

# 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：罗培干扰素 $\alpha$ -2b注射液

企业名称：药华生物科技（北京）有限公司

## 申报信息

申报时间	2024-07-10 21:16:41	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)	罗培干扰素 $\alpha$ -2b注射液	医保药品分类与代码	-
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		
核心专利类型1	N-端修饰的干扰素- $\alpha$	核心专利权期限届满日1	2028-10
核心专利类型2	蛋白质-聚合物缀合物	核心专利权期限届满日2	2028-08
核心专利类型3	蛋白-聚合物偶联物的治疗用途	核心专利权期限届满日3	2030-12
核心专利类型1	N-端修饰的干扰素- $\alpha$	核心专利权期限届满日1	2028-10
核心专利类型2	蛋白质-聚合物缀合物	核心专利权期限届满日2	2028-08
核心专利类型3	蛋白-聚合物偶联物的治疗用途	核心专利权期限届满日3	2030-12
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	预填充式注射器装：500 $\mu$ g (1 ml) /支		
上市许可持有人(授权企业)	药华生物科技(北京)有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	单药适用于既往接受羟基脲治疗效果不佳的真性红细胞增多症成人患者。		
说明书用法用量	罗培干扰素 $\alpha$ -2b推荐的起始剂量为250 $\mu$ g(第1周第1天注射)，第3周第1天350 $\mu$ g，第5周第1天接受推荐目标给药剂量500 $\mu$ g，之后每2周皮下注射一次，若患者同时接受其他的降细胞治疗药物，在剂量滴定阶段，所接受其他的降细胞治疗药物也必须适当地减少。建议维持剂量为500 $\mu$ g，每2周皮下注射一次，达到血液学参数稳定后，应持续500 $\mu$ g或最大可耐受剂量每2周给药至少1年，之后由临床医生依据患者情况延长注射间隔，最长可为每4周皮下注射一次。		
所治疗疾病基本情况	真性红细胞增多症(PV)是一种罕见的血液恶性肿瘤，以红细胞过度增殖为主要特点，可伴有白细胞、血小板增多，以血栓形成或出血为主要临床表现，血栓是PV患者的主要并发症，也是PV患者最常见的死亡原因，PV患者血栓事件发生率约为35-44%，部分患者可进展为骨髓纤维化(MF)或急性白血病(AML)，威胁着患者生活质量和生命安全。中国尚无PV患者的流行病学数据，PV目前已纳入第二批罕见病目录。		
中国大陆首次上市时间	2024-06	注册号/批准文号	国药准字SC20240001
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	2019-02
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	目前国内无药物被批准用于真性红细胞增多症的治疗，临床上均为超适应症用药；考虑芦可替尼在美国已被FDA批准用于PV患者二线治疗用药，2017年在中国获批用于中高危骨髓纤维化患者治疗，PV适应症未被批准，属于超适应症用药。
企业承诺书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 1-承诺书.pdf
药品最新版法定说明书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 罗培干扰素摘要2.pptx
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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 罗培干扰素摘要.pptx

## 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。
  - 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m<sup>2</sup>。
  - 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积1.6m<sup>2</sup>。

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)
磷酸芦可替尼片	是	5mg×60片	3112.2	10mg，每日两次	年度费用	每年	74692.8

参照药品选择理由：1. 目前国内无药物批准用于PV治疗；2. 芦可替尼被美国FDA批准为PV二线治疗，也被权威NCCN指南推荐为PV二线用药，同时也是我们目录里的产品，所以建议选择芦可替尼为对照药物。

其他情况请说明：2017年芦可替尼在国内批准上市，用于中高危骨髓纤维化治疗，2019年芦可替尼首次进医保，治疗PV（10mg，每日2次）的年费用：188827.2元，后经多轮价格调整才降至当前价格，请专家酌情参考。

## 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	一项在中国纳入49例真红患者的临床研究中，罗培干扰素可使PV患者更快的达完全血液学缓解（CHR），且CHR率随治疗时间延长而升高，52周CHR71.43%。而且罗培干扰素可持续降低JAK2等位基因负荷，诱导持续且深度的分子学缓

解，且52周治疗期间无血栓事件发生，整个治疗期间无疾病进展和转化，证明了罗培干扰素的卓越疗效。

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](#) A20-202-P1101中国PV单臂二期研究-52周CSR.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

一项在中国纳入49例真红患者的临床研究中，罗培干扰素可使PV患者更快的达完全血液学缓解（CHR），且CHR率随治疗时间延长而升高，52周CHR71.43%。而且罗培干扰素可持续降低JAK2等位基因负荷，诱导持续且深度的分子学缓解，且52周治疗期间无血栓事件发生，整个治疗期间无疾病进展和转化，证明了罗培干扰素的卓越疗效。

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](#) A20-202-P1101中国PV单臂二期研究-52周CSR.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

2024年美国国立综合癌症网络（NCCN）指南将ropeginterferon  $\alpha$ -2b（罗培干扰素 $\alpha$ -2b）推荐为所有真性红细胞增多症患者的首选治疗药物。

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](#) NCCN2024及翻译.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

中国临床肿瘤学会（CSCO）恶性血液病诊疗指南2024，真性红细胞增多症指南推荐"罗培干扰素 $\alpha$ -2b"为“1级”降细胞药物。

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](#) 2024CSCO指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

2024年美国国立综合癌症网络（NCCN）指南将ropeginterferon  $\alpha$ -2b（罗培干扰素 $\alpha$ -2b）推荐为所有真性红细胞增多症患者的首选治疗药物。

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](#) NCCN2024及翻译.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

中国临床肿瘤学会（CSCO）恶性血液病诊疗指南2024，真性红细胞增多症指南推荐"罗培干扰素 $\alpha$ -2b"为“1级”降细胞药物。

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](#) 2024CSCO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

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	无《技术审评报告》
《技术审评报告》原文(可节选)	-

### 三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	基于中国和境外开展的罗培干扰素 $\alpha$ -2b治疗227例(中国49例+境外178例)成人真性红细胞增多症患者整体安全性数据:最常报告的不良反应(>10%)有丙氨酸氨基转移酶(ALT)升高, $\gamma$ -谷氨酰转移酶( $\gamma$ -GGT)升高,天门冬氨酸氨基转移酶(AST)升高,白细胞减少症,血小板减少症,关节痛,白细胞计数降低,贫血,疲劳等,大多数不良反应为1-2级,而且通过调整用药剂量或者对症处理,均可缓解。禁忌症:1 对干扰素 $\alpha$ 或罗培干扰素 $\alpha$ -2b的任何成分过敏。2 严重精神疾病患者或曾有相关病史者,尤其是严重抑郁、自杀意念或自杀企图。3 严重的心血管疾病患者,如未能控制的高血压、充血性心力衰竭(NYHA分级 $\geq$ 2级)、严重的心律失常、严重的冠状动脉狭窄、不稳定性心绞痛或近期发生中风或心肌梗塞。4 失代偿期肝硬化(Child-Pugh B或Child-Pugh C)患者。5 有自身免疫性疾病病史或伴有自身免疫性疾病者。6 接受免疫抑制剂治疗的器官移植者。7 甲状腺疾病患者(常规疗法可控制者除外)。8 终末期肾脏病患者(肾小球滤过率GFR<15 mL/min)。9 与替比夫定合并用药。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	罗培干扰素 $\alpha$ -2b注射液于2019年2月15日在欧盟首次获批。截至目前,罗培干扰素 $\alpha$ -2b注射液已在40多个国家或地区获得批准。药品上市后,欧盟、美国、日本等各国或地区药监部门5年来均未发布过安全性警告、黑框警告、撤市信息。
相关报导文献	-

### 四、创新性信息

创新程度	(1) 罗培干扰素 $\alpha$ -2b是专为骨髓增殖性肿瘤患者(MPN)而研发;(2) 特异性专利技术,使得产品有高纯度的单一异构体;(3) 最大容许剂量可以达到传统干扰素的3倍,从而实现更好的临床价值,更高的安全性。
创新性证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 专利证书1.pdf
应用创新	(1) 罗培干扰素 $\alpha$ -2b是国内唯一有PV适应症的药物,填补了PV适应症的治疗空白;(1) 罗培干扰素 $\alpha$ -2b是唯一经过长期临床验证的干扰素;(3) 是唯一FDA批准治疗PV的干扰素,也是NCCN等权威指南推荐所有PV患者首选的降细胞药物。
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 蛋白-聚合物偶联物的治疗用途-专利证书.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	(1) PV为罕见病,目前国内无规范化治疗药物;(2) 罗培干扰素 $\alpha$ -2b是国内首个被批准治疗PV的药物;2-4周给药一次,可快速达血液学缓解,并诱导和维持深度分子学缓解,可有效延缓疾病进展,改变患者病程,患者将有更长的无事件生存,安全性高。(3) 罗培干扰素纳入医保后,有利于更多PV患者得到系统性规范化治疗,减少并发症所带来的医保费用支出,同时使患者回归正常工作和生活,为社会创造更多价值。
符合“保基本”原则描述	(1) 获批适应症PV为罕见病,保障罕见病人群基本用药;(2) 罗培干扰素 $\alpha$ -2b是唯一权威指南一致推荐的PV降细胞治疗药物;具有不可替代性;(3) 临床疗效显著、可快速达到血液学缓解,有效降低PV并发症,而且延缓疾病进展,提高了患者生活质量,可有效降低后续治疗费用支出。而且在患者达缓解后,可延长用药间隔,治疗费用会相应减少。
弥补目录短板描述	PV为罕见的血液恶性肿瘤,目前国内无药物被批准用于PV治疗,罗培干扰素 $\alpha$ -2b是国内首个被批准用于PV治疗的药物,有效填补PV领域治疗的空白,期待早日纳入医保,造福更多PV患者。

临床管理难度描述

罗培干扰素 $\alpha$ -2b适应症明确，为处方剂药物，方便医保管控；（1）获批适应症为罕见血液肿瘤，患者群体小，方便管控；（2）适应症需要在专业性强，级别相对高的医院通过完善骨髓穿刺等检查确诊，方便患者管理；（3）本品为预充式注射液，适应症非常明确，只有明确诊断符合适应症用药，方可处方该药物，便于医保管控患者。