

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：           贝组替凡片          

企业名称：           默沙东（中国）投资有限  
                                  公司

## 申报信息

申报时间	2025-07-19 23:47:41	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)	贝组替凡片	医保药品分类与代码	XL01XXB272A001010178642
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		
①药品注册分类	化药5.1		
核心专利类型1	中国化合物专利	核心专利权期限届满日1	2034-09
核心专利类型1	中国化合物专利	核心专利权期限届满日1	2034-09
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	40mg		
上市许可持有人(授权企业)	MERCK SHARP & DOHME (UK) LIMITED		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于治疗不需要立即手术治疗的von Hippel-Lindau (VHL) 病相关肾细胞癌(RCC)、中枢神经系统(CNS)血管母细胞瘤或胰腺神经内分泌肿瘤(pNET)成人患者。		
说明书用法用量	推荐剂量:本品推荐剂量为120 mg,口服给药,每日一次,直至疾病进展或出现不可接受的毒性。贝组替凡片应于每天同一时间服用,可与或不与食物同服。建议患者整片吞服。吞咽前请勿咀嚼、压碎或掰开贝组替凡片。如果漏服一剂贝组替凡片,可于同一天尽快补服。第二天恢复贝组替凡片的常规每日给药方案。请勿服用额外的片剂来弥补漏服的剂量。如果在服用贝组替凡片后的任何时间发生呕吐,请勿重新服药。第二天服用下一剂量即可。不良反应的剂量调整:贝组替凡片治疗不良反应的剂量调整总结见表。推荐的减量方案如下:第一次减少剂量:贝组替凡片80 mg口服,每日一次;第二次减少剂量:贝组替凡片40 mg口服,每日一次;第三次减少剂量:永久停药;特殊人群:老年人群(≥65岁),老年患者无需调整推荐剂量。在65岁及以上患者中使用贝组替凡片的数据有限(参见【老年用药】)。肾功能不全:轻度或中度肾功能不全(eGFR≥30 mL/min/1.73 m <sup>2</sup> )患者无需调整贝组替凡片的推荐剂量。尚未在重度肾功能不全患者中进行贝组替凡片的研究(参见【临床药理学】)。肝功能不全:轻度肝功能不全患者无需调整贝组替凡片的推荐剂量。尚未在中度或重度肝功能不全患者中进行贝组替凡片的研究(参见【临床药理学】)。儿童人群:尚未确定贝组替凡片在18岁以下儿童人群中的安全性和有效性。无相关数据。		
所治疗疾病基本情况	Von Hippel-Lindau 综合征(简称“VHL病”)是因位于染色体3p25.3的VHL抑癌基因致病性变异导致的常染色体显性遗传疾病。2023年9月,VHL综合征已被纳入中国《第二批罕见病目录》序号83。据国外报道,英美VHL病发病率约为1/91,000~1/36,000,患者人数较少。中国尚无VHL病相关流行病学数据。VHL病可累及多个器官和系统,我国患者中枢神经系统受累率最高61.3%,其次为胰腺46.7%、肾脏42.7%,会形成多个良性和恶性肿瘤或囊肿,患者长期处于带瘤、新增复发肿瘤状态。基于VHL病常见肿瘤和临床表现,患者主要集中在泌尿外科和神经外科进行诊疗。		
中国大陆首次上市时间	2024-11	注册证号/批准文号	国药准字HJ20240135
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	2021-08

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	目前全球均无获批同适应症同作用机制的其他药物。Von Hippel-Lindau综合征，又称“VHL病”已于2023年9月被纳入我国第二批罕见病目录，序号83。VHL病目前治疗方式主要为主动监测和手术，术后反复复发且有并发症，存在巨大未满足需求，贝组替凡片作为首个且目前唯一系统治疗VHL病药物，填补了VHL罕见病治疗的临床空白。HIF和氧感知的重大科学突破获2019年诺贝尔生理学或医学奖，贝组替凡片是一种新型口服的缺氧诱导因子2 $\alpha$ （HIF-2 $\alpha$ ）抑制剂，能够与HIF-2 $\alpha$ 结合，阻断因假性缺氧或者VHL蛋白功能受损所致的HIF-2 $\alpha$ 与HIF-1 $\beta$ 异源二聚化，抑制下游与肿瘤进展相关信号通路的异常开启，进而抑制肿瘤相关血管生成、肿瘤细胞增殖和生长等多条信号通路。美国FDA授予了贝组替凡片First-in-Class、突破性疗法、优先审评、孤儿药等重大创新资格认定，中国CDE将其纳入优先审评审批并获得正式批准上市。贝组替凡片基于卓越的疗效也获得了最新美国NCCN指南和欧洲EAU指南的推荐，中国VHL病诊治专家共识2025年正在更新中。
企业承诺书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 企业承诺书.pdf
药品最新版法定说明书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 贝组替凡片说明书.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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 贝组替凡片药品注册证书.pdf
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 贝组替凡片PPT1.pptx
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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 贝组替凡片PPT2.pptx



CHINA HEALTHCARE SECURITY

### 参照药品信息

说明：

- 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。
- 中成药：一律填写日均费用。
- 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<sup>2</sup>。
  - ② 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积1.6m<sup>2</sup>。

参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价（元） <sup>!</sup>	用法用量	费用类型	金额（元） <sup>!</sup>	疗程/周期 <sup>!</sup>
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：1.目前全球尚无治疗VHL病及无同作用机制的其他药物获批2.HIF和氧感知的重大科学突破获2019年诺贝尔生理学或医学奖，贝组替凡作为目前全球首个HIF2 $\alpha$ 抑制剂被中国CDE纳入优先审评审批并获正式批准上市,被FDA授予First-in-Class、突破性疗法、孤儿药、优先审评等创新认定3.澳大利亚、加拿大HTA评估中均为无参照药品，已纳入澳大利亚、加拿大、英国、德国、中国香港等国家或地区医保报销

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	国外LITESPARK-004研究结果：中位随访61.8个月，中位PFS仍未达到。•VHL-RCC肾细胞癌，5年客观缓解率 ORR达到70% •VHL-CNS HB 中枢神经系统血管母细胞瘤，5年客观缓解率ORR达到50% •VHL-pNET 胰腺神经内分泌肿瘤，5年客观缓解率ORR达到90%
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> LITESPARK-004研究5年随访结果.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	LITESPARK-015中国队列研究结果：中位随访14.9个月，中位PFS仍未达到。•VHL-RCC肾细胞癌，客观缓解率 ORR达到83% •VHL-CNS HB 中枢神经系统血管母细胞瘤，客观缓解率ORR达到60% •VHL-pNET 胰腺神经内分泌肿瘤，客观缓解率ORR达到67%
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> LITESPARK-015中国队列研究.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	国外LITESPARK-004研究结果：中位随访61.8个月，中位PFS仍未达到。•VHL-RCC肾细胞癌，5年客观缓解率 ORR达到70% •VHL-CNS HB 中枢神经系统血管母细胞瘤，5年客观缓解率ORR达到50% •VHL-pNET 胰腺神经内分泌肿瘤，5年客观缓解率ORR达到90%
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> LITESPARK-004研究5年随访结果.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	LITESPARK-015中国队列研究结果：中位随访14.9个月，中位PFS仍未达到。•VHL-RCC肾细胞癌，客观缓解率 ORR达

到83% •VHL-CNS HB 中枢神经系统血管母细胞瘤，客观缓解率ORR达到60% •VHL-pNET 胰腺神经内分泌肿瘤，客观缓解率ORR达到67%

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](#) LITESPARK-015中国队列研究.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

美国2025年NCCN指南：•针对VHL相关RCC患者 首选推荐贝组替凡 •针对无需立即手术或不可手术的VHL相关CNS 血管母细胞瘤患者 推荐贝组替凡 •针对VHL相关进展性的pNET患者 推荐贝组替凡

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）

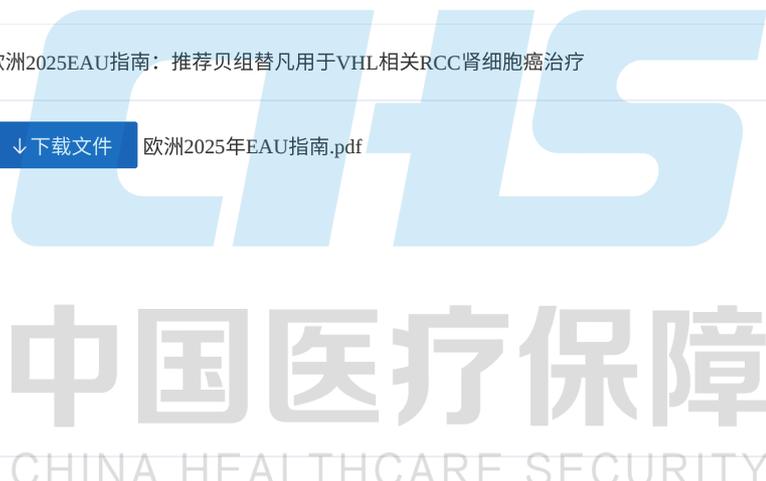
[↓ 下载文件](#) 美国2025年NCCN指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

欧洲2025EAU指南：推荐贝组替凡用于VHL相关RCC肾细胞癌治疗

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](#) 欧洲2025年EAU指南.pdf



临床指南/诊疗规范推荐情况1

美国2025年NCCN指南：•针对VHL相关RCC患者 首选推荐贝组替凡 •针对无需立即手术或不可手术的VHL相关CNS 血管母细胞瘤患者 推荐贝组替凡 •针对VHL相关进展性的pNET患者 推荐贝组替凡

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](#) 美国2025年NCCN指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

欧洲2025EAU指南：推荐贝组替凡用于VHL相关RCC肾细胞癌治疗

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](#) 欧洲2025年EAU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	CDE尚未公布该药品的《技术审批报告》
《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	CDE尚未公布该药品的《技术审批报告》
《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：在61例至少有一个可测量的肾脏实体瘤的VHL病患者中开展了一项开放性临床试验（LITESPARK-004），评价贝组替凡片的安全性。接受贝组替凡片的患者发生的不良反应（≥10%）包括贫血（90%）、疲劳（74%）、头晕（46%）、恶心（39%）、呼吸困难（26%）和体重增加（16%）。禁忌：对药物活性成份或辅料过敏者禁用。注意事项：贫血：在开始贝组替凡片治疗前和整个治疗期间定期监测贫血。对于严重贫血，需考虑降低剂量或暂停给药，并根据标准医疗实践进行治疗，包括ESA给药和/或输血。缺氧：贝组替凡片可引起重度缺氧，可能需要停药、辅助供氧或住院治疗。开始贝组替凡片治疗前和整个治疗期间，应使用脉搏血氧计监测患者的血氧饱和度，开始治疗的最初6个月内应增加监测频率。胚胎-胎儿毒性：基于动物研究结果，贝组替凡片可能导致人类胎儿损害。由于对胎儿的潜在风险，建议在治疗期间和末次给药后1周内使用高效避孕措施。药物相互作用：预期与UGT2B17或CYP2C19抑制剂同时给药可增加贝组替凡的血浆暴露，可能会增加贝组替凡不良反应的发生率和严重程度。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	根据默沙东全球定期安全性更新报告，自全球首次获批（2021-8-13）至2025-2-12，本品已在全球47个国家/地区注册并获批。在此期间，上市后本品累积患者暴露量约为3519（患者·年），全球累积自发报告不良反应约903例次（其中严重不良反应约290例次）。贝组替凡片在国内于2024年11月15日获批，截至2025-6-30暂未收到上市后不良反应报告。出于安全性原因而采取的监管措施描述如下：2024年11月，贝组替凡片获批在中国上市，根据监管部门要求，中国说明书添加关于胚胎-胎儿毒性的黑框警告。贝组替凡于2025年02月12日在欧盟获得上市许可。作为该批准的一部分，正在实施EU区域ARMM，包括提示重要潜在风险胚胎-胎儿毒性的患者卡片和医疗保健专业人员（HCP）指南，已体现在EU RMP中。这些欧盟地区的ARMM与贝组替凡的新安全性问题无关。
相关报导文献	<a href="#">↓ 下载文件</a> 贝组替凡片安全性信息.pdf

### 四、创新性信息

创新程度	贝组替凡片的全新靶点和创新机制是基于2019年诺贝尔生理学或医学奖的研究成果，是一种新型口服的缺氧诱导因子2α（HIF-2α）抑制剂。贝组替凡片是全球首个且目前唯一获批的HIF-2α抑制剂药物，被中国CDE纳入优先审评审批，并获正式批准上市；获得美国FDA的First-in-Class认证，突破性疗法，优先审评，孤儿药等创新认证。
创新性证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 贝组替凡片创新性证明文件.pdf
应用创新	口服给药，每日一次；常温储存，易于临床管理使用；老年患者无需调整推荐剂量；轻度或中度肾功能不全（eGFR≥30 mL/min/1.73 m <sup>2</sup> ）患者无需调整贝组替凡片的推荐剂量。轻度肝功能不全患者无需调整贝组替凡片的推荐剂量。
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 贝组替凡片说明书.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.VHL发病年龄早，且呈家族聚集。中国VHL患者的平均发病年龄早约30~40岁，死亡风险较高，预期寿命短于自然人群
-----------------	--

述	约12年。2. 现有手术治疗给患者生活质量和心理健康受到严重负面影响，贝组替凡可显著减少患者手术负担，维持器官正常功能，改善患者生活质量，为患者带来生存希望
符合“保基本”原则描述	1.Von Hippel-Lindau综合征已纳入我国《第二批罕见病目录》序号83，患者人数少，纳入医保对医保基金整体支出可控。 2.手术治疗费用高昂，反复多次手术使VHL病患者及家庭经济及生活负担沉重，贝组替凡片将改变病患无药可用困境，帮助患者回归社会劳动，减轻家庭照护及社会负担。
弥补目录短板描述	1.贝组替凡片是全球首个且目前唯一获批用于治疗VHL病的药物，填补临床和目录空白，5年长期随访的中位PFS仍未达到，ORR提高为VHL患者带来临床上持续性缓解。2.显著减少患者手术次数或延长手术间隔，降低手术并发症及死亡发生风险。
临床管理难度描述	1. 靶点、适应症及用法用量明确，无临床滥用风险，常温储存，临床管理难度低；2.每日一次口服给药，无进食限制，药品使用便捷，减少注射、门诊等给药成本；3. 耐受性、长期安全性良好，患者依从性高。