

**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：利司扑兰口服溶液用散

企业名称：上海罗氏制药有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-13 13:16:37	药品目录	药品目录内
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2024年12月31日协议到期，且不申请调整医保支付范围的谈判药品。
- 2.2024年12月31日协议到期，适应症或功能主治未发生重大变化，因适应症与医保支付范围不一致，主动申请调整支付范围的谈判药品。
- 3.2019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，主动申请调整医保支付范围的谈判药品和目录内其他药品。

药品通用名称（中文、含剂型）	利司扑兰口服溶液用散	药品类别	西药
<input checked="" type="radio"/> 药品注册分类	化学药品1类		
是否为独家	是		
核心专利类型1	ZL201580027306.9化合物专利	核心专利权期限届满日1	2035-05
核心专利类型1	ZL201580027306.9化合物专利	核心专利权期限届满日1	2035-05
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	每瓶含利司扑兰60mg		
上市许可持有人（授权企业）	Roche Pharma (Schweiz) AG		
说明书全部适应症/功能主治	适用于治疗16日龄及以上患者的脊髓性肌萎缩症（SMA）		
<input checked="" type="radio"/> 现行医保目录的医保支付范围	限16日龄及以上患者的脊髓性肌萎缩症（SMA）		
说明书用法用量	口服。每日一次推荐剂量取决于年龄和体重，具体如下：16日龄 < 2月龄：0.15mg/kg；2月龄至 < 2岁，0.20mg/kg；≥2岁（<20kg），0.25mg/kg；≥2岁（≥20kg），5mg		
所治疗疾病基本情况	①SMA是一种危及全身多系统、高致死致残的罕见神经疾病，被列入中国《第一批罕见病目录》②发病年龄越早疾病越重，中位生存期约10个月，位居2岁以下儿童致死性遗传病的首位③早期治疗是关键，在出现永久性神经元丢失之前需及时药物干预，不仅可以挽救生命，也有助于运动能力恢复		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	目录内治疗方案选择有限，诺西那生钠注射液是目录内SMA另一款治疗药物，于2019年2月在中国上市，2021年进入医保。给药方式为鞘内注射，亟需更安全、更便捷、无创的治疗药物，减轻治疗痛苦，同时降低就医复杂度。1类新药利司扑兰口服溶液用散作为全球首个靶向RNA小分子疾病修正治疗药物，弥补临床未满足需求，提供更优治疗方案，让患儿尽早获益：①口服更适用，实现居家治疗，草莓味溶液，依从性好，减轻治疗痛苦，同时降低就医复杂度②无需住院鞘注治疗，节约医疗资源和患儿直接/间接医疗成本③作为小分子药物，可穿透血脑屏障，实现中枢和外周全身分布，获得更大临床获益		
企业承诺书	↓ 下载文件 1-1企业承诺书_利司扑兰.pdf		
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 1-2最新版说明书_利司扑兰.pdf		
最新版《药品注册证书》（国产药品）或《进口药品注册证》（进口药品）。如首次上市版本和最新版不同，请分别提供	↓ 下载文件 1-3首次上市进口药品注册证_利司扑兰.pdf		
最新版《药品注册证书》（国产	↓ 下载文件 1-3最新版进口药品注册证_利司扑兰.pdf		

药品)或《进口药品注册证》
(进口药品)。如首次上市版本
和最新版不同,请分别提供