

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：_____去铁酮片_____

企业名称：_____显荣行有限公司_____

申报信息

| | | | |
|------|---------------------|------|-------|
| 申报时间 | 2024-07-12 20:34:43 | 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) | 去铁酮片 | 医保药品分类与代码 | XV03ACQ127A001010178225 |
| 药品类别 | 西药 | 是否为独家 | 是 |
| ① 药品注册分类 | 等同化药5.1 | | |
| 核心专利类型1 | 3-羟基1,2-二甲基-4-(1H)-吡啶酮 | 核心专利权期限届满日1 | - |
| 核心专利类型1 | 3-羟基1,2-二甲基-4-(1H)-吡啶酮 | 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 | 0.5g | | |
| 上市许可持有人(授权企业) | Chiesi Farmaceutici S.p.A. | | |
| 说明书全部适应症/功能主治 | 用于治疗不耐受或不愿意接受现有螯合剂治疗的铁负荷过多的地中海贫血患者 | | |
| 说明书用法用量 | 去铁酮治疗剂量为25mg/kg 体重，口服，每日三次，每日剂量为75mg/kg 体重。可以半片为单位计算每公斤体重的剂量。请参见下面的剂量表。不建议剂量超过100mg/kg / 天，因为会潜在地增加不良反应的危险性。剂量表：体重(公斤) 剂量(mg/三次/天) 片数(三次/天 日剂量(mg)) 20 500 1.0 1500 30 750 1.5 2250 40 1000 2.0 3000 50 1250 2.5 3750 60 1500 3.0 4500 70 1750 3.5 5250 80 2000 4.0 6000 90 2250 4.5 6750 | | |
| 所治疗疾病基本情况 | α-地中海贫血、β-地中海贫血的患病率分别为8.53%、2.54%，β-地中海贫血全国发病率约2.21%。地贫患者一般是输血替代治疗和使用去铁剂，或是进行移植及较新的基因治疗。患者长期反复输血可致继发性铁过载，沉着于心肌、肝、胰腺和脑垂体等，引起器官功能受损并出现合并凝血功能障碍、糖代谢异常、生长发育迟缓、骨质疏松等；其中最严重的是心力衰竭，是导致地贫患者死亡的主要原因之一。 | | |
| 中国大陆首次上市时间 | 2003-09 | 注册证号/批准文号 | 国药准字HJ20140379 |
| 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 | 1999-08 |
| 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. 去铁胺(得斯芬) 2. 地拉罗司(恩瑞格) | | |
| 企业承诺书 | ↓ 下载文件 | Corporate_Declaration_Letter_signed_20240708_2_pages.pdf | |
| 药品最新版法定说明书 | ↓ 下载文件 | Ferriprox_500mg_PI_ARTW_PostRenewal_July2024.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 Ferriprox_500mg_Tab_IDL_China_since_2003_merged.pdf

申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）

↓ 下载文件 去铁酮片_PPT1.pptx

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 去铁酮片_PPT2.pptx

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) | 用法用量 | 费用类型 | 疗程/周期 | 金额(元) |
|-----------|---------|-------|-------|-------------|------|-------|-------|
| 地拉罗司(恩瑞格) | 是 | 125mg | 19.8 | 30mg/kg/day | 年度费用 | 365日 | 36135 |

参照药品选择理由：地拉罗司是国内最新上市的铁螯合剂，也是地中海贫血主要人群中使用时最广泛、市场占有率最高的铁螯合剂。

其他情况请说明：-

二、有效性信息

| | |
|-------------------------------|---|
| 试验类型1 | 非RCT队列研究 |
| 试验对照药品 | 不适用 |
| 试验阶段 | 上市前 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 在这个每周监测血细胞计数、粒细胞缺乏症发生率的多中心试验为每 100 名患者年 0.58 例，1 次治疗后粒细胞缺乏症的频率年为0.5%。这些发现支持这种去铁酮制剂的安全性，使用本试验中采用的仔细监测系统。 |
| 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 Cohen_1999_merged_1.pdf |
| 试验类型2 | 非RCT队列研究 |
| 试验对照药品 | 不适用 |
| 试验阶段 | 上市前 |

| | |
|--------------------------------|---|
| 对主要临床结局指标改善情况 | 本研究特点-确定了去铁酮的安全性，并且，根据特定的监测条件，证明了粒细胞缺乏症并不像以前预测的那样常见。 |
| 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文件） | ↓ 下载文件 Cohen_2000_merged_1.pdf |
| 试验类型3 | 单个样本量足够的RCT |
| 试验对照药品 | 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市前 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 这些发现表明去铁酮在治疗重型地中海贫血方面可能与去铁胺一样有效，但很少出现轻度和可逆性 副作用。 |
| 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文件） | ↓ 下载文件 Maggio_2002_merged.pdf |
| 试验类型4 | 单个样本量足够的RCT |
| 试验对照药品 | 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 去铁酮单一疗法明显更有效比去铁胺一年多的改善无症状心肌铁质沉着症重型β地中海贫血。 |
| 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文件） | ↓ 下载文件 Pennell_2006_merged.pdf |
| 试验类型5 | 非RCT队列研究 |
| 试验对照药品 | 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 52宗心脏事件，其中10宗心脏事件在DFO治疗期间发生的死亡。相反，在去铁酮治疗期间或至少 结束后18个月没有发生任何心脏事件。在设置中自然历史研究，去铁酮治疗与显着相关比去铁胺更强的心脏保护作用重型地中海贫血患者。 |
| 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文件） | ↓ 下载文件 Borgna_Pignatti_2006_merged_highlight.pdf |
| 试验类型6 | 非RCT队列研究 |
| 试验对照药品 | 地拉罗司; 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 去铁酮组的总体心脏 T2* 值 (34±11ms) 显著高于对照组地拉罗司 (21±12 ms) 和去铁胺组 (27±11 ms) (P=0.0001)。我们发现更高去铁酮和去铁胺对比左心室射血分数地拉罗司组 (P=0.010)。口服去铁酮治疗的患者队列显示心肌铁负荷较低，并且与口服地拉罗司治疗的患者相比，整体心室收缩功能更好或皮下注射去铁胺。 |
| 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文件） | ↓ 下载文件 Pepe_2011_merged.pdf |
| 试验类型7 | 非RCT队列研究 |

| | |
|-------------------------------|--|
| 试验对照药品 | 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 我们的研究结果表明，长期服用去铁酮可显著增强左心室收缩功能。与去铁胺治疗相比，随时间推移的功能。然而，由于相关限制根据本研究的设计，这些发现应在前瞻性、随机临床试验中得到证实。 |
| 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 Filosa_2013_merged.pdf |
| 试验类型8 | 单臂临床实验 |
| 试验对照药品 | 不适用 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 总体而言：75%–95% 的剂量通过尿液回收，或者以 DFP 形式回收或 DFP-G，无论肾功能损害的严重程度如何。在安全性方面，DFP 的耐受性良好。结论：这些数据表明，肾功能不全患者无需调整 DFP 剂量方案，因为没有发现药物的全身暴露量发生显著变化。 |
| 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 Fradette_2016_merged.pdf |
| 试验类型9 | 非RCT队列研究 |
| 试验对照药品 | 地拉罗司; 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 全球心脏的改善与去铁酮组相比，地拉罗司组的 T2* 显著降低。去铁酮组的 LVEF 改善明显更高和去铁胺组比地拉罗司组和与去铁酮相比，RVEF 的改善明显更高在地拉罗司组中。地拉罗司单一疗法的疗效低于去铁酮改善心肌铁质沉着和双心室功能效果较差改善 LVEF 的效果优于去铁胺。 |
| 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 Pepe_2018_merged.pdf |
| 试验类型10 | 单个样本量足够的RCT |
| 试验对照药品 | 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 在这项前瞻性随机对照试验的回顾性分析中，去铁酮单一疗法优于去铁胺可改善 RVEF 和收缩末期容积。RV 体积和功能可能有助于改善去铁酮所见的的结果。 |
| 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 Smith_2011_merged.pdf |
| 试验类型1 | 非RCT队列研究 |
| 试验对照药品 | 不适用 |
| 试验阶段 | 上市前 |

| | |
|--------------------------------|---|
| 对主要临床结局指标改善情况 | 在这个每周监测血细胞计数、粒细胞缺乏症发生率的多中心试验为每 100 名患者年 0.58 例，1 次治疗后粒细胞缺乏症的频率年为0.5%。这些发现支持这种去铁酮制剂的安全性，使用本试验中采用的仔细监测系统。 |
| 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文件） | ↓ 下载文件 Cohen_1999_merged_1.pdf |
| 试验类型2 | 非RCT队列研究 |
| 试验对照药品 | 不适用 |
| 试验阶段 | 上市前 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 本研究特点-确定了去铁酮的安全性，并且，根据特定的监测条件，证明了粒细胞缺乏症并不像以前预测的那样常见。 |
| 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文件） | ↓ 下载文件 Cohen_2000_merged_1.pdf |
| 试验类型3 | 单个样本量足够的RCT |
| 试验对照药品 | 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市前 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 这些发现表明去铁酮在治疗重型地中海贫血方面可能与去铁胺一样有效，但很少出现轻度和可逆性 副作用。 |
| 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文件） | ↓ 下载文件 Maggio_2002_merged.pdf |
| 试验类型4 | 单个样本量足够的RCT |
| 试验对照药品 | 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 去铁酮单一疗法明显更有效比去铁胺一年多的改善无症状心肌铁质沉着症重型β地中海贫血。 |
| 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文件） | ↓ 下载文件 Pennell_2006_merged.pdf |
| 试验类型5 | 非RCT队列研究 |
| 试验对照药品 | 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 52宗心脏事件，其中10宗心脏事件在DFO治疗期间发生的死亡。相反，在去铁酮治疗期间或至少 结束后18个月没有发生任何心脏事件。 在设置中自然历史研究，去铁酮治疗与显着相关比去铁胺更强的心脏保护作用重型地中海贫血患者。 |
| 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文件） | ↓ 下载文件 Borgna_Pignatti_2006_merged_highlight.pdf |
| 试验类型6 | 非RCT队列研究 |

| | |
|----------------------------------|---|
| 试验对照药品 | 地拉罗司; 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 去铁酮组的总体心脏 T2* 值 (34±11ms) 显著高于对照组地拉罗司 (21±12 ms) 和去铁胺组 (27±11 ms) (P=0.0001)。我们发现更高去铁酮和去铁胺对比左心室射血分数地拉罗司组 (P=0.010)。口服去铁酮治疗的患者队列显示心肌铁负荷较低, 并且与口服地拉罗司治疗的患者相比, 整体心室收缩功能更好或皮下注射去铁胺。 |
| 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 Pepe_2011_merged.pdf |
| 试验类型7 | 非RCT队列研究 |
| 试验对照药品 | 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 我们的研究表明, 长期服用去铁酮可显著增强左心室收缩功能。与去铁胺治疗相比, 随时间推移的功能。然而, 由于相关限制根据本研究的设计, 这些发现应在前瞻性、随机临床试验中得到证实。 |
| 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 Filosa_2013_merged.pdf |
| 试验类型8 | 单臂临床实验 |
| 试验对照药品 | 不适用 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 总体而言: 75%-95% 的剂量通过尿液回收, 或者以 DFP 形式回收或 DFP-G, 无论肾功能损害的严重程度如何。在安全性方面, DFP 的耐受性良好。结论: 这些数据表明, 肾功能不全患者无需调整 DFP 剂量方案, 因为没有发现药物的全身暴露量发生显著变化。 |
| 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 Fradette_2016_merged.pdf |
| 试验类型9 | 非RCT队列研究 |
| 试验对照药品 | 地拉罗司; 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |
| 对主要临床结局指标改善情况 | 全球心脏的改善与去铁酮组相比, 地拉罗司组的 T2* 显著降低。去铁酮组的 LVEF 改善明显更高和去铁胺组比地拉罗司组和与去铁酮相比, RVEF 的改善明显更高在地拉罗司组中。地拉罗司单一疗法的疗效低于去铁酮改善心肌铁质沉着和双心室功能效果较差改善 LVEF 的效果优于去铁胺。 |
| 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 Pepe_2018_merged.pdf |
| 试验类型10 | 单个样本量足够的RCT |
| 试验对照药品 | 去铁胺 |
| 试验阶段 | 上市后 |

对主要临床结局指标改善情况

在这项前瞻性随机对照试验的回顾性分析中，去铁酮单一疗法优于去铁胺可改善 RVEF 和收缩末期容积。RV 体积和功能可能有助于改善去铁酮所见的心脏结果。

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](#) Smith_2011_merged.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

在引入螯合之前，接受定期输血的地贫患者死亡人数最常见的原因1960年代是心衰。去铁胺铁螯合时代，死亡率大大推迟，但心脏病死亡率铁超负荷仍然是死亡原因的主导因素，占案例的 70%心肌铁沉积也与右心室RV 功能障碍密切相关，反映了心脏恶化所见的左心室功能下降铁负荷和减少T2* 螯合剂具有更好的细胞内通透性，例如去铁酮，肝脏似乎具有优越的心脏铁清除率铁含量高

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](#) Pennell_2013_AHA_Guidelines_merged.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

患有室性心律失常或临床心力衰竭的患者必须住院治疗，没有任何禁忌症时，开始连续静脉注射去铁胺 50-60 mg/kg/天，同时口服去铁酮 100 mg/kg/天，分三次尽快引入 严重心脏代偿失调或无反应性 VT 需要使用直流电复律来尽快恢复窦性心律。应尽快开始静脉连续螯合DFO 50 – 60 mg/kg/天，并尽早添加DFP 100 mg/kg/天分次口服治疗

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](#) UKTS_2016_thalassaemia_guidelines_full_merged_with_highlight.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

• 去铁胺和去铁酮的联合治疗是最好的治疗方法强化螯合治疗患有心脏铁超负荷的重型地中海贫血患者，或无明显的心脏功能障碍或心力衰竭 (B) • 通过非常强烈的组合螯合使全身铁负荷正常化(去铁胺加去铁酮)可逆转重型地贫的心脏和内分泌并发症（证据B）

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](#) TIF_2021_Guidelines_TDT_p1to210_merged_with_highlight.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

去铁酮DFP是口服铁螯合剂，代谢半衰期为3~4 h，主要经尿液排出。研究表明去铁酮DFP对心脏铁过载有较强的治疗作用 [I/A]

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](#) 2022中国输血依赖型β地中海贫血指南_high_definition_highlighted.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

DFO+DFP 联合补救治疗: 如DFO、DFP或DFX单药治疗没有改善趋势,则应考虑DFP+DFO联合治疗。对于轻中度 心肌铁超载患者,DFO+DFP联合治疗对于改善mT的疗效,并没有比DFP单药治疗的疗效更好。联合治疗的优势在于可以迅速降低mT,可以更快速地改善心脏铁超载,提高LVEF。

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](#) 2023地贫技术操作指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

在引入螯合之前，接受定期输血的地贫患者死亡人数最常见的原因1960年代是心衰。去铁胺铁螯合时代，死亡率大大推迟，但心脏病死亡率铁超负荷仍然是死亡原因的主导因素，占案例的 70%心肌铁沉积也与右心室RV 功能障碍密切相关，反映了心脏恶化所见的左心室功能下降铁负荷和减少T2* 螯合剂具有更好的细胞内通透性，例如去铁酮，肝脏似乎具有优越的心脏铁清除率铁含量高



| | |
|---|---|
| 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 Pennell_2013_AHA_Guidelines_merged.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况2 | 患有室性心律失常或临床心力衰竭的患者必须住院治疗，没有任何禁忌症时，开始连续静脉注射去铁胺 50-60 mg/kg/天，同时口服去铁酮 100 mg/kg/天，分三次尽快引入 严重心脏代偿失调或无反应性 VT 需要使用直流电复律来尽快恢复窦性心律。应尽快开始静脉连续螯合DFO 50 – 60 mg/kg/天，并尽早添加DFP 100 mg/kg/天分次口服治疗 |
| 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 UKTS_2016_thalassaemia_guidelines_full_merged_with_highlight.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况3 | • 去铁胺和去铁酮的联合治疗是最好的治疗方法强化螯合治疗患有心脏铁超负荷的重型地中海贫血患者，或无明显的心脏功能障碍或心力衰竭 (B) • 通过非常强烈的组合螯合使全身铁负荷正常化(去铁胺加去铁酮)可逆转重型地贫的心脏和内分泌并发症（证据B） |
| 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 TIF_2021_Guidelines_TDT_p1to210_merged_with_highlight.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况4 | 去铁酮DFP是口服铁螯合剂，代谢半衰期为3~4 h，主要经尿液排出。研究表明去铁酮DFP对心脏铁过载有较强的治疗作用 [I /A] |
| 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 2022中国输血依赖型β地中海贫血指南_high_definition_highlighted.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况5 | DFO+DFP 联合补救治疗: 如DFO、DFP或DFX单药治疗没有改善趋势,则应考虑DFP+DFO联合治疗。对于轻中度 心肌铁超载患者,DFO+DFP联合治疗对于改善mT的疗效,并没有比DFP单药治疗的疗效更好。联合治疗的优势在于可以迅速降低mT,可以更快速地改善心脏铁超载,提高LVEF。 |
| 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 2023地贫技术操作指南.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 | 不适用 |
| 《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 | 不适用 |
| 《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 | 常见反应是淡红色 / 棕色尿 (表示尿排铁量增,没坏影响) 一般不良反应: 恶心, 呕吐, 腹痛和食欲增强, 关节症状 谷丙转氨酶 (ALT) 增高 嗜中性白细胞减少症(嗜中性粒细胞 $<1.5 \times 10^9/1$),出现的患者百分比为6.5% 粒细胞缺乏症(嗜中性粒细胞 $<0.5 \times 10^9/1$),出现的患者百分比为1.2% |
|---------------|---|

| | |
|----------------------|--|
| 药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果 | 药品上市20年来，未有国家和地区的监管部门、数据安全性监察委员会、伦理委员会和上市许可证持有者（MAH）未因下述安全性原因而采取任何措施。去铁酮重要已知的风险包括粒细胞缺乏症、中性粒细胞减少症、妊娠期用药、关节病（包括关节痛）、肝功能检查值升高、皮肤病和过敏反应。去铁酮治疗的获益和风险特征已得到充分了解。特殊人群使用奥贝安可未出现新的安全性问题。20年内未收到国内外药监部门发布的安全性警告，黑框警告、撤市信息等。 |
| 相关报导文献 | ↓ 下载文件 PSUR_29_Consolidated.pdf |

四、创新性信息

| | |
|-------------|--|
| 创新程度 | 1. 低分子量及高膜渗透能力，穿梭效应的协同 2. 去铁酮可快速清除体内的铁非转铁蛋白结合铁 3. 改善心脏线粒体功能，去铁酮对地中海贫血患者心脏还有内分泌功能的卓越作用的关键 |
| 创新性证明文件 | ↓ 下载文件 Hider_and_3_other_articles_translated_merged.pdf |
| 应用创新 | 1. 满足心铁高患者的治疗需求，高效，减少感染，降低住院成本 2. 满足患者等同时服用多种药物的治疗需求，提高患者依从性，服用更加便捷 3. 满足肾功能不全患者的治疗需求，更加安全 |
| 应用创新证明文件 | ↓ 下载文件 Hider_all_three_articles_translated_re_merged.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 | 中国约1.5-2万重型地中海贫血患者由于长期输血导致铁过载需要去铁治疗。作为同适应症下国内患者可及的三种铁螯合剂之一，国内首个注册口服螯合剂，纳入医保报销范围，将更加有利于丰富临床选择，保障供应，减轻患者疾病负担，进而改善公众健康，助力健康中国实现。 |
| 符合“保基本”原则描述 | 1. 我国成人重型β-地贫患者因未规范治疗而早亡，去铁酮有助于提高生活质量，帮助更多地贫患者回归社会，提升劳动力供给 2. 30% 重型地中海贫血患者需要联合螯合疗法为基因治疗或移植做准备 3. 去铁酮的国家医保前价格已经比其他两种螯合剂便宜，国内外CEA研究结果表明，心脏除铁，较去铁胺及地拉罗司疗效更好，缓解作为地中海贫血主要死亡原因的心力衰竭减轻患者疾病负担。 |
| 弥补目录短板描述 | 与去铁胺、地拉罗司相比：1. 去铁酮片可以提供更好的心脏保护，减少心衰后遗症 2. 去铁酮片可以进行联合治疗以产生强化螯合-穿梭效应 3. 去铁酮片对于肾功能不全患者更安全，患者不需要减量 4. 去铁酮片与注射剂型相比，去铁酮片可以提高依从性 5. 去铁酮片不受饮食影响，无临床意义的药物间相互作用；更便捷灵活的患者管理方式 |
| 临床管理难度描述 | 1. 去铁酮片的适应症诊断表述清晰，限制要求明确，医保经办审核方便；基金影响小且可控 2. 其临床使用有明确使用条件、使用次数、监测等要求，滥用风险极小；整体而言临床管理难度小。 |