

# 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： 注射用人干扰素 $\gamma$

企业名称： 上海凯茂生物医药有限公司

## 申报信息

申报时间	2024-07-12 17:05:05	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)	注射用人干扰素 $\gamma$	医保药品分类与代码	XL03ABR124B001010100713(100万IU 5瓶/盒)、 XL03ABR124B001020100713(200万IU 5瓶/盒)
药品类别	西药	是否为独家	是
④ 药品注册分类	治疗用生物制品3.2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	100万IU, 200万IU		
上市许可持有人(授权企业)	上海凯茂生物医药有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	①类风湿性关节炎;②肝纤维化;③降低慢性肉芽肿病相关严重感染的发生频率和严重程度。		
说明书用法用量	本品应在临床医师指导下使用。每瓶制品用灭菌注射用水1ml溶解,皮下或肌肉注射。①类风湿性关节炎:开始时每天肌肉注射50万国际单位(IU),连续3~4天后,如无不良反应,将剂量增至每天100万IU,第二个月开始改为隔天150~200万IU肌肉注射,总疗程3个月。②肝纤维化:前3个月,每天注射100万国际单位(IU);后6个月,隔天注射100万IU;总疗程9个月。③慢性肉芽肿病(CGD):推荐剂量为2.25万IU/kg/次,每周2~3次,皮下或肌肉注射。确诊后建议长期规律用药;治疗过程中可根据患者的临床状况调整给药频次和剂量(按医嘱);如果发生不良反应,应予酌情减量或中断治疗。		
所治疗疾病基本情况	主要用于儿科慢性肉芽肿病(CGD)治疗。CGD是一种原发性免疫缺陷(列入第二批罕见病目录),欧美发病率约1/250,000(我国尚无流行病学数据)。根据当前可及文献[1-64](1985年~2024年),全国累计病例约571例。CGD由先天性吞噬细胞功能障碍引起,平均诊断年龄2.5岁,主要症状为反复严重感染和炎症反应失调,临床表现为反复发热和局部化脓性炎症,包括肺部感染、淋巴结炎、多部位脓肿等。		
中国大陆首次上市时间	1995-04	注册证号/批准文号	国药准字S10980084(100万IU); 国药准字S20020040(200万IU)
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	1999-02
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	人干扰素 $\gamma$ 是全球唯一获批用于治疗CGD适应症的药品,目前尚无相同药理作用的产品获批,本品(简称IFN $\gamma$ )在国内独家获批上市。CGD患儿因自身原发性免疫缺陷,不可避免地频繁受累于反复发作的严重感染,重者致命。临床仅采用		

常规抗感染治疗通常疗效欠佳，无法有效控制病情，给患儿身心造成重大痛苦。在本品获批CGD适应症之前，国内儿科医生已自2001年起在临床实践中以“超说明书使用”在常规治疗中添加IFN $\gamma$ 联合治疗，患儿用药后病情可迅速缓解，及时减轻疾病痛苦，并有效提高患儿生存质量，降低死亡率。CGD目前唯一治愈疗法是造血干细胞移植（HSCT），不同医疗机构报道的移植率约为11.1%~66.7% [1,13,38,39,61]。对于拟行HSCT的患儿，IFN $\gamma$ 除治疗用药外，还用于移植前病情管理阶段的感染控制。根据临床实践，患儿在确定移植后，至移植术前的时间约在6个月以内，在此期间，通常可采用常规治疗+IFN $\gamma$ 以预防和/或控制感染。

企业承诺书

↓ 下载文件 企业承诺书.pdf

药品修改前法定说明书

↓ 下载文件 新增适应症前和后的药品说明书.pdf

药品修改后法定说明书

↓ 下载文件 新增适应症前和后的药品说明书.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 注射用人干扰素 $\gamma$ 药品批准证明文件.pdf

申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）

↓ 下载文件 注射用人干扰素含经济性PPT.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 注射用人干扰素不含经济性PPT.pdf

## 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0.8m<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) ①	用法用量	费用类型 ①	疗程/周期	金额(元)
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：干扰素 $\gamma$ 是全球唯一获批CGD适应症的药品，目录内无该治疗领域药品

其他情况请说明：无

## 二、有效性信息

试验类型1	真实世界数据
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	(1) IFN $\gamma$ 的持续使用可显著提高CGD患者生存率。(2) IFN $\gamma$ 对各类基因缺陷和遗传型的CGD患者都有疗效。(3) 使用IFN $\gamma$ 60天及以上的患者严重感染发生频率显著低于未用药或使用IFN $\gamma$ 时间短于60天的患者。(4) IFN $\gamma$ 的应用和HSCT术后存活有显著的正相关性。
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)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 注射用人干扰素 $\gamma$ 临床研究报告.pdf
试验类型1	真实世界数据
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	(1) IFN $\gamma$ 的持续使用可显著提高CGD患者生存率。(2) IFN $\gamma$ 对各类基因缺陷和遗传型的CGD患者都有疗效。(3) 使用IFN $\gamma$ 60天及以上的患者严重感染发生频率显著低于未用药或使用IFN $\gamma$ 时间短于60天的患者。(4) IFN $\gamma$ 的应用和HSCT术后存活有显著的正相关性。
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)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 注射用人干扰素 $\gamma$ 临床研究报告.pdf

如适应症或功能主治发生重大变化, 是否有临床试验数据支持: 基于一项真实世界回顾性研究支持CGD适应症获批上市。

临床指南/诊疗规范推荐情况1	美国过敏、哮喘和免疫学会(AAAI)《原发性免疫缺陷诊断和管理规范》;
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文件)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 指南1节译及原文.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	美国国家过敏和传染病研究所(NIAID) CGD宣教指南
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文件)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 指南2节译及原文.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	儿童临床使用免疫调节剂(上海)专家共识
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文件)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	美国过敏、哮喘和免疫学会(AAAI)《原发性免疫缺陷诊断和管理规范》;
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文件)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 指南1节译及原文.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	美国国家过敏和传染病研究所(NIAID) CGD宣教指南
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文件)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 指南2节译及原文.pdf
资料须同时提供原文及中文翻译	

件)	
临床指南/诊疗规范推荐情况 <sup>3</sup>	儿童临床使用免疫调节剂(上海)专家共识
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> 专家共识.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	本品既往已获准上市用于类风湿性关节炎和肝纤维化。上市后复旦大学附属儿科医院等根据国内外临床实践,通过超适应症用药的方式将本品用于CGD患者。回顾性分析纳入111例,未使用和短时间使用组严重感染事件发生频率为2.97(±2.46)次/年,长时间使用组严重感染事件发生频率为1.8(±1.58)次/年,采用成组t检验进行组间比较,发现未使用和短时间使用组严重感染事件发生频率显著高于长时间使用组。从现有结果来看,本品的使用一定程度上降低了严重感染的事件数。
《技术审评报告》原文(可节选)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 注射用人干扰素γ申请上市技术审批报告.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	本品既往已获准上市用于类风湿性关节炎和肝纤维化。上市后复旦大学附属儿科医院等根据国内外临床实践,通过超适应症用药的方式将本品用于CGD患者。回顾性分析纳入111例,未使用和短时间使用组严重感染事件发生频率为2.97(±2.46)次/年,长时间使用组严重感染事件发生频率为1.8(±1.58)次/年,采用成组t检验进行组间比较,发现未使用和短时间使用组严重感染事件发生频率显著高于长时间使用组。从现有结果来看,本品的使用一定程度上降低了严重感染的事件数。
《技术审评报告》原文(可节选)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 注射用人干扰素γ申请上市技术审批报告.pdf

### 三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	(1) 最常见不良反应是发热,常在开始用药阶段发生,在注射后3~4小时后出现,多数为低热(38°C以下),仅少数在38°C以上,持续数小时自行消退。一般用药2~4天后即不再有发热反应。其它不良反应有疲劳、不适、头疼、肌痛、关节痛、食欲不振、恶心等。(2) 禁忌:①已知对干扰素、大肠杆菌来源的制品过敏者;②有心绞痛、心肌梗塞史以及其他严重心血管病史者;③有其他严重疾病而不能耐受本药可能出现的不良反应者;④癫痫和其他中枢神经系统功能紊乱者。(3) 注意事项:凡有明显过敏体质,特别是对抗菌素有过敏史者,本品应慎用,在使用过程中如发生过敏反应,应立即停药,并给予相应治疗。(4) 药物相互作用:应注意不要与抑制骨髓造血功能的药物同时使用。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	各国家/地区药监部门均未发布安全性警告、黑框警告、撤市信息。本品在CGD患者中报告的主要不良反应为发热,严重程度通常为CTCAE 1级或2级。根据历年上市后ADR监测,本品在临床应用中的长期安全性普遍良好。
相关报导文献	<a href="#">↓ 下载文件</a> 注射用人干扰素γ临床研究报告.pdf

### 四、创新性信息

创新程度	干扰素γ是全球唯一获批用于CGD适应症的药物,本品在国内独家上市。本品新增慢性肉芽肿病(CGD)适应症的注册申请纳入CDE优先审评审批。CGD由先天性吞噬细胞功能障碍引起,患者由于吞噬细胞呼吸爆发缺陷,无法有效清除病原微生物,因此反复遭受严重感染和炎症侵袭。IFNγ通过提高一氧化氮水平,从而代替O <sub>2</sub> <sup>-</sup> 的防御及杀菌功能;IFNγ还可显著增加中性粒细胞刺激指数,从而改善其氧化爆发活性。
创新性证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 创新性证明.pdf
应用创新	CGD患者因原发性免疫缺陷,导致病原体清除能力受损,仅用常规抗感染治疗无法对疾病进行良好的系统性管理,而合并使用IFNγ可以明显降低CGD患者的感染发生频率和严重程度,有效提高患者生存质量,改善生存结局。
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 创新性证明.pdf
传承性(仅中成药填写)	-

### 五（一）、公平性信息

<p>所治疗疾病对公共健康的影响描述</p>	<p>CGD为罕见病，文献报道的全国累计病例约571例（1985年~2024年），约75%的CGD患儿在6月龄内起病，表现为反复发作的严重感染，可能致命（死亡率20.8%~32.9%）。对于CGD患者尤其是儿童的医保投入，可有效改善患儿生存质量、使其能够长期存活，促进患儿健康长大、正常融入社会，同时，也可减轻照护者的身心负担、降低照护者的生产力损失，为患者及其家庭带来希望，具有良好的社会效应。</p>
<p>符合“保基本”原则描述</p>	<p>①CGD起病年龄越小疾病表现越重，致死风险也越大，早期规范用药可以有效管理疾病，符合医院和社会医疗安全的基本要求。②本品可降低CGD患者严重感染的发生频率和严重程度，在有效减轻患者疾病负担的同时，还可以降低门诊、住院、检查等医疗资源利用，节约基金的其他治疗支出。</p>
<p>弥补目录短板描述</p>	<p>填补国内CGD适应症的药物空白，为罕见病患儿的持续治疗提供基本保障。</p>
<p>临床管理难度描述</p>	<p>①本品适应症明确、安全性良好。②患者通常在严重感染发作时入院治疗，依从性好，医生可按照说明书进行给药，不易产生药物滥用风险。③CGD为罕见病，患者以婴幼儿居多,家属依从性高,临床管理难度低，有助于医保基金精准管理。</p>