

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： 氯苯唑酸葡胺软胶囊

企业名称： 南京正大天晴制药有限公
 司

申报信息

申报时间	2024-07-11 10:41:01	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)	氯苯唑酸葡胺软胶囊	医保药品分类与代码	XN07XXL378E002010401606
药品类别	西药	是否为独家	否
① 药品注册分类	化学药品4类		
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	20mg(按C ₁₄ H ₇ Cl ₂ NO ₃ ·C ₇ H ₁₇ NO ₅ 计)		
上市许可持有人(授权企业)	南京正大天晴制药有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	治疗成人转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病期症状患者,延缓周围神经功能损害。		
说明书用法用量	应由具有转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病(ATTR-PN)患者治疗经验的医师启动治疗,并在其监督下进行。用量氯苯唑酸葡胺的推荐剂量为20mg,每日一次,口服。氯苯唑酸和氯苯唑酸葡胺不能按1mg互换。如果在给药后发生呕吐,且呕吐物中含完整氯苯唑酸葡胺软胶囊,则应尽可能给再口服一粒氯苯唑酸葡胺软胶囊。如果呕吐物不含有胶囊,则不需要额外服用药物,第二天继续照常量服药。给药方法口服用药。软胶囊应整粒吞服,不能压碎或切碎,本品在空腹或餐后服用均可。特殊人群肝功能损害和肾功能损害肾功能损害或轻度和中度肝功能损害患者无需调整剂量。关于重度肾功能损害(肌酐清除率小于或等于30mL/min)患者的数据有限。尚未在重度肝功能损害患者中研究过氯苯唑酸葡胺,因此建议慎用。		
所治疗疾病基本情况	TTR淀粉样变性疾病表现为多发性神经病(ATTR-PN)和心肌病(ATTR-CM)。ATTR-PN由基因突变引起TTR四聚体不稳定形成沉积。表现为肢体神经功能障碍并伴其他脏器功能障碍。进展迅速,起病后7-12年内死亡。ATTR-PN全球患病率差异大(0.31-204/百万),中国约2000人;疾病认知程度低,临床症状不具特异性,呈低发病率、低患病率、低生存率。中国ATTR-CM约12-16万人。		
中国大陆首次上市时间	2020-02	注册证号/批准文号	国药准字H20244162
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	2011-11
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	1、ATTR-PN现有治疗手段(1)一般管理与对症治疗,可居家治疗。(2)特殊治疗:主要包括TRR稳定剂(氯苯唑酸葡胺、二氟尼柳)和基因沉默药物(patisiran、inotersen;国内未获批);二氟尼柳无ATTR-PN适应症;非医保(3)肝脏移植:肝源缺乏、创伤大、术后需长期服用免疫抑制剂,逐渐被淘汰。2、同TTR治疗药氯苯唑酸软胶囊(说明书适应症仅有ATTR-CM);2020年国内上市;协议期内国产药;国内外均未获批ATTR-PN适应症。3、氯苯唑酸葡胺软胶囊优势:(1)全球首个口服转甲状腺素蛋白稳定剂。国内目前唯一获批治疗ATTR-PN药物,填补治疗空白。(2)国家		

药监局《2020年度药品审评报告》“重点治疗领域品种”名单：“氯苯唑酸葡胺软胶囊，为转甲状腺素蛋白（TTR）稳定剂，是我国首个用于治疗成人转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病I期症状患者、延缓周围神经功能损害的药物，属临床急需境外新药名单品种，其获批上市改变了该病无药可治的局面。”（3）目前该药已在英国、日本等超45个国家和地区获批治疗ATTR-PN。（4）2020年获制药界国际最高荣誉盖伦奖“最佳生物技术产品”。

企业承诺书	↓ 下载文件 1-1企业承诺书.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 1-2法定说明书.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 1-3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 氯苯唑酸葡胺软胶囊-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 氯苯唑酸葡胺软胶囊-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。

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)
氯苯唑酸软胶囊	是	61mg	542	本品 61mg 每日一次口服。本胶囊应整粒吞服，不应压碎或切碎。如果漏服一次剂量，应指导患者记起后立即服药，或跳过漏服剂	年度费用	365天	197830

量，并
按照常
规用药
时间服
用下一
剂药
物。切
勿服用
双倍剂
量。

参照药品选择理由：1、含有同种活性成分（Tafamidis）。氯苯唑酸葡胺为微粉化葡甲胺盐、氯苯唑酸为游离酸形式。2、同为TTR稳定剂，与甲状腺素转运蛋白结合，防止四聚体解离和淀粉样蛋白生成。3、是医保目录内国产药品。

其他情况请说明：氯苯唑酸葡胺软胶囊用于治疗TTR淀粉样变性多发性神经病（ATTR-PN），中国患者数量约2000人；氯苯唑酸软胶囊用于治疗TTR淀粉样变性心肌病（ATTR-CM），中国患者数量约12-16万人。

二、有效性信息

试验类型1	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
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	①EE人群中，氯苯唑酸葡胺显著优于安慰剂：下肢神经病变损伤评分(NIS-LL) 应答率(60.0% vs 38.1%;p=0.041)、诺福克糖尿病神经病变生活质量问卷总分(TQOL,分越高损伤越大)(0.1分vs8.9分;P=0.045)②氯苯唑酸葡胺18个月神经功能恶化比安慰剂患者降低52%③氯苯唑酸葡胺使神经功能障碍延迟:氯苯唑酸葡胺98%受试者TTR四聚体稳定，安慰剂为0%(p<0.0001)
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 2-1-1三期临床随机对照试验FX-005.pdf
试验类型2	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
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	①早期使用氯苯唑酸对疾病进展长期有益：氯苯唑酸组(治疗30个月)与安慰剂组(18月后使用氯苯唑酸)相比，神经病变损害-下肢评分(NIS-LL)30个月时与Fx-005研究基线平均变化有显著差异(3.0分vs6.8分;p=0.04)。②氯苯唑酸组患者减少神经功能损伤比安慰剂组高55.9%。③30个月后,94.1%氯苯唑酸组患者和93.3%安慰剂组显示血浆TTR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 2-1-2三期临床随机开放扩展试验FX-006.pdf
试验类型3	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	对5个数据库检索，共纳入6项研究。氯苯唑酸治疗优于安慰剂，主要疗效指标有显著性差异:下肢神经病变损害评分(NIS-LL)(MD=-3.01,95%CI=-3.26至-2.75,p<0.001)、诺福克生活质量-糖尿病神经病变总生活质量评分(MD=-6.67,95%CI=-9.70至-3.64,p<0.001)。总不良事件无显著差异(OR=0.69,95%CI=0.35-1.35,p=0.27)。
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 2-1-3系统回顾和荟萃分析.pdf

试验类型4	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	维达全®氯苯唑酸葡胺软胶囊
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	受试制剂（翊安®20mg/日）与参比制剂（维达全®20mg/日）具有生物等效性、安全性良好：受试者在餐前及餐后条件下单次口服后，受试制剂与参比制剂氯苯唑酸的C _{max} （达峰浓度）、AUC _{0-t} （从零时到最后一个可测定血药浓度的采集时间的血药浓度-时间曲线下面积）和AUC _{0-∞} （从零外推至无穷远时间的血药浓度-时间曲线下面积）的几何均值比的90%置信区间均落在80.00%-125.00%等效区间内。
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）	↓ 下载文件 2-1-4南京天晴生物等效性试验.pdf
试验类型1	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
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	①EE人群中，氯苯唑酸葡胺显著优于安慰剂：下肢神经病变损伤评分(NIS-LL) 应答率(60.0% vs38.1%;p=0.041)、诺福克糖尿病神经病变生活质量问卷总分(TQOL,分越高损伤越大)(0.1分vs8.9分;P=0.045)②氯苯唑酸葡胺18个月神经功能恶化比安慰剂患者降低52%③氯苯唑酸葡胺使神经功能障碍延迟:氯苯唑酸葡胺98%受试者TTR四聚体稳定，安慰剂为0%(p<0.0001)
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 2-1-1三期临床随机对照试验FX-005.pdf
试验类型2	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
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	①早期使用氯苯唑酸对疾病进展长期有益：氯苯唑酸组(治疗30个月)与安慰剂组(18月后使用氯苯唑酸)相比，神经病变损害-下肢评分(NIS-LL)30个月时与Fx-005研究基线平均变化有显著差异(3.0分vs6.8分;p=0.04)。②氯苯唑酸组患者减少神经功能损伤比安慰剂组高55.9%。③30个月时,94.1%氯苯唑酸组患者和93.3%安慰剂组显示血浆TTR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 2-1-2三期临床随机开放扩展试验FX-006.pdf
试验类型3	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	对5个数据库检索，共纳入6项研究。氯苯唑酸治疗优于安慰剂，主要疗效指标有显著性差异:下肢神经病变损害评分(NIS-LL)(MD=-3.01,95%CI=-3.26至-2.75,p<0.001)、诺福克生活质量-糖尿病神经病变总生活质量评分(MD=-6.67,95%CI=-9.70至-3.64,p<0.001)。总不良事件无显著差异(OR=0.69,95%CI=0.35-1.35,p=0.27)。
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 2-1-3系统回顾和荟萃分析.pdf

试验类型4	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	维达全®氯苯唑酸葡胺软胶囊
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	受试制剂（翊安®20mg/日）与参比制剂（维达全®20mg/日）具有生物等效性、安全性良好：受试者在餐前及餐后条件下单次口服后，受试制剂与参比制剂氯苯唑酸的C _{max} （达峰浓度）、AUC _{0-t} （从零时到最后一个可测定血药浓度的采集时间t的血药浓度-时间曲线下面积）和AUC _{0-∞} （从零外推至无穷远时间的血药浓度-时间曲线下面积）的几何均值的90%置信区间均落在80.00%-125.00%等效区间内。
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）	↓ 下载文件 2-1-4南京天晴生物等效性试验.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病的诊治共识（2021）》（北京医学会罕见病分会）：“氯苯唑酸能够稳定转甲状腺素蛋白的四聚体结构，抑制其解离为不稳定单体，减少淀粉样物质形成；推荐氯苯唑酸（通用名为氯苯唑酸葡胺软胶囊）应用于周围神经病分期为1期的患者；ATTR-PN 的对因治疗药物包括转甲状腺素蛋白稳定剂（氯苯唑酸和二氟尼柳），1期患者首选氯苯唑酸治疗。”
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 2-2-1北京-2021转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病诊治共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《遗传性转甲状腺素蛋白淀粉样变性合并多发性神经病诊断和治疗（2024）》（美国）“除了该手术的潜在并发症外，肝移植在不同基因型之间有不同的疗效，目前很少被推荐；基于早期III期临床患者疗效证据，欧洲和拉丁美洲氯苯唑酸被批准用于治疗涉及神经系统ATTRv淀粉样变性治疗。”
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 2-2-2美国-2024专家建议遗传性转甲状腺素蛋白淀粉样变性合并多发性神经病的诊断和治疗.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《转甲状腺素蛋白家族性淀粉样变性多发神经病变诊断、管理和治疗首个欧洲共识（2016）》（欧洲）“氯苯唑酸是一线治疗药物，通过稳定突变的TTR四聚体来减缓其淀粉样蛋白生成的进程”；“氯苯唑酸不仅对出现Val30Met突变患者有效；在TTR稳定方面，它也被证明对非Val30-Met患者超过12个月有效。”
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 2-2-3欧洲-2016转甲状腺素家族性淀粉样蛋白多发性神经病的诊断管理和治疗首个共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《转甲状腺素相关遗传性淀粉样变性临床指南（2013）》（日本）“氯苯唑酸葡胺可以减缓进展阶段疾病的患者，早期（I期）疾病患者耐受性良好。在美国、欧洲被指定为TTR-FAP孤儿药。”
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 2-2-4日本-2013转甲状腺素相关遗传性淀粉样变性临床指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《转甲状腺素蛋白淀粉样变性治疗和监测指南（2022）》（国际）“氯苯唑酸被EMA和其他国家批准用于ATTRv-I期的PN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 2-2-5国际-2022-转甲状腺素蛋白淀粉样变性治疗和监测指南.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1	《转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病的诊治共识(2021)》(北京医学会罕见病分会):“氯苯唑酸能够稳定转甲状腺素蛋白的四聚体结构,抑制其解离为不稳定单体,减少淀粉样物质形成;推荐氯苯唑酸(通用名为氯苯唑酸葡胺软胶囊)应用于周围神经病分期为1期的患者;ATTR-PN的对因治疗药物包括转甲状腺素蛋白稳定剂(氯苯唑酸和二氟尼柳),1期患者首选氯苯唑酸治疗。”
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 2-2-1北京-2021转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病诊治共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《遗传性转甲状腺素蛋白淀粉样变性合并多发性神经病诊断和治疗(2024)》(美国)“除了该手术的潜在并发症外,肝移植在不同基因型之间有不同的疗效,目前很少被推荐;基于早期III期临床患者疗效证据,欧洲和拉丁美洲氯苯唑酸被批准用于治疗涉及神经系统ATTRv淀粉样变性治疗。”
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 2-2-2美国-2024专家建议遗传性转甲状腺素蛋白淀粉样变性合并多发性神经病的诊断和治疗.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《转甲状腺素蛋白家族性淀粉样变性多发神经病变诊断、管理和治疗首个欧洲共识(2016)》(欧洲)“氯苯唑酸是一线治疗药物,通过稳定突变的TTR四聚体来减缓其淀粉样蛋白生成的进程”;“氯苯唑酸不仅对出现Val30Met突变患者有效;在TTR稳定方面,它也被证明对非Val30-Met患者超过12个月有效。”
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 2-2-3欧洲-2016转甲状腺素家族性淀粉样蛋白多发性神经病的诊断管理和治疗首个共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《转甲状腺素相关遗传性淀粉样变性临床指南(2013)》(日本)“氯苯唑酸葡胺可以减缓进展阶段疾病的患者,早期(I期)疾病患者耐受性良好。在美国、欧洲被指定为TTR-FAP孤儿药。”
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 2-2-4日本-2013转甲状腺素相关遗传性淀粉样变性临床指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《转甲状腺素蛋白淀粉样变性治疗和监测指南(2022)》(国际)“氯苯唑酸被EMA和其他国家批准用于ATTRv-I期的PN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 2-2-5国际-2022-转甲状腺素蛋白淀粉样变性治疗和监测指南.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》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

三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	<p>(1) 说明书临床数据结果显示127名ATTR-PN患者每天服用20 mg氯苯唑酸葡胺，平均538天，不良反应的严重程度通常为轻度或中度；常见不良反应为尿路感染、腹泻、上腹痛。(2) 用药禁忌：对活性成份或其中的任何辅料过敏者禁用。(3) 注意事项：有生育能力的女性应在接受氯苯唑酸葡胺期间使用适当的避孕措施，并在停止氯苯唑酸葡胺治疗后继续使用适当的避孕措施1个月。氯苯唑酸葡胺应加入转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病(ATTR-PN)患者的标准治疗中。作为标准治疗的一部分，医生应该监测患者并继续评估其他治疗的必要性，包括是否需要肝移植。由于目前没有关于在肝移植后使用氯苯唑酸葡胺的数据，因此接受肝移植的患者应停用氯苯唑酸葡胺。(4) 药物相互作用：氯苯唑酸葡胺20 mg对细胞色素P450酶CYP3A4无诱导或抑制作用。</p>
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	<p>(1) 氯苯唑酸葡胺软胶囊说明书无黑框警告；无撤市信息。(2) 在18个月随机对照III期及12个月扩展临床研究中，治疗期间氯苯唑酸和安慰剂不良事件发生率(84.1%vs97.6%)，无危及生命的安全事件，也没有患者因不良事件停止治疗；接受氯苯唑酸葡胺组受试者耐受性普遍良好。(3) 我司翊安®氯苯唑酸葡胺软胶囊上市时间较短，目前暂未搜集到不良反应相关数据。</p>
相关报导文献	<p>↓ 下载文件 3-安全性材料.pdf</p>

四、创新性信息

创新程度	<p>1、氯苯唑酸葡胺是全球首个、国内唯一获批上市治疗ATTR-PN药物，填补治疗ATTR-PN空白，2020年获制药界国际最高荣誉盖伦奖“最佳生物技术产品”。2、氯苯唑酸葡胺软胶囊是全球首个转甲状腺素蛋白稳定剂，可特异性结合并稳定TTR，阻止由于TTR四聚体解离、错误折叠、聚集引起的淀粉样沉淀级联反应，从病因延缓疾病进展，降低死亡率。</p>
创新性证明文件	<p>↓ 下载文件 4-1创新程度.pdf</p>
应用创新	<p>1、一天一粒，口服用药，空腹或餐后服用均可，患者依从性好。2、老年患者(≥65岁)不需要调整剂量。3、肾功能损害或轻度和中度肝功能损害患者无需调整剂量。4、用药前诊断步骤明确，有清晰的诊断标准、诊断和鉴别所需辅助检查。5、患者在家服药治疗，无需住院，降低相应成本。6、25°C以下密封保存，无需冷藏，药品储存成本低。7、2018年，列入《临床急需境外新药名单(第一批)》。</p>
应用创新证明文件	<p>↓ 下载文件 4-2应用创新.pdf</p>
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	<p>1、转甲状腺素蛋白淀粉样变性已被纳入国家卫健委等《第二批罕见病目录》(序号80)。2、氯苯唑酸葡胺软胶囊是国内唯一获批ATTR-PN治疗用药，改变“无药可医”状况，填补治疗空白，提升患者对疾病治疗的信心。3、ATTR-PN早期诊断、早期治疗对改善患者的预后至关重要。</p>
符合“保基本”原则描述	<p>1、相比其它许多昂贵的罕见病药品，目前年治疗费用已充分考虑医保支付负担。2、中国ATTR-PN确诊患者人数极少，占用医保基金实际支出金额有限。</p>
弥补目录短板描述	<p>1、可以弥补医保目录内没有ATTR-PN治疗药物空白。2、氯苯唑酸葡胺是ATTR-PN标准治疗的一部分，纳入医保后可有效化解该罕见病患者“用药贵、保障难”的困境。</p>
临床管理难度描述	<p>1、说明书中明确药品应由具有ATTR-PN患者治疗经验的医师启动治疗。2、药品适应症定义明确，方便诊断。3、ATTR-PN确诊患者人数极少，不易滥用。4、国家卫健委指导的罕见病患者登记系统中，患者诊疗可管理，用药可追溯，便于医管理。</p>