

2024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： 氘可来昔替尼片

企业名称： 百时美施贵宝（中国）投
 资有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-12 15:17:21	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2019年1月1日至2024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。
- 2.2019年1月1日至2024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通用名药品。
- 3.2024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。
- 4.2024年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入卫生健康委等部门《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》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。
- 5.2024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卫生健康委《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)	氘可来昔替尼片	医保药品分类与代码	XL04AAD372A001010179518
药品类别	西药	是否为独家	是
① 药品注册分类	化药1类		
核心专利类型1	化学药品活性成分化合物专利	核心专利权期限届满日1	2033-11
核心专利类型1	化学药品活性成分化合物专利	核心专利权期限届满日1	2033-11
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	6mg		
上市许可持有人(授权企业)	Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于适合系统治疗或光疗的成年中重度斑块状银屑病患者。		
说明书用法用量	推荐剂量为6mg，每日一次。口服，可与或不与食物同服。		
所治疗疾病基本情况	银屑病不是简单的皮肤病，是免疫介导的慢性、复发性、系统性自身免疫疾病，白介素通路在发病中起关键作用。中国患病率0.47%。临床表现为红斑或皮损，约58%的患者合并共病，如心血管代谢疾病、抑郁症等，发生银屑病关节炎的终身风险更高达30%，带来更严重的疾病负担；头皮、掌跖是高发难治部位，尤为影响患者生活质量。银屑病尚无法根治，需长期治疗，即使皮损暂时清除，也仍有复发和进展的可能，总体复发率高达90%		
中国大陆首次上市时间	2023-10	注册证号/批准文号	国药准字HJ20230120
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	2022-09
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	白介素通路在银屑病发病中起关键作用。按是否作用于核心发病通路，可将治疗药物分为两类：1)早期传统治疗药物(甲氨蝶呤、TNF α 抑制剂、阿普米司特等)，未作用于核心发病通路，疗效、安全性欠佳，临床应用已逐步减少；2)作用于核心发病通路的白介素类生物制剂(如乌司奴单抗、司库奇尤单抗等)，短期疗效较好，临床应用广泛。但大分子生物制剂具免疫原性，长期使用可产生抗药抗体，存在疗效衰减、特殊部位(头皮、掌跖等)疗效不佳、免疫漂移等不足；真实世界数据显示，生物制剂18个月停药率高达23%；治疗24周后，近50%的患者仍有头皮等特殊部位皮损。虽上述产品在过去数年中均纳入国家医保目录，提高了患者药物的可及性与可负担性，但高达65.8%的患者对现有治疗方案仍不满意。临床亟需高效持久、长期安全及便利的口服靶向治疗药物，以有效控制疾病进展、及其带来的更严重的医疗资源消耗。然而此类药物仍是医保目录的空白。氘可来昔替尼是化药1类新药，其TKY2靶向精准高效，变构抑制安全性佳，氘代优化进一步提升安全性和稳定性；小分子口服药物无疗效衰减，更能满足银屑病管理的需求；被国际权威期刊《自然》评为全球药物研发的划时代新药		

企业承诺书	↓ 下载文件	企业承诺书-已签字盖章.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件	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补充注册、再注册批准证明文件，请扫描成一个文件后上传	↓ 下载文件	注册证_合并.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件	氐可来昔替尼片PPT1.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含经济性/价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件	氐可来昔替尼片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：（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。
 - 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)	用法用量	费用类型	疗程/周期	金额(元)
乌司奴单抗注射液	是	45mg/0.5ml	4015.74	首次45mg皮下注射，4周后及之后每12周给予一次相同剂量	年度费用	365天	20079

参照药品选择理由： 医保目录内有且仅有乌司奴单抗也作用于 IL-12/23 通路，临床应用较广泛，适合作为医保参照药；同时，TYK2属JAK激酶家族，建议以目录内的选择性JAK抑制剂（乌帕替尼、阿布昔替尼）作为价格参考

其他情况请说明： 阿普米司特不合作医保参照药：作用通路完全不同（PDE-4），未作用于核心IL通路，疗效有限（16周PASI 75应答率仅35%），临床应用十分有限

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	安慰剂
试验阶段	上市前

对主要临床结局指标改善情况	POETYK PSO-3是为期52周、亚洲多中心随机双盲、安慰剂对照III期临床研究，纳入220例患者（中国人群占比81.8%）。结果证实，氘可来昔替尼的各项疗效指标均显著优于安慰剂。主要研究终点PASI 75应答率：68.8% vs 8.1%；静态医师全面评估sPGA0/1：55.6% vs 6.8%；次要研究终点头皮皮屑清除或基本清除ss-PGA 0/1：62.9% vs 9.8%
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 POETYKPSO3.pdf
试验类型2	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	POETYK PSO-3试验的亚组分析，纳入了210例头皮受累的患者、51例掌跖受累的患者。结果显示，氘可来昔替尼治疗52周，实现平均80.7%的头皮改善和85.1%的掌跖改善。进一步证明，氘可来昔替尼治疗高发、难治部位的疗效显著
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 CSD2024PSO3_SpecialAreaEfficacy.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	POETYK PSO-LTE是为期244周全球多中心、开放性标签长期扩展研究，纳入513名患者。研究显示，接受氘可来昔替尼治疗的患者4年疗效持久稳定，PASI 75应答率数值持续增长（1年/2年/3年/4年：72.4%/75.1%/79.3%/81.7%）
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 POETYKPSOLTE.pdf
试验类型4	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	乌司奴单抗等
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	全球人群网络荟萃分析，纳入47个自2021年10月发表的全球III期随机对照临床试验（中重度成年银屑病患者、系统疗法和安慰剂进行头对头比较），使用多项式贝叶斯网络荟萃分析，对比了氘可来昔替尼和其他系统疗法的疗效。结果显示，氘可来昔替尼1年疗效与乌司奴单抗无显著差异：44-60周氘可来昔替尼 PASI 75应答率为66% vs 乌司奴单抗68% (P>0.05)
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 GlobalNMA.pdf
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	日本真实世界研究纳入33名患者。研究显示，氘可来昔替尼在临床实践中高效控制皮损且安全耐受。治疗8周、12周、16周时PASI 75 应答率分别为60.9%、73.9%和78.3%。总体AE发生率仅18.2%，且为轻度、可控，所有患者无严重AE或导致死亡的AE。与临床试验结果相比无新增安全问题

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文件）	↓ 下载文件 日本RWS.pdf
试验类型1	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	POETYK PSO-3是为期52周、亚洲多中心随机双盲、安慰剂对照III期临床研究，纳入220例患者（中国人群占比81.8%）。结果证实，氘可来昔替尼的各项疗效指标均显著优于安慰剂。主要研究终点PASI 75应答率：68.8% vs 8.1%；静态医师全面评估sPGA0/1：55.6% vs 6.8%；次要研究终点头皮皮损清除或基本清除ss-PGA 0/1：62.9% vs 9.8%
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文件）	↓ 下载文件 POETYKPSO3.pdf
试验类型2	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	POETYK PSO-3试验的亚组分析，纳入了210例头皮受累的患者、51例掌跖受累的患者。结果显示，氘可来昔替尼治疗52周，实现平均80.7%的头皮改善和85.1%的掌跖改善。进一步证明，氘可来昔替尼治疗高发、难治部位的疗效显著
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文件）	↓ 下载文件 CSD2024PSO3_SpecialAreaEfficacy.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	POETYK PSO-LTE是为期244周全球多中心、开放性标签长期扩展研究，纳入513名患者。研究显示，接受氘可来昔替尼治疗的患者4年疗效持久稳定，PASI 75应答率数值持续增长（1年/2年/3年/4年：72.4%/75.1%/79.3%/81.7%）
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文件）	↓ 下载文件 POETYKPSOLTE.pdf
试验类型4	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	乌司奴单抗等
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	全球人群网络荟萃分析，纳入47个自2021年10月发表的全球III期随机对照临床试验（中重度成年银屑病患者、系统疗法和安慰剂进行头对头比较），使用多项式贝叶斯网络荟萃分析，对比了氘可来昔替尼和其他系统疗法的疗效。结果显示，氘可来昔替尼1年疗效与乌司奴单抗无显著差异：44-60周氘可来昔替尼 PASI 75应答率为66% vs 乌司奴单抗68% (P>0.05)
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文件）	↓ 下载文件 GlobalNMA.pdf

料须同时提供原文及中文翻译文件)	
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	日本真实世界研究纳入33名患者。研究显示，优可来昔替尼在临床实践中高效控制皮损且安全耐受。治疗8周、12周、16周时PASI 75 应答率分别为60.9%、73.9%和78.3%。总体AE发生率仅18.2%，且为轻度、可控，所有患者无严重AE或导致死亡的AE，与临床试验结果相比无新增安全问题
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文件）	↓ 下载文件 日本RWS.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《中国银屑病诊疗指南（2023版）》推荐优可来昔替尼治疗中重度斑块状银屑病。TYK2属于JAK家族激酶，介导IL-12/23的应答，在银屑病发病的促炎信号通路中十分重要。优可来昔替尼是口服TYK2变构抑制剂，选择性结合TYK2的调控结构域，阻止受体介导的激活和下游信号转导。优可来昔替尼用于治疗银屑病的长期疗效良好，16周后疗效持续升高
----------------	--

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	↓ 下载文件 中国银屑病诊疗指南2023版.pdf
--	---

临床指南/诊疗规范推荐情况2	日本《口服Janus激酶抑制剂（JAK1和TYK2抑制剂）治疗银屑病指南》推荐优可来昔替尼这一创新机制药物用于治疗中至重度斑块状银屑病，并在2022年纳入医疗保险。
----------------	--

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	↓ 下载文件 日本指南.pdf
--	---------------------------------

临床指南/诊疗规范推荐情况3	英国《2023技术鉴定指南》推荐优可来昔替尼治疗中重度斑块状银屑病。优可来昔替尼显著优于安慰剂，且为创新机制口服药，无需冷藏、无注射负担、使用便捷、易于药品管理
----------------	--

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	↓ 下载文件 英国2023技术鉴定指南.pdf
--	---

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《中国银屑病诊疗指南（2023版）》推荐优可来昔替尼治疗中重度斑块状银屑病。TYK2属于JAK家族激酶，介导IL-12/23的应答，在银屑病发病的促炎信号通路中十分重要。优可来昔替尼是口服TYK2变构抑制剂，选择性结合TYK2的调控结构域，阻止受体介导的激活和下游信号转导。优可来昔替尼用于治疗银屑病的长期疗效良好，16周后疗效持续升高
----------------	--

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	↓ 下载文件 中国银屑病诊疗指南2023版.pdf
--	---

临床指南/诊疗规范推荐情况2	日本《口服Janus激酶抑制剂（JAK1和TYK2抑制剂）治疗银屑病指南》推荐优可来昔替尼这一创新机制药物用于治疗中至重度斑块状银屑病，并在2022年纳入医疗保险。
----------------	--

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	↓ 下载文件 日本指南.pdf
--	---------------------------------

资料须同时提供原文及中文翻译件)	
临床指南/诊疗规范推荐情况3	英国《2023技术鉴定指南》推荐氘可来昔替尼治疗中重度斑块状银屑病。氘可来昔替尼显著优于安慰剂，且为创新机制口服药，无需冷藏、无注射负担、使用便捷、易于药品管理
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节(外文资料须同时提供原文及中文翻译件)	↓ 下载文件 英国2023技术鉴定指南.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	药品审评中心尚未发布氘可来昔替尼片的技术审评报告
《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	药品审评中心尚未发布氘可来昔替尼片的技术审评报告
《技术审评报告》原文(可节选)	-

三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	1.说明书不良反应：氘可来昔替尼安全性与安慰剂相当，氘可来昔替尼治疗16周因不良反应而停止治疗的发生率为2.4%，安慰剂组为3.8%。长期(52周)治疗的不良反应发生率未增加。在中国人群为主(占比81.8%)的POETYK PSO-3研究中，氘可来昔替尼的安全性特征与全球试验基本一致。 2.用药禁忌：对氘可来昔替尼或本品中任何辅料有超敏反应史的患者禁用。 3.注意事项：在治疗前，对有感染、恶性肿瘤、病毒性肝炎、高血脂症风险的患者需综合考虑治疗的风险与获益。详见说明书。 4.药物相互作用：尚未发现明确的药物相互作用
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	氘可来昔替尼片无黑框警告，具有卓越安全性。自2022年09月09日在美国获得首个上市许可至今，未有任何国家或地区药监部门发布的安全性警告、黑框警告、撤市信息。2022年09月09日至2024年03月08日期间，公司根据所收到的安全性报告分析，目前尚未发现新的重大安全性问题，基于持续的安全性监测及风险评估，认为氘可来昔替尼保持有利的获益风险特征。基于相关临床试验，氘可来昔替尼总体不良反应、严重不良反应和因不良反应导致的停药率低。
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	突破创新：1) 化药1类新药；2) 首个且唯一高效靶向核心致病轴的口眼银屑病治疗药物，精准高效；3) 2022年被国际权威期刊《Nature》评为划时代新药；4) 全球首个且唯一的TYK2变构抑制剂，变构抑制安全性佳，无黑框警告；5) 全球首创从设计之初即进行氘代的药物，无脱靶效应，更安全、稳定
创新性证明文件	↓ 下载文件 专利及NATURE.pdf
应用创新	1.小分子口服药物，无免疫原性，不产生抗药抗体，长期疗效持久稳定，适合慢病管理；2. 氘代设计降低药物首过效应，提升口服生物利用度，并延长药物在体内作用时间，实现一天一片口服治疗；3.常温储运便于基层用药，口服无注射相关成本，相较需要冷链储运和注射的生物制剂，可降低成本；4.肾损伤及轻中度肝损伤的特殊患者人群，无需调整剂量；5. 口服给药提升依从性，满足不适宜注射人群需求
应用创新证明文件	↓ 下载文件 preference研究.pdf
传承性(仅中成药填写)	-

五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	银屑病疾病负担沉重，且复发率高达90%。合并共病及疾病进展会带来更严重的疾病负担和医疗资源消耗。头皮、掌跖是高发、难治的特殊部位，因易暴露，患者承受更大的精神压力，严重影响日常工作、生活和社交。氘可来昔替尼是突破创新的高效口服靶向药，可实现持久稳定的疾病控制，降低疾病进展带来的更严重的疾病负担；针对头皮、掌跖等高发难治部位，疗效尤其显著，有效缓解患者精神压力，显著提升患者生活质量，促进公共健康
符合“保基本”原则描述	1)氘可来昔替尼可升级替代医保目录内现有治疗药物，不额外占用医保基药；2)长期稳定清除皮损，可减少因疾病复发、疾病进展等导致的进一步医疗资源消耗，节约基药总体支出；3)口服剂型，无需注射、无需冷藏，患者使用更便捷，适合基层配备和使用
弥补目录短板描述	氘可来昔替尼是目前唯一靶向银屑病核心发病通路的高效口服治疗药物，填补医保目录空白。解决生物制剂的疗效衰减、特殊部位疗效不佳、免疫漂移等问题，持久稳定的疗效更利于慢病管理；同时也为老年、肾损伤或轻中度肝损伤、针头恐惧的患者提供更有效、安全且便捷的治疗选择
临床管理难度描述	氘可来昔替尼适应症明确，指南推荐清晰，无滥用风险；一天一片口服使用，无需注射，易于维持，提高患者依从性；无需冷链储运，常温保存，管理便捷，提高可及性。相比生物制剂临床管理难度更低