

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： 氯苯唑酸葡胺软胶囊

企业名称： 齐鲁制药有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-11 16:21:15	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)	氯苯唑酸葡胺软胶囊	医保药品分类与代码	XN07XXL378E002010104021
药品类别	西药	是否为独家	否
① 药品注册分类	化药4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	20mg		
上市许可持有人(授权企业)	齐鲁制药有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	本品用于治疗成人转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病I期症状患者，延缓周围神经功能损害		
说明书用法用量	氯苯唑酸葡胺的推荐剂量为20 mg，每日一次，口服		
所治疗疾病基本情况	转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病(ATTR-PN)是一种罕见的常染色体显性遗传性、进行性加重、致死性疾病，30-40岁多发，男性多发，且不可逆。本病以周围神经损害为主，累及运动、感觉及自主神经，并可能伴有心脏、肾脏、眼部等其他脏器受损。患者平均生存时间一般为6~12年。发病率约2例/百万人/年。根据中国《罕见病诊治指南(2019年版)》中指出：中国ATTR-PN患病人数约为2000人		
中国大陆首次上市时间	2020-02	注册证号/批准文号	国药准字H20243999
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	2011-11
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	同治疗领域内仅有本品		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书-齐鲁.pdf		
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 1-1氯苯唑酸葡胺软胶囊说明书.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	↓ 下载文件 1-2药品注册证书批件-氯苯唑酸葡胺软胶囊20mg-至20290610.pdf		

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

申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）

↓ 下载文件

1-4医保申报PPT模板含价格信息.ppt

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

1-3新-医保申报PPT模板--不含价格信息.ppt

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) 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：同治疗领域内仅有本品

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	氯苯唑酸葡胺软胶囊（维达全）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	（1）受试者空腹给予受试制剂后与参比制剂氯苯唑酸的药代动力学参数C _{max} 、AUC _{0-72h} 的几何均值比的90%置信区间均在80.00%~125.00%等效区间内，符合生物等效性标准。（2）受试者餐后给予受试制剂后与参比制剂氯苯唑酸的药代动力学参数C _{max} 、AUC _{0-72h} 的几何均值比的90%置信区间均在80.00%~125.00%等效区间内，符合生物等效性标准。
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 2-氯苯唑酸葡胺软胶囊.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	氯苯唑酸葡胺软胶囊（维达全）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	（1）受试者空腹给予受试制剂后与参比制剂氯苯唑酸的药代动力学参数C _{max} 、AUC _{0-72h} 的几何均值比的90%置信区

<p>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）</p>	<p>间均在80.00%~125.00%等效区间内，符合生物等效性标准。（2）受试者餐后给予受试制剂后与参比制剂氯苯唑酸的药代动力学参数Cmax、AUC0-72h的几何均值比的90%置信区间均在80.00%~125.00%等效区间内，符合生物等效性标准。</p> <p>↓ 下载文件 2-氯苯唑酸葡胺软胶囊.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1 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>2021年《转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病的诊治共识》，推荐内容：ATTR PN 的对因治疗药物包括转甲状腺素蛋白稳定剂（氯苯唑酸和二氟尼柳）和基因沉默药物（patisiran和inotersen），1期患者首选氯苯唑酸治疗。</p> <p>↓ 下载文件 2-2转甲状腺素蛋白多发性变性专家共识.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1 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>2021年《转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病的诊治共识》，推荐内容：ATTR PN 的对因治疗药物包括转甲状腺素蛋白稳定剂（氯苯唑酸和二氟尼柳）和基因沉默药物（patisiran和inotersen），1期患者首选氯苯唑酸治疗。</p> <p>↓ 下载文件 2-2转甲状腺素蛋白多发性变性专家共识.pdf</p>
<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</p>	<p>无</p>
<p>《技术审评报告》原文（可节选）</p>	<p>-</p>
<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</p>	<p>无</p>
<p>《技术审评报告》原文（可节选）</p>	<p>-</p>



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

三、安全性信息

<p>药品说明书刊载的安全性信息</p>	<p>1、不良反应 安全性特征汇总 总体临床数据反映了127名转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病（ATTR-PN）患者每天服用20 mg氯苯唑酸葡胺，平均538天（范围15 - 994天）的暴露量。不良反应的严重程度通常为轻度或中度。 不良反应列表 不良反应按照MedDRA系统器官分类（SOC）和标准惯例频率列出：非常常见（≥1/10）、常见（≥1/100 - <1/10）和偶见（≥1/1,000 - <1/100）。在每个频率分组中，不良反应以严重性递减的次序排列。尿路感染、阴道感染、腹泻、上腹痛为Ⅲ期、双盲、安慰剂对照临床研究非常常见的不良反应。2、禁忌 对活性成份或其中的任何辅料过敏者禁用。3、相互作用 在健康志愿者的临床研究中，氯苯唑酸葡胺20 mg对细胞色素P450酶CYP3A4无诱导或抑制作用。</p>
<p>药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果</p>	<p>暂无安全性警告、黑框警告、撤市信息</p>
<p>相关报导文献</p>	<p>-</p>

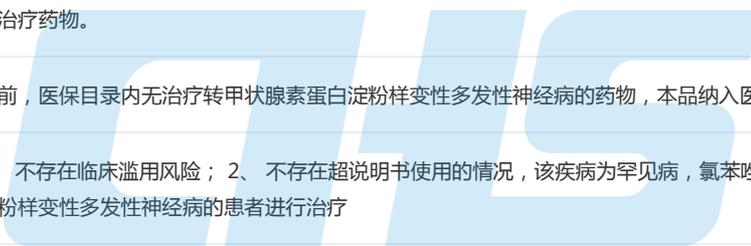
四、创新性信息

<p>创新程度</p>	<p>1.氯苯唑酸葡胺是一种转甲状腺素蛋白（TTR）稳定剂，通过选择性地与TTR结合，稳定TTR并减缓其解离成单体的速度，延缓ATTR淀粉样变性的产生和沉积，从而达到治疗效。2.氯苯唑酸葡胺是我国首个且唯一获得国家药品监督管理局</p>
-------------	--

	批准用于ATTR PN的治疗药物。转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病 (ATTR PN) 被纳入罕见病目录。
创新性证明文件	-
应用创新	据大样本长期研究显示，对于V30M突变的早发型患者，氯苯唑酸葡胺软胶囊与不治疗相比可降低91%的死亡风险，与肝移植相比可降低63%的死亡风险。对于V30M晚发型患者，氯苯唑酸葡胺软胶囊与不治疗相比可降低82%的死亡风险。故该药物可以延缓疾病进展，降低死亡风险、降低患者用药成本。
应用创新证明文件	-
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	ATTR PN是一种罕见的遗传性、进行性加重、致死性疾病，30-40岁多发，男性多发，且不可逆，对社会劳动力的影响巨大，严重危害患者生存，确诊后生存期仅为5年左右。临床需求紧迫。该病患者下肢至全身感觉及运动功能逐步减退，导致无法行走或长期卧床、最终死亡，给患者、家庭及社会带来沉重的疾病负担。氯苯唑酸葡胺可以改善患者的生活质量，进一步改善和提升罕见病患者用药可及性和经济负担。
符合“保基本”原则描述	目前，我国批准的治疗转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病的药物仅为氯苯唑酸葡胺，是该疾病患者的唯一且基础的治疗药物。
弥补目录短板描述	目前，医保目录内无治疗转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病的药物，本品纳入医保后，可弥补空白。
临床管理难度描述	1、不存在临床滥用风险；2、不存在超说明书使用的情况，该疾病为罕见病，氯苯唑酸葡胺只是针对转甲状腺素蛋白淀粉样变性多发性神经病的患者进行治疗



中国医疗保障

 CHINA HEALTHCARE SECURITY