

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：布罗索尤单抗注射液

企业名称：协和麒麟（中国）制药有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-20 12:06:38	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）	布罗索尤单抗注射液	医保药品分类与代码	10mg:XM05BXB247B002010182988;20mg:
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		
核心专利类型1	中国专利号（申请号） ZL200880004814.5	核心专利权期限届满日1	2028-02
核心专利类型1	中国专利号（申请号） ZL200880004814.5	核心专利权期限届满日1	2028-02
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	西林瓶装：10mg（1ml）/瓶、 20 mg（1ml）/瓶		
上市许可持有人（授权企业）	Kyowa Kirin Co.,Ltd		
说明书全部适应症/功能主治	用于成人和1岁及以上儿童患者的X连锁低磷血症（XLH）。 用于成人无法根治性切除或定位的磷酸盐尿性间充质肿瘤相关的肿瘤性骨软化症（TIO）中的FGF23相关性低磷血症。		
说明书用法用量	本品皮下注射，应由医务人员操作。XLH儿童患者（1岁至18岁以下）推荐的起始剂量方案是0.8 mg/ kg, 四舍五入至最接近的10mg, 每2周一次。XLH成人患者（ 18岁及以上）的推荐剂量方案为1 mg/kg, 四舍五入至最接近的10 mg，每4周一次。TIO成人患者一般情况下， 本品给药剂量为0.3 mg / kg，皮下注射， 给药周期 4周。可根据血磷浓度和症状增加或减少剂量。		
所治疗疾病基本情况	XLH和TIO均属《第一批罕见病目录》51号罕见病低磷性佝偻病，XLH在儿童早期即发病，主要累及骨骼系统，多数儿童在近周岁开始负重时出现下肢畸形，并伴有生长迟缓、身材矮小、骨骼疼痛等；还会出现肌肉无力、疼痛以及牙齿发育异常等多个部位造成影响，具有较高的致残、致畸率。XLH和TIO的发病率在中国大陆均无相关数据，中国台湾地区的XLH患病率约为1/20万; TIO患者极少，仅有德国的TIO流行病学数据，发病率与患病率军不足发病率1/10万。艾昆纬2021市场调研报告显示：国内在治XLH患者人数约1000人，儿童患者约占75%； TIO患者约400人，多发于成人。临床分组：小儿内分泌-遗传代谢科		
中国大陆首次上市时间	2021-05	注册证号/批准文号	10mg（1ml）：国药准字SJ20210001、20 mg（1ml）/瓶：国药准字SJ20210002、30 mg（1ml）/瓶：国药准字SJ20210003
该通用名全球首个上市国家/地区	欧盟	该通用名全球首次上市时间	2018-02

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	磷酸二氢钠磷酸氢二钠颗粒，2024年3月上市，未进医保。传统治疗效果不理想，只是对症治疗，不是对因治疗。1) 不能使血磷水平达到正常范围，不能完全改善骨骼畸形和生长迟缓。2) 每日需用药4-5次，胃肠道症状明显，依从性差，并增加继发性甲旁亢风险。3) 活性维生素D过量可引起高钙尿症，会导致肾钙质沉积和肾功能受损。布罗索尤单抗是首个针对FGF23的全人源 IgG1单克隆抗体(First in Class)，可结合并抑制FGF23活性从而改善尿磷重吸收水平，进而提升血磷水平，最终改善骨骼矿化。多项儿童XLH研究证实，布罗索尤单抗相比传统治疗可显著改善磷代谢和骨转换相关生化指标，第4周时平均血磷及肾磷阈（TmP/GFR）显著提高到正常范围, 治疗12个月碱性磷酸酶（ALP）达标率为80%；第40周时麟平组佝偻病显著改善比例达72%明显高于传统组6%，第64周时麟平组佝偻病显著改善比例达87%，明显高于传统组19%，同时纠正骨骼畸形，促进生长、缓解疼痛和乏力，提升运动能力。2周或4周一次的给药方案提高患者依从性。
企业承诺书	↓ 下载文件 布罗索尤单抗注射液企业承诺书盖章版.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 布罗索尤单抗注射液说明书.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 布罗索尤单抗注射液注册证.pdf
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 布罗索尤单抗注射液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 布罗索尤单抗注射液PPT2.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。

中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

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 [❗]
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：

无参照。布罗索尤单抗是首个针对FGF23的全人源 IgG1单克隆抗体(First in Class)，弥补目录空白的创新药物。现行的医保药品目录内无同适应症药品。

其他情况请说明：-

二、有效性信息

试验类型1	单个样本量足够的RCT

试验对照药品	口服磷酸盐联合活性维生素D
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	1、显著改善佝偻病严重程度：第40周时佝偻病显著改善比例(72%) 明显高于传统(6%) ， 麟平组的患者在影像学总体印象变化评分(RGI-C)、总佝偻病严重程度评分显著改善。2、显著改善生长发育和运动能力：麟平组的身高Z评分、6分钟步行实验行走距离的改善明显大于传统治疗组的患者。3、显著改善磷酸盐调节和骨健康相关的生化指标：麟平组空腹血磷的提升显著高于传统治疗组，且维持血清磷水平在正常范围内。
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 1布罗索尤单抗与传统治疗X连锁低磷血症儿童的比较.pdf
试验类型2	真实世界数据
试验对照药品	无参照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	93名儿童<12 岁 n=65和青少年12-18 岁 n=28,XLH患者接受布罗索尤抗治疗12 个月后，两组患者血磷z值分别从基线-4.3、-5.6提升至-2.3、-2.1;TmP/GFRz值分别从-6.9、-5.6 升至-2.7、-2.4； ALPz值分别从2.8、2.7降至1.2、1.3，均具有显著性且在儿童和青少年患者中疗效相当。约42%患者血磷恢复至正常，80%ALP达标。
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布罗索尤单抗治疗对X连锁低磷血症儿童及青少年矿物质代谢的影响.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无参照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在41例股骨远端和胫骨近端生长板未闭合的儿童中，从基线至第160周，佝偻病严重程度总评分显著降低0.9±0.1(P<0.0001)。整个研究期间可升高血磷并维持正常范围(3.2-6.1mg/dl) 内，第160周时血磷平均值为3.35mg/dl(P<0.0001)。92%的儿童最大磷重吸收率在正常范围内、站立身高、步行距离、身体功能和疼痛都得到改善。大多数不良事件的严重程度为轻至中度。
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 3抗FGF23的单克隆抗体Burosumab在儿童X连锁低磷血症患者中的持续疗效和安全性研究.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	麟平治疗组的平均血磷水平显著高于安慰剂组，达标人群比例(94.1%vs7.6%)。与安慰剂相比，麟平组显著降低了西安大略大学和布列斯特大学营养不良指数(OWA)的僵硬程度评分和疼痛严重程度评分，麟平组患者活动性骨折的定

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）	试验类型5	单臂临床实验
	试验对照药品	无参照
	试验阶段	上市前
	对主要临床结局指标改善情况	22周评估时治疗组血磷水平显著升高，并维持至第144周，大多数骨软化症相关组织形态学指标在治疗后改善，类骨质体积/骨体积比值降低(p<0.05)。骨折/假性骨折愈合加快，新发骨折数量减少，至第144周33%完全愈合，13%部分愈合。基线时身体健康总评的平均评分(SD)低于一般人群平均值。第144周所有评分均改善，身体功能、疼痛和健康总评分显著增加，坐立试验的重复次数增加，在第 24 周发现显著改善
	↓ 下载文件 4一项评价布罗索尤单抗在X连锁低磷血症成人患者中有效性的研究.pdf	
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）	试验类型6	真实世界数据
	试验对照药品	口服磷酸盐及活性维生素D
	试验阶段	上市后
	对主要临床结局指标改善情况	1、布罗索尤单抗治疗3年后，50%（126/254）患儿下肢机械股胫骨角（mFTA）获得改善，显著高于传统疗法的 28%（5/18），恶化率仅 9%（22/254）。转为布罗索尤单抗对畸形改善的优势是传统疗法的 4.38 倍（p=0.0469）。2、持续传统治疗者下肢畸形改善有限，提示布罗索尤单抗可有效纠正儿童 XLH 下肢畸形，尽早使用效果更佳。
	↓ 下载文件 6从活性维生素D与磷酸盐补充治疗转换为布罗索单抗可显著纠正儿童X连锁低磷血症患者的下肢力线异常.pdf	
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）	试验类型7	系统评价或荟萃分析
	试验对照药品	无对照
	试验阶段	上市后
	对主要临床结局指标改善情况	本品治疗后血磷浓度升高0.88mg/dl (CI, I ² 0.70~1.07, 92%)，血清ALP降低162.84U/L （250.77~-74.95, 88%）1,25(OH) ₂ D升高18.91pg/ml（6.39~31.43, 96%）TmP/GFR升高1.22mg/dl（0.70~1.74, 93%）儿童青少年获益更显著。未增加肾钙质沉着症风险，常见不良反应为关节痛等，耐受性良好
	↓ 下载文件 7布罗索尤单抗在X连锁低磷血症患者中的疗效与安全性基于真实世界研究数据的系统综述和荟萃分析.pdf	

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8	真实世界数据
试验对照药品	口服磷酸盐及活性维生素D
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	单抗治疗1年后成人XLH患者血磷（0.78vs0.15mg/dL, p<.001）、患者血磷达标比例（65.6%vs29.9%, p=0.008) 以及1,25 (OH)2D（19.41vs5.49pg/mL, p=.011）与PTH改善程度（-13.82 vs +11.79pg/ml, p=.006）均优于传统治疗组。骨关节炎指数中疼痛评分、物理功能评分及总分改善显著。安全性与既往研究一致。
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 8布罗索单抗与口服磷酸盐及活性维生素D治疗成人X连锁低磷血症在真实世界中的疗效比较.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	口服磷酸盐联合活性维生素D
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	1、显著改善佝偻病严重程度：第40周时佝偻病显著改善比例(72%) 明显高于传统(6%) ， 麟平组的患者在影像学总体印象变化评分(RGI-C)、总佝偻病严重程度评分显著改善。2、显著改善生长发育和运动能力：麟平组的身高Z评分、6分钟步行实验行走距离的改善明显大于传统治疗组的患者。3、显著改善磷酸盐调节和骨健康相关的生化指标：麟平组空腹血磷的提升显著高于传统治疗组，且维持血清磷水平在正常范围内。
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 1布罗索尤单抗与传统治疗X连锁低磷血症儿童的比较.pdf
试验类型2	真实世界数据
试验对照药品	无参照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	93名儿童<12 岁 n=65和青少年12-18 岁 n=28,XLH患者接受布罗索尤抗治疗12 个月后，两组患者血磷z值分别从基线-4.3、-5.6提升至-2.3、-2.1;TmP/GFRz值分别从-6.9、-5.6 升至-2.7、-2.4; ALPz值分别从2.8、2.7降至1.2、1.3，均具有显著性且在儿童和青少年患者中疗效相当。约42%患者血磷恢复至正常，80%ALP达标。
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布罗索尤单抗治疗对X连锁低磷血症儿童及青少年矿物质代谢的影响.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无参照

试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在41例股骨远端和胫骨近端生长板未闭合的儿童中，从基线至第160周，佝偻病严重程度总评分显著降低0.9±0.1(P<0.0001)。整个研究期间可升高血磷并维持正常范围(3.2-6.1mg/dl) 内，第160周时血磷平均值为3.35mg/dl(P<0.0001)。92%的儿童最大磷重吸收率在正常范围内、站立身高、步行距离、身体功能和疼痛都得到改善。大多数不良事件的严重程度为轻至中度。
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 3抗FGF23的单克隆抗体Burosumab在儿童X连锁低磷血症患者中的持续疗效和安全性研究.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	麟平治疗组的平均血磷水平显著高于安慰剂组，达标人群比例(94.1%vs7.6%)。与安慰剂相比，麟平组显著降低了西安大略省和麦马斯特大学悟关节炎指数(WOMAC)的僵硬程度评分和BPI疼痛严重程度评分。麟平组受试者活动性骨折的完全愈合率显著高于安惠剂组受试者(43.1%vs7.7%)，麟平组骨折愈合的几率是安慰剂组的16.8倍。麟平组的骨形成和骨吸收的生化标志物与安慰剂组相比显著增加。
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 4一项评价布罗索尤单抗在X连锁低磷血症成人患者中有效性的研究.pdf
试验类型5	单臂临床实验
试验对照药品	无参照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	22周评估时治疗组血磷水平显著升高，并维持至第144周，大多数骨软化症相关组织形态学指标在治疗后改善，类骨质体积/骨体积比值降低(p<0.05)。骨折/假性骨折愈合加快，新发骨折数量减少，至第144周33%完全愈合，13%部分愈合。基线时身体健康总评的平均评分(SD)低于一般人群平均值。第144周所有评分均改善，身体功能、疼痛和健康总评分显著增加，坐立试验的重复次数增加，在第 24 周发现显著改善
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 5布罗索尤单抗治疗肿瘤性骨软化症.pdf
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	口服磷酸盐及活性维生素D
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	1、布罗索尤单抗治疗3年后，50%（126/254）患儿下肢机械股骨胫骨角（mFTA）获得改善，显著高于传统疗法的 28%（5/18），恶化率仅 9%（22/254）。转为布罗索尤单抗对畸形改善的优势是传统疗法的 4.38 倍（p=0.0469）。2、持续传统治疗者下肢畸形改善有限，相反在服用药物期间有效纠正儿童 X 连锁低磷血症，且身体功能更优。

持续传统治疗有下肢畸形改善有限，提示布罗索尤单抗可有效纠正儿童 XLH 下肢畸形，公平使用效果更佳。	
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 6从活性维生素D与磷酸盐补充治疗转换为布罗索单抗可显著纠正儿童X连锁低磷血症患者的下肢体线异常.pdf
试验类型7	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	无对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	本品治疗后血磷浓度升高0.88mg/dl (CI, I ² 0.70~1.07, 92%)，血清ALP降低162.84U/L （250.77~-74.95, 88%）1,25(OH) ₂ D升高18.91pg/ml（6.39~31.43, 96%）TmP/GFR升高1.22mg/dl（0.70~1.74, 93%）儿童青少年获益更显著。未增加肾钙质沉着症风险，常见不良反应为关节痛等，耐受性良好
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 7布罗索尤单抗在X连锁低磷血症患者中的疗效与安全性基于真实世界研究数据的系统综述和荟萃分析.pdf
试验类型8	真实世界数据
试验对照药品	口服磷酸盐及活性维生素D
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	单抗治疗1年后成人XLH患者血磷（0.78vs0.15mg/dL, p<.001）、患者血磷达标比例（65.6%vs29.9%, p=0.008）以及1,25(OH) ₂ D（19.41vs5.49pg/mL, p=.011）与PTH改善程度（-13.82 vs +11.79pg/ml, p=.006）均优于传统治疗组。骨关节炎指数中疼痛评分、物理功能评分及总分改善显著。安全性与既往研究一致。
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 8布罗索单抗与口服磷酸盐及活性维生素D治疗成人X连锁低磷血症在真实世界中的疗效比较.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	2024年出版的《低磷佝偻病/骨软化症诊疗实践指南》 建议将布罗索尤单抗作为1岁或以上XLH儿童以及具有严重骨异常放射学证据的青少年一线治疗。对于伴有明显骨软化症、假骨折、对传统治疗无效或不耐受的成人XLH患者建议将布罗索尤单抗作为优选治疗。对于无法根治性切除或定位的TIO成人患者建议布罗索尤单抗作为首选治疗。
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 1低磷性佝偻病_骨软化症诊治实践指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2025年欧洲出版的《X连锁低磷性佝偻病的诊断与管理临床实践指南》指出对合并相关症状的XLH 患儿，布罗索尤单抗是目前推荐的一线治疗，该疗法可使大部分患者的磷酸盐稳态恢复正常并促进佝偻病痊愈。一旦确诊 X 连锁低磷性佝偻

	病（XLH）且存在佝偻病体征（包括腿部畸形、总碱性磷酸酶（ALP）水平升高和/或佝偻病影像学证据），应尽早使用布罗索尤单抗治疗（B 级推荐，中等强度推荐）。
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2025X连锁低磷性佝偻病的诊断与管理临床实践推荐意见.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	2021年中国出版《Consensus on clinical management of tum or-induced osteomalacia》指出 在条件允许的情况下，布罗索尤单抗或活性维生素D合并磷酸盐用药应作为首选药物。布罗索尤单抗是近期最有前途的药物。
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3_肿瘤性骨软化症的临床管理共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	2024年出版的《低磷佝偻病/骨软化症诊疗实践指南》 建议将布罗索尤单抗作为1岁或以上XLH儿童以及具有严重骨异常放射学证据的青少年一线治疗。对于伴有明显骨软化症、假骨折、对传统治疗无效或不耐受的成人XLH患者建议将布罗索尤单抗作为优选治疗。对于无法根治性切除或定位的TIO成人患者建议布罗索尤单抗作为首选治疗。
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1低磷性佝偻病_骨软化症诊治实践指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2025年欧洲出版的《X连锁低磷性佝偻病的诊断与管理临床实践指南》指出对合并相关症状的XLH 患儿，布罗索尤单抗是目前推荐的一线治疗，该疗法可使大部分患者的磷酸盐稳态恢复正常并促进佝偻病痊愈。一旦确诊 X 连锁低磷性佝偻病（XLH）且存在佝偻病体征（包括腿部畸形、总碱性磷酸酶（ALP）水平升高和/或佝偻病影像学证据），应尽早使用布罗索尤单抗治疗（B 级推荐，中等强度推荐）。
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2025X连锁低磷性佝偻病的诊断与管理临床实践推荐意见.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	2021年中国出版《Consensus on clinical management of tum or-induced osteomalacia》指出 在条件允许的情况下，布罗索尤单抗或活性维生素D合并磷酸盐用药应作为首选药物。布罗索尤单抗是近期最有前途的药物。
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	↓ 下载文件3_肿瘤性骨软化症的临床管理共识.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	认可UX023-CL303研究和UX023 -CL301研究评价指标的选择和分析方法，审评复核结果与申请人一致。不管是在总体人群还是亚洲人群中，以上两项研究，均可认为布罗索尤单抗注射液优于安慰剂或阳性对照药。在以成人XLH患者为研究对象的安慰剂对照试验，以儿童XLH患者为研究对象的现有疗法的对照试验的结果表明， XLH患者给予KRN23可获得使血磷浓度升高并持续改善磷稳态、改善佝偻病／骨软化症的骨骼临床症状、改善儿童患者的生长发育、改善QOL和运动机能等益处。在针对成人TIO患者的研究中，亚洲人群与非亚洲人群之间的PK/ PD、疗效和安全性特征无临床显著差异。在两项TIO关键性临床研究中，布罗索尤单抗治疗导致血磷随时间一致性增加且具有可比性。在FGF23抑制的其他药效学指标中也观察到一致的治疗效果，例如TmP/GFR和维生素D水平升高。显然，这两个人群的基线疾病都是TIO人群的典型基线疾病，包括磷酸盐重吸收受损、低磷血症和1,25(OH) 2D合成减少。虽然两项研究缺乏对照组，但这些关键生化疾病参数随时间推移较基线的一致改善证实了布罗索尤单抗对TIO中磷酸盐体内稳态的明确治疗获益。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 布罗索尤单抗注射液申请上市技术审评报告.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	认可UX023-CL303研究和UX023 -CL301研究评价指标的选择和分析方法，审评复核结果与申请人一致。不管是在总体人群还是亚洲人群中，以上两项研究，均可认为布罗索尤单抗注射液优于安慰剂或阳性对照药。在以成人XLH患者为研究对象的安慰剂对照试验，以儿童XLH患者为研究对象的现有疗法的对照试验的结果表明， XLH患者给予KRN23可获得使血磷浓度升高并持续改善磷稳态、改善佝偻病／骨软化症的骨骼临床症状、改善儿童患者的生长发育、改善QOL和运动机能等益处。在针对成人TIO患者的研究中，亚洲人群与非亚洲人群之间的PK/ PD、疗效和安全性特征无临床显著差异。在两项TIO关键性临床研究中，布罗索尤单抗治疗导致血磷随时间一致性增加且具有可比性。在FGF23抑制的其他药效学指标中也观察到一致的治疗效果，例如TmP/GFR和维生素D水平升高。显然，这两个人群的基线疾病都是TIO人群的典型基线疾病，包括磷酸盐重吸收受损、低磷血症和1,25(OH) 2D合成减少。虽然两项研究缺乏对照组，但这些关键生化疾病参数随时间推移较基线的一致改善证实了布罗索尤单抗对TIO中磷酸盐体内稳态的明确治疗获益。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 布罗索尤单抗注射液申请上市技术审评报告.pdf

三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	临床试验中最常见不良反应为头痛及注射部位反应，注射部位反应的严重程度通常为轻度，无需治疗，且所有病例均消退。对本品活性成分或任何辅料过敏的患者禁用，如果发生严重超敏反应则停止使用本品，并给予适当的治疗。禁忌与口服磷酸盐、活性维生素D类似物（如骨化三醇、帕立骨化醇、度骨化醇、骨化二醇）合并给药。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	各国家或药监部门未发布安全性警告、黑框警告或撤市信息，临床试验中最常见不良反应为头痛及注射部位反应。注射部位反应的严重程度通常为轻度，无需治疗，且所有病例均消退。
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	布罗索尤单抗（麟平）是首个针对FGF23的全人源 IgG1单克隆抗体(First in Class)，可结合并抑制FGF23活性从而使血磷水平增加，最终改善骨骼矿化。FDA和EMA分别授予孤儿药资格。FDA批准的首个用于XLH和TIO的突破性疗法。由于国内XLH及TIO尚无有效治疗药物，该药品被列入“第二批临床急需境外新药名单”。
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新程度.pdf
应用创新	传统治疗效果不理想，只是对症治疗，不是对因治疗。1) 不能使血磷水平达到正常范围，不能完全改善骨骼畸形和生长迟缓。2) 每日需用药4-5次，胃肠道症状明显，依从性差，并增加继发性甲旁亢风险。3) 活性维生素D过量可引起高钙尿症，会导致肾钙质沉积和肾功能受损。麟平靶向结合并抑制FGF23活性从而改善磷稳态，改善佝偻病症状、生理功能及骨骼健康。2周或4周一次的给药方案为患者提供了全新的治疗选择。

应用创新证明文件	↓ 下载文件 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	低磷性佝偻病是《第一批罕见病目录》51号疾病，包括遗传性的XLH和获得性的TO，是一类进展性的致残、致畸的罕见病。XLH在儿童早期即发病，主要累及骨骼系统。XLH和TIO易造成骨骼畸形、骨折骨痛、口腔疾病等，导致多器官损害，最终致残致畸。布罗索尤单抗是针对病因的突破性治疗药物，能有效纠正骨骼畸形，提升血磷水平，帮助患者回归正常生活。
符合“保基本”原则描述	罕见病患者群体虽小，但其基本的用药权益应该得到保障。由于发病率极低，人数有限，布罗索尤单抗（麟平®）纳入医保对基金的总体影响可控。 目前低磷性佝偻病诊断明确，但患者的基本临床用药需求未被满足。
弥补目录短板描述	布罗索尤单抗（麟平®）是全球首个治疗XLH/TIO的靶向药物，填补了临床空白，被纳入国家临床急需境外新药名单，可有效弥补医保目录内对低磷性佝偻病的药品保障的空白。
临床管理难度描述	"患者依从性高：儿童XLH患者每2周注射一次，成人XLH/TIO患者每4周注射一次，使用方便。 布罗索尤单抗（麟平®）适应症明确：用于治疗XLH和TIO，疾病诊断明确，不存在超适应症用药，无临床滥用风险。"