

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：纳鲁索拜单抗注射液

企业名称：上海津曼特生物科技有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-12 17:29:54	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)	纳鲁索拜单抗注射液	医保药品分类与代码	XM05BXN129B002010181272
药品类别	西药	是否为独家	是
① 药品注册分类	治疗用生物制品 1类		
核心专利类型1	生物制品医药用途专利	核心专利权期限届满日1	2034-04
核心专利类型1	生物制品医药用途专利	核心专利权期限届满日1	2034-04
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	120mg(1.6ml)/瓶		
上市许可持有人(授权企业)	上海津曼特生物科技有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	本品用于治疗不可手术切除或手术切除可能导致严重功能障碍的骨巨细胞瘤成人患者。		
说明书用法用量	推荐剂量：纳鲁索拜单抗用于骨巨细胞瘤的推荐剂量为2 mg/kg，每4周1次(在第1个月的第8日和第15日分别给予2 mg/kg 额外给药)，在大腿上部、腹部或上臂的外部区域皮下给药，直至疾病进展或肿瘤经手术完全切除或不可耐受的毒性反应。给药方法：在给药前应检查溶液。如含有颗粒、浑浊或变色，请勿注射。纳鲁索拜单抗注射液从2~8°C条件下取出后注意避光保存。治疗前，将纳鲁索拜单抗注射液放置至室温后，在24小时内使用。按体重(kg)给药方法：每次给药，根据当前体重测量结果，通过公式计算给药量(给药量(mg)=2.0mg/kg*当前体重(kg))，换算为给药体积(mL)后按照四舍五入原则，保留到小数点后一位；实际操作中，实际给药体积与计算的理论给药体积允许偏差±5%以内。		
所治疗疾病基本情况	我国骨巨细胞瘤年发病率约为1.49~2.57例/100万，年新发病例约3000例，20-40岁为发病高峰，5年生存率约94.4%，继发恶变率1%-4%。主要表现为疼痛，好发于四肢、脊柱，对骨质侵蚀破坏性大，可能导致截肢、瘫痪，甚至死亡。手术是最主要的治疗手段，提倡尽早手术；对不可手术或手术困难患者，多采用药物等辅助方式控制，药物治疗主要包括双磷酸盐类(如唑来膦酸)、地舒单抗，临床可选用药有限。		
中国大陆首次上市时间	2023-09	注册号/批准文号	国药准字S20230047
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	2023-09
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	同疾病治疗领域用药包括双磷酸盐类(如唑来膦酸)和地舒单抗，临床应用药物选择有限。双磷酸盐类用于骨巨细胞瘤患者，属于超说明书适应症使用。地舒单抗，同为RANKL抑制剂，国内上市时间2019年5月，规格120mg(1.7ml)，为目前唯一医保覆盖药品。地舒单抗已有研究，提倡延期手术、不手术为主要目标，临床应用评价的结果与目前的诊疗要求不一致。在术前用药研究中，其评估时间点为25周的肿瘤反应情况，评估时间较长，且无提高患者手术比例的可参考数据。		

企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 纳鲁索拜单抗注射液说明书.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 纳鲁索拜单抗药品注册证书.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 纳鲁索拜单抗PPT1.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含经济性/价格费用信息）将同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 纳鲁索拜单抗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。
- 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 ①	疗程/周期	金额(元)
地舒单抗注射液	是	120mg (1.7ml) /瓶	1060	120mg 每4周一次，治疗第1个月的第8日和第15日分别给予120mg额外给药	年度费用	-	15900

参照药品选择理由：①作用机制相同：均为RANKL抑制剂；②适应症重合：均获批用于治疗骨巨细胞瘤；③标准治疗药物：均为临床权威指南推荐方案；④临床应用最广泛：市场份额占比最大。

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	1. 用药12周、25周肿瘤反应率分别为93.3%、94.1%；至肿瘤反应中位时间0.95个月；首次给药至手术切除中位时间2.94个月；2. 基线疼痛程度>4分的患者，接受治疗8天、15天，有临床意义的疼痛缓解比例为47.4%、64.1%；3. 较基线，提高患者可手术比例 15.6%；4.治疗8天时 uNTX/Cr、S-CTX 中位下降百分比分别为 77.9%、76.9%，下降水平在研究期间维持稳定。
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）	↓ 下载文件 纳鲁索拜单抗有效性数据报告.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	1. 用药12周、25周肿瘤反应率分别为93.3%、94.1%；至肿瘤反应中位时间0.95个月；首次给药至手术切除中位时间2.94个月；2. 基线疼痛程度>4分的患者，接受治疗8天、15天，有临床意义的疼痛缓解比例为47.4%、64.1%；3. 较基线，提高患者可手术比例 15.6%；4.治疗8天时 uNTX/Cr、S-CTX 中位下降百分比分别为 77.9%、76.9%，下降水平在研究期间维持稳定。
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）	↓ 下载文件 纳鲁索拜单抗有效性数据报告.pdf



中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

临床指南/诊疗规范推荐情况1	-
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）	-
临床指南/诊疗规范推荐情况1	-
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）	-

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	试验设计和结果：1项单臂、开放性、多中心、I b/II期关键临床研究（JMT103CN03），研究纳入不可切除或手术困难骨巨细胞瘤患者。全分析集人群（FAS）共计 135 例骨巨细胞瘤患者接受 2mg/kg 纳鲁索拜单抗每 4 周 1 次（首个 4 周 D8、D15 负荷用药）。主要疗效指标为肿瘤反应率（组织学[对比基线肿瘤中破骨细胞样巨细胞减少至少 90%]或第三方独立评审委员会评估的 12 周内影像学（ICDS 或 EORTC 标准）肿瘤反应（CR+PR）的受试者比例）。截止最后一位入组患者完成至少 12 个月随访，FAS 人群的肿瘤反应率为 93.3%（126/135；95%CI：87.72, 96.91）。IRC 基于影像学评估的至肿瘤反应中位时间为 0.95 个月。首次给药至手术切除中位时间为 2.92 个月。数据说明，纳鲁索拜单抗用于治疗不可手术切除或手术切除可能导致严重功能障碍的骨巨细胞瘤成人患者的临床试验有效性数据达到了预期。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 纳鲁索拜单抗CDE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	试验设计和结果：1项单臂、开放性、多中心、I b/II期关键临床研究（JMT103CN03），研究纳入不可切除或手术困难骨巨细胞瘤患者。全分析集人群（FAS）共计 135 例骨巨细胞瘤患者接受 2mg/kg 纳鲁索拜单抗每 4 周 1 次（首个 4 周 D8、D15 负荷用药）。主要疗效指标为肿瘤反应率（组织学[对比基线肿瘤中破骨细胞样巨细胞减少至少 90%]或第三方独立评审委员会评估的 12 周内影像学（ICDS 或 EORTC 标准）肿瘤反应（CR+PR）的受试者比例）。截止最后一位入组患者完成至少 12 个月随访，FAS 人群的肿瘤反应率为 93.3%（126/135；95%CI：87.72, 96.91）。IRC 基于影像学评估的至肿瘤反应中位时间为 0.95 个月。首次给药至手术切除中位时间为 2.92 个月。数据说明，纳鲁索拜单抗用于治疗不可手术切除或手术切除可能导致严重功能障碍的骨巨细胞瘤成人患者的临床试验有效性数据达到了预期。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 纳鲁索拜单抗CDE审评报告.pdf

选)

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	最常见的不良反应（发生率≥10%）为低磷酸血症（25.9%）和低钙血症（19.4%），均为1-2级。无严重不良反应发生。无导致终止使用纳鲁索拜单抗的不良反应发生。1例（0.7%）患者发生过敏性皮炎（表现为局部皮疹，2级）的不良反应，无其他超敏反应发生。2例（1.4%）患者发生骨痛的不良反应，1例（0.7%）患者发生肌痛的不良反应，均为1级。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	-
相关报导文献	↓ 下载文件 纳鲁索拜单抗注射液说明书.pdf

四、创新性信息

创新程度	本品为新一代IgG4抗体亚型全人源RANKL抑制剂（地舒单抗为IgG2抗体亚型），降低对人体潜在的免疫抑制性，同时具有更好的稳定性，避免了IgG2抗体生产的不均一性(异质性)给批次质量鉴定带来的弊端，获得发明专利。纳鲁索拜单抗对RANKL亲和力和约是同类产品地舒单抗的2倍。药效学试验显示，同等剂量情况下，改善腰椎骨密度10%的时间，是地舒单抗的一半，起效快。
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新性证明材料.pdf
应用创新	-
应用创新证明文件	-
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	骨巨细胞瘤多发于青壮年，纳鲁索拜单抗能有效保障患者及早手术，使患者尽早回归正常生活，减少由患者及其照料者的生产力损失造成的社会和经济负担。
符合“保基本”原则描述	骨巨细胞瘤为罕见病，患者人群极少（年新发病例约3000例），对医保基金影响极小，不增加医保负担。纳鲁索拜单抗不良反应发生率低，可更大程度节省相关不良反应治疗费用，节省相关医保支出。
弥补目录短板描述	目录内骨靶向药仅有地舒单抗，其疗效及安全性存在一定局限性。若纳鲁索拜单抗纳入医保，能增加骨巨细胞瘤临床治疗药物选择性，为患者提供更多、更优的治疗选择。
临床管理难度描述	适应症明确，诊疗路径和用法用量清晰，便于临床与医保规范管理。