

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： 芦沃美替尼片

企业名称： 上海复星医药产业发展有
限公司

申报信息

申报时间	2025-07-19 14:25:36	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）	芦沃美替尼片	医保药品分类与代码	XL01EEL437A001010183029 4mg/30片 ; XL01EEL437A001020183029 1mg/30片
药品类别	西药	是否为独家	是
申报目录类别	基本医保目录、商保创新药目录		
④ 药品注册分类	化药1类		
核心专利类型1	化合物专利ZL201710130319.X	核心专利权期限届满日1	2034-04
核心专利类型1	化合物专利ZL201710130319.X	核心专利权期限届满日1	2034-04
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	4mg（主规格）；1mg		
上市许可持有人（授权企业）	上海复星医药产业发展有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	伴有症状、无法手术的丛状神经纤维瘤的 I 型神经纤维瘤病 1、本品适用于2岁及2岁以上伴有症状、无法手术的丛状神经纤维瘤（PN）的I型神经纤维瘤病（NF1）儿童及青少年患者。 朗格汉斯细胞组织细胞增生症和组织细胞肿瘤 2、本品适用于朗格汉斯细胞组织细胞增生症（LCH）和组织细胞肿瘤成人患者。		
说明书用法用量	给药方法： 口服。本品应尽量每天同一时间服药，空腹或与食物同服均可。 用水送服完整的片剂，避免咀嚼，这可能会影响药物释放和吸收。 无法或不愿意整片吞服的患者不得服用本品。应在开始治疗前评估患者吞咽整片药物的能力。 用量： 成人患者：推荐剂量是8mg，口服，每日一次。 儿童及青少年患者：本品按体表面积（BSA）给药，单次推荐剂量是5mg/m2，口服，每日一次。根据体表面积对给药剂量进行个体化计算（mg/m2），并四舍五入至整数（单次最高剂量为8mg）。可合并使用不同规格的本品以达到所需剂量。		
所治疗疾病基本情况	I 型神经纤维瘤病（NF1）是一种常见的常染色体显性遗传疾病，由 NF1 基因突变所致，可表现为咖啡斑、眼 Lisch 结节、皮肤纤维瘤等。NF1新生儿患病率为 1/2,500-1/3,000，20%-50%表现为丛状神经纤维瘤（PN）。PN以毁容为最主要症状，疼痛为其次。PN 在儿童期生长最快。 朗格汉斯细胞组织细胞增生症（LCH）和组织细胞肿瘤主要以MAPK通路突变为致病原因，中国尚无确切发病率。LCH和组织细胞肿瘤常表现为骨痛，皮肤病变，心脏病，尿崩症，呼吸困难，肝功能衰竭等。		
中国大陆首次上市时间	2025-05	注册证号/批准文号	1mg 国药准字H20250025；4mg 国药准字H20250025
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	2025-05
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	治疗 I 型神经纤维瘤病（NF1）相关丛状神经纤维瘤（PN）的中国已获批药物仅1个，同为MEK抑制剂。通用名硫酸氢司美替尼胶囊，上市时间2023年5月，目前在医保谈判目录协议期内。硫酸氢司美替尼胶囊通过美国多中心II期单臂研究完成美国上市，通过中国I期桥接研究完成中国上市。芦沃美替尼片同硫酸氢司美替尼胶囊相比：适用人群更广、起效时间更快、安全性更高、用药更方便。朗格汉斯细胞组织细胞增生症（LCH）和组织细胞肿瘤目前中国无标准治疗方案，临床多采用细胞毒化学药物治疗，如阿糖胞苷、阿糖胞苷联合甲氨蝶呤、克拉屈滨等。化疗ORR值 50-90%，但1-3年无效/复发率32-80%，3/4级血液不良反应发生率最高可达94%，亟需新治疗方案。
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书-芦沃美替尼片.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 说明书-芦沃美替尼片.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 药品注册证-芦沃美替尼片.pdf
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 芦沃美替尼片申报幻灯片-含经济性.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 芦沃美替尼片申报幻灯片-不含经济性.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，如说明书中严格限制了治疗周期，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 [!]
硫酸氢司美替尼胶囊	是	25mg/粒	376	本品应在具有诊断和治疗 I 型神经纤维瘤病（NF1）相关肿瘤经验的医生指导下使用。给药方法 口服。本品应空腹服用，在给药前 2 小时和给药后 1 小时内不得摄入食物或除水以外的饮料（见【药物	年度费用	274480	长期服用

				相互作用】和【临床药理】）。用水送服整粒胶囊。不得咀嚼、溶解或打开胶囊，这可能会影响药物释放和吸收。无法或不愿意整粒吞服胶囊的患者不得服用本品。应在开始治疗前评估患者吞咽胶囊的能力（见【注意事项】）。用量 本品按体表面积（BSA）给药，单次推荐剂量为25mg/m²，每日口服两次（约每12小时1次）。根据体表面积对给药剂量进行个体化计算（mg/m²），并四舍五入至最近的5mg或10mg 剂量（单次最高剂量为50mg）。可合并使用不同规格的本品胶囊以达到所需剂量。	
--	--	--	--	---	--

参照药品选择理由：

1. 硫酸氢司美替尼胶囊是目前医保目录内唯一治疗儿童NF1-PN的治疗药物； 2. 二者的作用机制相当，均为MEK1/2选择性抑制剂； 3. 硫酸氢司美替尼胶囊在临床NF1-PN领域应用较为广泛。

其他情况请说明：

朗格汉斯细胞组织细胞增生症(LCH)和组织细胞肿瘤目前目录内无治疗药物，在此领域芦沃美替尼片属于突破性疗法获批药物，填补目录内空白。

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	主要疗效终点为独立评审委员会评估的客观缓解率（ORR），次要终点包括至疾病缓解时间（TTR）、无进展时间（PFS）、肿瘤疼痛强度、安全性等。截至2024年2月2日，中位随访时间16.2月，客观缓解率（ORR）为 82.8%，中位至缓解时间为2.858月，中位缓解持续时间、PFS、OS尚未达到。
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 芦沃美替尼片-成人组织细胞瘤-有效性证明材料.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	主要疗效终点为研究者评估的客观缓解率（ORR），次要终点包括至疾病缓解时间（TTR）、无进展时间(PFS)、肿瘤疼痛强度、安全性等。主要疗效终点结果：研究者评估的客观缓解率（ORR）为 60.5%，全部患者瘤体积均减少，中位瘤体积最佳变化为-30.7%。次要疗效终点：中位至缓解时间4.7个月，肿瘤明显疼痛患者（NRS≥2）中78.6% 患者疼痛强度降至0，1年PFS率95.3%。
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 芦沃美替尼片- I 型儿童神经纤维瘤-有效性证明材料.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	主要疗效终点为独立评审委员会评估的客观缓解率（ORR），次要终点包括至疾病缓解时间（TTR）、无进展时间(PFS)、肿瘤疼痛强度、安全性等。截至2024年2月2日，中位随访时间16.2月，客观缓解率（ORR）为 82.8%，中位至缓解时间为2.858月，中位缓解持续时间、PFS、OS尚未达到。
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 芦沃美替尼片-成人组织细胞瘤-有效性证明材料.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	主要疗效终点为研究者评估的客观缓解率（ORR），次要终点包括至疾病缓解时间（TTR）、无进展时间(PFS)、肿瘤疼痛强度、安全性等。主要疗效终点结果：研究者评估的客观缓解率（ORR）为 60.5%，全部患者瘤体积均减少，中位瘤体积最佳变化为-30.7%。次要疗效终点：中位至缓解时间4.7个月，肿瘤明显疼痛患者（NRS≥2）中78.6% 患者疼痛强度降至0，1年PFS率95.3%。
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 芦沃美替尼片- I 型儿童神经纤维瘤-有效性证明材料.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	NCCN组织细胞肿瘤指南2024.V3：优先推荐MEK抑制剂考比替尼用于成人LCH/ECD/RDD需系统治疗患者（MAPK通路突变或没有检测到突变或无法进行检测）。
临床指南/诊疗规范中需包含申报	↓ 下载文件 组织细胞肿瘤NCCN指南-证明材料.pdf

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）	
临床指南/诊疗规范推荐情况2	中国成人朗格汉斯细胞组织细胞增生症的诊疗专家共识（2025版）：推荐芦沃美替尼片用于治疗初治/复发/难治成人LCH需系统治疗患者。
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 中国成人朗格汉斯细胞组织细胞增生症诊疗专家共识-2025版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《I型神经纤维瘤病多学科诊治指南（2023版）》第7页 2.2.3 结节型和丛状神经纤维瘤的其他治疗 推荐意见：初诊患者应进行全身系统性的影像学检查以评估瘤体负荷，针对无恶变征象的瘤体进行每年规律随访。根据患者瘤体情况及个人意愿选择手术治疗及MEK抑制剂靶向治疗。
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 I型神经纤维瘤病多学科诊治指南2023.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	NCCN组织细胞肿瘤指南2024.V3：优先推荐MEK抑制剂考比替尼用于成人LCH/ECD/RDD需系统治疗患者（MAPK通路突变或没有检测出突变或无法进行检测）。
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 组织细胞肿瘤NCCN指南-证明材料.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	中国成人朗格汉斯细胞组织细胞增生症的诊疗专家共识（2025版）：推荐芦沃美替尼片用于治疗初治/复发/难治成人LCH需系统治疗患者。
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	↓ 下载文件 中国成人朗格汉斯细胞组织细胞增生症诊疗专家共识-2025版.pdf

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3	《I型神经纤维瘤病多学科诊治指南 （2023版）》第7页 2.2.3 结节型和丛状神经纤维瘤的其他治疗 推荐意见：初诊患者应进行全身系统性的影像学检查以评估瘤体负荷， 针对无恶变征象的瘤体进行每年规律随访。 根据患者瘤体情况及个人意愿选择手术治疗及MEK抑制剂靶向治疗。
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 I型神经纤维瘤病多学科诊治指南2023.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	暂无
《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	暂无
《技术审评报告》原文（可节选）	-

三、安全性信息

药品说明书刊载的安全性信息	儿童NF1最常见不良反应（AE）为血肌酸磷酸激酶升高（63.6%）、甲沟炎（61.8%）、口腔黏膜炎和溃疡（49.1%）、血乳酸脱氢酶升高（45.5%）、皮疹（34.5%）等。导致暂停用药的AE：口腔溃疡（7.3%）、血肌酸磷酸激酶升高（5.5%）等。成人LCH和组织细胞肿瘤，最常见的AE为毛囊炎（36.7%）、丙氨酸氨基转移酶升高（36.7%）、水肿（36.7%）、皮疹（33.3%）。导致剂量降低的AE：毛囊炎3例（10.0%）、湿疹1例（3.3%）和关节痛1例（3.3%）。导致暂停用药的AE：外周水肿1例（3.3%）、甲沟炎1例（3.3%）等。用药禁忌：1.对本品所含任何成分（包括辅料）过敏者禁用；2.妊娠期及哺乳期妇女禁用。注意事项：根据AE发生分级进行剂量调整：左心室射血分数降低（治疗前及治疗期间每隔3个月评估）、眼部疾病、皮肤反应、肝功能异常。肌酸磷酸激酶升高：治疗前和治疗期间定期检测。药物相互作用：葡萄糖醛酸转移酶是本品主要代谢酶。本品对主要CYP酶的临床抑制作用可能性比较低，对CYP1A2、CYP2B6基本无诱导作用，对CYP3A4的诱导可能性比较低。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	尚无上市后安全信息。
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	2023年4月，用于组织细胞肿瘤的治疗被纳入CDE突破性治疗 2024年5月，用于儿童神经纤维瘤I型（NF1）相关丛状神经纤维瘤的治疗被纳入CDE优先评审 2024年4月，用于成人树突状细胞和组织细胞肿瘤的治疗纳入CDE优先评审 成人组织细胞肿瘤符合严重影响生存质量的疾病标准，目前无标准治疗，国内在临床上的可选治疗主要为细胞毒类化疗，但化疗在疗效、安全性、便利性等多方面存在较大局限。
创新性证明文件	↓ 下载文件 芦沃美替尼片-创新性证明文件.pdf
应用创新	1、唯一拥有朗格汉斯细胞组织细胞增生症（LCH）和组织细胞肿瘤成人患者适应症的药物； 2、更广的适用人群：获批

	用于2岁及以上患儿，惠及更多患者； 3、良好的耐受性：消化道不良反应、乏力、发热、射血分数降低明显少于同类药物； 4、剂型优势：平片剂型，相比同类药物的胶囊剂型更易于患儿吞服，提高了患者的依从性； 5、代谢优势：不经CYP酶代谢，药物相互作用少； 6、药动优势：半衰期长，每日用药一次。
应用创新证明文件	-
传承性（仅中成药填写）	无
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	神经纤维瘤病（NF）纳入《第二批罕见病目录》，Ⅰ型占NF的96%，手术难切除且复发率高。新生儿患病率约1/2500-1/3000，中国大陆约 9.9-11.9万NF1患儿。朗格汉斯细胞组织细胞增生症（LCH）纳入《第一批罕见病目录》，发病率不足1/100万。80%以上患者累及全身多系统，治疗药物空白。芦沃美替尼片突破这些罕见病“无药可医、有药难及”困境，填补国内治疗空白，具有里程碑意义。
符合“保基本”原则描述	2岁儿童NF1-PN目前儿童患者尚无药物可及：中国已获批NF1-PN治疗药物适应症年龄群体为3岁及3岁以上儿童患者；成人LCH和组织细胞瘤中国无标准治疗方案。
弥补目录短板描述	国产替代原研，弥补2-3岁NF1-PN患儿用药； 弥补国家目录内无朗格汉斯细胞组织细胞增生症和成人细胞瘤的用药短板。
临床管理难度描述	国家卫健委、NF1多中心协作组发布相关诊疗规范，诊疗路径明确； 说明书规定明确，且规定2岁及以上的儿童，临床管理无难度。

