

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：帕妥珠单抗注射液
（皮下注射）

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 13:18:12	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)	帕妥珠单抗注射液(皮下注射)	医保药品分类与代码	XL01XYP150B002020181735 负荷剂量(15ml) ; XL01XYP150B002010181735 维持剂量(10ml)
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3.1类		
核心专利类型1	ZL201880006320.4 用途专利	核心专利权期限届满日1	2038-01
核心专利类型2	ZL202010484395.2 制剂专利	核心专利权期限届满日2	2038-01
核心专利类型3	ZL201880014322.8 用途专利	核心专利权期限届满日3	2038-02
核心专利类型1	ZL201880006320.4 用途专利	核心专利权期限届满日1	2038-01
核心专利类型2	ZL202010484395.2 制剂专利	核心专利权期限届满日2	2038-01
核心专利类型3	ZL201880014322.8 用途专利	核心专利权期限届满日3	2038-02
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	负荷剂量(15ml)：帕妥珠单抗1200mg与曲妥珠单抗600mg【起始剂量仅使用一次】；维持剂量(10ml)：帕妥珠单抗600mg与曲妥珠单抗600mg【建议主规格，临床最常用规格】		
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	早期乳腺癌(EBC)：本品与化疗联合。用于HER2阳性、局部晚期、炎性或早期乳腺癌患者(直径>2cm或淋巴结阳性)的新辅助治疗，作为早期乳腺癌整体治疗方案的一部分。用于具有高复发风险HER2阳性早期乳腺癌患者的辅助治疗。转移性乳腺癌(MBC)：本品和多西他赛联合，适用于HER2阳性、转移性或不可切除的局部复发性乳腺癌患者。患者既往未接受过针对转移性乳腺癌的抗HER2治疗或者化疗。		
说明书用法用量	本品的起始剂量为负荷剂量(15ml)，皮下注射8分钟；此后每3周给药一次维持剂量(10ml)，皮下注射5分钟。用于大腿皮下给药。早期乳腺癌 在新辅助治疗背景下(术前)，建议患者根据选择的治疗方案接受3至6个周期的本品与化疗联合治疗。在辅助治疗中(术后)，作为早期乳腺癌完整治疗方案(包括标准含蒽环类药物和/或紫杉类药物化疗)的一部分，本品应持续给药1年(最多18个治疗周期)或直至出现疾病复发或不可控制毒性(以先发生者为准)。本品给药应当从首个含紫杉类药物治疗疗程的第1天开始，即使化疗停药，仍应继续成本品的治疗(参见【临床试验】)。在新辅助治疗中开始本品治疗的患者在辅助治疗时应继续接受本品以完成1年的治疗(最多18个周期)。转移性乳腺癌 本品应联合多西他赛给药直至出现疾病进展或不可耐受的毒性。即使多西他赛停药，仍可继续接受本品治疗。		
所治疗疾病基本情况	①乳腺癌是我国女性最高发的恶性肿瘤，发病率为51.71/10万人，其中HER2阳性乳腺癌占比约25%，每年新发患者人数		

约9万人，超70%为早期患者 ②HER阳性乳腺癌已进入慢病化管理时代，曲帕双靶治疗是HER2阳性乳腺癌治疗的金标准，使用患者占比约70%，显著改善患者预后，早期可临床治愈 ③在适用范围更广的曲帕双靶治疗领域，相较于传统序贯曲帕双靶静脉方案，患者/医护期待更高效、便捷的升级治疗方案

中国大陆首次上市时间	2023-12	注册证号/批准文号	国药准字SJ20230019 ; 国药准字SJ20230020
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	2020-06
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	<p>①同领域最广泛治疗为曲帕双靶静脉方案，即帕妥珠单抗注射液（帕捷特®）联合注射用曲妥珠单抗（赫赛汀®）。帕妥珠单抗注射液，2018年首次在中国获批上市，2019年通过谈判纳入医保。注射用曲妥珠单抗，2002年首次在中国获批上市，2017年通过谈判纳入医保。②早期人群是主要治疗人群，在人群占比小的晚期适应症中，目录内还有年费用更高的吡咯替尼联合曲妥珠单抗方案。吡咯替尼，2018年首次在中国获批上市，2019年通过谈判纳入医保。③曲妥珠单抗皮下制剂于2023年纳入医保，有效缓解了单靶方案静脉输注面临的巨大挑战，曲帕双靶是HER2阳性乳腺癌治疗金标准，使用患者占比约70%，覆盖人群更广，对治疗模式/医疗体系升级需求更迫切。相较于繁琐序贯曲帕双靶静脉给药，【帕妥珠曲妥珠单抗注射液（皮下注射）是全球目前唯一双靶合一一大分子皮下合剂】，优化HER2阳性乳腺癌治疗金标准的给药途径，固定剂量，皮下注射5~8分钟，极大简化给药流程，获益人群广泛，为通路不良和无法耐受长期静脉患者的临床必需用药，节省直接医疗支出，患者和医护更偏好，助力患者/医护/药师多重获益，便捷治疗模式/医疗体系全面升级</p>		
企业承诺书	↓ 下载文件 1-1企业承诺书.pdf		
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 1-2最新版法定说明书.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 1-3进口药品注册证书.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 帕妥珠曲妥珠单抗注射液-皮下注射【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 帕妥珠曲妥珠单抗注射液-皮下注射【PPT2】.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)
帕妥珠单抗注射液（帕捷特®）	是	帕妥珠单抗注射液：420mg:14	10455	帕妥珠	年度费	-	198645

联合注射用曲妥珠单抗（赫赛汀®）静脉给药方案	ml 注射用曲妥珠单抗：440mg: 20ml	单抗注射液推荐起始剂量为840mg，静脉输注60分钟，此后每3周给药一次，给药剂量为420mg。注射用曲妥珠单抗初始负荷剂量为8mg/kg，静脉输注90分钟，随后6mg/kg 每3周给药一次。	用
------------------------	-------------------------	--	---

参照药品选择理由：①相似可替代：相同适应症人群，指南推荐可替代，相同活性成分组合 ②同领域临床应用最广泛的目录内方案，为金标准治疗，使用患者占比约70% ③头对头III期临床试验对照组：本品 vs 帕捷特联合赫赛汀静脉方案

其他情况请说明：①帕妥珠单抗注射液（帕捷特®）全国最低挂网价为4955元（420mg:14ml）/瓶 ②注射用曲妥珠单抗（赫赛汀®）全国最低挂网价为5500元（440mg:20ml）/瓶，按公斤体重计算用量后取整瓶

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	帕妥珠单抗注射液（帕捷特®）联合注射用曲妥珠单抗（赫赛汀®）静脉给药方案
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	国际多中心、随机、双盲、大型III期研究（N=500）证实，本品的疗效非劣效于帕捷特联合赫赛汀静脉给药方案。帕妥珠单抗第7周期谷浓度和曲妥珠单抗第7周期谷浓度的药代动力学显示，本品皮下给药后非劣效于参照组，几何均值比分别为1.22和1.33，均大于预先规定的界值0.8。疗效上本品与参照组的总病理学完全缓解率几乎相同（59.7% vs 59.5%）。总体安全性特征一致
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 2-1-1全球Federica研究.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	帕妥珠单抗注射液（帕捷特®）联合注射用曲妥珠单抗（赫赛汀®）静脉给药方案
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	中国人群III期研究（N=200）证实，在中国人群中，本品的疗效非劣效于帕捷特联合赫赛汀静脉给药方案。帕妥珠单抗第7周期谷浓度和曲妥珠单抗第7周期谷浓度的药代动力学显示，本品皮下给药后非劣效于参照组，几何均值比分别为1.07和1.55，均大于预先规定的界值0.8。疗效上本品与参照组的总病理学完全缓解率几乎相同（55.6% vs 56.4%）。总体安全性特征一致

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 2-1-2中国FDChina研究.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	帕妥珠单抗注射液（帕捷特®）联合注射用曲妥珠单抗（赫赛汀®）静脉给药方案
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	所有患者共接受18个周期的HER2靶向治疗，100%完成偏好问卷。在第6周期后，136/160例患者（85%）报告首选帕妥珠单抗注射液（皮下注射）给药，而不是帕捷特联合赫赛汀静脉给药方案，最常见的原因是门诊给药所需的时间较短。研究结果显示患者及医护人员对本品的满意度高于帕捷特联合赫赛汀静脉给药方案。
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 2-1-3PHranceSCa研究.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	帕妥珠单抗注射液（帕捷特®）联合注射用曲妥珠单抗（赫赛汀®）静脉给药方案
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	国际多中心、随机、双盲、大型III期研究（N=500）证实，本品的疗效非劣效于帕捷特联合赫赛汀静脉给药方案。帕妥珠单抗第7周期谷浓度和曲妥珠单抗第7周期谷浓度的药代动力学显示，本品皮下给药后非劣效于参照组，几何均值比分别为1.22和1.33，均大于预先规定的界值0.8。疗效上本品与参照组的总病理学完全缓解率几乎相同（59.7% vs 59.5%）。总体安全性特征一致
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 2-1-1全球Federica研究.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	帕妥珠单抗注射液（帕捷特®）联合注射用曲妥珠单抗（赫赛汀®）静脉给药方案
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	中国人群III期研究（N=200）证实，在中国人群中，本品的疗效非劣效于帕捷特联合赫赛汀静脉给药方案。帕妥珠单抗第7周期谷浓度和曲妥珠单抗第7周期谷浓度的药代动力学显示，本品皮下给药后非劣效于参照组，几何均值比分别为1.07和1.55，均大于预先规定的界值0.8。疗效上本品与参照组的总病理学完全缓解率几乎相同（55.6% vs 56.4%）。总体安全性特征一致
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 2-1-2中国FDChina研究.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	帕妥珠单抗注射液（帕捷特®）联合注射用曲妥珠单抗（赫赛汀®）静脉给药方案
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	所有患者共接受18个周期的HER2靶向治疗，100%完成偏好问卷。在第6周期后，136/160例患者（85%）报告首选帕妥珠单抗注射液（皮下注射）给药，而不是帕捷特联合赫赛汀静脉给药方案，最常见的原因是门诊给药所需的时间较短。研究结果显示患者及医护人员对本品的满意度高于帕捷特联合赫赛汀静脉给药方案。
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 2-1-3PHranceSCa研究.pdf

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1	《CSCO乳腺癌诊疗指南(2024年)》:帕妥珠单抗注射液(皮下注射)与曲帕双靶静脉给药方案的疗效和安全性相当,在便利程度、依从性方面皮下制剂有明显优势,可在任意治疗阶段替代曲帕双靶静脉给药方案。
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 2-2-1CSCO指南推荐节选.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《NCCN 乳腺癌临床诊疗指南(2024年)》:在任何情况下,帕妥珠单抗注射液(皮下注射)都可以替代曲帕双靶静脉给药方案作为全身治疗的一部分。
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 2-2-2NCCN指南推荐节选.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《CACA-CBCS乳腺癌诊疗指南与规范(2024年)》:帕妥珠单抗注射液(皮下注射)可替代曲帕双靶静脉给药方案。
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 2-2-3CBCS指南节选.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	中国药学会《抗肿瘤药物创新皮下制剂临床应用的药事服务专家共识》:帕妥珠单抗注射液(皮下注射)可替换曲帕双靶静脉给药方案。
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 2-2-4中国药学会专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《CSCO乳腺癌诊疗指南(2024年)》:帕妥珠单抗注射液(皮下注射)与曲帕双靶静脉给药方案的疗效和安全性相当,在便利程度、依从性方面皮下制剂有明显优势,可在任意治疗阶段替代曲帕双靶静脉给药方案。
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 2-2-1CSCO指南推荐节选.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《NCCN 乳腺癌临床诊疗指南(2024年)》:在任何情况下,帕妥珠单抗注射液(皮下注射)都可以替代曲帕双靶静脉给药方案作为全身治疗的一部分。
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 2-2-2NCCN指南推荐节选.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《CACA-CBCS乳腺癌诊疗指南与规范(2024年)》:帕妥珠单抗注射液(皮下注射)可替代曲帕双靶静脉给药方案。
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 2-2-3CBCS指南节选.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4	中国药学会《抗肿瘤药物创新皮下制剂临床应用的药事服务专家共识》：帕妥珠单抗注射液（皮下注射）可替换曲帕双靶静脉给药方案。
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 2-2-4中国药学会专家共识.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	审评报告尚未公示
《技术审评报告》原文（可节选）	-
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	审评报告尚未公示
《技术审评报告》原文（可节选）	-

三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	在乳腺癌关键性试验中，帕妥珠单抗注射液（皮下注射）的安全性特征与帕妥珠单抗联合曲妥珠单抗静脉给药的已知安全性特征总体一致。帕妥珠单抗注射液（皮下注射）禁用于已知对曲妥珠单抗、帕妥珠单抗或任何赋形剂过敏的患者。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	①帕妥珠单抗注射液（皮下注射）已在全球108个国家/地区上市，自全球上市以来具有超过6.3万患者用药经验和安全性验证。②各国家或地区药监部门5年内未发布任何新的安全性警告、黑框警告、撤市信息等。③定期对全球安全性数据库的信号检测和安全性分析显示帕妥珠单抗注射液（皮下注射）总体安全性良好。帕妥珠单抗注射液（皮下注射）具有良好的获益-风险比。④帕妥珠单抗注射液（皮下注射）提供了一种更简单快捷、侵入性更低的给药方案，使其成为广大双靶治疗患者的首选制剂。
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	全球目前唯一获批的双靶合一一大分子皮下合剂 ①专用辅料和独立制剂配方开发工艺，严格控制蛋白间性质稳定性，形成大分子合剂且稳定性良好 ②采用新型药物递送技术，重组人透明质酸酶可暂时性水解注射部位的透明质酸，提高组织通透性与生物利用度，突破皮下给药2ml限制，首次实现双抗体大剂量10-15ml皮下给药 ③从按体重调整剂量变为双药合并固定剂量，解决经淋巴递送途径下，双药合并固定剂量给药的血药浓度拟合问题
创新性证明文件	↓ 下载文件 4-1创新性证明文件.pdf
应用创新	【适用特殊人群】为静脉通路不良和无法长期耐受静脉输注患者提供临床必需用药治疗机会 【优化给药途径】固定剂量皮下注射，仅5~8分钟，缩短患者在院时间91%，提升便利度和依从性 【降低患者用药成本】无需住院和静脉置管，节省住院/输液耗材/定期维护费用 【减轻医护工作负担】节省医护单次护理时间81%，免去反复繁琐操作，减少按体重配液差错 【提升医疗体系效率】提高床位周转率，助力同质化医疗，促进分级诊疗
应用创新证明文件	↓ 下载文件 4-2应用创新证明文件.pdf
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	①与静脉给药比，本品可缩短患者在院时间91%，节省医护的单次护理时间81%，一年预计为医院释放出24960个床日资源（以每天有80名乳腺癌患者治疗的医院为例），帮助年轻女性患者更快回归正常工作和家庭，创造更多社会经济价值；②使用双靶皮下合剂的获益人群更广，节省患者/医护的时间及社会经济价值将是单靶皮下制剂的3~4倍，提高体系运行效率，助力便捷化乳腺癌治疗模式的全面升级
符合“保基本”原则描述	①优化HER2乳腺癌治疗金标准的给药途径，保障广大双靶治疗患者的给药需求；②替代目录内曲帕双靶静脉方案、晚期领域其它方案例如吡咯替尼联合曲妥珠单抗等的支出，并节约住院及PICC和输液港等耗材/定期维护费用，基金影响有限；③已在30多个国家/地区纳入医保，亟需纳入惠及中国乳腺癌女性患者
弥补目录短板描述	①保障双靶治疗患者的公平性，基于单靶皮下制剂的保障获益，双靶治疗患者同样期待可获得皮下治疗的保障；②为静脉通路不良和无法耐受长期输注患者提供接受临床必需用药治疗机会
临床管理难度描述	①简化双药操作流程，减少按体重配液错误，释放医护/药学部生产力；②降低住院静脉输液使用率，减轻院内感染风险，利于医疗质量安全管理