

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：伐莫洛龙口服混悬液

企业名称：曙方（上海）医药科技有
限公司

申报信息

申报时间	2025-07-19 13:07:05	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）	伐莫洛龙口服混悬液	医保药品分类与代码	XH02ABF752X002010185385
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	化学药品5.1		
核心专利类型1	用于治疗疾病的NF-κB 的非激素甾体调节剂	核心专利权期限届满日1	2029-05
核心专利类型1	用于治疗疾病的NF-κB 的非激素甾体调节剂	核心专利权期限届满日1	2029-05
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	100ml:4g		
上市许可持有人（授权企业）	曙方（上海）医药科技有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	适用于4岁及以上杜氏肌营养不良（DMD）患者的治疗		
说明书用法用量	对于体重小于40 kg的患者，推荐给药剂量为6 mg/kg，每日一次。对于体重大于40 kg的患者，推荐给药剂量为240 mg（相当于6 ml混悬液），每日一次。		
所治疗疾病基本情况	杜氏肌营养不良（DMD）是最严重的进行性、致死性、X连锁隐性遗传性肌肉病之一，全身肌肉炎症和纤维化导致肌肉萎缩伴随患者一生。中国DMD发病率在存活男婴中约为1/5051，2023年全国新发913人。DMD患儿3岁出现明显步态异常，10-12岁丧失独立行走能力，最终因心肺功能衰竭死亡。中国DMD患者死亡中位年龄约为18.57岁。DMD疾病的多系统侵袭和生活质量长期下降，缺乏安全有效长期治疗的手段，使患儿、家庭、社会均面临极大负担。DMD患儿家庭的后勤和经济负担显著增加，DMD家庭的工作时间和效率损失约为20-29%。		
中国大陆首次上市时间	2024-12	注册证号/批准文号	国药准字HJ20240165
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	2023-10
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	杜氏肌营养不良（DMD）需要在幼儿期/学龄前期开始并长期持续治疗。伐莫洛龙（本品）上市前，中国没有药品获批此适应症。本品为独特9-11碳双键结构，同治疗领域无作用机制完全相同药品。在GRE（糖皮质激素反应元件）介导的反式激活副作用活性、骨代谢相关作用底物、盐皮质激素受体（MR）活性等作用机制上与传统糖皮质激素显著不同。传统激素为超适应症使用，主要有泼尼松/泼尼松龙。传统激素不良反应严重，包括生长抑制、骨折、库欣面容、多毛、行为		

	异常、体重增加等。患儿常因此而拒绝启动治疗、中途减量或停药。我国仅有54.1%患儿应用每日激素方案(传统激素0.3–0.75 mg/kg/天)超过1年，停药率高达39.6%。不足量不规范的治疗方式已被证实会导致疗效损失。传统治疗的副作用及对生长发育的显著影响使其无法成为患儿的常规用药，临床亟需安全有效的药物实现DMD长期足量治疗。本品能改善患儿力量和肺功能、延长行走能力，在延缓心肌病发生及避免脊柱侧弯手术同时，防止MR过度激活带来的心脏超负荷，减少传统激素库欣面容、多毛、行为改变、体重增加等，且不影响骨代谢和生长发育。本品可以真正实现DMD患儿长期足量治疗。
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书-曙方.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 伐莫洛龙说明书.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 伐莫洛龙药品注册证书.pdf
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 伐莫洛龙医保申报幻灯_含公平性2.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	↓ 下载文件 伐莫洛龙医保申报幻灯_不含公平性2.pptx

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）	用法用量	费用类型	金额（元）	疗程/周期
空白	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：1.伐莫洛龙是中国唯一具有DMD适应症的药品；2.CDE评审为突破性治疗药物；3.医保目录中无DMD治疗药物

其他情况请说明：杜氏肌营养不良（DMD）属于国家《第一批罕见病目录》中进行性肌营养不良的一种。伐莫洛龙是中国首个且唯一获得批准用于治疗DMD的药物，被CDE纳入突破性治疗药物。

二、有效性信息

试验类型1	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂、传统治疗（泼尼松）
试验阶段	上市前

对主要临床结局指标改善情况	与安慰剂比，伐莫洛龙（本品）TTSTAND速度从基线到第24周的变化达到主要终点；24周内所有运动功能改善程度均显著优于安慰剂，且在48 周内持续维持。整体安全性良好。 与传统治疗比，两者在运动功能改善上相当；本品临床相关AE发生率和严重程度均较低，传统治疗换成本品可使所有AE和特殊关注AE发生率分别降低19.3%和39.7%。 本品对骨、生长无有害影响，能逆转因传统治疗造成的骨代谢生物标志物异常
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 研究1证明文件_高亮翻译在正文后面.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	1) 长达30个月的随访数据显示，伐莫洛龙 2.0-6.0 mg/kg剂量组可持续延缓所有运动功能下降（TTSTAND速度变化、TTCLIMB速度变化、TTRW变化、6MWT变化、NSAA得分变化等）,证明伐莫洛龙长期治疗效果。 2) 伐莫洛龙在长达30个月时间里安全性良好。
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 研究2-原文及高亮翻译-翻译在原文后.pdf
试验类型3	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂、依普利酮
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	30名健康成年男性受试者参加研究，受到氟氢可的松（一种已知的盐皮质激素受体激动剂）激发后，与安慰剂组相比，伐莫洛龙组尿钠/钾比值有统计学意义上的显著增加（p<0.0001）。研究结果为伐莫洛龙在人体中作为盐皮质激素受体拮抗剂（MRA）的独特作用提供了临床证据。
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 Lionheart原文及高亮翻译.pdf
试验类型1	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂、传统治疗（泼尼松）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	与安慰剂比，伐莫洛龙（本品）TTSTAND速度从基线到第24周的变化达到主要终点；24周内所有运动功能改善程度均显著优于安慰剂，且在48 周内持续维持。整体安全性良好。 与传统治疗比，两者在运动功能改善上相当；本品临床相关AE发生率和严重程度均较低，传统治疗换成本品可使所有AE和特殊关注AE发生率分别降低19.3%和39.7%。 本品对骨、生长无有害影响，能逆转因传统治疗造成的骨代谢生物标志物异常
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	↓ 下载文件 研究1证明文件_高亮翻译在正文后面.pdf

（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）	
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	1) 长达30个月的随访数据显示，伐莫洛龙 2.0-6.0 mg/kg剂量组可持续延缓所有运动功能下降（TTSTAND速度变化、TTCLIMB速度变化、TTRW变化、6MWT变化、NSAA得分变化等）,证明伐莫洛龙长期治疗效果。 2) 伐莫洛龙在长达30个月时间里安全性良好。
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 研究2-原文及高亮翻译-翻译在原文后.pdf
试验类型3	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂、依普利酮
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	30名健康成年男性受试者参加研究，受到氟氢可的松（一种已知的盐皮质激素受体激动剂）激发后，与安慰剂组相比，伐莫洛龙组尿钠/钾比值有统计学意义上的显著增加（p<0.0001）。研究结果为伐莫洛龙在人体中作为盐皮质激素受体拮抗剂（MRA）的独特作用提供了临床证据。
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 Lionheart原文及高亮翻译.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《进行性假肥大性肌营养不良的糖皮质激素治疗循证指南（2025版）》推荐： 1) 伐莫洛龙被推荐用于治疗DMD； 2) 伐莫洛龙可改善DMD患者的肌肉力量及肌肉功能； 3) 对骨骼及身高影响最小的糖皮质激素，优先推荐伐莫洛龙；
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 进行性假肥大性肌营养不良的糖皮质激素治疗循证指南2025版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《进行性假肥大性肌营养不良的糖皮质激素治疗循证指南（2025版）》推荐： 1) 伐莫洛龙被推荐用于治疗DMD； 2) 伐莫洛龙可改善DMD患者的肌肉力量及肌肉功能； 3) 对骨骼及身高影响最小的糖皮质激素，优先推荐伐莫洛龙；
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 进行性假肥大性肌营养不良的糖皮质激素治疗循证指南2025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）	
--	--

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	2024年12月获批，暂无《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	2024年12月获批，暂无《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】在 6 mg/kg/天剂量下，本品最常见的不良反应包括类库欣外貌（28.6%）、呕吐（14.3%）、体重增加（10.7%）和易激惹（10.7%）。这些不良反应呈剂量依赖性，通常在治疗开始后的前几个月内较为多见，随着治疗的持续会逐渐减轻或趋于稳定。【禁忌】对本品活性成分或任何辅料过敏者禁用本品。接受皮质类固醇治疗曾发生超敏反应（包括过敏反应）的患者禁用本品。重度肝功能损害（Child-Pugh C 级）的患者禁用本品。在治疗开始的前 6 周以及治疗期间，禁止使用活疫苗或减毒活疫苗。【注意事项】本品可能会导致内分泌功能改变、增加感染风险、体重增加、对眼部骨骼等有影响。【药物相互作用】与强效 CYP3A4 抑制剂（如泰利霉素、克拉霉素、伏立康唑、葡萄柚汁等）联合给药时，需要降低推荐使用剂量。与强效 CYP3A4 诱导剂或强效 PXR 诱导剂（例如卡马西平、苯妥英、利福平、圣约翰草）可能会降低本品的血药浓度，可考虑替代选择使用CYP3A4 的非强效诱导剂。联用中效PXR 或CYP3A4 诱导剂时应慎重，因为这可能会相应地降低本品的血药浓度。（详见说明书）
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	伐莫洛龙上市后安全性良好，各国家或地区药监部门均未发布任何安全性警告、黑框警告、撤市信息。总体效益-风险状况良好。
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	①伐莫洛龙是新一代皮质类固醇，独特9-11碳双键结构，使其保留与强效抗炎疗效相关的基因转录抑制，减少与副作用相关的基因转录激活；是盐皮质激素受体拮抗剂，可防止由于MR激动引起的心脏超负荷；它不是羟基类固醇脱氢酶底物，减少了肌肉萎缩、骨质流失、胰岛素抵抗等副作用；类脂结构赋予其肌细胞膜稳定和修复能力。②伐莫洛龙被CDE评审为突破性治疗药物，获FDA和EMA孤儿药认证，及英国MHRA潜力创新药认证
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新性证明文件.pdf
应用创新	1)伐莫洛龙是中国首个且唯一获批用于治疗杜氏肌营养不良(DMD)的药物，填补临床治疗的空白；2) 适用于4岁及以上的DMD患者；3) 伐莫洛龙是口服混悬液剂型，且具有儿童开启安全盖，更适宜儿童给药。4) 未开启时常温25℃以下贮存，开启后2-8℃贮存，可维持3个月，贮藏条件不苛刻，方便贮藏和使用。5) 配备精确口服给药器，剂量精确至0.1ml，方便患儿精准调节剂量。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 应用创新证明文件.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	杜氏肌营养不良(DMD) 是一种X连锁隐性遗传性肌肉变性疾病，基本为男性患儿。DMD疾病对患儿、家庭、社会危害巨大，中国患儿死亡中位数在18.57岁， DMD家庭的工作时间和效率损失约为20-29%。伐莫洛龙安全性更佳，可真正实现DMD的长期足量治疗，显著提高患者健康水平，改善家庭社会负担。
符合“保基本”原则描述	杜氏肌营养不良(DMD)属于国家《第一批罕见病目录》进行性肌营养不良的一种，发病率在存活男婴中约为1/5051，2023年新发为913人，如纳入医保对基金影响有限。目前已在欧美上市，均被认定为孤儿药，国内上市价格低于全球最低价。
弥补目录短板描述	伐莫洛龙是中国唯一获批治疗杜氏进行性肌营养不良(DMD) 的药品，纳入国家医保目录将弥补DMD临床治疗及医保目录双重空白。
临床管理难度描述	杜氏进行性肌营养不良(DMD) 患者人数很少，疾病诊断流程清晰。伐莫洛龙口服用药，每天一次，适应症明确，无临床滥用和超说明书用药风险，按体重给药最大使用剂量240mg/天封顶，方便医保和医疗机构经办审核管理。