



艾度硫酸酯酶 β 注射液 (海芮思[®])

诺爱药业（上海）有限公司
(北海康成制药有限公司下属公司)

目录页

1 药品基本信息	03
2 安全性	05
3 有效性	06
4 创新性	09
5 公平性	10

- **通用名：艾度硫酸酯酶β注射液**
- **说明书适应症：用于确诊的黏多糖贮积症II型（MPSII, 亨特综合征）患者的酶替代治疗。**
本品尚未在38个月龄以下儿童中开展临床试验。
- **注册规格：6mg(3ml)/瓶**
- **用法用量：推荐剂量方案为0.5mg/kg体重，每周一次静脉输注。**
- **中国大陆首次上市时间：2020年9月获批**
- **全球首个上市国家/地区及上市时间：韩国，2012年1月**
- **目前大陆地区同通用名上市情况：无，本品为独家**
- **是否为OTC药品：否**



- **参照药品建议：无**

理由：艾度硫酸酯酶β注射液是**中国首个且唯一**、治疗国家罕见病目录73号罕见病黏多糖贮积症II型的特异性治疗药物，故国内无可及参照药品。

- **疾病基本情况：**黏多糖贮积症（MPS）是由于溶酶体中降解糖胺聚糖（黏多糖，GAGs）的水解酶活性缺乏或降低，导致GAG聚积在体内后致多器官系统受累的一组疾病，**是中国第一批罕见病目录中第73号疾病**
 - ✓ **黏多糖贮积症II型（MPS II，亨特综合征）**
 - **罕见遗传性疾病**（X染色体相关隐性遗传，患病者主要为男性），**疾病发作年龄：2~4岁**
 - **临床症状：**严重的气道阻塞、骨骼畸形、心肌病等，大多数患者出现神经功能下降，大部分患者缺乏自理能力，生命质量低下，不接受治疗患者病情进展迅速，**中位死亡年龄13.4岁**
- **大陆地区发病率：**亚洲国家和地区MPSII新生儿发病率约为 0.84/10万¹
- **年发病患者总数：****100人左右**（按照2022年新生儿956万人计算²）
- **未满足的治疗需求：**
 - ✓ **MPSII缺少特异性治疗药物，药物可及性低**
 - 海芮思注射液是中国**首个且唯一一个治疗MPSII的酶替代（ERT）药物**，填补了中国MPSII临床治疗空白
 - ✓ **MPSII患者生命质量低，缺乏自理能力，照护者负担重**
 - 海芮思临床显示能有效减轻患者症状，提高患者行动能力和自理能力

1. <https://doi.org/10.1016/j.ymgme.2017.05.016>

2. 国家统计局2022年公报 http://www.stats.gov.cn/sj/zxfb/202302/t20230228_1919011.html

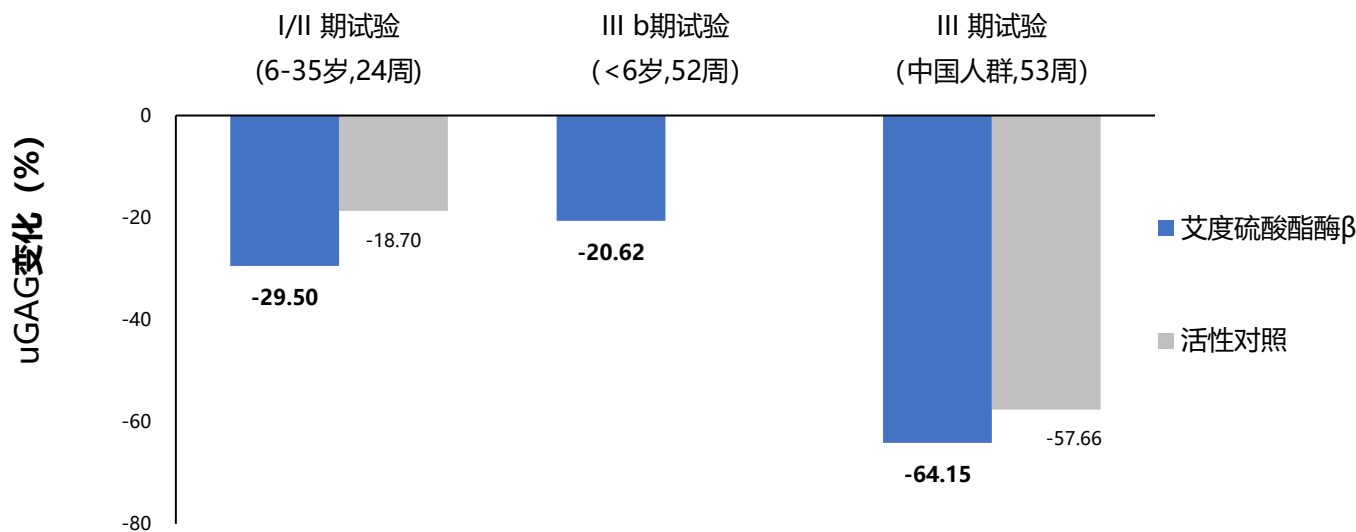
- **药品说明书记载的安全信息：**最常见报告的不良反应是输液相关反应，大多为轻中度，包括皮肤反应（荨麻疹、皮疹、瘙痒）、发热、头痛、高血压和潮红。通过减慢输注速率、中断输注或给予抗组胺药和/或皮质类固醇可以治疗或改善输液相关反应。对本品成份或任何辅料发生过重度或危及生命的超敏反应者为禁忌用药¹。
- **目前在国内外的不良反应发生情况：**
 - ✓ 最常见的不良反应为荨麻疹、皮疹等输液相关反应，**大多为轻中度且具有一过性和可控性。**
 - ✓ 药品安全性研究结果显示²，小于6岁的患者转用艾度硫酸酯酶β治疗52周，6例患者共发生109次AE，**均为1/2级**，1次SAE（与药物无关），1例患者（16.7%）发生输注相关药品不良反应，无SAE，无患者发生停药现象，整体安全性特征良好。
 - ✓ 自2012年1月9日以来已在包括中国在内的17个国家使用，监管机构和上市许可持有人未因安全性原因而采取任何措施。

1. 艾度硫酸酯酶β说明书

2. Sohn YB, et al. Mol Genet Metab. 2015;114(2):156-60.

综合多个临床研究结果显示:

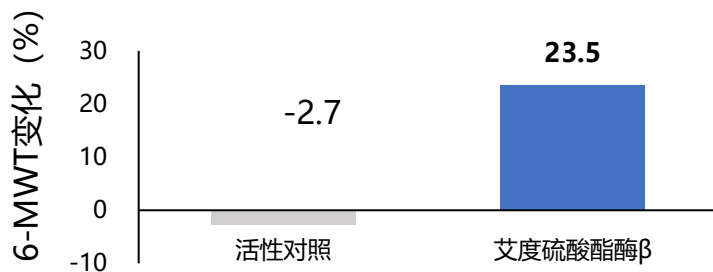
- 对于初次接受艾度硫酸酯酶 β 诊疗的患者, 本药物显著降低uGAG水平达**64.15%**¹
- 直接实验室指标uGAG降幅较活性对照组更大
- 从幼儿期 (6岁以下儿童) 到成年期的广泛年龄范围内的疗效得到证实



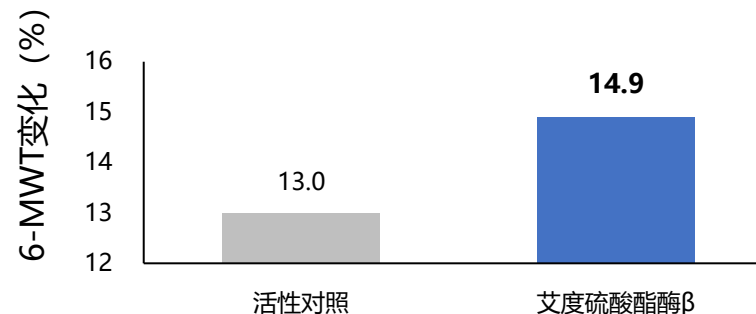
综合多个临床研究结果显示：

- 艾度硫酸酯酶 β 改善患者心肺功能，最高可以提升患者6分钟步行长度达23.5%¹
- 相比活性对照，艾度硫酸酯酶 β 组增幅更大

I/II期临床研究中，
治疗24周，6-MWT增加**23.5% (61.6米)**



中国人群III期研究中，
治疗53周，6-MWT增加**14.9% (52.33米)**



*6分钟步行试验 (6-MWT) 反映行走距离的能力，是关节疾病和心肺功能临床影响的耐力指标

- 各国指南和共识均推荐**ERT是MPS II型的标准治疗**，且部分指南专门指出**早治疗早获益**

国家	指南名称	ERT治疗推荐
中国	黏多糖贮积症II型临床诊断与治疗专家共识 (2021) ¹	患儿确诊后，宜尽早开始ERT。早期ERT可减缓疾病进展，改善患儿预后。
美国	美国医学遗传学和基因组学学院 (ACMG) MPS II治疗共识 (2020) ²	存在症状或体征的患者无论轻型或重型均需要ERT治疗
欧洲	欧洲MPS II诊断和多学科管理推荐 (2011) ³	尽早起始ERT，ERT治疗至少12-18个月
西班牙	MPS II诊断和随访的德尔菲法专家共识 (2018) ⁴	早期ERT治疗可改变疾病的预后和进展

- **国家药品审评中心出具的《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述：**
- ✓ 我国尚无MPSII型的酶替代治疗药物批准上市，MPSII在我国属于尚无有效治疗手段的疾病。艾度硫酸酯酶β注射液因符合优先审批条件第（一）条“**临床急需的短缺药品、防治重大传染病和罕见病等疾病的创新药和改良型新药**”获得**优先审评审批**。

1.黏多糖贮积症 II 型临床诊断与治疗专家共识(2021); 2.美国医学遗传学和基因组学学院 (ACMG) MPS II治疗共识 (2020); 3.欧洲MPS II诊断和多学科管理推荐 (2011); 4. MPS II诊断和随访的德尔菲法专家共识 (2018)

• 药品创新:

- ✓ 中国首个且唯一MPSII酶替代疗法，FDA 孤儿药资格认证，获 NMPA 优先评审资格，填补临床治疗空白。
- ✓ 生产工艺新，酶活性高：成熟CHO工程细胞体系提高稳定性，无血清培养基降低污染风险，为患者补充缺失的酶，与受体特异性结合，靶向溶酶体，使糖胺聚糖分解代谢。

• 应用创新:

- ✓ 给药方便：当前对于少数患者可采取的另一种治疗手段为造血干细胞移植。艾度硫酸酯酶 β 每周一次注射给药，无并发症，无需配体，无需住院，不良反应少且轻微，依从性好。
- ✓ 患者安全：MPSII主要为儿童患者，针对6岁以下儿童进行临床试验验证，儿童用药证据充分。

• 创新带来的疗效及安全性方面的优势:

- ✓ 可及性高，提供更安全和更可靠的治疗选择
- ✓ 安全性高，国内外临床用药未发生超敏等严重不良反应，未有患者因不良反应停药。

- 入选人民日报健康客户端主办的“2020年第十三届健康中国论坛十大新药”，评选为其中唯一的罕见病药品。

对公共健康影响

显著降低患者死亡率，提高患者预期寿命，提高患者生命质量

符合“保基本”原则

为**MPS II患者临床必须药品**，无相关联合用药负担

弥补目录短板

目录中无MPS II治疗药物，填补目录空白

临床管理便利

适应症单一，**不存在临床滥用或超适应症用药**

Thanks

感谢观看