

申请新增谈判纳入国家基本医保目录

塞普替尼胶囊 (睿妥®)

全球首个高选择性RET抑制剂，**填补RET靶向药保障空白**
疗效安全性更优，指南更推荐
获批儿童适应症，唯一具临床证据支持的治疗选择

目录

01 基本信息

- **全球首个** 高选择性RET抑制剂
- 临床进入 “有靶打靶” 新时代

02 有效性优势

- **疗效优于传统治疗及同类药品**, CSCO指南**唯一** I 级 (1类) 推荐
- **唯一** 进行儿童临床研究且发表结果, 疗效确证

03 安全性优势

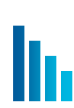
- **安全性优于同类药品**
- **获批儿童适应症**, 其临床研究结果显示耐受性好, 安全性保障强

04 创新性优势

- **选择性更高, 抑制作用更强**
- FDA&CDE优先审评审批

05 公平性优势

- **填补RET抑制剂目录空白**
- **保障儿童用药**



塞普替尼为全球首个RET靶向抑制剂，填补目录空白，临床进入“有靶打靶”新时代，适用于儿童且为唯一具临床实证的治疗选择

通用名

塞普替尼胶囊

商品名

睿妥®

首发上市

2020年5月，美国

中国上市

2022年9月

注册规格

80mg **(主规格)** ; 40mg

注册分类

化学药品5.1类

用法
用量

- ① 体重≥50kg 推荐剂量为160mg/次，口服给药，每日2次
- ② 体重<50kg 推荐剂量为120mg/次，口服给药，每日2次

适应症1
(主适应症)

转染重排 (RET) 基因融合阳性的局部晚期或转移性
非小细胞肺癌 (NSCLC) 成人患者

适应症2

需要系统性治疗的晚期或转移性RET突变型
甲状腺髓样(MTC)成人和12岁及以上**儿童患者**，
以及需要系统性治疗且放射性碘难治(如果放射性碘适用)的晚期或
转移性RET融合阳性甲状腺癌成人和12岁及以上**儿童患者**

[申报类别]：基本医保目录

[自荐参照]：空白

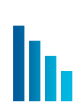
理由：

1) 填补目录空白：

- 目录内无 RET靶向治疗药品
- 目录内无适应症相似药品

2) 机制创新：

- 全球首个RET高选择性抑制剂



RET为肿瘤罕见靶点，肺癌是主适应症，目录内传统治疗疗效有限； 儿童患者用药无保障，未满足需求明确

RET为肿瘤罕见靶点，肺癌为主适应症

中国 RET(+) 肺癌新发患者每年约5000人

- NSCLC中约**0.7%-2%**发生RET融合¹
- **50%-80%**中国NSCLC患者诊断时**进行RET变异检测**²⁻³
- **中国新发** RET融合晚期NSCLC患者**每年约 5000人**

中国 RET(+) 甲状腺癌新发患者每年约1000人

- 甲状腺髓样癌（占甲状腺癌2%）中约**40%-60%**的患者发生RET突变
- 乳头状甲状腺癌中约**4.4%**的患者发生RET融合⁴⁻⁵
- 中国甲状腺癌**检测比例低于**肺癌⁶
- **中国新发** RET突变晚期MTC及RET融合晚期TC患者**每年约1000人**

文献数据显示，肺癌患者占RET(+)患者近90%

- 中国实体瘤样本研究分析显示，RET(+)患者中肺癌患者近90%⁶

肺癌为主适应症

肺癌患者未满足需求

01 脑转多，生存差

- 约**50%**RET基因融合NSCLC患者**会发生脑转**，脑转移患者的生存期仅**3-6个月**⁷⁻⁹

02 目录内无精准靶向药

- 医保目录内无RET靶向药物，患者以接受**传统治疗（化疗、免疫）**为主，共识推荐**含铂类化疗±贝伐珠单抗治疗方案**¹⁰

03 传统治疗疗效有限

- 含铂双药化疗mPFS **7.8个月**¹¹；免疫治疗mPFS **2.1个月**¹²
- 脑转患者无法获益

儿童患者未满足需求

01 儿童用药无保障

- 医保目录内治疗甲状腺癌的多靶点激酶抑制剂**中国说明书皆显示无儿童临床试验数据**，儿童临床用药疗效无依据，安全无保障¹³

1. Zhao L, et al. Front. Oncol., 30 May 2022

2. Laura Durbin, et al., Future Oncol. 2024;20(19):1319-1331.

3. Lu, S, et al., J. Journal of Thoracic Oncology, 2023:Volume 18, Issue 11, S550 - S551.

4. Zhao L, et al., Kong F. Front Oncol. 2023 Feb

5. Alejandro Román-González, et al., Therapeutic Advances in Endocrinology and Metabolism. 2025;16.

6. Yi Zhao, et al., Translational Oncology Volume 55, May 2025, 102384

7. Alexander Drilon, et al. J Thorac Oncol. 2018 Oct;13(10):1595-1601.

8. Chin J Lung Cancer, December 2020, Vol.23, No.12

9. Alexander Drilon, et al. J Thorac Oncol. 2018 Oct;13(10):1595-1601.

10. 晚期RET融合阳性非小细胞肺癌诊疗中国专家共识（2023版）

11. Gautschi O et al. J Clin Oncol. 2017 May 1; 35(13): 1403-1410.

12. Mazieres J, et al. Ann Oncol. 2019 Aug 1;30(8):1321-1328.

13. 安罗替尼、多纳非尼、仑伐替尼、索拉非尼说明书

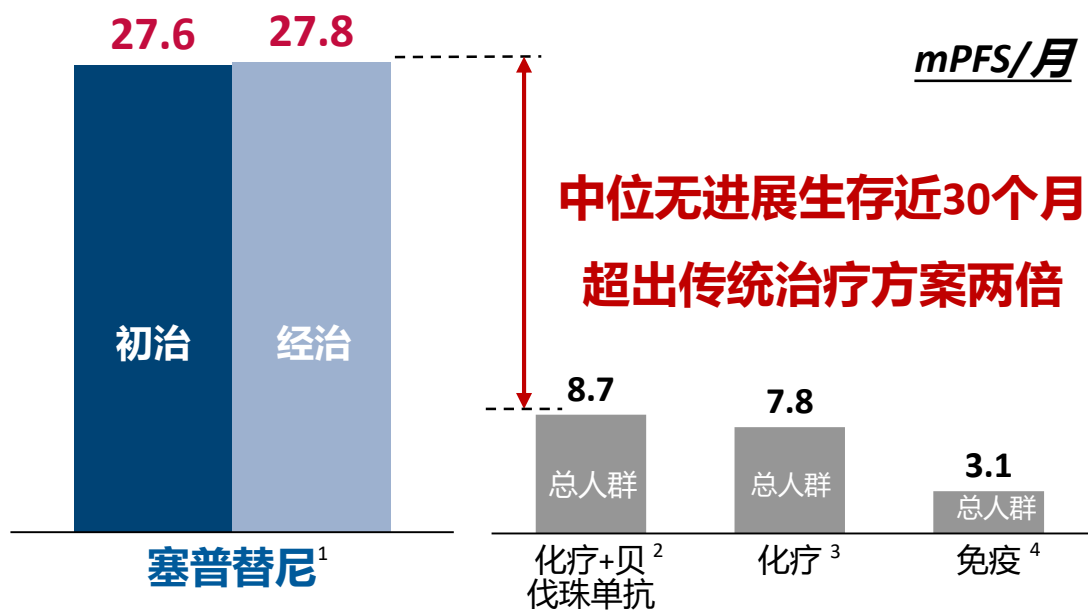


塞普替尼治疗 **RET(+)** NSCLC 患者mPFS、mDOR皆超24个月，较传统治疗患者生存获益大幅提升，且颅内强效应答，有效延缓颅内进展

较传统治疗，II期研究结果显示更优临床获益



中国II期研究与传统治疗临床疗效结果朴素对比*



✓ 缓解持久：初治患者mDoR达26.7个月，经治患者未达到^{s1}

唯一发表III期研究结果，证实显著疗效优势



一线患者全球III期随机对照结果(头对头)⁵

mPFS 超24个月，超出对照组(化疗±帕博利珠单抗)一倍

• 缓解强效：

ORR达84%(vs 65%)⁵

• 缓解持久：

mDoR达24.2个月(vs 11.5)⁵

研究结果发表于新英格兰



The NEW ENGLAND
JOURNAL of MEDICINE

脑转患者获益：强效持久且有效延缓进展

• 颅内强效应答：治疗基线病灶可测量的**脑转移患者(中国人群)**

ORR达80%¹

• 延缓颅内进展获益：基线**无脑转移患者**，2年颅内进展的预估发生率为0.7%⁶

*非头对头比较；mPFS：中位无进展生存期；NSCLC：非小细胞肺癌；OS：总生存期；ORR：客观缓解率；mDoR：中位持续缓解时间；S：中位随访时间34.2个月

1. Lu S, Cheng Y, et al., Ther Adv Med Oncol. 2025 Jan 1;17:175883592413071992

2. Ge Y, et al., Cancer Med. 2024 Jan;13(2):e6960.

3. Gautschi O, et al., J Clin Oncol. 2017 May 1; 35(13): 1403-1410.

4. Mazieres J, et al., Ann Oncol. 2019 Aug 1;30(8):1321-1328.

5. Zhou C, et al., Engl J Med. 2023 Nov 16;389(20):1839-1850.

6. Drilon A, et al., J Clin Oncol. 2023 Jan 10;41(2):385-394.



匹配间接比较显示，塞普替尼治疗 $RET(+)$ NSCLC 患者较同类药品疾病进展风险降低33%，显著延长患者无进展生存期，疗效更好

朴素对照疗效数据更优*



中国人群II期研究数据¹⁻²

初治患者

经治患者

	塞普替尼 (本品)	普拉替尼
	中国II期临床研究	中国患者分析
mPFS (月)	27.6	12.7
mOS (月)	尚未达到 中位随访: 38.7	尚未达到 中位随访: 17.8
mPFS (月)	27.8	11.7
mOS (月)	尚未达到 中位随访: 37.9	尚未达到 中位随访: 27.2

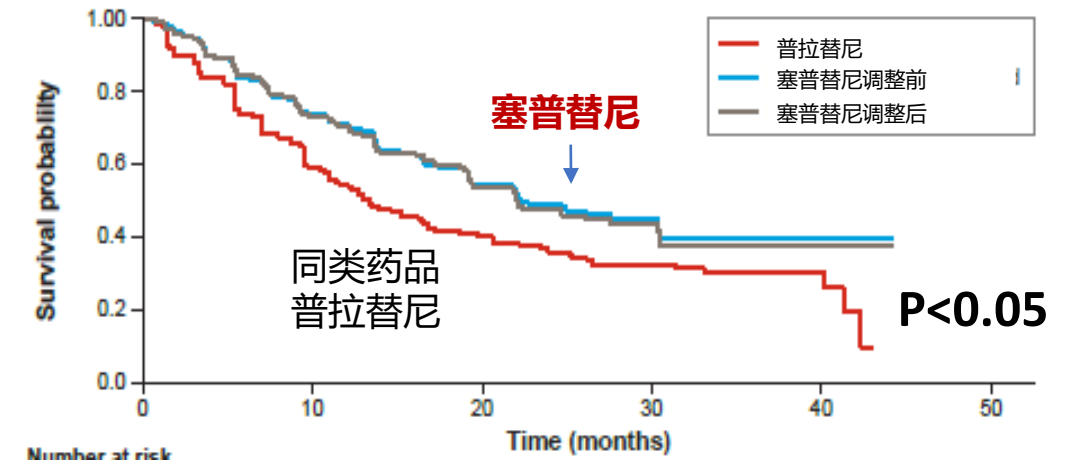
已发表匹配间接比较显示疗效显著优于同类药品



全球II期研究疗效数据³

	塞普替尼 (N=247)	普拉替尼 (N=281)	HR (95%CI;P值)
所有患者 mPFS(月)	22.1	13.3	0.67 (0.53-0.85;P<0.05)

Overall PFS



*非头对头比较; NSCLC: 非小细胞肺癌;

1. Lu S, et al., Ther Adv Med Oncol. 2025 Jan 1;17:175883592413071992

2. Qing Zhou, et al., Cancer. 2023 Oct 15;129(20):3239-3251.

3. Hochmair M, et al., Future Oncol. 2025 Jun 3:1-12.,



塞普替尼较同类药品对~~RET(+)~~甲状腺髓样癌患者疗效确切证据充分

甲状腺髓样癌II、III期临床疗效数据优，CDE和FDA完全获批



全球II期研究数据¹⁻²

	塞普替尼 (本品)		普拉替尼
	II期临床研究		II期临床研究
初治患者	ORR (%)	83%	77%
	mPFS (月)	尚未达到 (中位随访: 42.4)	尚未达到
经治患者	ORR (%)	78%	56%
	mPFS (月)	41.4	25.8



一线患者全球III期随机对照头对头研究:

- mPFS尚未达到 (vs传统治疗16.8个月, HR 0.28, P<0.001)³

研究结果发表于新英格兰

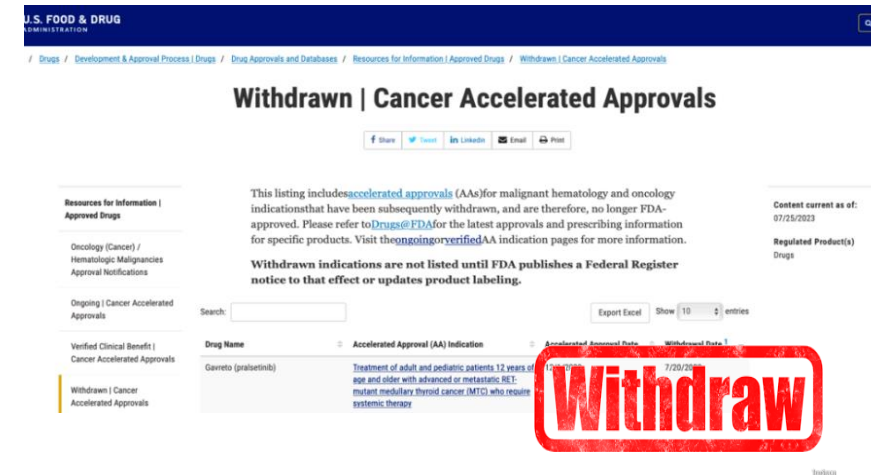


The NEW ENGLAND
JOURNAL of MEDICINE

✓ CDE与FDA皆批准塞普替尼RET突变甲状腺髓样癌适应症由附条件批准转为常规批准

普拉替尼该适应症已从FDA撤回

- 因无法完成III期确证性研究，2023年7月20日，FDA官网显示同类药品普拉替尼晚期RET突变甲状腺髓样癌适应症 **已撤回**⁴⁻⁵



*非头对头比较；PFS：无进展生存期；OS：总生存期；s：中位随访时间12个月

1. Wirth LJ, et al., J Clin Oncol. 2024 Sep 20;42(27):3187-3195.

2. Subbiah V, et al., Thyroid. 2024 Jan;34(1):26-40.

3. Hadoux J, et al., N Engl J Med. 2023. PMID: 37870969 Clinical Trial.

4. <https://bydrug.pharmcube.com/news/detail/e330adce0b940ff40a81c6e3c219bad5>

5. <https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/withdrawn-cancer-accelerated-approvals>



塞普替尼为唯一具临床证据支持RET(+)甲状腺癌儿童患者的治疗选择

唯一进行儿童临床试验，较传统治疗及同类药品临床获益明确

塞普替尼



儿童患者**获益明确**:

全球 I/II 期儿童及青少年临床研究显示，基线可测量病灶的患者中¹:

- RET 突变晚期甲状腺髓样癌患者 ORR 为 **83.3%**
- RET 融合晚期甲状腺癌患者 ORR 为 **100%**
- 在中位随访 18 个月中，**所有患者均未出现疾病进展**



✓ 唯一 FDA 获批用于 RET 基因改变的 2 岁及以上转移性甲状腺癌（包括甲状腺髓样癌）儿科患者⁴

目录内
多靶点激酶
抑制剂



- 中国获批说明书皆显示:
【儿童患者】**目前尚无本品用于 18 岁以下患者的临床数据**²

同类药品
普拉替尼



- 临床获益以成人数据外推**，其中国获批说明书显示³:
 - 年龄和体重对普拉替尼的药代动力学不存在具有临床意义的影响，预计普拉替尼在成人和 12 岁及以上儿童患者中的暴露量相似，...，**故可将成人数据外推至儿童患者**

ORR: 总体缓解率;

1. Daniel Morgenstern, Leo Mascarenhas et al; 2021 ASCO

2. 仑伐替尼、安罗替尼、多纳非尼说明书

3. 普拉替尼说明书

4. <https://bydrug.pharmcube.com/news/detail/b4883d6223636f6f30712a840454d4ac>



塞普替尼较同类药品在国内外各权威指南中推荐等级/证据等级更高

国内外指南推荐证据等级更高

适应症1 RET融合性非小细胞肺癌¹⁻³

指南	推荐情况	推荐等级及证据类别
 《CSCO非小细胞肺癌诊疗指南 2025》	推荐用于RET融合晚NSCLC的一线治疗和后线治疗	一线： 塞普替尼 I级 (1类) 普拉替尼 I级 (3类) 后线： 塞普替尼 I级 (1类) 普拉替尼 I级 (3类)
 《NCCN非小细胞肺癌临床实践指南2025 V5版》	推荐塞普替尼作为RET融合阳性晚期NSCLC一线和后线治疗	一线： 塞普替尼 (1类) 普拉替尼 后线： 塞普替尼 普拉替尼
《2025中国驱动基因阳性非小细胞肺癌脑转移临床诊疗指南》	RET 融合阳性的初治NSCLC脑转移患者，一线全身治疗推荐高选择性RET抑制剂	塞普替尼 (1B) 普拉替尼 (2B)

国内外指南更推荐

适应症2&3 RET(+)甲状腺癌⁴⁻⁵

指南	推荐情况	推荐等级及证据类别
 《NCCN甲状腺癌临床实践指南 2025 V1版》	对于需要系统性治疗的RET突变MTC患者推荐	塞普替尼 1类 普拉替尼 2B类
《RET基因变异甲状腺癌诊疗中国专家共识(2024版)》	对于RET基因融合阳性且放射性碘难治的、不可切除的局部复发/持续性DTC患者推荐	塞普替尼 普拉替尼
《RET基因变异甲状腺癌诊疗中国专家共识(2024版)》	对于不可手术切除的或远处转移的、病情持续进展的RET 基因突变MTC患者，一线治疗推荐高选择性RET 抑制	塞普替尼 1A 普拉替尼 1B
《RET基因变异甲状腺癌诊疗中国专家共识(2024版)》	对于2岁及以上RET突变及RET融合甲状腺癌 儿童患者 推荐塞普替尼 ⁵	仅推荐塞普替尼

1. CSCO非小细胞肺癌诊疗指南2025
 2. 非小细胞肺癌NCCN指南 (2025, V5)
 3. 《2025中国驱动基因阳性非小细胞肺癌脑转移临床诊疗指南》

4. NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology. Thyroid Carcinoma.2025.
 5. 2022RET 基因变异甲状腺癌诊疗中国专家共识 (2024 版)



安全性整体可控，较同类药品3级以上治疗相关不良反应风险降低61%，停药风险降低66%，**显著更优**

药品说明书刊载的安全性信息

- 最常见的不良反应 ($\geq 25\%$)：水肿、腹泻、疲劳、口干、高血压等
- 轻至中度肝功能不全、轻至重度肾功能不全患者均**无需调整剂量**

上市后国内外无安全性警告

自中国、美国、欧盟等多个国家/地区上市以来，未收到药监部门发布的安全性警告、黑框警告、撤市信息

儿童临床研究汇报安全性好¹

- 儿童患者整体不良反应轻**，临床研究汇报治疗过程中**未出现**因剂量限制性毒性或治疗期间出现的不良事件导致的停药
- 最常见的治疗期间出现的不良事件 ($\geq 25\%$) 包括腹泻、头痛、新冠病毒感染、恶心等

匹配间接比较显示与同类药品相比，**安全性显著更优**



全球关键II期研究安全性数据^{*2}

	塞普替尼 (N=247)	普拉替尼 (N=281)	OR (95%CI; P值)
≥ 3 级TRAE(%)	39.3	62.6	0.39 (0.29-0.49; $P<0.05$)
导致停药的TRAE(%)	3.6	10.0	0.34 (0.14-0.58; $P<0.05$)

*为 RET+NSCLC患者安全性数据分析结果，因RET+甲状腺癌患者数据不可得，未进行相关分析

1. Daniel Morgenstern, Leo Mascarenhas et al; 2021 ASCO

2. Hochmair M, et al., Future Oncol. 2025 Jun 3;1-12.

获CDE&FDA优先审评审批，FDA三项突破性疗法认证，更高选择性，更低IC50



- ✓ 优先审评审批
- ✓ 三项突破性疗法认证



国家药品监督管理局药品审评中心
CENTER FOR DRUG EVALUATION, NMPA

- ✓ 优先审评审批

精准结合RET靶点

- 塞普替尼通过与三磷酸腺苷（ATP）竞争结合，直接抑制RET自身磷酸化，继而影响下游信号通路，因此无论是RET融合还是突变，均能高选择抑制（见图1）
- 塞普替尼停靠在ATP结合袋一端而不插入，避免了门控突变的干扰，结合紧密（见图2）¹

图1
作用机制
示意图

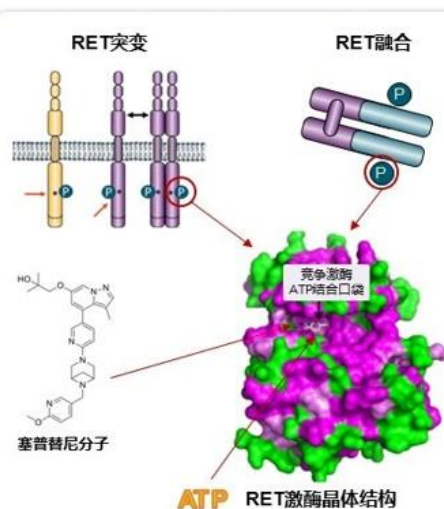
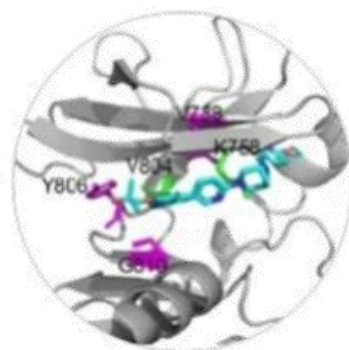
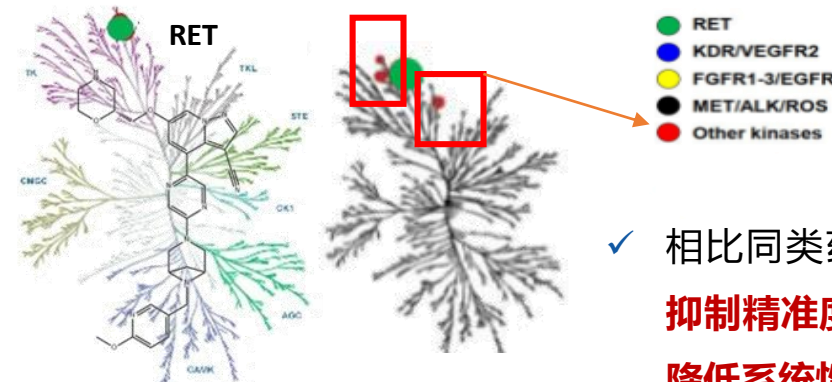


图2 结构创新示意图²



较同类药品选择性高，系统性不良反应发生率低



塞普替尼³

普拉替尼³

- ✓ 相比同类药品，塞普替尼对RET抑制精准度更高，选择性更强，降低系统性不良反应发生率⁴

较同类药品IC₅₀低，肿瘤抑制效果更强

化合物	塞普替尼	普拉替尼
IC ₅₀ RET, nM ⁴	0.56±0.03	2.80±0.01

- ✓ 抗肿瘤活性强：与同类药品普拉替尼相比，塞普替尼较低的IC₅₀值显示出更强的抗肿瘤活性
- ✓ 脑转患者获益好：低IC₅₀通过降低对绝对脑部浓度的依赖，使药物在有限穿透下仍能对中枢神经系统有效

1. Debasmit Saha et al. J Med Chem. 2021 Aug 26;64(16):11747-11773

2. Thein KZ, Trends Cancer. 2021 Dec;7(12):1074-1088

3. Cell Signaling Technology, Inc. (www.cellsignal.com)

4. Benjamin J Solomon, et al. Thorac Oncol. 2020 Apr;15(4):541-549



塞普替尼弥补目录治疗空白，强效且安全，基金影响有限，医保易管理



治疗疾病对公众健康的影响

- **【保障儿童用药】** 目录内药品针对儿童皆无临床试验依据，**塞普替尼获批儿童适应症且进行临床试验，保障儿童用药**
- **【助力癌症防治】** 根据《健康中国行动-癌症防治行动实施方案（2023-2030年）》的主要目标，到2030年，总体癌症5年生存率达到46.6%，患者疾病负担得到有效控制，塞普替尼纳入医保后有望显著**提升精准治疗可及性**，推动高质量癌症防控目标落地



符合“保基本”原则

- **【罕见靶点人数少】** RET基因变异属于罕见靶点，**患者规模小，基金可承受**，且可替代目录内因疗效不佳带来额外成本上升的传统治疗方案用药，进一步提高医保基金的使用效率
- **【保障患者用药】** 自上市以来，已累计纳入全国100多个惠民保产品，显著降低投保患者费用负担



弥补目录空白

- **【传统治疗方案获益有限】** 当前目录内无RET靶向药，**传统治疗方案疗效十分有限，未满足需求高**
- **【填补目录RET靶向药空白】** 塞普替尼作为全球首款高选择性RET抑制剂，**疗效显著，安全性优**



无滥用风险，易管理

- **【无滥用风险】** 本品说明书要求必须有**明确的相关RET变异诊断**，不易造成滥用
- **【易管理】** 口服剂型，用药方便，临床使用易于管理，患者依从性高；与同类药品普拉替尼需要空腹服药，本品是否与食物同服均可，患者用药便利性更高

请您支持全球首个RET抑制剂塞普替尼（睿妥®）纳入国家基本医保目录

自荐参照：**空白**

理由：

1) 填补目录空白：

- 目录内无 RET靶向治疗药品
- 目录内无适应症相似药品

2) 机制创新：

- 全球首个RET高选择性抑制剂

自荐评级：**突破**

◆ 主适应症-RET(+) 肺癌疗效**优于传统治疗及同类药品**

- 患者mPFS、mDOR**皆超24个月**，强效治疗脑转患者，**中国人群ORR达80%**
- 较同类药品疾病进展风险**降低33%**

◆ RET(+)甲状腺癌疗效确切，证据充分

- **唯一**具有临床证据支持**儿童患者**

◆ 整体安全可控

- 获批儿童适应症
- 较同类药品3级以上TRAE风险**降低61%**，停药风险**降低66%**

◆ 获**中美优先审批**，FDA**三项突破性疗法认证**

- 更高选择性、更低IC₅₀，较同类药品**更加安全强效**