

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：托莱西单抗注射液

企业名称：信达生物制药(苏州)有限公司

申报信息

| | | | |
|------|---------------------|------|-------|
| 申报时间 | 2024-07-12 16:14:24 | 药品目录 | 药品目录外 |
|------|---------------------|------|-------|

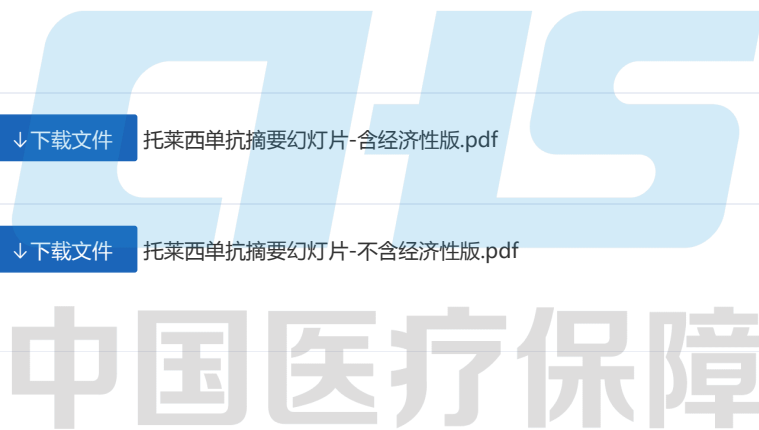
一、基本信息

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) | 托莱西单抗注射液 | 医保药品分类与代码 | XC10AXT212B002010181451 |
| 药品类别 | 西药 | 是否为独家 | 是 |
| ① 药品注册分类 | 治疗用生物制品1类 | | |
| 核心专利类型1 | 中国分子专利:抗PCSK9抗体及其用途 | 核心专利权期限届满日1 | 2037-12 |
| 核心专利类型2 | 中国制剂专利:包含抗PCSK9抗体的制剂及其用途 | 核心专利权期限届满日2 | 2038-05 |
| 核心专利类型3 | 美国分子专利:抗PCSK9抗体及其用途 | 核心专利权期限届满日3 | 2038-07 |
| 核心专利类型1 | 中国分子专利:抗PCSK9抗体及其用途 | 核心专利权期限届满日1 | 2037-12 |
| 核心专利类型2 | 中国制剂专利:包含抗PCSK9抗体的制剂及其用途 | 核心专利权期限届满日2 | 2038-05 |
| 核心专利类型3 | 美国分子专利:抗PCSK9抗体及其用途 | 核心专利权期限届满日3 | 2038-07 |
| 当前是否存在专利纠纷 | 否 | | |
| 说明书全部注册规格 | 150mg(1ml)/支(预充式自动注射笔) | | |
| 上市许可持有人(授权企业) | 信达生物制药(苏州)有限公司 | | |
| 说明书全部适应症/功能主治 | 在控制饮食的基础上,与他汀类药物、或者与他汀类药物及其他降脂疗法联合用药,用于在接受中等剂量或中等剂量以上他汀类药物治疗,仍无法达到低密度脂蛋白胆固醇(LDL-C)目标的原发性高胆固醇血症(包括杂合子型家族性和非家族性高胆固醇血症)和混合型血脂异常的成人患者,以降低低密度脂蛋白胆固醇(LDL-C)、总胆固醇(TC)、载脂蛋白B(ApoB)水平。 | | |
| 说明书用法用量 | 采用一次性预充式自动注射笔,在腹部进行皮下注射。本品的推荐剂量为150mg,每2周一次;450mg,每4周一次;或600mg,每6周一次。 | | |
| 所治疗疾病基本情况 | 高胆固醇血症和混合型血脂异常是由于常染色体或代谢功能导致的血脂异常疾病,其患病率约为8.2%。主要临床表现为血清低密度脂蛋白胆固醇(LDL-C)水平明显升高,导致冠心病、脑卒中、外周动脉血管疾病等心血管事件的发生。同时Lp(a)是心血管疾病的独立风险因子,降低Lp(a)可能带来心血管事件获益。调脂治疗的主要目的是降低与血脂升高相关的心血管疾病的发病率和死亡率。 | | |
| 中国大陆首次上市时间 | 2023-08 | 注册号/批准文号 | 国药准字S20230043 |

| | | | |
|---|---|--------------|---------|
| 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 | 2023-08 |
| 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 | 截至2024年6月30日，中国获批上市的目录内PCSK9抑制剂共2个：依洛尤单抗(获批时间2018年7月)和阿利西尤单抗(获批时间2019年12月)；两产品均于2021年谈判准入国家医保目录。相比目录内两个PCSK9抑制剂，托莱西单抗具有如下优势：1、国家1类新药：我国首款且唯一自主原研创新全人源PCSK9单抗，入选国家“重大新药创制”科技重大专项，拥有自主知识产权，打破目录内进口垄断，实现国产替代和稳定供应。2、适应症人群最小：托莱西单抗仅有原发性高胆固醇血症和混合型血脂异常适应症，阿利西尤单抗和依洛尤单抗还包含更大患者人群的心血管事件预防适应症。托莱西单抗适应症人群最小，对医保基金影响小。3、疗效更优：托莱西单抗LDL-C降幅达65%，与同类产品相当甚至更高；Lp(a)降幅达43.3%，优于同类产品。4、依从性更好：临床常用方案为2周一支，新增6周一支给药方案，增加患者用药选择，潜在改善患者依从性。5、装置优势：领先的压力触发预充式自动注射笔，隐藏薄壁针头，减轻70%的穿刺力，有效减轻痛感，减少注射部位出血率，提高患者依从性；可自行注射，单手操作，注射时无需捏紧皮肤。 | | |
| 企业承诺书 | ↓ 下载文件 企业承诺书-信达生物.pdf | | |
| 药品最新版法定说明书 | ↓ 下载文件 托莱西单抗注射液最新说明书.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 托莱西单抗药品注册证书.pdf | | |
| 申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息） | ↓ 下载文件 托莱西单抗摘要幻灯片-含经济性版.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 托莱西单抗摘要幻灯片-不含经济性版.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) |
|-----------|---------|---------|------------|-------------------------------|-----------|-------|--|
| 阿利西尤单抗注射液 | 是 | 75 mg/支 | 290.7 | 本品的常规起始剂量为75mg，皮下注射，每2周一次。若患者 | 日均费用 | - | 1、每2周1支（75mg/支）：20.76； 2、每2周2支（75mg |

需要更大幅度降低LDL-C, 可以150mg起始给药, 皮下注射, 每2周一次。

g/支): 4
1.53

参照药品选择理由: 1、目录内同治疗领域同作用机制药品。 2、适应症及人群最接近: 二者都有原发性高胆固醇血症和混合型血脂异常, 都不含纯合子型家族性高胆固醇血症适应症, 且托莱西单抗无阿利西尤单抗心血管事件预防适应症。

其他情况请说明: -

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 | 纳入618例中国Non-FH患者的III期研究显示,本品450mg Q4W和600mg Q6W治疗48周后,LDL-C较基线降幅均明显高于安慰剂组(组间差-65.0%和-57.3%),Lp(a)较安慰剂组下降-49.6%和-42.3%。本品还可显著提高患者血脂达标率:1、LDL-C较基线降低50%及以上比例为86.9%、69.7%;2、LDL-C<1.8 mmol/L 的比例为84.9%、72.2%。 |
| 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 III期临床试验-CREDIT-1.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 | 纳入149例中国HeFH患者的III期研究显示,12周时本品150mg Q2W和450mg Q4W降低LDL-C水平均显著高于安慰剂(组间差分别为-57.4%和-61.9%),降Lp(a)组间差为-43.3%和-34.1%。本品还可显著提高患者血脂达标率:1、LDL-C较基线降低50%及以上的比例为58.5%和73.4%;2、LDL-C<1.8 mmol/L的比例为47.9%和59.9%。 |
| 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 III期临床试验-CREDIT-2.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 | 纳入303例中国高胆固醇血症患者的III期研究表明,12周时本品450mg Q4W的LDL-C降幅较基线明显高于安慰剂组(组间差-63.0%);Lp(a)较基线降幅明显高于安慰剂组(组间差-33.9%),本品还可显著提高患者血脂达标率:1、LDL-C较基线降低50%及以上比例为88.6%;2、LDL-C<1.8 mmol/L比例为93.0%;3、LDL-C<1.4 mmol/L比例为85.8% |
| 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 III期临床试验-CREDIT-4.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 | 纳入618例中国Non-FH患者的III期研究显示,本品450mg Q4W和600mg Q6W治疗48周后,LDL-C较基线降幅均明显高于安慰剂组(组间差-65.0%和-57.3%),Lp(a)较安慰剂组下降-49.6%和-42.3%。本品还可显著提高患者血脂达标率:1、LDL-C较基线降低50%及以上比例为86.9%、69.7%;2、LDL-C<1.8 mmol/L 的比例为84.9%、72.2%。 |
| 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 III期临床试验-CREDIT-1.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 | 纳入149例中国HeFH患者的III期研究显示,12周时本品150mg Q2W和450mg Q4W降低LDL-C水平均显著高于安慰剂(组间差分别为-57.4%和-61.9%),降Lp(a)组间差为-43.3%和-34.1%。本品还可显著提高患者血脂达标率:1、LDL-C较基线降低50%及以上的比例为58.5%和73.4%;2、LDL-C<1.8 mmol/L的比例为47.9%和59.9%。 |
| 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 III期临床试验-CREDIT-2.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 | 纳入303例中国高胆固醇血症患者的III期研究表明,12周时本品450mg Q4W的LDL-C降幅较基线明显高于安慰剂组(组间差-63.0%);Lp(a)较基线降幅明显高于安慰剂组(组间差-33.9%),本品还可显著提高患者血脂达标率:1、LDL-C较基线降低50%及以上比例为88.6%;2、LDL-C<1.8 mmol/L比例为93.0%;3、LDL-C<1.4 mmol/L比例为85.8% |
| 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 III期临床试验-CREDIT-4.pdf |

| | |
|--|---|
| 临床指南/诊疗规范推荐情况1 | 《中国血脂管理指南(基层版2024年)》,推荐在生活方式干预的基础上,以中等强度他汀类药物作为起始药物治疗,必要时联用胆固醇吸收抑制剂或/和前蛋白转化酶枯草溶菌素9抑制剂的达标策略,并明确提及托莱西单抗。 |
| 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) | ↓ 下载文件 1-第1页第5页-中国血脂管理指南-基层版2024年.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况2 | 《中国血脂管理指南(2023年)》,1、中等强度他汀类药物联合胆固醇吸收抑制剂LDL-C仍不能达标者,联合PCSK9抑制剂(I级推荐,A类证据);2、基线LDL-C水平较高(服用他汀类药物者LDL-C≥2.6mmol/L,未服用他汀类药物者LDL-C≥4.9mmol/L)且预计他汀类药物联合胆固醇吸收抑制剂难以达标的超高危患者可直接启动他汀类药物联合PCSK9抑制剂治疗(IIa级推荐,A类证据) |
| 临床指南/诊疗规范中含申报适应 | ↓ 下载文件 2-第11页-中国血脂管理指南2023.pdf |

| | |
|---|---|
| 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） | |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况3 | 《超高危动脉粥样硬化性心血管疾病患者血脂管理中国专家共识（2020年）》，预计他汀类药物联合依折麦布治疗不达标（预计不能达到LDL-C < 1.4mmol/L（55mg/dl）且较基线降幅≥50%）的患者，建议他汀类药物联合PCSK9抑制剂治疗 |
| 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 3-第3页-超高危动脉粥样硬化性心血管疾病患者血脂管理中国专家共识2020.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况4 | 《中国胆固醇教育计划调脂治疗降低心血管事件专家建议（2019年）》，对于超高危患者，如果使用他汀类药物联合依折麦布治疗LDL-C仍≥1.4 mmol/L（55mg/dl），建议加用PCSK9抑制剂。如果预估他汀类药物加用依折麦布不能使患者LDL-C达标，也可直接启动他汀类药物与PCSK9抑制剂联合治疗。 |
| 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 4-第4页-中国胆固醇教育计划调脂治疗降低心血管事件专家建议2019.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况5 | 《中国成人血脂异常防治指南(2016年修订版)》，对家族性高胆固醇血症患者经生活方式加最大剂量调脂药物（如他汀+依折麦布）LDL-C水平仍>2.6 mmol/L（100mg/dl），加用PCSK9抑制剂。 |
| 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 5-第12页-中国成人血脂异常防治指南-2016年修订版.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况1 | 《中国血脂管理指南（基层版2024年）》，推荐在生活方式干预的基础上，以中等强度他汀类药物作为起始药物治疗，必要时联用胆固醇吸收抑制剂或/和前蛋白转化酶枯草溶菌素9抑制剂的达标策略，并明确提及托莱西单抗。 |
| 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 1-第1页第5页-中国血脂管理指南-基层版2024年.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况2 | 《中国血脂管理指南（2023年）》，1、中等强度他汀类药物联合胆固醇吸收抑制剂LDL-C仍不能达标者，联合PCSK9抑制剂（I级推荐，A类证据）；2、基线LDL-C水平较高（服用他汀类药物者LDL-C≥2.6mmol/L，未服用他汀类药物者LDL-C≥4.9mmol/L）且预计他汀类药物联合胆固醇吸收抑制剂难以达标的超高危患者可直接启动他汀类药物联合PCSK9抑制剂治疗（IIa级推荐，A类证据） |
| 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 2-第11页-中国血脂管理指南2023.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况3 | 《超高危动脉粥样硬化性心血管疾病患者血脂管理中国专家共识（2020年）》，预计他汀类药物联合依折麦布治疗不达标（预计不能达到LDL-C < 1.4mmol/L（55mg/dl）且较基线降幅≥50%）的患者，建议他汀类药物联合PCSK9抑制剂治疗 |
| 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 3-第3页-超高危动脉粥样硬化性心血管疾病患者血脂管理中国专家共识2020.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况4 | 《中国胆固醇教育计划调脂治疗降低心血管事件专家建议（2019年）》，对于超高危患者，如果使用他汀类药物联合依折麦布治疗LDL-C仍≥1.4 mmol/L（55mg/dl），建议加用PCSK9抑制剂。如果预估他汀类药物加用依折麦布不能使患者LDL-C达标，也可直接启动他汀类药物与PCSK9抑制剂联合治疗。 |

| | |
|---|--|
| 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 4-第4页-中国胆固醇教育计划调脂治疗降低心血管事件专家建议2019.pdf |
| 临床指南/诊疗规范推荐情况5 | 《中国成人血脂异常防治指南(2016年修订版)》，对家族性高胆固醇血症患者经生活方式加最大剂量调脂药物（如他汀+依折麦布）LDL-C水平仍>2.6 mmol/L（100mg/dl），加用PCSK9抑制剂。 |
| 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 5-第12页-中国成人血脂异常防治指南-2016年修订版.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 | 基于3项关键注册Ⅲ期临床研究，评价了托莱西单抗在非家族性高胆固醇血症（Non-FH）和杂合子型家族性高胆固醇血症（HeFH）人群的疗效。研究数据显示，托莱西单抗可明显降低LDL-C水平，可降低非HDL-C、ApoB、TC、ApoB/ApoA1和Lp(a)水平。1、在非-FH人群中，托莱西单抗450mg Q4W、600mg Q6W均显示出较好的疗效，可降低LDL-C约-57%~-65%之间（组间差点估计），且两种给药方案在首次给药后即可明显降低LDL-C，并且可维持长期疗效至48周。48周时托莱西单抗450mg Q4W组和安慰剂组平均降低LDL-C水平的组间差为-65.04%，高于已上市同类产品依洛尤单抗420mg Q4W组（-55%）。2、在HeFH人群观察到托莱西单抗150mg Q2W、450mg Q4W可在12周明显降低LDL-C水平，约-57%~62%之间（组间差点估计），450mg Q4W的疗效略优于150mg Q2W。连续给药24周后，仍可降低HeFH患者LDL-C水平，平均降幅在49.61%~56.00%。 |
| 《技术审评报告》原文（可节选） | ↓ 下载文件 CDE技术审评报告-托莱西单抗注射液CXSS2200059.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 | 基于3项关键注册Ⅲ期临床研究，评价了托莱西单抗在非家族性高胆固醇血症（Non-FH）和杂合子型家族性高胆固醇血症（HeFH）人群的疗效。研究数据显示，托莱西单抗可明显降低LDL-C水平，可降低非HDL-C、ApoB、TC、ApoB/ApoA1和Lp(a)水平。1、在非-FH人群中，托莱西单抗450mg Q4W、600mg Q6W均显示出较好的疗效，可降低LDL-C约-57%~-65%之间（组间差点估计），且两种给药方案在首次给药后即可明显降低LDL-C，并且可维持长期疗效至48周。48周时托莱西单抗450mg Q4W组和安慰剂组平均降低LDL-C水平的组间差为-65.04%，高于已上市同类产品依洛尤单抗420mg Q4W组（-55%）。2、在HeFH人群观察到托莱西单抗150mg Q2W、450mg Q4W可在12周明显降低LDL-C水平，约-57%~62%之间（组间差点估计），450mg Q4W的疗效略优于150mg Q2W。连续给药24周后，仍可降低HeFH患者LDL-C水平，平均降幅在49.61%~56.00%。 |
| 《技术审评报告》原文（可节选） | ↓ 下载文件 CDE技术审评报告-托莱西单抗注射液CXSS2200059.pdf |

三、安全性信息

| | |
|----------------------|--|
| 药品说明书载载的安全性信息 | 1、不良反应：总体上，托莱西单抗在原发性高胆固醇血症（包括杂合子型家族性高胆固醇血症和非家族性高胆固醇血症）人群中整体安全性良好。药物不良反应主要为上呼吸道感染、尿路感染、注射部位反应、关节痛。2、禁忌：已知对托莱西单抗活性成份或其中的任何辅料成份过敏。3、注意事项：在接受托莱西单抗治疗的患者中已报道了过敏反应（例如皮疹、荨麻疹）。如果发生严重过敏反应的体征或症状，须终止托莱西单抗的治疗，根据标准治疗方案进行治疗，并进行监测，直至症状和体征缓解。4、药物相互作用：尚未开展正式的药物相互作用研究。基于群体药代动力学分析，他汀类药物、依折麦布可能对本品药代动力学无显著影响。 |
| 药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果 | 1、托莱西单抗自2023年8月15日在中国获批至2024年6月30日，药监部门未发布安全性警告、黑框警告、撤市等信息。2、本品申请上市技术审评报告显示，在纳入1,091例受试者的3项Ⅲ期关键注册研究和1项Ⅱ期研究中，托莱西单抗组治疗期不良事件（TEAE）总体发生情况与安慰剂组基本一致，常见TEAE均为上呼吸道感染、尿路感染和高尿酸血症。托莱西单抗组大多数受试者TEAE均为轻度，少数为重度，且与相应的安慰剂组发生率相似，其中重度TEAE经研究者判断均与研究药物无关。3、本品获批上市后，基于收到的药品安全性信息，持有人未发现本品有新的安全性信号。 |
| 相关报导文献 | ↓ 下载文件 安全性.pdf |

四、创新性信息

| | |
|------|---|
| 创新程度 | 1、国家1类新药：我国首款且唯一自主原研创新全人源PCSK9单抗，拥有自主知识产权，入选国家“重大新药创制”科 |
|------|---|

| | |
|-------------|---|
| | <p>技重大专项 2、疗效创新：①托莱西单抗与PCSK9的结合能力及亲和特异性均强于目录内产品，显著降低LDL-C水平，且Lp(a)降幅优于目录内同类产品，更有效降低残余心血管事件风险，给患者带来额外获益，填补临床空白 ②100%人源序列抗体，特异性强，理化特性好，结构稳定，可室温存放30天</p> |
| 创新性证明文件 | <p>↓ 下载文件 创新程度.pdf</p> |
| 应用创新 | <p>1、减少给药次数：临床常用方案2周一支，新增6周一次给药方案，增加患者用药选择，潜在改善患者依从性。2、降低贮存条件：可室温存放30天。3、优化给药途径、简化操作：①压力触发预充式自动注射笔，隐藏薄壁针头，减轻70%的穿刺力，有效减轻痛感，减少注射部位出血率，提高患者依从性。②可自行注射，单手操作，注射时无需捏紧皮肤。4、特殊人群用药：轻度或中度肝肾功能不全患者无需调整剂量；老年患者无需调整剂量。</p> |
| 应用创新证明文件 | <p>↓ 下载文件 应用创新.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、心脑血管疾病是我国重大公卫问题，患病率及死亡率持续升高，已成为居民疾病死亡首要原因，其中血脂异常是主要危险因素之一。2、托莱西单抗临床研究基于大量中国患者数据（>1200例），能有效提高患者血脂达标率，降低心血管事件发生率及死亡率、减轻疾病和社会负担，助力健康中国2030目标早日达成。</p> |
| 符合“保基本”原则描述 | <p>1、心脑血管疾病患者数量庞大且致死率高，各国指南共识均提出降低LDL-C预防心血管事件再发。国内现有疗法LDL-C达标率低，仍有极大未满足临床需求 2、作为我国首款且唯一自主原研PCSK9抑制剂，打破目录内进口垄断，实现国产替代和稳定供应 3、本品强效长效、平稳降脂，减少心血管事件带来的医疗支出 4、属于竞争性品种，与目录内产品形成竞争格局，基金影响可控，且企业有诚意谈判进入医保目录，惠及更多患者</p> |
| 弥补目录短板描述 | <p>目录内尚无双效降脂药物，托莱西单抗能显著降低LDL-C水平，且Lp(a)降幅优于目录内同类产品，从而更有效地降低残余心血管事件风险，给患者带来额外获益，填补临床空白，弥补目录短板。</p> |
| 临床管理难度描述 | <p>“他汀治疗后LDL-C水平未达标者”有明确的指南定义和化验指标，临床诊疗路径清晰，适应症人群明确且易于管理，无临床滥用或不合理使用风险。</p> |