

申报信息

申报时间	2024-07-12 15:16:54	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）	玛伐凯泰胶囊	医保药品分类与代码	XC01EBM186E001010185316, XC01EBM186E001020185316, XC01EBM186E001030185316, XC01EBM186E001040185316
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	化学药品活性成分化合物专利	核心专利权期限届满日1	2034-06
核心专利类型2	化学药品含活性成分的药物组合专利	核心专利权期限届满日2	2034-06
核心专利类型3	化学药品医药用途专利	核心专利权期限届满日3	2034-06
核心专利类型1	化学药品活性成分化合物专利	核心专利权期限届满日1	2034-06
核心专利类型2	化学药品含活性成分的药物组合专利	核心专利权期限届满日2	2034-06
核心专利类型3	化学药品医药用途专利	核心专利权期限届满日3	2034-06
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	2.5mg，5mg（主规格），10mg，15mg		
上市许可持有人（授权企业）	Bristol-Myers Squibb Australia Pty Ltd		
说明书全部适应症/功能主治	本品用于治疗纽约心脏协会（NYHA）心功能分级 II-III 级的梗阻性肥厚型心肌病（oHCM）成人患者（详细描述见说明书）。		
说明书用法用量	本品的推荐起始剂量为2.5mg，口服，每日一次。维持期剂量可为2.5mg、5mg、10mg或15mg，每日一次，应定期监测患者的左心室流出道（LVOT）压差以及左心室射血分数（LVEF），谨慎进行剂量调整。（详细描述见说明书）		
所治疗疾病基本情况	oHCM主要是基因变异引起的、以心肌肥厚为特征的心肌病；可导致猝死，或合并进行性心力衰竭、房颤、血栓栓塞等严重心血管疾病。oHCM属罕见心血管疾病，是特发性心肌病（《第一批罕见病目录》病种）的一种，中国患病率约0.0128%；该疾病复杂，症状不典型，疾病认知不充分，诊断率仅约15%，据此估算，可诊断的oHCM患者仅2万人。患者平均年龄约42岁，是社会和家庭核心力量，严重影响患者生存质量及社会生产力		
中国大陆首次上市时间	2024-04	注册证号/批准文号	2.5mg：国药准字HJ20240012， 5mg：国药准字HJ20240013， 10mg：国药准字HJ20240014， 15mg：国药准字HJ20240015

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	2022-04
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	oHCM在临床上长期缺乏有效治疗手段,存在极大未满足需求。1.目前常用治疗药物为BB/CCB,多为超适应症用药,无大样本量临床实验验证,仅为经验用药;且为对症治疗,仅有限降低心脏负荷,部分缓解症状,非针对oHCM致病根源,很难从根本上解决心肌肥厚所致的一系列临床症候群,更无法全面达到指南推荐的三大治疗目标(改善心脏功能、缓解临床症状、延缓疾病进展)。2.药物治疗失败后,可行有创手术治疗,但手术风险大,术后并发症高,并有残余梗阻和较大复发可能。相关手术对医院设施和医生的技术有很高要求,国内外可开展相应手术的医院和医生均十分有限。临床亟需突破性创新治疗药物和治疗手段。3.玛伐凯泰是全球首创靶向心肌肌球蛋白抑制剂(First-in-Class),选择性降低心肌肌球蛋白ATP酶活性,抑制肌球蛋白-肌动蛋白横桥的过量形成,从而抑制心肌过度收缩、改善舒张顺应性及能量代谢。玛伐凯泰是oHCM治疗领域四十多年来首个获批、针对疾病病理机制的靶向治疗药物,获得中、美两国药品监管部门“突破性治疗药物”认证,德、法等权威卫生和保险机构高度认可,有效填补临床上和医保目录内该疾病治疗手段的长期空白。		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书-盖章件.pdf		
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 药品最新版法定说明书.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 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 玛伐凯泰胶囊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 玛伐凯泰胶囊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。
(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)
无	否	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由: 玛伐凯泰是首创且唯一靶向oHCM病源的药物。传统药物BB/CCB不适宜作为参照:多为超适应症用药,为经验用药,且仅为对症治疗;手术治疗不适宜作为参照技术:仅少数医学中心有条件进行,临床开展有限,且风险高

其他情况请说明: 建议将氟苯唑酸(心脏淀粉样变治疗药物)作为价格参照:1.同为心血管罕见疾病治疗药物;2.创新价值具有可比性,德国G-BA价值评级中,两者均获评“相当大的附加获益”,是心血管领域治疗药物获得过的最高评级

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	EXPLORER-CN是中国随机双盲安慰剂对照III期试验，共81例患者治疗30周。治疗组为玛伐凯泰+BB/CCB，对照组为安慰剂+BB/CCB。结果显示，治疗组各项指标均显著优于对照组：LVOTG（-51vs.19mmHg，主要终点）、梗阻解除比例（48%vs.4%）、达完全缓解比例（26%vs.4%）、达NYHA I级的比例（44%vs.4%）、生活质量评分（改善5分vs.恶化5分）等
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 中国临床试验EXPLORER-CN.pdf
试验类型2	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	EXPLORER-HCM是全球多中心随机双盲安慰剂对照III期试验，共251例患者治疗30周，治疗组为玛伐凯泰+BB/CCB，对照组为安慰剂+BB/CCB。研究结果显示，治疗组相较于对照组在主要终点（运动耐量提升且NYHA心功能分级改善/无恶化）和其他指标上（如LVOTG降低、临床完全缓解率、患者生活质量等），均具显著优势
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 全球临床试验EXPLORER-HCM.pdf
试验类型3	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	VALOR-HCM是一项多中心随机双盲安慰剂对照III期试验，共纳入112例符合SRT（室间隔减容术）指征的严重oHCM患者。治疗组为玛伐凯泰+BB/CCB/丙吡胺，对照组为安慰剂+BB/CCB/丙吡胺。研究结果显示：玛伐凯泰可显著减少oHCM患者的手术需求。第16周时，治疗组82.1%的患者不再符合SRT指征（vs.对照组23.2%）。第56周时，治疗组91.1%的患者不再符合SRT指征
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 长期研究VALOR-HCM.pdf
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	一项来自美国多中心150例患者经过最长达到1.6年的随访观察显示：玛伐凯泰治疗可降低LVOT压差，同时NYHA心功能分级持续改善。研究结果与全球及中国临床研究结果一致，玛伐凯泰治疗在改善心脏功能、缓解临床症状以及延缓疾病进展方面为患者带来全面临床获益
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 真实世界研究.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	EXPLORER-CN是中国随机双盲安慰剂对照III期试验，共81例患者治疗30周。治疗组为玛伐凯泰+BB/CCB，对照组为安慰剂+BB/CCB。结果显示，治疗组各项指标均显著优于对照组：LVOTG（-51vs.19mmHg，主要终点）、梗阻解除比例（48%vs.4%）、达完全缓解比例（26%vs.4%）、达NYHA I级的比例（44%vs.4%）、生活质量评分（改善5分vs.恶化5分）等
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 中国临床试验EXPLORER-CN.pdf
试验类型2	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	EXPLORER-HCM是全球多中心随机双盲安慰剂对照III期试验，共251例患者治疗30周，治疗组为玛伐凯泰+BB/CCB，对照组为安慰剂+BB/CCB。研究结果显示，治疗组相较于对照组在主要终点（运动耐量提升且NYHA心功能分级改善/无恶化）和其他指标上（如LVOTG降低、临床完全缓解率、患者生活质量等），均具显著优势
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 全球临床试验EXPLORER-HCM.pdf
试验类型3	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	VALOR-HCM是一项多中心随机双盲安慰剂对照III期试验，共纳入112例符合SRT（室间隔减容术）指征的严重oHCM患者。治疗组为玛伐凯泰+BB/CCB/丙吡胺，对照组为安慰剂+BB/CCB/丙吡胺。研究结果显示：玛伐凯泰可显著减少oHCM患者的手术需求。第16周时，治疗组82.1%的患者不再符合SRT指征（vs.对照组23.2%）。第56周时，治疗组91.1%的患者不再符合SRT指征
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 长期研究VALOR-HCM.pdf
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	一项来自美国多中心150例患者经过最长达到1.6年的随访观察显示：玛伐凯泰治疗可降低LVOT压差，同时NYHA心功能分级持续改善。研究结果与全球及中国临床研究结果一致，玛伐凯泰治疗在改善心脏功能、缓解临床症状以及延缓疾病进展方面为患者带来全面临床获益
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 真实世界研究.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	<p>《中国肥厚型心肌病指南2022》：玛伐凯泰2022年4月获得美国食品和药物管理局(FDA) 批准，是首个且唯一获批的心肌肌球蛋白抑制剂，可用于治疗症状性NYHA心功能II~III级的梗阻性HCM成人患者，以改善功能能力和症状（I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>↓ 下载文件 中国肥厚型心肌病指南2022.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况2	<p>《中国成人肥厚型心肌病诊断与治疗指南2023》：肥厚型心肌病可能是第一个基于病因与发病机制进行精准治疗的心血管病。（玛伐凯泰）可以靶向作用于心肌肌球蛋白 ATP 酶，减少肌动蛋白-肌球蛋白横桥的形成，从而减轻心肌的过度收缩，改善舒张功能。因该药尚未获批上市，本指南暂未形成具体的推荐类别和证据水平建议。</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>↓ 下载文件 中国成人肥厚型心肌病诊断与治疗指南2023.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况3	<p>《2024美国心脏协会（AHA）/美国心脏病学会（ACC）/AMSSM/HRS/PACES/SCMR肥厚型心肌病管理指南》：对于梗阻性肥厚型心肌病患者，使用β受体阻滞剂或非二氢吡啶钙通道阻滞剂后仍有可归因于LVOTO的持续症状时，建议添加肌球蛋白抑制剂（仅限成年患者）、或添加丙吡胺（与房室结阻断剂联合使用）或在经验丰富的中心进行手术治疗。（I类推荐）（玛伐凯泰是唯一获批的心肌肌球蛋白抑制剂）</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>↓ 下载文件 2024美国心脏协会肥厚型心肌病管理指南.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况1	<p>《中国肥厚型心肌病指南2022》：玛伐凯泰2022年4月获得美国食品和药物管理局(FDA) 批准，是首个且唯一获批的心肌肌球蛋白抑制剂，可用于治疗症状性NYHA心功能II~III级的梗阻性HCM成人患者，以改善功能能力和症状（I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>↓ 下载文件 中国肥厚型心肌病指南2022.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况2	<p>《中国成人肥厚型心肌病诊断与治疗指南2023》：肥厚型心肌病可能是第一个基于病因与发病机制进行精准治疗的心血管病。（玛伐凯泰）可以靶向作用于心肌肌球蛋白 ATP 酶，减少肌动蛋白-肌球蛋白横桥的形成，从而减轻心肌的过度收缩，改善舒张功能。因该药尚未获批上市，本指南暂未形成具体的推荐类别和证据水平建议。</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>↓ 下载文件 中国成人肥厚型心肌病诊断与治疗指南2023.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况3	<p>《2024美国心脏协会（AHA）/美国心脏病学会（ACC）/AMSSM/HRS/PACES/SCMR肥厚型心肌病管理指南》：对于梗阻性肥厚型心肌病患者，使用β受体阻滞剂或非二氢吡啶钙通道阻滞剂后仍有可归因于LVOTO的持续症状时，建议添加肌球蛋白抑制剂（仅限成年患者）、或添加丙吡胺（与房室结阻断剂联合使用）或在经验丰富的中心进行手术治疗。（I类推荐）（玛伐凯泰是唯一获批的心肌肌球蛋白抑制剂）</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>↓ 下载文件 2024美国心脏协会肥厚型心肌病管理指南.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	药品审评中心尚未发布玛伐凯泰胶囊的技术审评报告
《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	药品审评中心尚未发布玛伐凯泰胶囊的技术审评报告
《技术审评报告》原文（可节选）	-

三、安全性信息

药品说明书刊载的安全性信息	1.说明书不良反应：中国临床研究显示的安全性特征与在全球研究中观察到的一致，在接受治疗的患者中未发生导致终止治疗的不良反应。（完整信息见说明书）2.用药禁忌：禁止合并使用中效至强效CYP2C19抑制剂/诱导剂、强效CYP3A4抑制剂、中效至强效CYP3A4诱导剂。（完整信息见说明书）3.注意事项：本品可降低心脏收缩力，进而可导致心力衰竭或完全阻断心室功能。应在治疗前和治疗期间定期评估患者的临床状态和LVEF，并相应调整本品剂量。为了确保LVEF ≥50%，可能需要中断治疗。不建议LVEF < 55% 的患者开始本品治疗。（完整信息见说明书）4.药物相互作用：本品可能与CYP2C19诱导剂和抑制剂、CYP3A4中效至强效抑制剂或诱导剂、CYP3A4、CYP2C19或CYP2C9底物，激素避孕药和降低心脏收缩力的药物存在相互作用。（完整信息见说明书）
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	玛伐凯泰胶囊自2022年4月28日在美国首次获批上市至今，未发生各国家或地区药监部门发布的安全性警告、撤市信息。本品可降低心脏收缩力，进而可导致心力衰竭，故有黑框警告。说明书中明确规定，应在治疗前和治疗期间定期评估患者的临床状态和LVEF，并相应调整本品剂量，以确保用药安全。截至2024年4月27日，据估计全球范围内本品上市后暴露累计约为7521例患者。公司根据所收到的安全性报告分析，目前尚未发现新的重大安全性问题，玛伐凯泰的获益-风险特征为有利。美国真实世界研究结果显示：无新发预期外不良事件；与全球临床试验（EXLORER-HCM）研究结果一致。自2023年11月在博鳌获批以来，未收到玛伐凯泰在真实世界的新发不良事件报告。
相关报导文献	↓ 下载文件 药品最新版法定说明书.pdf

四、创新性信息

创新程度	玛伐凯泰突破创新，是全球首创且唯一获批治疗oHCM的心肌肌球蛋白抑制剂（First-in-Class），填补临床靶向治疗和医保目录空白。在法国HAS临床收益水平评估(SMR)中，被评为重要（最高级别），德国G-BAI临床获益评估中被评为“相当大的附加效益”。是唯一被中国NMPA及美国FDA均授予“突破性治疗药物”的心血管药物，2023年获美国和比利时两项盖伦奖，2024年获英国药理学会年度药物发现奖
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新证明.pdf
应用创新	玛伐凯泰通过精准靶向oHCM病源，可改善心脏功能、缓解临床症状、延缓疾病进展，综合实现指南推荐的三大治疗目标。口服靶向治疗，每日一次，常温储存，轻度到中度肝肾功能损伤患者无需调节剂量，临床用药和管理便捷。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 药品最新版法定说明书.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.《第一批罕见病目录》收录病种的创新靶向治疗药物，为心血管罕见病的诊疗带来革命性突破。2.患者平均年龄约42岁，是家庭与社会的核心力量，玛伐凯泰治疗的患者可正常回归家庭和社会，极具患者价值和社会意义。
符合“保基本”原则描述	1.可减少手术需求，提升患者治疗的顺应性从而有效节省总体医疗资源及医保基金支出。2.oHCM患病率仅为0.0128%且

	确诊率低，玛伐凯泰适应症患者仅约1万人，纳入医保目录后，医保基金支出有限、可控。3.中国上市价格充分考虑国情，已处于全球最低价格区间。
弥补目录短板描述	1.四十多年来，首个针对oHCM发病机制的治疗药物，填补临床oHCM靶向治疗空白，综合实现临床指南治疗目标。2.填补了国家医保目录心血管罕见病oHCM革命性靶向治疗药物的空白。
临床管理难度描述	1.报销范围易界定、可管理：oHCM临床诊断标准十分清晰，指南用药推荐明确，玛伐凯泰用药监测指标严格，无临床滥用风险。2.便利：口服胶囊，常温储存，每日一次；药事管理和临床使用便捷，患者顺应性高。