回顾性研究及登记研究数据，缺乏对照研究结果支持。rFVIIa在多数研究中的止血有效率>90%，血栓栓塞事件发生率为0~2.9%，单次剂量为90μg/kg，也有研究者尝试减低剂量应用。
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 2-4获得性血友病A诊断与治疗中国指南2021年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《WFH血友病管理指南（2020年第三版）》：推荐意见5.4.1：对于有抑制物的血友病A患者，需要治疗急性出血并发症或手术，WFH建议使用旁路剂。注：旁路剂包括重组活化凝血因子VIIa或活化凝血酶原复合物浓缩物。推荐意见5.4.2：对于血友病B和有对含有FIX的凝血因子浓缩物过敏史的抑制物患者，必须使用重组活化凝血因子VIIa，因为活化凝血酶原复合物浓缩物不能使用。
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 2-5WFH血友病管理指南2020年第三版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《血友病治疗中国指南（2020年版）》：旁路制剂：适用于高滴度抑制物（>5 BU/ml）的患者或ITI失败或ITI治疗中出血的患者。可供选择的“旁路途径”药物包括基因重组活化凝血因子VII（rFVIIa）及PCC。rFVIIa的使用方法是静脉注射90 μg/kg 每 2~4 h 1次或 270 μg/kg 单次给药。

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 2-6血友病治疗中国指南2020年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《血友病患者出血急诊管理中国指南（2024年版）》：对于伴抑制物的患者，可使用重组活化人凝血因子VII（rFVIIa）或凝血酶原复合物等旁路制剂治疗。
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血友病患者出血急诊管理中国指南2024年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《血友病合并抑制物诊断与治疗中国指南（2023年版）》：低滴度低反应抑制物患者或者高反应抑制物患者在抑制物滴度<5 BU/ml时，如发生危及生命的出血，可选择加大剂量的FVIII治疗。在抑制物滴度升高至≥5 BU/ml或止血疗效欠佳时再选择旁路制剂。也可直接选择旁路制剂，其中首选rFVIIa。高滴度抑制物患者在发生出血时，建议直接选择旁路制剂，其中首选rFVIIa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 2-3血友病合并抑制物诊断与治疗中国指南2023年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《获得性血友病A诊断与治疗中国指南(2021年版)》：旁路途径止血治疗药物包括重组活化人凝血因子VII(rFVIIa)和活化凝血酶原复合物(aPCC)。aPCC未在国内上市，一般使用凝血酶原复合物(PCC)，但PCC的疗效仅基于回顾性研究及登记研究数据，缺乏对照研究结果支持。rFVIIa在多数研究中的止血有效率>90%，血栓栓塞事件发生率为0~2.9%，单次剂量为90μg/kg，也有研究者尝试减低剂量应用。
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 2-4获得性血友病A诊断与治疗中国指南2021年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《WFH血友病管理指南（2020年第三版）》：推荐意见5.4.1：对于有抑制物的血友病A患者，需要治疗急性出血并发症或手术，WFH建议使用旁路剂。注：旁路剂包括重组活化凝血因子VIIa或活化凝血酶原复合物浓缩物。推荐意见5.4.2：对于血友病B和有对含有FIX的凝血因子浓缩物过敏史的抑制物患者，必须使用重组活化凝血因子VIIa，因为活化凝血酶原复合物浓缩物不能使用。
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 2-5WFH血友病管理指南2020年第三版.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5	《血友病治疗中国指南（2020年版）》：旁路制剂：适用于高滴度抑制物（>5 BU/ml）的患者或 ITI 失败或 ITI 治疗中出血的患者。可供选择的“旁路途径”药物包括基因重组活化凝血因子VII（rFVIIa）及PCC。rFVIIa的使用方式为静脉注射90 μg/kg 每 2~4 h 1次或 270 μg/kg 单次给药。
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 2-6血友病治疗中国指南2020年版.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	国家药监局药品审评中心未发布本品《技术审评报告》。
《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	国家药监局药品审评中心未发布本品《技术审评报告》。
《技术审评报告》原文（可节选）	-

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	【不良反应】基于60例≥12岁抑制物阳性并>5BU的血友病A或B患者的临床试验，发生率≥3%的不良反应有：纤维蛋白D-二聚体升高、天门冬氨酸氨基转移酶升高、血乳酸脱氢酶升高、γ-谷氨酰转移酶升高、丙氨酸氨基转移酶升高、血肌酸磷酸激酶升高、肝功能异常。特别关注的不良事件包括：抑制性抗体形成、血栓事件-动脉和静脉。【禁忌】对本品中含有的活性成份或任何其他成份，或者对仓鼠蛋白有过敏反应的患者禁用。【注意事项】在组织因子表达强度可能高于正常的病理情况下，使用本品有发生血栓事件或导致弥散性血管内凝血（DIC）的潜在风险。由于本品可能含有少量的仓鼠残余培养蛋白，因此使用本品治疗的患者存在对仓鼠蛋白过敏的可能性，如发生过敏应立即予相应处理。如果出现严重出血，最好应在专业治疗伴有凝血因子VII或IX抑制物的血友病的医院内注射本品，若不能在此医院治疗时，应与专业治疗血友病的医生保持密切联系。【药物相互作用】本品与凝血因子浓缩物之间的潜在相互作用的风险尚不明确。应避免激活的或未激活的凝血酶原复合物与本品同时使用。未进行该项实验且无可靠参考文献。【药物过量】未进行该项实验且无可靠参考文献。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	本品上市以来，未收到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。 我司注射用重组人凝血因子VIIa N01于2025年6月30日注册获批，自获批至今未收到不良反应报告，未发生药品不良反应聚集性事件。
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	1、rFVIIa分子结构复杂，降解和氧化位点较多，杂质种类较多，生产制备工艺难度大。 2、此前仅有国外企业掌握rFVIIa生产技术，本品为国内首家、全球第二家攻克rFVIIa全流程生产技术的产品，拥有分离纯化+制剂处方两大“独创”专利。
------	--

	3、首个国产rFVIIa，大大提高药品供应的稳定性与安全性，解决进口rFVIIa供应短缺、患者可及性不佳的现状。4、相比进口rFVIIa，本品的质控体系更为完善严格，产品质量更高。
创新性证明文件	↓ 下载文件 4-专利证书.pdf
应用创新	1、本品为首个国产rFVIIa，采用CHO细胞表达体系，其蛋白结构、γ-羧化程度与糖基化修饰均与天然FVIIa等效，该技术有效规避了血浆制品潜在的病毒污染风险，更实现了稳定可靠的规模化生产，成功填补国产空白。2、本品用于12岁以上青少年先天性血友病患者，提高罕见病患者、儿童血友病患者的药物可及性。3、25℃常温储存，运输、贮存方便。
应用创新证明文件	-
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、血友病是一种罕见遗传性疾病，已被纳入《第一批罕见病目录》，临床表现为全身各部位的自发性出血，会伴有剧烈疼痛，严重时危及患者生命。2、本品可及时止血，降低患者残疾风险，延长患者生存获益，保持社会生产力。3、《“健康中国2030”规划纲要》提出“完善罕见病用药保障政策”。
符合“保基本”原则描述	1、本品的适应症患者人数非常少，仅约1.3万人，对医保基金支出影响小。2、替代进口rFVIIa的使用，不会给医保基金造成额外负担。3、本品可减少出血和关节病变等严重事件，减少药物不良反应处理成本，降低疾病整体治疗负担，提高基金使用效率。
弥补目录短板描述	1、打破目录内rFVIIa类药物的进口依赖，解决进口rFVIIa供应短缺问题，提高患者用药可及性。2、助力血友病伴抑制物阳性患者的规范化治疗，实现指南疾病管理目标。
临床管理难度描述	1、本品为罕见病治疗药品，血友病诊断标准明确，且已建立全国性血友病病例信息登记管理制度，临床滥用风险小。2、本品适应症描述明确，易于临床管理。