

# 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：依达拉奉舌下片

企业名称：南京百鑫愉医药有限公司

## 申报信息

申报时间	2024-07-13 23:10:42	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)	依达拉奉舌下片	医保药品分类与代码	XN07XXY066A003010182579
药品类别	西药	是否为独家	是
① 药品注册分类	化药2.2类		
核心专利类型1	依达拉奉药物组合物	核心专利权期限届满日1	2038-07
核心专利类型1	依达拉奉药物组合物	核心专利权期限届满日1	2038-07
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	30mg		
上市许可持有人(授权企业)	南京百鑫愉医药有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	抑制肌萎缩侧索硬化(ALS)所致功能障碍的进展。		
说明书用法用量	用于抑制肌萎缩侧索硬化(ALS)所致功能障碍的进展时，给药方式为每天1次舌下含服2片(60mg)，通常将给药期与停药期组合的28天作为一个疗程，重复此疗程。第一疗程在连续14天给药后，停药14天；第二疗程以后在给药期的14天中给药10天，之后停药14天。(全年365天中实际治疗为12个疗程，累计实际治疗124天)。		
所治疗疾病基本情况	肌萎缩侧索硬化(ALS)是一种病因未明、主要累及大脑皮质、脑干和脊髓运动神经元的神经系统变性疾病。ALS以进行性发展的骨骼肌萎缩、无力、肌束颤动、延髓麻痹和锥体束征为主要临床表现。一般中老年发病，发病年龄平均55岁，生存期通常3~5年。中国发病率每年约0.6/10万人，患病率每年约3.1/10万人，每年新发患者近2.3万人，每年存活病人不足4.2万人。		
中国大陆首次上市时间	2022-09	注册证号/批准文号	国药准字H20220019
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	2022-09
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	依达拉奉氯化钠注射液上市时间为2020年5月，于2021年3月正式进入国家医保目录，2022年零降幅续约。是医保目录内同一适应症应用最广泛产品。		
企业承诺书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 1企业承诺书.pdf		
药品最新版法定说明书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2法定产品说明书.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 3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 依达拉奉舌下片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 依达拉奉舌下片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0.8m<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)
依达拉奉氯化钠注射液	是	100ml:依达拉奉30mg与氯化钠855mg/瓶	113.6	抑制肌萎缩侧索硬化(ALS)所致功能障碍的进展。通常,成人每日一次,每次60mg(2袋或瓶),静脉滴注60分钟。通常,将本品的给药期与停药期进行组合以28天为一个疗程,重复此疗程。第1疗程在每日连	年度费用	12疗程/年	28172.8

续给药14天的给药期后停药14天，第2疗程以后在14天中给药10天的给药期后停药14天。

参照药品选择理由：依达拉奉氯化钠注射液是医保目录内现有应用最广泛的同一适应症产品。依达拉奉氯化钠注射液（日本原研）为本品III临床试验对照药品。依达拉奉氯化钠注射液为医保乙类药品。

其他情况请说明：2022年依达拉奉在剂型上实现了变革突破，两款口服剂型获批上市。依达拉奉舌下片中国获批上市，依达拉奉口服混悬液在美国获批上市。解决了注射剂型在实际治疗中无法依从的普及性和无法实现足疗程获益的亟需性。

## 二、有效性信息

试验类型1	其他
试验对照药品	依达拉奉氯化钠注射液（日本）：规格100ml:30mg
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	临床总结报告有效性结论：依达拉奉舌下片作为依达拉奉注射液改剂型和给药途径品种，I期临床研究表明，在临床治疗ALS 60 mg剂量下，舌下含服依达拉奉舌下片（2片，30 mg/片）和依达拉奉注射液（30 mg/100mL/袋，2袋，60 min静脉滴注）生物等效；相对于注射液，舌下片生物利用度高达94%。
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> 6上市前试验数据结果证明文件.pdf
试验类型1	其他
试验对照药品	依达拉奉氯化钠注射液（日本）：规格100ml:30mg
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	临床总结报告有效性结论：依达拉奉舌下片作为依达拉奉注射液改剂型和给药途径品种，I期临床研究表明，在临床治疗ALS 60 mg剂量下，舌下含服依达拉奉舌下片（2片，30 mg/片）和依达拉奉注射液（30 mg/100mL/袋，2袋，60 min静脉滴注）生物等效；相对于注射液，舌下片生物利用度高达94%。
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> 6上市前试验数据结果证明文件.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	(1)中国罕见病诊疗指南（2019）推荐：依达拉奉在部分国家被批准可以用于早期ALS患者的治疗；(2)加拿大肌萎缩侧索硬化管理（2020）推荐：依达拉奉减缓ALSFRS-R评分下降，延缓ALS患者疾病进展（B级推荐）；(3)肌萎缩侧索硬化诊断和治疗中国专家共识（2022）：推荐依达拉奉是一种自由基清除剂，可延缓特定ALS人群的病情进展。
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> 7依达拉奉临床指南推荐证明文件.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	(1)中国罕见病诊疗指南（2019）推荐：依达拉奉在部分国家被批准可以用于早期ALS患者的治疗；(2)加拿大肌萎缩侧

索硬化管理（2020）推荐：依达拉奉减缓ALSFRS-R评分下降，延缓ALS患者疾病进展（B级推荐）；(3)肌萎缩侧索硬化诊断和治疗中国专家共识（2022）：推荐依达拉奉是一种自由基清除剂，可延缓特定ALS人群的病情进展。

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](#) 7依达拉奉临床指南推荐证明文件.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

原研依达拉奉氯化钠注射液在国外已上市多年，并于2019年获准进口中国，临床疗效确切。本品为申请人研制的依达拉奉舌下片，临床药理学研究证明，在给药剂量的情况下，本品舌下给药与原研依达拉奉注射液静脉给药生物等效，可以将原研依达拉奉注射液的疗效外推至本品，可支持本品与原研依达拉奉注射液具有相同的临床疗效。

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 8国家药监局药品审评中心技术审批报告关于产品描述文件.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

原研依达拉奉氯化钠注射液在国外已上市多年，并于2019年获准进口中国，临床疗效确切。本品为申请人研制的依达拉奉舌下片，临床药理学研究证明，在给药剂量的情况下，本品舌下给药与原研依达拉奉注射液静脉给药生物等效，可以将原研依达拉奉注射液的疗效外推至本品，可支持本品与原研依达拉奉注射液具有相同的临床疗效。

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 8国家药监局药品审评中心技术审批报告关于产品描述文件.pdf

### 三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息

肌萎缩侧索硬化日本临床试验在总计317例病例中报告了37例（11.7%）共46件不良反应。主要不良反应为皮疹4例（1.3%）、肝功能障碍4例（1.3%）、高血压3例（0.9%）、 $\gamma$ -GTP升高3例（0.9%）、尿糖阳性3例（0.9%）等。

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

与其他同类药品比，无新增特异性不良反应，无安全性警告、无黑框警告、无撤市信息。依达拉奉舌下片试验期间发生的不良事件多为各类检查，严重程度均为I级，说明依达拉奉舌下片的安全性和耐受性良好。在本品上市后企业已经建立药品不良反应监测部门，如实进行不良反应报告的核实和上报。

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 9临床总结关于药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果.pdf

### 四、创新性信息

创新程度

依达拉奉舌下片是具有自主知识产权的2.2类改良型新药，填补了国内依达拉奉无口服制剂的空白。让ALS患者实现了便捷的治疗选择。是全球首个运用舌下给药方式研究依达拉奉的人体血液药物浓度，实现了与注射剂型生物等效；成功克服了依达拉奉口服难、吸收生物利用度低、不稳定易氧化的技术难点。

创新性证明文件

[↓ 下载文件](#) 10依达拉奉舌下片发明专利证书.pdf

应用创新

国内外指南推荐治疗方案目前为周期性住院输液治疗，大部分患者会逐渐丧失行动能力，被迫放弃，无法实现治疗的获益。周期性住院还会额外增加家庭经济成本和社会医疗资源负担。依达拉奉舌下片可以实现患者居家自主服药，提高患者治疗依从性，相比于住院静脉输液治疗，便捷安全，还能有效避免静脉输液不良事件的发生，极大降低家属及医护人员护理难度，减轻患者经济负担，节约社会医疗成本。

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

ALS为致死性罕见病，中位生存期为3-5年，每年新发患者近2.3万人。确诊时间长，误诊率高。医保投入将显著提高罕见病患者用药可及性，延长生存时间，降低患者疾病负担，提高全民健康水平。

符合“保基本”原则描述	可替代目录内现有静脉输液治疗方案，为ALS患者提供更便捷安全的治疗选择。依达拉奉舌下片通过舌下给药，节省输液引发的不良反应治疗成本及住院产生的相关医保费用支出。
弥补目录短板描述	目录内只有注射剂型，舌下片填补了无口服剂型短板，让患者实现了便捷的治疗选择。实现了患者居家治疗，极大提高用药的依从性和可及性。
临床管理难度描述	单一适应症范围明确，不存在临床滥用。患者诊疗较为集中在核心三甲医院，便于实行定点管理或双通道管理，有助于医保基金精准管理。