



## 申报信息

|      |                     |      |       |
|------|---------------------|------|-------|
| 申报时间 | 2024-07-13 22:32:08 | 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） | 普拉替尼胶囊  | 医保药品分类与代码   | XL01EXP141E002010183503<br>XL01EXP141E002010283503<br>XL01EXP141E002010383503 |
| 药品类别           | 西药  | 是否为独家       | 是   |
| ④ 药品注册分类       | 化学药品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 | 2036-11   |
| 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 | 2036-11   |
| 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 | 2036-11   |
| 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 | 2036-11   |
| 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 | 2036-11   |
| 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 | 2036-11   |
| 当前是否存在专利纠纷     | 否   |             |   |
| 说明书全部注册规格      | 100mg   |             |   |
| 上市许可持有人（授权企业）  | Genentech, Inc. (A Member of the Roche Group)   |             |   |
| 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。该适应症是基于一项RET基因突变型MTC和RET融合阳性甲状腺癌的研究的结果给予的附条件批准。该适应症是完全批准将取决于正在进行的确证性试验的临床获益。（参见【临床试验】） |             |   |
| 说明书用法用量        | 本品的推荐剂量为400 mg，每日一次，空腹状态下口服（服用本品前至少2小时以及服用本品后至少1小时请勿进食）（参见【药代动力学】）。持续治疗，直至疾病进展或出现不可耐受的毒性。（具体详见药品说明书）  |             |   |
| 所治疗疾病基本情况      | RET融合阳性NSCLC占NSCLC患者的比例约为1-2%，中国年新发RET融合阳性患者1万例，表现相对年轻、腺癌、易发生淋巴转移、脑转移。RET基因通过发生融合产生不依赖配体的持续激活促进肿瘤细胞增殖、侵袭，RET融合阳性患者术后易复发，晚期患者传统治疗生存较短。RET变异是甲状腺癌的关键疾病驱动因素。约10-20%的甲状腺乳头状癌携带RET融合，约60%的甲状腺髓样癌携带RET突变。   |             |   |
| 中国大陆首次上市时间     | 2021-03   | 注册号/批准文号    | 国药准字HJ20210018  |

|   |  |              |         |
|---|--|--------------|---------|
| 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 | 2020-09 |
| 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  | 塞普替尼，2022年10月8日，批准在中国上市,目前也未进入医保目录。普拉替尼与塞普替尼相比，在中国上市时间更长，临床使用经验更丰富，不良反应谱更窄。临床试验已经证明普拉替尼用于RET融合阳性非小细胞肺癌治疗二线治疗的OS值可达到44.3个月，一线OS数据尚未达到。在甲状腺癌适应症的中国人数据中，普拉替尼在CR、ORR、DCR数据均远高于塞普替尼。安全性中，普拉替尼的无黑框警告副反应发生，与其他肺癌TKI安全谱基本一致。而塞普替尼会出现额外的安全性反应如，严重的QT间歇延长，超敏反应，乳糜状胸水等。 |              |         |
| 企业承诺书   | <a href="#">↓ 下载文件</a> 企业承诺书扫描件盖章版.pdf   |              |         |
| 药品最新版法定说明书  | <a href="#">↓ 下载文件</a> 普拉替尼胶囊最新法定说明书.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 | <a href="#">↓ 下载文件</a> 普拉替尼进口药品注册证等证明材料.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> 普拉替尼医保申报含价格费用信息幻灯.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> 普拉替尼医保申报不含价格费用信息幻灯.pptx   |              |         |

## 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。  
（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0.8m<sup>2</sup>。  
② 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) |
|--------|---------|----|------------|------|-----------|-------|-----------|
| 无      | -       | -  | -          | -    | -         | -     | -         |

参照药品选择理由： 普拉替尼是目前中国首个获批用于转染重排（RET）基因融合阳性的NSCLC、DTC /MTC的精准靶向药物，可弥补未满足的治疗需求并填补治疗领域空白。且临床研究为单臂试验，从各个方面来看均无适合的参照药

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                 | ARROW I/II期研究中，普拉替尼治疗全球初治和既往接受含铂化疗NSCLC ORR分别为79.7%和63.1%，中位PFS分别为13.2和16.4个月，中位OS分别为未达到和44.3个月。脑转移患者ORR为70%。中国初治和铂类经治NSCLC的ORR分别为83.3%和66.7%。 |
| 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） | <a href="#">↓ 下载文件</a> 全球和中国试验NSCLC数据结果证明文件及摘要翻译.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                 | 普拉替尼治疗全球初治和经治RET突变髓样癌（MTC）ORR分别为77.4%和55.7%，中位PFS分别为未达到和25.8个月。普拉替尼治疗中国MTC ORR为73.1%，中位PFS 15.7个月。普拉替尼治疗RET融合经治甲状腺癌ORR为90.9%，中位PFS为25.4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） | <a href="#">↓ 下载文件</a> 全球和中国试验MTC-TC数据结果证明文件及摘要翻译.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                 | ARROW I/II期研究中，普拉替尼治疗全球初治和既往接受含铂化疗NSCLC ORR分别为79.7%和63.1%，中位PFS分别为13.2和16.4个月，中位OS分别为未达到和44.3个月。脑转移患者ORR为70%。中国初治和铂类经治NSCLC的ORR分别为83.3%和66.7%。 |
| 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） | <a href="#">↓ 下载文件</a> 全球和中国试验NSCLC数据结果证明文件及摘要翻译.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                 | 普拉替尼治疗全球初治和经治RET突变髓样癌（MTC）ORR分别为77.4%和55.7%，中位PFS分别为未达到和25.8个月。普拉替尼治疗中国MTC ORR为73.1%，中位PFS 15.7个月。普拉替尼治疗RET融合经治甲状腺癌ORR为90.9%，中位PFS为25.4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） | <a href="#">↓ 下载文件</a> 全球和中国试验MTC-TC数据结果证明文件及摘要翻译.pdf  |

|                |   |
|----------------|---|
| 临床指南/诊疗规范推荐情况1 | 中国临床肿瘤学会（CSCO）非小细胞肺癌诊疗指南2024：普拉替尼治疗晚期RET融合阳性NSCLC 一线治疗I级推荐;2021年版CSCO分化型甲状腺癌（DTC）诊疗指南推荐普拉替尼用于复发转移性，有症状、疾病快速进展的RET融合阳性RAIR-DTC患者（II级专家推荐，2A类）;2022年CSCO甲状腺髓样癌诊疗指南推荐普拉替尼用于治疗RET突变阳性有症状或疾病快速进展的复发转移性MTC患者。 |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况2 |   |

|  |  |
|--|--|
| <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><a href="#">↓ 下载文件</a> CSCO指南推荐普拉替尼证明文件.pdf</p>   |
| <p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>                                | <p>NCCN 非小细胞肺癌指南2024 V5版，普拉替尼治疗晚期RET融合阳性NSCLC，一线治疗优先推荐(2A类证据)；后线治疗优先推荐（2A类证据）NCCN甲状腺癌指南2024年 V2版：推荐普拉替尼用于局部复发性或持续性、远处转移性RET突变阳性MTC患者。推荐普拉替尼用于局部复发、进展和/或转移性的碘难治性RET融合甲状腺癌患者。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> NCCN指南推荐普拉替尼证明性文件.pdf</p>  |
| <p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>                                | <p>ESMO指南2023，普拉替尼治疗RET融合阳性NSCLC患者B级推荐（III类证据）ESMO2022年指南描述：在美国，普拉替尼是治疗成人和≥12岁儿童需要系统治疗的晚期或转移性碘难治性RET融合阳性DTC和晚期或转移性RET突变MTC的一种选择，EMA尚未批准。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> ESMO指南推荐普拉替尼证明文件.pdf</p>   |
| <p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>                                | <p>中国临床肿瘤学会（CSCO）非小细胞肺癌诊疗指南2024：普拉替尼治疗晚期RET融合阳性NSCLC 一线治疗I级推荐;2021年版CSCO分化型甲状腺癌（DTC）诊疗指南推荐普拉替尼用于复发转移性，有症状、疾病快速进展的RET融合阳性RAIR-DTC患者（II级专家推荐，2A类）;2022年CSCO甲状腺髓样癌诊疗指南推荐普拉替尼用于治疗RET突变阳性有症状或疾病快速进展的复发转移性MTC患者。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> CSCO指南推荐普拉替尼证明文件.pdf</p>   |
| <p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>                                | <p>NCCN 非小细胞肺癌指南2024 V5版，普拉替尼治疗晚期RET融合阳性NSCLC，一线治疗优先推荐(2A类证据)；后线治疗优先推荐（2A类证据）NCCN甲状腺癌指南2024年 V2版：推荐普拉替尼用于局部复发性或持续性、远处转移性RET突变阳性MTC患者。推荐普拉替尼用于局部复发、进展和/或转移性的碘难治性RET融合甲状腺癌患者。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> NCCN指南推荐普拉替尼证明性文件.pdf</p>  |
| <p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>                                | <p>ESMO指南2023，普拉替尼治疗RET融合阳性NSCLC患者B级推荐（III类证据）ESMO2022年指南描述：在美国，普拉替尼是治疗成人和≥12岁儿童需要系统治疗的晚期或转移性碘难治性RET融合阳性DTC和晚期或转移性RET突变MTC的一种选择，EMA尚未批准。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> ESMO指南推荐普拉替尼证明文件.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

BLU667 1101研究提供了本次NDA申请的主要有效性证据。是一项在RET融合NSCLC、MTC中开展的剂量递增和剂量扩展多队列临床研究。入组患者为含铂化疗后RET融合的局部晚期或转移性NSCLC，接受400mg QD治疗。BLU6671101研究的境外队列1和中国桥接研究队列8的结果显示，在既往接受过含铂化疗后RET融合的晚期NSCLC患者可从普拉替尼400mgQD治疗中获益，均有较高的客观缓解率和较为持久的缓解持续时间，对颅内病灶具有较好的疾病控制，中国患者和境外患者有效性一致，达到了附条件批准的要求。本品现有有效性数据支持RET融合阳性复发难治的晚期NSCLC适应症申请。临床审评期间申请人递交了普拉替尼真实世界研究阶段性报告。真实世界研究于2020年9月在海南博鳌启动。入组9例受试者，纳入了较关键注册研究基线更复杂、合并症更多、体力状态更差的患者。观察到普拉替尼的安全性

特征与BLU667 1101试验一致。疗效方面，本品起效较为迅速，6例可评估患者已有3例发生客观缓解。博鳌真实世界研究的阶段性研究数据进一步支持本品用于RET阳性复发难治晚期NSCLC的使用。详见《报告》原文

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 普拉替尼国家药监局药品审评中心《技术审评报告》原文.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

BLU667 1101研究提供了本次NDA申请的主要有效性证据。是一项在RET融合NSCLC、MTC中开展的剂量递增和剂量扩展多队列临床研究。入组患者为含铂化疗后RET融合的局部晚期或转移性NSCLC，接受400mg QD治疗。BLU6671101研究的境外队列1和中国桥接研究队列8的结果显示，在既往接受过含铂化疗后RET融合的晚期NSCLC患者可从普拉替尼400mgQD治疗中获益，均有较高的客观缓解率和较为持久的缓解持续时间，对颅内病灶具有较好的疾病控制，中国患者和境外患者有效性一致，达到了附条件批准的要求。本品现有有效性数据支持RET融合阳性复发难治的晚期NSCLC适应症申请。临床审评期间申请人递交了普拉替尼真实世界研究阶段性报告。真实世界研究于2020年9月在海南博鳌启动。入组9例受试者，纳入了较关键注册研究基线更复杂、合并症更多、体力状态更差的患者。观察到普拉替尼的安全性特征与BLU667 1101试验一致。疗效方面，本品起效较为迅速，6例可评估患者已有3例发生客观缓解。博鳌真实世界研究的阶段性研究数据进一步支持本品用于RET阳性复发难治晚期NSCLC的使用。详见《报告》原文

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 普拉替尼国家药监局药品审评中心《技术审评报告》原文.pdf

### 三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息

ARROW研究中最常见的不良反应为，便秘、高血压、疲乏、骨骼肌肉疼痛和腹泻。最常见的3-4级实验室检查结果异常（发生率≥2%）为淋巴细胞降低、中性粒细胞降低、血红蛋白降低、磷酸盐降低、钙降低（校正）、血钠降低、AST升高、ALT升高、血小板减少和碱性磷酸酶升高。需要关注的不良事件：间质性肺炎/非感染性肺炎、高血压、肝脏毒性、出血事件、肿瘤溶解综合征、伤口愈合不良风险、胚胎-胎儿毒性等。用药禁忌：无 药物相互作用：尽量避免与强效CYP3A抑制剂和诱导剂联合用药。

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

拉替尼已在中国、美国、欧盟等多个国家/地区获批上市，未收到相关药监部门发布的安全性警告、黑框警告、撤市信息。基于所有现有安全性和有效性数据，普拉替尼用于已获批适应症的总体获益-风险特征仍有利。

相关报导文献

-

### 四、创新性信息

创新程度

普拉替尼是中国首个上市的高选择性RET TKI，与既往治疗相比，普拉替尼显示出对RET靶点的高度选择性。是国家1类新药，获得美国食品药品监督管理局快速审批资格/突破性疗法认定/孤儿药资格。国家药品监督管理局优先审评审批/突破性疗法认定。

创新性证明文件

[↓ 下载文件](#) 普拉替尼作用机制创新突破疗法孤儿药等优先审评创新程度证明材料.pdf

应用创新

普拉替尼是中国首个获批用于RET融合阳性非小细胞肺癌及甲状腺癌、RET基因突变甲状腺髓样癌的精准靶向药物，填补领域空白。普拉替尼疗效卓越，极大提升生存时间，目前医保目录内没有同类药物，其上市改变了晚期患者“盲吃”多靶点抑制剂的局面。不同于化疗与免疫治疗，普拉替尼给药便利（口服，每日一次），无需住院，患者依从性好。普拉替尼对于轻中度肝肾损害患者及≥65岁的老年人均不需要剂量调整。

应用创新证明文件

[↓ 下载文件](#) 应用创新证明材料-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

肺癌是中国目前发病率及死亡人数最高的癌种，其中RET基因变异发生较为罕见，此前针对RET融合阳性非小细胞肺癌、对RET突变甲状腺髓样癌及RET融合甲状腺无有效的精准靶向药物，存在未被满足的治疗需求。普拉替尼的上市为临床提供疗效确切的治疗方案，解决其无药可用的困境，填补治疗领域空白，且精准靶向治疗方案也有助于提高医保基金使用效率。

|             |  |
|-------------|--|
| 符合“保基本”原则描述 | 1.RET融合阳性非小细胞肺癌患者（每年约10000个新发患者），需要系统治疗的RET融合阳性（每年约800个新发患者）及需要系统治疗的MTC（每年约1400个新发患者）罕见，使用普拉替尼对医保基金影响小。2.为提升药品可及性与可支付性，已纳入全国130+城市商业保险；且国内价格目前远低于国际价格，具有明显成本效益优势，如能纳入医保目录可显著提高患者的用药公平性和可及性。    |
| 弥补目录短板描述    | 普拉替尼上市前，我国对于RET融合阳性局部晚期或转移性的不可切除或转移性非小细胞肺癌、对RET突变甲状腺髓样癌及RET融合甲状腺癌尚无有效治疗药物，临床存在未被满足的治疗需求。普拉替尼的上市后，尤其对上述RET阳性患者具有突出的临床疗效，具有较高的ORR和中位PFS等，总体获益风险为正向；本品为目标适应症患者提供一种有效的治疗选择，如能纳入医保将填补医保目录在该治疗领域的空白。 |
| 临床管理难度描述    | 普拉替尼使用前需基因检测，适应症范围及使用人群精准，是临床精准治疗用药，无滥用或超说明书使用风险；同类药品中副作用较低且可控，尤其是对于患有对RET突变甲状腺髓样癌及RET融合甲状腺的12岁及以上儿童、轻中度肝功能损害患者和老年患者也无需进行剂量调整；一天一次，口服给药，便于临床床药管理，目前已纳入海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区及130+城市商业保险临床急需药品范围。      |