

# 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：           戈利昔替尼胶囊          

企业名称：           迪哲（江苏）医药股份有  
                                  限公司

## 申报信息

|      |                     |      |       |
|------|---------------------|------|-------|
| 申报时间 | 2024-07-12 15:18:00 | 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)  | 戈利昔替尼胶囊   | 医保药品分类与代码    | XL01EJG196E001010184411 |
| 药品类别            | 西药  | 是否为独家        | 是                       |
| ① 药品注册分类        | 化药1类  |              |                         |
| 核心专利类型1         | 用于抑制JAK的化合物和方法  | 核心专利权期限届满日1  | 2036-09                 |
| 核心专利类型2         | 用于抑制JAK的化合物和方法  | 核心专利权期限届满日2  | 2036-09                 |
| 核心专利类型3         | 用于抑制JAK的化合物和方法  | 核心专利权期限届满日3  | 2036-09                 |
| 核心专利类型1         | 用于抑制JAK的化合物和方法  | 核心专利权期限届满日1  | 2036-09                 |
| 核心专利类型2         | 用于抑制JAK的化合物和方法  | 核心专利权期限届满日2  | 2036-09                 |
| 核心专利类型3         | 用于抑制JAK的化合物和方法  | 核心专利权期限届满日3  | 2036-09                 |
| 当前是否存在专利纠纷      | 否   |              |                         |
| 说明书全部注册规格       | 0.15g   |              |                         |
| 上市许可持有人(授权企业)   | 迪哲(江苏)医药股份有限公司  |              |                         |
| 说明书全部适应症/功能主治   | 适用于既往至少接受过一线系统性治疗的复发或难治的外周T细胞淋巴瘤(r/r PTCL)成人患者  |              |                         |
| 说明书用法用量         | 本品的推荐剂量为150 mg/次,每日口服一次,直至疾病进展或出现无法耐受的不良反应。每天应尽量在固定时间服用,空腹或餐后服用均可,用水送服整粒胶囊,不得打开、咀嚼或溶解胶囊内容物。   |              |                         |
| 所治疗疾病基本情况       | 复发难治性PTCL侵袭性强,恶性程度极高,患者生存预后极差,3年生存率仅有23%,中位生存期仅5.8个月。我国PTCL占有淋巴瘤的21.38%,每年新发复发难治性PTCL患者约1万人。欧美国家PTCL发病率相对更低,药物研发动力不足,因此,PTCL领域的治疗进展非常缓慢。复发难治性PTCL的治疗选择十分有限,且治疗效果不佳,整体缓解率低、生存期短、安全性差,同时大多数亚型无有效治疗药物。 |              |                         |
| 中国大陆首次上市时间      | 2024-06   | 注册证号/批准文号    | 国药准字H20240029           |
| 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 | 2024-06                 |
| 是否为OTC          | 否   |              |                         |
| 同疾病治疗领域内或同药理作用  | 我国获批复发难治性PTCL适应症的药物中,化疗以外的药物仅有西达本胺,于2014年在中国获批上市,2017年纳入医   |              |                         |

|   |  |
|---|--|
| 药品上市情况  | 保目录。戈利昔替尼与西达本胺同为靶向用药，与西达本胺相比：①临床试验入组患者基线更差：既往治疗方案更复杂，难治亚型比例更高；②更高缓解和更深缓解，戈利昔替尼的客观缓解率高达44.3%，完全缓解率为23.9%，分别是西达本胺的1.6倍和1.7倍；③更长生存：戈利昔替尼的中位PFS为5.6个月（vs. 西达本胺 2.1个月），18个月的PFS率接近40%，中位OS为24.3个月（vs. 西达本胺 临床试验21.4个月/真实世界15.1个月）；④更全面亚型覆盖：西达本胺仅针对AITL具有较好疗效，但针对其他亚型的ORR不超过22%，而戈利昔替尼针对所有亚型的ORR均在44%以上；⑤患者耐受性和依从性更好：在274例接受戈利昔替尼治疗的患者中，仅有7.3%的患者因不良反应导致停药，远低于西达本胺（16.9%）。 |
| 企业承诺书   | <a href="#">↓ 下载文件</a> 企业承诺书.pdf   |
| 药品最新版法定说明书  | <a href="#">↓ 下载文件</a> 戈利昔替尼胶囊说明书.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> 戈利昔替尼药品注册证书.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> 戈利昔替尼胶囊PPT1.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> 戈利昔替尼胶囊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。
- 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)<br>① | 用法用量   | 费用类型<br>① | 疗程/周期 | 金额<br>(元) |
|--------|---------|-----|------------|--|-----------|-------|-----------|
| 西达本胺   | 是       | 5mg | 322.42     | 每次服药30mg(6片)，每周服药两次，若病情未进展或未出现不能耐受的不良反应，建议持续服药 | 年度费用      | 365天  | 203,125   |

参照药品选择理由：①相同适应症；⑤相同给药途径：西达本胺为医保目录内同适应症药物中唯一口服给药；③西达本胺为标准治疗药物：CSCO指南唯一I级1A类推荐，临床应用最为广泛；②戈利昔替尼Ⅲ期临床试验的对照药为西达本胺。

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                                 | 国际多中心临床试验结果显示：戈利昔替尼治疗复发难治性外周T细胞淋巴瘤(PTCL)的客观缓解率(ORR)为44.3%，完全缓解率为23.9%，中位持续缓解时间(DoR)为20.7个月；基于IRC评估的中位PFS为5.6个月，18个月的PFS率高达39.3%，中位OS为24.3个月。针对AITL、PTCL-NOS、NKTCCL等PTCL各亚型，戈利昔替尼均可有效治疗。 |
| 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）                 | <a href="#">↓ 下载文件</a> 戈利昔替尼试验数据证明文件.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                                 | 国际多中心临床试验结果显示：戈利昔替尼治疗复发难治性外周T细胞淋巴瘤(PTCL)的客观缓解率(ORR)为44.3%，完全缓解率为23.9%，中位持续缓解时间(DoR)为20.7个月；基于IRC评估的中位PFS为5.6个月，18个月的PFS率高达39.3%，中位OS为24.3个月。针对AITL、PTCL-NOS、NKTCCL等PTCL各亚型，戈利昔替尼均可有效治疗。 |
| 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）                 | <a href="#">↓ 下载文件</a> 戈利昔替尼试验数据证明文件.pdf  |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况1                                | 《中国临床肿瘤学会(CSCO)淋巴瘤诊疗指南（2024）》：推荐戈利昔替尼单药用于复发难治性外周T细胞淋巴瘤的治疗，在尚未获批上市时即获得II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） | <a href="#">↓ 下载文件</a> 《CSCO淋巴瘤诊疗指南》截取.pdf  |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况1                                | 《中国临床肿瘤学会(CSCO)淋巴瘤诊疗指南（2024）》：推荐戈利昔替尼单药用于复发难治性外周T细胞淋巴瘤的治疗，在尚未获批上市时即获得II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） | <a href="#">↓ 下载文件</a> 《CSCO淋巴瘤诊疗指南》截取.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               | 尚未发布  |
| 《技术审评报告》原文（可节选）                               | -   |
| 国家药监局药品审评中心《技术                                | 尚未发布  |

|                   |   |
|-------------------|---|
| 审评报告》中关于本药品有效性的描述 |   |
| 《技术审评报告》原文（可节选）   | - |

### 三、安全性信息

|                      |   |
|----------------------|---|
| 药品说明书记载的安全性信息        | <p>【不良反应】本说明书总结了五项临床研究的274例接受戈利昔替尼治疗患者的安全性数据：常见不良反应与其他血液肿瘤药物常见的不良反应类似，主要是血液学不良反应，包括中性粒细胞减少症、血小板减少症、白细胞减少症等。因不良反应而终止治疗的比例仅为7.3%，患者整体耐受性好。【禁忌】妊娠期和哺乳期，对本品活性成份或任何辅料过敏者禁用。【药物相互作用】本品与胃酸抑制剂合并使用导致临床DDI的风险较低，与CYP3A4敏感底物(如辛伐他汀、咪达唑仑等)或BCRP底物(如瑞舒伐他汀等)合并使用时，上述底物暴露量未见变化，联合用药无限制。【特殊人群用药】轻度肝功能不全、轻中度肾功能不全及老年患者无需调整剂量。</p> |
| 药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果 | 除说明书中临床研究阶段发现的不良事件以外，在戈利昔替尼上市后，未收到药监部门的安全性警告、黑框警告和撤市等安全性信息。   |
| 相关报导文献               | <p><a href="#">↓ 下载文件</a> 戈利昔替尼胶囊说明书.pdf</p>  |

### 四、创新性信息

|             |   |
|-------------|---|
| 创新程度        | <p>①本土自主研发1类新药，具有完全自主知识产权，获CDE优先审评。②获FDA“快速通道认定”和“孤儿药资格认定”，即将在美国和欧盟申报上市。③新机制：全球首个且唯一通过靶向JAK-STAT通路治疗PTCL的药物，实现全亚型覆盖，破解该领域“全球十年无创新药”的困局。④新结构：“两氢键一盐桥”实现对JAK1 200倍以上的高选择性；引入吡唑和哌嗪基团，使半衰期长达约50小时，对肿瘤进行持续强抑制。</p> |
| 创新性证明文件     | <p><a href="#">↓ 下载文件</a> 戈利昔替尼创新性证明文件.pdf</p>  |
| 应用创新        | <p>①一天一次、一次一粒口服给药，空腹或餐后服用均可，不易漏服，提升依从性。②轻度肝功能不全、轻至中度肾功能不全及老年患者无需调整剂量，临床适用性强。③与胃酸抑制剂、CYP3A4敏感底物(如辛伐他汀、咪达唑仑)、BCRP底物(如瑞舒伐他汀)等联用时无需调整剂量，可满足晚期肿瘤患者联合用药的需求。④戈利昔替尼常温贮藏即可(不超过30°C)，有效期长达24个月，药品管理和贮存成本低。</p>          |
| 应用创新证明文件    | <p><a href="#">↓ 下载文件</a> 戈利昔替尼胶囊说明书.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戈利昔替尼显著延长患者生存，提升整体健康水平。②更高的完全缓解率和缓解持续时间，为更多患者创造治愈的可能，回归生活与工作。</p>                     |
| 符合“保基本”原则描述     | <p>①戈利昔替尼可覆盖所有亚型，让不同PTCL亚型患者均有药可治，纳入医保目录后将替代目录内PTCL治疗药物的使用。②复发难治性PTCL人群数量较少，对医保基金影响小。</p> |
| 弥补目录短板描述        | <p>目录已覆盖众多B细胞淋巴瘤治疗药物，戈利昔替尼纳入医保可提升T细胞淋巴瘤患者药物选择的公平性。</p>                                    |
| 临床管理难度描述        | <p>①一天一次，一次一粒口服，临床易管理。②无需按照体重或体表面积给药，降低医保经办难度。</p>  |