

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： 那西妥单抗注射液

企业名称： 赛生医药江苏有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-11 17:04:23	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)	那西妥单抗注射液	医保药品分类与代码	XL01FXN127B002010184495
药品类别	西药	是否为独家	是
① 药品注册分类	生物制品3.1类		
核心专利类型1	抗GD2抗体	核心专利权期限届满日1	2031-06
核心专利类型1	抗GD2抗体	核心专利权期限届满日1	2031-06
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	40mg(10mL)/瓶		
上市许可持有人(授权企业)	Y-mAbs Therapeutics, Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	本品与粒细胞-巨噬细胞集落刺激因子(GM-CSF)联合给药,适用于伴有骨或骨髓病变,对既往治疗表现为部分缓解、轻微缓解或疾病稳定的复发性或难治性高危神经母细胞瘤的儿童(1岁及以上)或成人患者。		
说明书用法用量	在每个治疗周期的第1、3和5天,本品的建议剂量为3mg/kg/天(最高150mg/天),在稀释后静脉输注,与皮下注射的GM-CSF联合给药。治疗周期每4周重复一次,直至完全缓解或部分缓解,随后再连续用5个周期(每4周一个周期)。后续周期可每8周重复一次。如发生疾病进展或不可接受的毒性,考虑停用本品和GM-CSF。		
所治疗疾病基本情况	1.神经母细胞瘤(NB)是儿童最常见的颅外实体肿瘤,我国14岁以下儿童发病率为7.72/100万,占儿童恶性肿瘤的8%~10%,死亡率高达15%,复发性NB的5年生存率不足20%。2.NB发病机制不明,具有起病隐匿性,异质性强,恶性程度高等临床特点,约70%患者初诊时伴骨/骨髓累及。3.复发和难治性患者预后更差,骨/骨髓残留是导致复发与难治的主要原因,传统化疗挽救方案的ORR不足30%。		
中国大陆首次上市时间	2022-11	注册证号/批准文号	国药准字SJ20220019
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	2020-11
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	国内已上市GD2单抗达妥昔单抗β于2021年8月12日获批上市,无医保覆盖。优势对比:1.那西妥单抗是目前全球唯一获批的人源化GD2单抗,获得美国FDA突破性疗法认证、FDA和NMPA优先审评,2.201研究和12-230研究表明:对于伴骨/骨髓病变的难治性/复发性神经母细胞瘤患者疗效突出,可能具有更高CR率,3.那西妥单抗是注册临床研究拥有中国患者人群数据的GD2单抗药物,中国人群和总体人群的疗效趋于一致,4.人源性抗体肿瘤亲和力强,安全性高,输注便捷,单次输注可在60min内完成,患者治疗时间短,提高患者生活质量,节约医院综合管理成本。不足:上市时间较短,对于难治性和复发性神经母细胞瘤短期缓解疗效确切,长期获益需进一步观察。		
企业承诺书			

药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf
	↓ 下载文件 那西妥单抗注射液说明书.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 注册证.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 那西妥单抗注射液PPT1.pptx
申报药品摘要幻灯片（不含经济性/价格费用信息）将同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 那西妥单抗注射液PPT2.pptx

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)
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：-

其他情况请说明：-

二、有效性信息

试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	共纳入52例复发性/难治性NB患者,那西妥单抗显著改善伴骨/骨髓病变的难治性或复发性高危NB患者临床缓解率,整体人群ORR 50%,CR 38%,原发难治性患者ORR 58%,CR 46%,骨髓病变患者ORR 74%,CR 74%。最佳响应中位治疗周期为2周期,中位缓解持续时间达6个月以上,26例缓解患者中77%达到持续缓解。不良事件与以前的报告一样,大多数是与输液相关的反应,包括低血压和疼痛。
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 有效性1.pdf

试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	纳入复发性/难治性高危NB患者80例，那西妥单抗联合GM-CSF治疗初发难治性NB患者的CR和PR分别为44%和40%，治疗复发难治性NB患者的CR和PR分别为24%和15%。
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 有效性2.pdf
试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	共纳入52例复发性/难治性NB患者,那西妥单抗显著改善伴骨/骨髓病变的难治性或复发性高危NB患者临床缓解率,整体人群ORR 50%,CR 38%,原发难治性患者ORR 58%,CR 46%,骨髓病变患者ORR 74%,CR 74%。最佳响应中位治疗周期为2周期,中位缓解持续时间达6个月以上,26例缓解患者中77%达到持续缓解。不良事件与以前的报告一样,大多数是与输液相关的反应,包括低血压和疼痛。
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 有效性1.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	纳入复发性/难治性高危NB患者80例，那西妥单抗联合GM-CSF治疗初发难治性NB患者的CR和PR分别为44%和40%，治疗复发难治性NB患者的CR和PR分别为24%和15%。
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 有效性2.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	GD2 抗体是针对高危 NB 的免疫靶向药物，是近 10 年来治疗高危 NB 的重要进展。因目前国内外尚无确定的针对复发和（或）难治性NB有效的治疗方案，可采用抗体免疫治疗，抗体免疫治疗药物包括Hu3F8(那西妥单抗)。
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 2021CCCG共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	GD2 抗体是针对高危 NB 的免疫靶向药物，是近 10 年来治疗高危 NB 的重要进展。因目前国内外尚无确定的针对复发和（或）难治性NB有效的治疗方案，可采用抗体免疫治疗，抗体免疫治疗药物包括Hu3F8(那西妥单抗)。
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 2021CCCG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	本品的两项关键单臂研究均达到了主要研究终点，具有突出的总体缓解率和持久的缓解持续时间，总体缓解中，以更具有临床意义的完全缓解为主，中国受试者显示出与全球患者一致的临床获益。与同类已上市产品比较，本品在复发难治性神经母细胞瘤中，均具有突出疗效，同时本品在复发难治性人群中，可能具有更高的CR率，为本品潜在临床优势。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 技术审批报告那西妥单抗注射液.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	本品的两项关键单臂研究均达到了主要研究终点，具有突出的总体缓解率和持久的缓解持续时间，总体缓解中，以更具有临床意义的完全缓解为主，中国受试者显示出与全球患者一致的临床获益。与同类已上市产品比较，本品在复发难治性神经母细胞瘤中，均具有突出疗效，同时本品在复发难治性人群中，可能具有更高的CR率，为本品潜在临床优势。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 技术审批报告那西妥单抗注射液.pdf

三、安全性信息

药品说明书刊载的安全性信息	研究201和研究12-230中最常见的不良反应（任一研究中均 $\geq 25\%$ ）是输注相关反应、疼痛、心动过速、呕吐、咳嗽、恶心、腹泻、食欲减退、高血压、疲劳、多形性红斑、周围神经病变、荨麻疹、发热、头痛、注射部位反应、水肿、焦虑、局部水肿和易怒。研究201和研究12-230中：最常见的3级或4级实验室异常（任一研究中 $\geq 5\%$ ）淋巴细胞减少、中性粒细胞减少、血红蛋白降低、血小板计数减少、钾降低、丙氨酸氨基转移酶升高、血糖降低、钙降低、白蛋白降低、钠降低和磷降低。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	那西妥单抗注射液于2020年11月在美国获批上市，2022年11月在中国附条件批准上市。上市后各国家药监局未发布过安全性警告、黑框警告、撤市信息。那西妥单抗最主要的不良反应为输注反应和神经毒性（主要为疼痛），但3级以上事件发生率相对可控，未导致死亡。那西妥单抗与粒细胞-巨噬细胞集落刺激因子（GM-CSF）联用具有突出的总体缓解率和持久的缓解持续时间，缓解患者以更具有临床意义的完全缓解为主。虽然存在发生严重输注相关反应和神经毒性的可能，但可通过说明书控制用药风险，总体的获益风险为正向。
相关报导文献	↓ 下载文件 那西妥单抗注射液说明书.pdf

四、创新性信息

创新程度	1.GD2在神经母细胞瘤中100%高表达,那西妥单抗能够作为一种免疫治疗,通过ADCC和CDC将NB细胞标记为靶标并加以杀伤,2.那西妥单抗是新一代人源化抗体结构,92%人类框架,免疫原性低,安全性更高,严重不良反应发生率更低.3.那西妥单抗注射液获得美国突破性治疗,获得美国孤儿药称号,2020年FDA和2022年NMPA加速审评.
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新程度参考文献.pdf
应用创新	①那西妥单抗基于骨和骨髓残留病变的临床开发策略，基于血药浓度高、亲和力和强的药代药动力学，疗效突出，可能具有更高的CR率。②那西妥单抗第1,3,5天输注，单次输注30-60分钟，相较于人鼠嵌合型单抗10天连续24小时（共240小时）输注给药，单次输注时间大大缩短，提高患者生活质量，并且那西妥单抗注射液在国外已实现门诊输注，无需住院，节约医疗资源，降低医院综合管理成本。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 应用创新参考文献.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	神经母细胞瘤（NBL）患病人群多为儿童，属于第二批罕见病目录，促进罕见病NBL患者从有药可用到有药可选，对罕见病难治性/复发性NBL尤其是儿童医保投入，能够极大改善患儿和家庭生活质量，助力患儿回归学业和正常生活，助力社会和谐，提高儿童基本医疗水平，社会意义重大。
符合“保基本”原则描述	儿童难治性/复发性神经母细胞瘤危害重，死亡率高。传统挽救化疗方案远期预后并不理想，亟需全新治疗方案弥补现有目录保障短板；那西妥单抗的慈善援助政策和城市惠民保叠加保障用药需求，罕见病患者人数有限；生活质量提升及节

约住院时间等产生的医保支出，基金影响有限。

弥补目录短板描述

全球唯一、国内首个获批的人源化GD2单抗，填补目前国家医保目录内此治疗领域空白，弥补儿童用药少的短板。目前覆盖难治性和复发性NBL的治疗方案药物目录仍以化疗药物为主，靶向免疫治疗药物有效且安全，临床必需，填补神经母细胞瘤免疫治疗医保空白

临床管理难度描述

那西妥单抗注射液属于罕见病用药，适应症明确，无临床滥用风险，临床管理难度低，患者诊疗较集中，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。