

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：注射用罗普司亭N01

企业名称：齐鲁制药有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-11 15:49:51	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)	注射用罗普司亭N01	医保药品分类与代码	XB02BXL422B001010104021
药品类别	西药	是否为独家	是
① 药品注册分类	生物药3.4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	250µg/瓶、500µg/瓶		
上市许可持有人(授权企业)	齐鲁制药有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于对其他治疗(例如皮质类固醇、免疫球蛋白)反应不佳的成人(≥18周岁)慢性免疫性血小板减少症(ITP)患者。本品仅用于因血小板减少和临床条件导致出血风险增加的ITP患者，不应以将血小板计数恢复至正常水平作为治疗目的。		
说明书用法用量	成人患者推荐起始给药剂量为1µg/kg(以罗普司亭N01计)，每周皮下给药1次。此后每周评估一次血小板计数，根据血小板计数、症状适当增减给药量，最大给药量为每周1次10µg/kg。		
所治疗疾病基本情况	原发免疫性血小板减少症(ITP)是一种获得性自身免疫性出血性疾病，以无明显诱因的孤立性外周血血小板计数减少为主要特点。中国成人年发病率5/10万，60岁以上老年人发病率13.7/10万。该病临床表现变化较大，无症状血小板减少、皮肤黏膜出血、严重内脏出血、致命性颅内出血均可发生，老年患者致命性出血发生风险明显高于年轻患者。ITP患者的死亡率比一般人群高1.3-2.2倍，5年死亡率为22%。		
中国大陆首次上市时间	2024-04	注册证号/批准文号	国药准字S20240013
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	2024-04
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.重组人血小板生成素，2006年1月上市，ITP适应症医保目录内；2.艾曲泊帕乙醇胺片，原研2018年1月上市，仿制品2024年1月上市，ITP适应症医保目录内；3.海曲泊帕乙醇胺片2021年6月上市，ITP适应症医保目录内；4.注射用罗普司亭，2022年1月上市，ITP适应症医保目录内；优势：1.起效快：罗普司亭常规剂量2.5天升血小板至3万以上，快速起效；2.使用方便：一周用药一次，便于提高慢性病患者依从性，疗效不受饮食影响；3.罗普司亭无肝脏毒性，药物相互作用风险低，对于老年和有肝功问题的患者也适用，合并用药更安全；4.艾曲泊帕治疗无效、复发难治的ITP患者使用罗普司亭单药治疗有效率达75%，联合达那唑有效率达到100%。5.齐鲁制药具有稳健的生产工艺、充足的产能，充分保证罗普司亭N01的市场供应。		

企业承诺书	↓ 下载文件	企业承诺书-齐鲁.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件	1-1最新版法定说明书-注射用罗普司亭N01.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	1-2药品注册证书-注射用罗普司亭N01.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件	1-4注射用罗普司亭N01--含价格信息.ppt
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	1-4注射用罗普司亭N01--不含价格信息.ppt

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)
注射用罗普司亭	是	250µg/瓶	1536	成人患者推荐起始给药剂量为1µg/kg（以罗普司亭计），每周皮下给药1次。此后每周评估一次血小板计数，根据血小板计数、症状适当增减给药量，最大给药量为	日均费用	长期	219.43

每周1次
10µg/k
g。

参照药品选择理由：罗普司亭目前唯一在医保的、适应症为ITP的长效TPO-RA类药物，罗普司亭N01在药理机制和药物分类上和罗普司亭属于同一类别，具有较高参考意义。

其他情况请说明：本品的结构、理化性质、生物学活性等全面的质量结构可比性研究证据，及头对头稳定性对比研究数据均显示与原研品在药理学特性上是相似的；本品的III期临床研究，与原研品的研究设计完全一致。

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	注射用罗普司亭N01组中，双盲期24周产生持续血小板反应（双盲期24周最后8周中有6周血小板计数 $\geq 50 \times 109/L$ ）的受试者比例为61.8%，安慰剂组中无受试者产生持续血小板反应（ $p < 0.0001$ ）。双盲期24周内出现血小板反应（血小板计数 $\geq 50 \times 109/L$ ）的周数为15.9周，安慰剂组为1.9周（ $p < 0.0001$ ）。
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原文 + 翻译_三期试验文章.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	注射用罗普司亭N01组中，双盲期24周产生持续血小板反应（双盲期24周最后8周中有6周血小板计数 $\geq 50 \times 109/L$ ）的受试者比例为61.8%，安慰剂组中无受试者产生持续血小板反应（ $p < 0.0001$ ）。双盲期24周内出现血小板反应（血小板计数 $\geq 50 \times 109/L$ ）的周数为15.9周，安慰剂组为1.9周（ $p < 0.0001$ ）。
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原文 + 翻译_三期试验文章.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识（2023年版）》：罗普司亭可有效提高血小板计数、改善ITP患者的生活质量
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促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《2019国际共识报告：关于原发免疫性血小板减少症调查和管理》：TPO-RA（罗普司亭等）在脾切除和非脾切除患者中展现了出色的反应率（ $> 60\%$ ），（A级推荐，证据级别Ib）；治疗同时可以改善应答患者的疲劳（A级推荐，证据级别Ib）。
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原文 + 翻译关于原发性免疫性血小板减少症调查和管理的国际共识报告.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2019ASH-原发免疫性血小板减少症指南》：对皮质类固醇依赖或对皮质类固醇无反应 ≥ 3 个月的成人ITP患者，建议使用TPO-RA（罗普司亭等）或脾切除（证据级别 $\oplus\oplus\oplus$ ）；对皮质类固醇依赖或对皮质类固醇无反应 ≥ 3 个月的成人ITP患者，建议使用TPO-RA（罗普司亭等）而非利妥昔单抗

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 美国血液学学会.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《2019日本ITP指南》：二线治疗建议：将TPO-RA（A级推荐，包括罗普司亭）、利妥昔单抗和脾切除术作为二线治疗。
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 原文和翻译日本ITP指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识（2023年版）》：罗普司亭可有效提高血小板计数、改善ITP患者的生活质量
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促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《2019国际共识报告：关于原发性免疫性血小板减少症调查和管理》：TPO-RA（罗普司亭等）在脾切除和非脾切除患者中展现了出色的反应率（>60%），（A级推荐，证据级别Ib）；治疗同时可以改善应答患者的疲劳（A级推荐，证据级别Ib）。
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原文 + 翻译关于原发性免疫性血小板减少症调查和管理的国际共识报告.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2019ASH-原发性免疫性血小板减少症指南》：对皮质类固醇依赖或对皮质类固醇无反应≥3个月的成人ITP患者，建议使用TPO-RA（罗普司亭等）或脾切除（证据级别⊕○○○）；对皮质类固醇依赖或对皮质类固醇无反应≥3个月的成人ITP患者，建议使用TPO-RA（罗普司亭等）而非利妥昔单抗
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 美国血液学学会.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《2019日本ITP指南》：二线治疗建议：将TPO-RA（A级推荐，包括罗普司亭）、利妥昔单抗和脾切除术作为二线治疗。
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 原文和翻译日本ITP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	3.4类生物药无《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	3.4类生物药无《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	罗普司亭N01的常见不良反应与安慰剂组相比，发生率基本相当，主要为关节痛、头痛和尿路感染。在整个ITP临床项目中，关节痛在罗普司亭N01组发生率为6.7%，安慰剂组的发生率为2.8%，头痛在罗普司亭N01组的发生率为5.5%，安慰剂组的发生率为8.3%，尿路感染在罗普司亭N01组发生率为6.3%，安慰剂组的发生率为5.6%。此外，接受罗普司亭N01治疗的ITP受试者中，观察到的相对少见的药物不良反应包括：治疗停止后血小板减少复发、骨髓网硬蛋白增加和贫血等。罗普司亭N01在ITP受试者中开展的临床研究中，罗普司亭N01组的抗罗普司亭N01（ADA）均为阴性；罗普司亭N01组1例（1%）受试者抗TPO抗体阳性（基线、双盲期第3周为阳性，13周后转阴），且为非中和性抗体。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	没有黑框警告，上市后没有收到不良反应警示。
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	1.利用重组DNA技术制成的Fc 肽融合蛋白，独特Fc结构域与血小板生成素（TPO）融合，延长药物半衰期，一周仅需用药一次，提升慢病患者依从性。2.结合TPO天然位点，激活更多升血小板信号通路，同时诱导免疫耐受，升血小板效应更快更强。3.国家“重大新药创制”科技重大专项，2018年度实施计划第二批立项课题：临床亟需生物类似药的临床研究及产业化（课题编号：2018ZX09736003）
创新性证明文件	↓ 下载文件 4-1生物类似药第二批立项批复-2018ZX09736003.pdf
应用创新	更适合老年及肝损患者：这两类患者肝功差，罗普司亭无肝毒性更安全；老年人常同时用多种药物，罗普司亭药物相互作用风险低，合并用药更安全；老年人易漏服药，罗普司亭一周一次更便捷；更适合重症患者：快速提升血小板，应答率高；更适合复发难治患者：这类患者约占1/3，艾曲泊帕等治疗无效转换为罗普司亭的治疗有效率达75%；更适合围手术期患者：缩短患者术前准备时间，术后维持血小板计数，改变术后不适用口服
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	中国成人ITP年发病率为5/10万，老年人和育龄期女性发病率高，患者面临严重出血和致死性出血风险，以及焦虑、抑郁等身心危害。在老龄化加剧的背景下，ITP患者人群将进一步扩大。罗普司亭N01可全面贴合ITP的治疗目标，维持血小板计数稳定，减少出血事件，一周一次，改善患者健康相关生活质量，降低患者疾病负担，助力健康中国。齐鲁制药具有稳健的生产工艺、充足的产能，充分保证罗普司亭N01的市场供应。
符合“保基本”原则描述	老年患者常合并用药，罗普司亭药物相互作用风险低，合并用药限制小；肝损患者，罗普司亭无肝毒性，更安全；重症患者，罗普司亭快速提升血小板，减低出血风险；复发难治患者，罗普司亭有效率达75%；围手术期患者不适用口服药物，罗普司亭更合适。罗普司亭日均治疗费用仅占2022年全国职工医保次均住院费用中的3.3%，对医保基金影响小；仅为2023年全国人均可支配收入的1.1%，经济负担较小，符合保基本的定位。
弥补目录短板描述	目前目录内口服TPO-RA均为短效制剂，需要每日用药，患者依从性较差；罗普司亭N01是唯一国产长效TPO-RA，一周一次，降低用药频率，有效满足慢性病对于长效药物的需求；复发难治性ITP患者，转换成罗普司亭单药治疗后有效率高达75%，有效解决慢性ITP患者多线治疗复发后的用药问题；齐鲁制药具有稳健的生产工艺、充足的产能，充分保证罗普司亭N01的市场供应，增加了患者的临床选择。
临床管理难度描述	罗普司亭N01的ITP适应症表述清晰，限制要求明确，医保经办审核方便。罗普司亭N01有明确的使用条件、使用次数、监测和剂量调整等要求，滥用或超适应症用药风险极小。罗普司亭N01一周用药一次，临床管理难度小。