

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： 塞普替尼胶囊

企业名称： 江苏众煦医药有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-12 16:08:35	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)	塞普替尼胶囊	医保药品分类与代码	XL01EXS290E001010378403, XL01EXS290E001020378403
药品类别	西药	是否为独家	是
④ 药品注册分类	化学药品5.1类		
核心专利类型1	经取代的吡唑并[1,5-A]吡啶化合物作为RET激酶抑制剂	核心专利权期限届满日1	2037-10
核心专利类型1	经取代的吡唑并[1,5-A]吡啶化合物作为RET激酶抑制剂	核心专利权期限届满日1	2037-10
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	40mg, 80mg		
上市许可持有人(授权企业)	Eli Lilly Nederland B.V.		
说明书全部适应症/功能主治	1. 本品用于转染重排 (RET) 基因融合阳性的局部晚期或转移性非小细胞肺癌 (NSCLC) 成人患者的治疗。 2. 本品适用于需要系统性治疗的晚期或转移性RET突变型甲状腺髓样癌 (MTC) 成人和12岁及以上儿童患者的治疗，以及需要系统性治疗且放射性碘难治 (如果放射性碘适用) 的晚期或转移性RET融合阳性甲状腺癌成人和12岁及以上儿童患者的治疗。		
说明书用法用量	基于体重，本品的推荐剂量为：1) 低于50 kg：120 mg；2) 50 kg或以上：160 mg。口服给药，每日2次 (大约间隔12小时)，直至发生疾病进展或不可耐受的毒性；除与质子泵抑制剂 (PPI) 联合用药时，本品与食物同服或不同服均可。		
所治疗疾病基本情况	1、肺癌是发病率和病死率最高的恶性肿瘤，2022年中国肺癌死亡人数为73.3万。RET融合阳性NSCLC的发病率为0.7-2%，通常伴随50~60%的中枢神经系统转移，传统治疗模式疗效有限，生存期仅为3-6个月 2、甲状腺癌发病率约为24.64/10万，乳头状癌 (PTC) 占比86.3%，PTC中RET融合阳性占比约为4.4%；甲状腺髓样癌 (MTC) 占比2-3%，其中RET突变发病率为50~60%		
中国大陆首次上市时间	2022-09	注册证号/批准文号	国药准字HJ20220077, 国药准字HJ20220078
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	2020-05
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	我国已获批RET抑制剂有塞普替尼和普拉替尼，均未进入医保目录。塞普替尼优势为：1、II期和III期临床疗效均更优，且指南推荐证据等级更高。1) RET融合阳性晚期NSCLC：经治mPFS 26.2个月 (vs16.4个月)，mOS 47.6个月		

(vs44.3个月)；初治mPFS 22个月(vs13.2个月)。2) RET突变MTC：经治mPFS 34个月(vs25.8个月)；初治ORR 83.5% (vs71.6%) 3) RET融合阳性TC：经治mPFS 27.4个月(vs25.4个月)，ORR 85.4% (vs84%)；初治ORR 95.8%。4) 2024 CSCO NSCLC指南：RET融合阳性晚期一线治疗唯一I级1类推荐。2、颅内缓解率优于普拉替尼，且降低脑转风险高达83%。RET融合阳性晚期NSCLC伴脑转患者ORR 84.6% (vs53.3%)；无脑转患者HR为0.17，且累计治疗36个月无颅内进展。3、间接比较研究显示安全性优于普拉替尼。TEAE导致的停药率仅为4.4% (vs10%)。美国FDA唯一获批更低龄(≥2岁)晚期RET变异实体瘤儿童用药，展现出在儿童和成人中优异的安全性

企业承诺书

↓ 下载文件 企业承诺书-江苏众煦.pdf

药品最新版法定说明书

↓ 下载文件 塞普替尼胶囊最新版说明书.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 塞普替尼胶囊药品注册证书.pdf

申报药品摘要幻灯片(含经济性/价格费用信息)

↓ 下载文件 塞普替尼胶囊PPT-含经济性信息.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 塞普替尼胶囊PPT-不含经济性信息.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) ①	用法用量	费用类型 ①	疗程/周期	金额(元)
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：1、医保目录内无同治疗领域同适应症同作用机制的药品。2、目前在中国已上市的RET抑制剂仅有塞普替尼和普拉替尼，均未纳入国家医保目录

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	RET融合阳性晚期NSCLC：LIBRETTO-001作为一项仍在进行中的全球多中心、开放标签、I/II期的注册临床研究，

	1、经治患者mPFS 26.2个月，mOS 47.6个月，ORR 61.5%，mDOR 31.6个月。 2、初治患者mPFS 22.0个月，ORR 82.6%，mDOR 20.3个月。 3、塞普替尼治疗伴脑转移患者疗效突出，颅内ORR为84.6%，mDOR 9.36 个月。
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 LIBRETTO-001_NSCLCL-ELCC.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	RET 突变MTC：LIBRETTO-001作为一项仍在进行中的全球多中心、开放标签、I/II期的注册临床研究，塞普替尼表现出对于RET突变MTC患者的持续缓解。 1、对于既往经卡博替尼/凡德他尼治疗人群，mPFS 达34个月，ORR达73.5%，24个月OS率达77.2%。 2、对于初治人群，塞普替尼疗效更佳，ORR可高达83.5%，24个月OS率达94.7%。
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 LIBRETTO-001-Poster-MTC.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	RET融合阳性TC：LIBRETTO-001 是一项在正在进行的全球多中心、开放标签、I/II期的注册临床研究。 1、对于初治人群，ORR可高达95.8%，mPFS尚未达到。 2、对于经治人群，mPFS 可长达27.4个月，ORR为85.4%，mDOR 26.7 个月。
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 LIBRETTO-001-TC-POSTER.pdf
试验类型4	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	RET融合阳性晚期NSCLC：LIBRETTO-321是一项在中国晚期实体瘤患者中开展的开放、多中心II期桥接研究，结果显示疗效数据与全球一致。 1、患者总体ORR为69.2%，其中初治亚组ORR为87.5%，经治亚组ORR为61.1%；中位DOR未达到，PFS及OS尚未成熟。 2、对伴脑转移患者，颅内ORR达80%。
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 LIBRETTO-321-NSCLC.pdf
试验类型5	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	RET突变MTC：LIBRETTO-321是一项在中国晚期实体瘤患者中开展的开放、多中心II期桥接研究，结果显示疗效数据与全球一致。塞普替尼对初治与经治患者的ORR分别可达58.8%和58.3%，中位DOR未达到，PFS及OS尚未成熟。

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 LIBRETTO-321-MTC.pdf
试验类型6	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	化疗±帕博利珠单抗
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	塞普替尼对比化疗±帕博利珠单抗一线治疗晚期RET融合阳性NSCLC的III期研究显示：1、塞普替尼组 mPFS 24.8个月（vs 11.2个月），HR为0.46；ORR达 84%（vs 65%）2、塞普替尼组颅内缓解率高，ORR为82%（vs 58%），HR为0.61。基线无脑转移的患者可显著延迟脑转移，HR为0.17。3、塞普替尼组还可延迟患者肺部症状和身体机能恶化时间，HR为0.34和0.60
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 ESMO-LBA4_LIBRETTO-431-NSCLC.pdf
试验类型7	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	卡博替尼/凡德他尼
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	RET突变MTC：LIBRETTO-531是一项塞普替尼对比卡博替尼/凡德他尼，治疗RET突变阳性初治晚期或转移性 MTC 的全球多中心III期随机对照研究。研究结果表明，塞普替尼改善ORR 达69.4%，PFS 和治疗无失败生存期（TFFS）延长，HR 值分别为0.28和0.25。中位随访时间15个月时，患者OS明显提高，HR值为0.37。
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 NEJM-LIBRETTO-531-MTC.pdf
试验类型8	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	晚期RET变异驱动的实体瘤儿童患者：LIBRETTO-121是一项在晚期 RET 变异实体瘤或 CNS 肿瘤的儿童患者中开展的 I/II期、全球多中心研究。研究数据表明，塞普替尼在RET突变MTC和RET融合TC儿童患者中有效，ORR可高达76.9%。与成人患者同等剂量下，塞普替尼总体安全性数据与成人患者一致，支持其在儿童患者中安全使用。
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 LIBRETTO-121-MTC.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	RET融合阳性晚期NSCLC：LIBRETTO-001作为一项仍在进行中的全球多中心、开放标签、I/II期的注册临床研究，1、经治患者mPFS 26.2个月，mOS 47.6个月，ORR 61.5%，mDOR 31.6个月。2、初治患者mPFS 22.0个月，ORR 82.6%，mDOR 20.3个月。3、塞普替尼治疗伴脑转移患者疗效突出，颅内ORR为84.6%，mDOR 9.36 个月。
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 LIBRETTO-001_NSCLCL-ELCC.pdf

件)	
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	RET 突变MTC：LIBRETTO-001作为一项仍在进行中的全球多中心、开放标签、I/II期的注册临床研究，塞普替尼表现出对于RET突变MTC患者的持续缓解。1、对于既往经卡博替尼/凡德他尼治疗人群，mPFS 达34个月，ORR达73.5%，24个月OS率达77.2%。2、对于初治人群，塞普替尼疗效更佳，ORR可高达83.5%，24个月OS率达94.7%。
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 LIBRETTO-001-Poster-MTC.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	RET融合阳性TC：LIBRETTO-001 是一项正在进行的全球多中心、开放标签、I/II期的注册临床研究。1、对于初治人群，ORR可高达95.8%，mPFS尚未达到。2、对于经治人群，mPFS 可长达27.4个月，ORR为85.4%，mDOR 26.7个月。
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 LIBRETTO-001-TC-POSTER.pdf
试验类型4	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	RET融合阳性晚期NSCLC：LIBRETTO-321是一项在中国晚期实体瘤患者中开展的开放、多中心II期桥接研究，结果显示疗效数据与全球一致。1、患者总体ORR为69.2%，其中初治亚组ORR为87.5%，经治亚组ORR为61.1%；中位DOR未达到，PFS及OS尚未成熟。2、对伴脑转移患者，颅内ORR达80%。
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 LIBRETTO-321-NSCLC.pdf
试验类型5	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	RET突变MTC：LIBRETTO-321是一项在中国晚期实体瘤患者中开展的开放、多中心II期桥接研究，结果显示疗效数据与全球一致。塞普替尼对初治与经治患者的ORR分别可达58.8%和58.3%，中位DOR未达到，PFS及OS尚未成熟。
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 LIBRETTO-321-MTC.pdf
试验类型6	单个样本量足够的RCT

试验对照药品	化疗±帕博利珠单抗
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	塞普替尼对比化疗±帕博利珠单抗一线治疗晚期RET融合阳性NSCLC的III期研究显示：1、塞普替尼组 mPFS 24.8个月 (vs 11.2个月)，HR为0.46；ORR达 84% (vs 65%) 2、塞普替尼组颅内缓解率高，ORR为82% (vs 58%)，HR为0.61。基线无脑转移的患者可显著延迟脑转移，HR为0.17。3、塞普替尼组还可延迟患者肺部症状和身体机能恶化时间，HR为0.34和0.60
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 ESMO-LBA4_LIBRETTO-431-NSCLC.pdf
试验类型7	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	卡博替尼/凡德他尼
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	RET突变MTC：LIBRETTO-531是一项塞普替尼对比卡博替尼/凡德他尼，治疗RET突变阳性初治晚期或转移性 MTC 的全球多中心III期随机对照研究。研究结果表明，塞普替尼改善ORR 达69.4%，PFS 和治疗无失败生存期（TFFS）延长，HR 值分别为0.28和0.25。中位随访时间15个月时，患者OS明显提高，HR值为0.37。
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 NEJM-LIBRETTO-531-MTC.pdf
试验类型8	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	晚期RET变异驱动的实体瘤儿童患者：LIBRETTO-121是一项在晚期 RET 变异实体瘤或 CNS 肿瘤的儿童患者中开展的 I/II期、全球多中心研究。研究数据表明，塞普替尼在RET突变MTC和RET融合TC儿童患者中有效，ORR可高达76.9%。与成人患者同等剂量下，塞普替尼总体安全性数据与成人患者一致，支持其在儿童患者中安全使用。
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 LIBRETTO-121-MTC.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	2024 CSCO非小细胞肺癌指南：1、IV期RET融合阳性NSCLC一线治疗：塞普替尼，I级推荐，1类 2、IV期RET融合阳性NSCLC后线治疗：塞普替尼，I级推荐
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 1-2024-CSCO-NSCLC-第47页第48页.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2024 NCCN非小细胞肺癌临床实践指南：优先推荐塞普替尼作为RET融合阳性晚期NSCLC一线和后线治疗
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 2-2024-NCCN-NSCLC-第57页第100页.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	2023 ESCMO指南：推荐塞普替尼作为RET融合阳性晚期NSCLC患者的一线治疗 IIIA类推荐

<p>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）</p>	<p>2023 ESMO指南：推荐塞普替尼作为RET融合阳性晚期NSCLC患者的一线治疗，III类推荐</p> <p>↓ 下载文件 3-2023-ESMO-NSCLC-第13页第14页.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况4</p>	<p>2024 NCCN甲状腺癌临床实践指南：对于需要系统性治疗的RET突变MTC患者：塞普替尼，1类推荐</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 4-2024-NCCN-MTC-第53页.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况5</p>	<p>2024 NCCN甲状腺癌临床实践指南：对于RET基因融合阳性且放射性碘难治的、不可切除的局部复发/持续性DTC患者：推荐使用塞普替尼</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 5-2024-NCCN-TC-第21-23页第33-35页第44-46页.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>2024 CSCO非小细胞肺癌指南：1、IV期RET融合阳性NSCLC一线治疗：塞普替尼，I级推荐，1类 2、IV期RET融合阳性NSCLC后线治疗：塞普替尼，I级推荐</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 1-2024-CSCO-NSCLC-第47页第48页.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>2024 NCCN非小细胞肺癌临床实践指南：优先推荐塞普替尼作为RET融合阳性晚期NSCLC一线和后线治疗</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 2-2024-NCCN-NSCLC-第57页第100页.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>	<p>2023 ESMO指南：推荐塞普替尼作为RET融合阳性晚期NSCLC患者的一线治疗，III类推荐</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 3-2023-ESMO-NSCLC-第13页第14页.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况4</p>	<p>2024 NCCN甲状腺癌临床实践指南：对于需要系统性治疗的RET突变MTC患者：塞普替尼，1类推荐</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 4-2024-NCCN-MTC-第53页.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况5</p>	<p>2024 NCCN甲状腺癌临床实践指南：对于RET基因融合阳性且放射性碘难治的、不可切除的局部复发/持续性DTC患者：推荐使用塞普替尼</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 5-2024-NCCN-TC-第21-23页第33-35页第44-46页.pdf</p>

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	1、RET融合阳性晚期NSCLC：本品在初治及含铂化疗后人群中ORR分别达到84%及61%，初治人群mDOR 20.2个月，经治人群mDOR 28.6个月，相比现有治疗，有更优的客观缓解率和持久的缓解持续时间的疗效优势。中国桥接研究显示，患者的获益特征与全球患者基本一致。2、RET 突变MTC：基于IRC 评估的26名患者ORR 为57.7%，mDOR未达到；未经治疗17名患者ORR 为58.8%；经治9名患者ORR 为55.6%。对RET突变MTC患者，本品作为高选择性RET抑制剂，在全球患者中ORR达71%。3、RET融合阳性TC：患者共 1 名，为初治患者，用药后首次IRC肿瘤评估（8周）即出现缓解，截至数据截止日时，已接受23.4周的治疗，最佳总体缓解为经确认的PR，肿瘤负荷缩小比例已达43%，TTR 和TTBR 均为 1.74 个月，首次出现缓解后的随访时间为5.4个月，患者仍在缓解中。本品全球患者中ORR为85%。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 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	1、RET融合阳性晚期NSCLC：本品在初治及含铂化疗后人群中ORR分别达到84%及61%，初治人群mDOR 20.2个月，经治人群mDOR 28.6个月，相比现有治疗，有更优的客观缓解率和持久的缓解持续时间的疗效优势。中国桥接研究显示，患者的获益特征与全球患者基本一致。2、RET 突变MTC：基于IRC 评估的26名患者ORR 为57.7%，mDOR未达到；未经治疗17名患者ORR 为58.8%；经治9名患者ORR 为55.6%。对RET突变MTC患者，本品作为高选择性RET抑制剂，在全球患者中ORR达71%。3、RET融合阳性TC：患者共 1 名，为初治患者，用药后首次IRC肿瘤评估（8周）即出现缓解，截至数据截止日时，已接受23.4周的治疗，最佳总体缓解为经确认的PR，肿瘤负荷缩小比例已达43%，TTR 和TTBR 均为 1.74 个月，首次出现缓解后的随访时间为5.4个月，患者仍在缓解中。本品全球患者中ORR为85%。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 CDE审评报告.pdf

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	1、不良反应：常见的不良反应包括水肿、腹泻、疲劳、口干、高血压等。2、用药禁忌：禁用于对活性成分或任何辅料过敏者。3、注意事项：本品说明书中有提及肝脏毒性、间质性肺疾病/肺部炎症、高血压、QT间期延长、出血事件、过敏反应、肿瘤溶解综合征、伤口愈合不良的风险、甲状腺功能减退症和胚胎 - 胎儿毒性等方面的相关注意事项。4、儿童用药：甲状腺癌相关适应症在12岁及以上的儿童患者中确定了本品的安全性。5、药物相互作用：与抗酸剂、强效和中效CYP3A诱导剂联用会降低本品血药浓度，与强效CYP3A抑制剂、CYP2C8和CYP3A底物、特定P-糖蛋白（P-gp）底物联用会提高其血药浓度；对于需要和已知会延长QT间期的药物进行联合用药的患者，应更频繁地采用ECG监测QT间期。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	塞普替尼在中国、美国、欧盟等多个国家/地区获批上市。自中国上市以来，未收到药监部门发布的安全性警告、黑框警告、撤市信息。
相关报导文献	↓ 下载文件 安全性.pdf

四、创新性信息

创新程度	作为全球首个治疗RET变异肿瘤的靶向药物，塞普替尼：① 对RET激酶选择性更高，表现为更低的IC50值、更高的中枢神经系统活性和更强的抗肿瘤活性；② 高特异性结合模式使得其与靶点的亲和力更高，进而增强了对耐药突变的抵抗性，有效避免了血液毒性等严重副作用。
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新程度.pdf
应用创新	1、特殊人群获益：基于良好的有效性和安全性，全球范围应用于儿童：①美国FDA唯一获批用于更低龄（≥2岁）晚期RET变异实体瘤②在中国获批12岁以上儿童适应症 2、特殊生理状态：轻、中度肝功能不全患者不需减量；轻至重度肾功能不全患者均无需调整剂量 3、提高患者依从性：胶囊制剂服用方便，与食物同服或不同服均可。获批40mg和80mg规格，便于根据体重调整剂量 4、药品贮存成本低：可常温保存，易于管理
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	1、根据《健康中国行动-癌症防治行动实施方案（2023-2030年）》的主要目标，到2030年，癌症发病率、死亡率上升趋势得到遏制，总体癌症5年生存率达到46.6%，患者疾病负担得到有效控制。2、塞普替尼显著提升肺癌、甲状腺癌和甲状腺髓样癌患者获益，降低死亡率，减轻疾病负担和社会负担，助力实现健康中国癌症防治目标。
符合“保基本”原则描述	1、RET阳性癌症患者传统治疗模式疗效有限，存在大量未满足的临床需求，塞普替尼可填补目录内RET抑制剂空白。2、自上市以来，塞普替尼已被全国14个省份83个地市100个惠民保纳入，惠及众多患者。企业有诚意通过谈判纳入医保目录，进一步降低患者负担。3、获批12岁及以上儿童适应症，提高儿童用药可及性。
弥补目录短板描述	当前医保药品目录内没有针对RET变异的高选择性精准靶向药，RET阳性癌症患者传统治疗模式疗效有限，临床治疗得不到保障，大部分患者选择化疗及免疫治疗，疗效欠佳。塞普替尼可填补目录内RET抑制剂的空白。
临床管理难度描述	1、塞普替尼用于有明确RET阳性诊断的患者，且为单药使用，不存在临床滥用或超说明书用药可能，降低医保管理难度。2、塞普替尼为口服剂型，用药方便，且不限制是否与食物同服，患者依从性高，临床易于管理。