

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：波哌达可基注射液，注射剂

企业名称：上海信致医药科技有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-18 17:49:27	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)	波哌达可基注射液,注射剂	医保药品分类与代码	XB02BDB273B002010185418
药品类别	西药	是否为独家	是
申报目录类别	商保创新药目录		
①药品注册分类	治疗用生物制品1类		
核心专利类型1	病毒衣壳	核心专利权期限届满日1	2039-06
核心专利类型2	基因表达盒	核心专利权期限届满日2	2038-05
核心专利类型1	病毒衣壳	核心专利权期限届满日1	2039-06
核心专利类型2	基因表达盒	核心专利权期限届满日2	2038-05
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	8.0×10 ¹² vg (2mL) /瓶		
上市许可持有人(授权企业)	上海信致医药科技有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	用于治疗中重度血友病B(先天性凝血因子IX缺乏症)成年患者		
说明书用法用量	用法:单次静脉输注;用量:根据患者体重计算用药体积;本品的用量为5×10 ¹² vg/kg体重。用药体积(ml)=体重*1.25;瓶数(瓶)=用药体积/2;按照公式计算均向上取整。举例:60kg体重患者,用药体积75ml,所需药品38瓶。		
所治疗疾病基本情况	血友病B(HB)是凝血因子IX(FIX)缺乏的X连锁隐性遗传疾病,疾病严重程度与体内FIX水平相关;中重度HB患者(FIX活性水平<5IU/dl)会经历自发性出血,受伤或手术后出血。关节出血最为常见,同时患者长期表现为慢性疼痛、功能障碍、焦虑抑郁以及由关节损伤引起的残疾。另外,部分出血事件可致命,重度患者的死亡率是普通人群的2.7倍,预期寿命减少达15年。目前确诊的血友病B患者数约3782例		
中国大陆首次上市时间	2025-04	注册证号/批准文号	国药准字S20250016
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	2025-04
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作用机制治疗药物,本品为中国首个AAV基因治疗药物。2.补充外源凝血因子九(FIX)是目前治疗血友病B的主要手段,包括重组FIX,血源性FIX和人凝血酶原复合物(PCC)。但以上药物在体内半衰期短,均需要频繁输注,患者每年静脉输注次数最高可达176次,这给患者带来了沉重的“针头负担”。此外,尽管采用外源性FIX进行足		

量预防治疗，患者仍然会存在出血风险，进而带来关节损伤；反复静脉输注会增加感染和血栓风险；高强度凝血因子暴露增加抑制物风险，导致疗效降低或治疗无效。3.本品为中国首个自主研发和生产的AAV基因治疗产品，作用机制创新，单次输注后，患者可长期稳定高位表达内源性FIX，显著降低患者出血风险，避免长期外源性FIX输注，减少靶关节的产生，节约医疗资源使用，显著改善患者生存质量

企业承诺书

↓ 下载文件 1-1-企业承诺书.pdf

药品最新版法定说明书

↓ 下载文件 1-2-波哌达可基说明书.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-波哌达可基注册证.pdf

申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）

↓ 下载文件 1-4-1-波哌达可基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 1-4-2-波哌达可基PPT2.pdf

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：
 - 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。
 - 急救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。
 - 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。
 - 其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。
 - 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。
 - 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m²。
 - 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
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由： 医保目录内无同作用机制药物：本品为我国首个AAV基因治疗药物，重塑当前终生反复注射治疗模式，一次性输注，实现长期有效。本品具有革新作用机制：包括新型工程化强嗜肝性新型衣壳AAV843及优化的FIX-Padua，一次输注长期有效；突破性治疗品种，国家1类创新药。本品关键III期研究临床试验为单臂试验

其他情况请说明： 中国首个自主研发和生产的AAV基因治疗药物，突破性治疗品种，国家1类创新药，全球生物医药领域先进治疗药品之一

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	波哌达可基一次输注后，52周随访结果显示：（1）显著减少出血事件发生。平均年化出血率低至0.6，80.8%（21/26）的

患者在治疗后一年内无出血；（2）带来持久卓越关节保护。平均靶关节数从治疗前的1.1降至0；（3）显著减少外源性因子注射。52周FIX药物的平均输注次数，从治疗前的58.2次降至2.9次；（4）FIX水平长期高位稳定表达。52周时测得平均FIX活性达55.08IU/dL

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-波哌达可基三期临床试验.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

针对10例受试者治疗后长期随访4-5年的疗效数据显示：（1）所有受试者中位随访时间为213周（159-270周），最后一次随访FIX活性平均值为40.4%。其中前3例受试者已完成5年随访，FIX活性平均值36.9%；（2）接受治疗后，各时间点平均FIX活性>35%；（3）长期随访期间，90%的受试者FIX持续稳定较高表达，未发生出血事件，年化出血率为0，且完全停止外源性FIX产品的替代治疗

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-波哌达可基长期随访研究.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

波哌达可基一次输注后，52周随访结果显示：（1）显著减少出血事件发生。平均年化出血率低至0.6，80.8%（21/26）的患者在治疗后一年内无出血；（2）带来持久卓越关节保护。平均靶关节数从治疗前的1.1降至0；（3）显著减少外源性因子注射。52周FIX药物的平均输注次数，从治疗前的58.2次降至2.9次；（4）FIX水平长期高位稳定表达。52周时测得平均FIX活性达55.08IU/dL

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-波哌达可基三期临床试验.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

针对10例受试者治疗后长期随访4-5年的疗效数据显示：（1）所有受试者中位随访时间为213周（159-270周），最后一次随访FIX活性平均值为40.4%。其中前3例受试者已完成5年随访，FIX活性平均值36.9%；（2）接受治疗后，各时间点平均FIX活性>35%；（3）长期随访期间，90%的受试者FIX持续稳定较高表达，未发生出血事件，年化出血率为0，且完全停止外源性FIX产品的替代治疗

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-波哌达可基长期随访研究.pdf

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1

中国血友病管理指南 (2024版): 中国首个成功的血友病B基因治疗临床试验纳入了10例患者, 均接受 5×10^{12} vg/kg 剂量载体输注, 在随访1年时平均FIX: C为36.9IU/dl。同时该研究中1例FIX: C > 50IU/dl的患者成功接受左膝关节置换术。目前BBM-H901在中国人群中3期临床试验已经进入组结束, 预期成为中国首个提交NDA的血友病B基因治疗产品

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-中国血友病管理指南-2024年版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

中国血友病B腺相关病毒载体基因治疗临床应用指导意见 (2025): 近年来血友病B基因治疗得到了长足的发展, 国内外共有3种腺相关病毒 (AAV) 载体血友病B基因治疗产品获得上市许可, 其中波哌达可基在中国新近获批; 波哌达可基 (Palbociclib) 是由中国公司自主研发的血友病B基因治疗药物

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-中国血友病B腺相关病毒载体基因治疗临床应用指导意见-2025年版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

中国血友病管理指南 (2024版): 中国首个成功的血友病B基因治疗临床试验纳入了10例患者, 均接受 5×10^{12} vg/kg 剂量载体输注, 在随访1年时平均FIX: C为36.9IU/dl。同时该研究中1例FIX: C > 50IU/dl的患者成功接受左膝关节置换术。目前BBM-H901在中国人群中3期临床试验已经进入组结束, 预期成为中国首个提交NDA的血友病B基因治疗产品

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-中国血友病管理指南-2024年版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

中国血友病B腺相关病毒载体基因治疗临床应用指导意见 (2025): 近年来血友病B基因治疗得到了长足的发展, 国内外共有3种腺相关病毒 (AAV) 载体血友病B基因治疗产品获得上市许可, 其中波哌达可基在中国新近获批; 波哌达可基 (Palbociclib) 是由中国公司自主研发的血友病B基因治疗药物

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 2-2-2-中国血友病B腺相关病毒载体基因治疗临床应用指导意见-2025年版.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)

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

-

《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

-

《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：最常见的与研究药物相关TEAE为肝酶异常（ALT、AST升高）和输液相关反应，严重程度均为1~2级；基本无需治疗或通过对症药物干预即可痊愈，与本品既往已完成研究结果以及同类基因治疗产品相比，未观察到新的安全性信号和非预期AE。用药禁忌：1. 已知对本品活性成分或任何辅料发生超敏反应的患者禁用；2. 活动性肝炎患者禁用；3. 有潜在的肝脏疾病患者禁用；4. 存在未清除的FIX抑制物的患者禁用；5. 对FIX过敏的患者禁用。注意事项：包括1. 输液相关反应；2. 肝毒性；3. 预先存在的抗AAV843抗体；4. 血栓栓塞事件；5. 致癌性风险；6. 对男性及女性生育的影响；7. 肝肾功能不全的特殊人群；8. 其他，详见说明书。 药物相互作用：无药物相互作用的数据。

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

无

相关报导文献

↓ 下载文件

3-波哌达可基说明书.pdf

四、创新性信息

创新程度

中国首个且唯一自主研发及生产的AAV基因治疗药物，为突破性治疗品种，国家1类创新药并获优先审评审批。药物包含具有强肝靶向性的新型腺相关病毒衣壳rAAV843和优化的人凝血因子FIX-Padua基因表达盒。工程化改造的AAV呈低免疫原性、无致病性、高靶向性等特点；优化的FIX突变体因子表现出更高凝血活性。两者结合使用既提升治疗效果，又减少基因载体用量，提高安全性

创新性证明文件

↓ 下载文件

4-1-波哌达可基创新程度.pdf

应用创新

本品一次输注即可实现患者内源性FIX水平长期高位稳定表达，显著降低患者出血风险，减少外源性FIX的频繁长期输注；避免了患者依从性的影响，同时可节约患者整体治疗成本

应用创新证明文件

↓ 下载文件

4-2-波哌达可基应用创新.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

波哌达可基一次输注，长期有效，帮助患者逐步摆脱血友病羁绊，重启正常生活，融入社会，实现自身价值

符合“保基本”原则描述

血友病B患者使用重组FIX终生整体治疗费用可高达数千万元。波哌达可基重塑当前治疗模式，减少外源性凝血因子IX输注，降低出血事件发生，避免靶关节产生，进一步节约相应医疗资源，有显著长期经济效益

弥补目录短板描述	1.当前血友病B成人患者仅保障按需治疗，患者仍会发生出血及产生靶关节；2.波哌达可基可以帮助血友病B成年患者实现一次输注，长期0出血的健康改善，助力患者重获自由人生
临床管理难度描述	1.血友病B患者人数有限，估算潜在符合基因治疗标准的患者仅约600例，管理难度及成本很低； 2.波哌达可基为单次输注，接受基因治疗前患者需要进行严格的检测和评估，无临床滥用和超说明书用药风险，理赔风险可控。