

**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：注射用奥加伊妥珠单抗

企业名称：辉瑞投资有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-13 00:33:25	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)	注射用奥加伊妥珠单抗	医保药品分类与代码	XL01XCA372B001010183963
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		
核心专利类型1	化合物专利	核心专利权期限届满日1	2023-05
核心专利类型1	化合物专利	核心专利权期限届满日1	2023-05
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	1.0mg/瓶		
上市许可持有人(授权企业)	Wyeth Pharmaceuticals LLC		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于复发性或难治性前体B细胞急性淋巴细胞白血病(ALL)成年患者		
说明书用法用量	【说明书推荐、真实世界证明奥加伊妥珠单抗治疗不超过2周期(7瓶)】①说明书推荐，对于需要接受造血干细胞移植(HSCT)的患者，则推荐的本品的治疗周期为2个。②中国、英国、美国多个真实世界研究均证实，奥加伊妥珠单抗的实际使用周期均未超过2周期。③周边国家和地区(中国台湾、韩国和土耳其)已纳入医保报销(实际使用显示不超过2个周期)。④三期临床研究显示，有73%患者第1周期达到缓解(CR/CRi)，共97%的患者第2周期达到缓解(CR/CRi)。⑤42.7%患者使用奥加伊妥珠单抗实现缓解后即可进行造血干细胞移植或其他缓解后治疗。【用法用量】①第一个周期：推荐总剂量为1.8mg/m ² (即共4瓶)，分三次给药：分别在第1天(0.8mg/m ²)、第8天(0.5mg/m ²)和第15天(0.5mg/m ²)给药；第一周期的持续时间为3周，但如果患者达到完全缓解(CR)/完全缓解伴血液学不完全恢复(Cri)，以及/或者未从毒性中恢复，则可将第一周期延至4周。②第二个周期：共3瓶，分3次给药，在第1、8、15天(各0.5mg/m ²)给药(达到CR/CRi后)		
所治疗疾病基本情况	①复发/难治性急淋(ALL)是有极高死亡风险的【罕见肿瘤】②成人急性淋巴细胞白血病的发病率为0.32/10万人，74%患者确诊18个月内复发，患者5年生存率<10%，中位生存期3-6个月③复发/难治性急性淋巴细胞白血病的主要治疗手段是移植，达到缓解后造血干细胞移植延长生命④大部分急性淋巴细胞白血病的儿童患者现有治疗治愈率高，复发难治性ALL多发生在成人患者，成人患者未满足需求更紧迫。		
中国大陆首次上市时间	2021-12	注册证号/批准文号	国药准字SJ20210033
该通用名全球首个上市国家/地区	欧盟	该通用名全球首次上市时间	2017-06
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	1.【目录内无相同适应症的药物】。2.奥加伊妥珠单抗为首个且唯一治疗急性淋巴细胞白血病的抗体药物偶联物(ADC)药物，具有比传统药物更精准、比靶向药物更强大的杀伤能力，通过具有高度稳定并可精准释放的连接体，连接了靶向CD22人源化单抗(促进精准结合并内吞)、强效细胞毒性的利勃霉素，实现对肿瘤细胞DNA的强效杀伤。3.		

与现有创新治疗药物相比（三期临床数据，非直接对比）：【有效性】：缓解率(CR/CRi)：80.7% vs 44%，全人群微小残留病转阴率（MRD）：63.3% vs 26.9%，接受移植患者比例：41% vs 24% 【安全性】严重不良反应：48% vs 61.8% 【创新性】奥加伊妥珠单抗是创新的ADC药物，且每次仅需要1小时门诊给药，每周只需要3小时。而贝林妥欧单抗需要每天24小时持续静脉输注，持续28天（持续住院672小时）。4.对于使用CAR-T治疗失败的患者，在使用奥加伊妥珠单抗2周期治疗后，缓解率（CR）可高达66.7%

企业承诺书

↓ 下载文件 企业承诺书.pdf

药品最新版法定说明书

↓ 下载文件 注射用奥加伊妥珠单抗说明书.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 注射用奥加伊妥珠单抗注册证.pdf

申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）

↓ 下载文件 注射用奥加伊妥珠单抗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 注射用奥加伊妥珠单抗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0.8m²。
 - 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)
异基因造血干细胞移植	是	-	-	-	-	-	50万

参照药品选择理由：①目录内无同适应症药，异基因造血干细胞移植是成人复发难治性急淋患者获得治愈或减少复发的主要治疗方式。②临床应用广泛。③获国内外权威指南一致一级推荐，经奥加伊妥珠单抗治疗达到缓解后，桥接造血干细胞移植

其他情况请说明：-

二、有效性信息

试验类型1	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	【中国上市后真实世界研究证实，奥加伊妥珠单抗实际治疗不足1周期】基于2020年3月至2022年9月北京医疗机构真实世界研究证实，奥加伊妥珠单抗治疗复发难治性前体B细胞急淋患者，成人患者实际使用仅2瓶即可达到CR（CR/CRi

66.7%)，MRD转阴率100%，同时肝毒性和VOD(肝小静脉闭塞病)发生率更低，更安全。因此证实，奥加伊妥单抗实际使用不足1周期即可达到强效安全治疗。

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文件)

[↓ 下载文件](#) 【研究1】高博单中心1周期2瓶.pdf

试验类型2 真实世界数据

试验对照药品 无

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

【中国上市后真实世界研究证实，奥加伊妥单抗实际治疗最多1周期】基于2022-2023年天津血研所真实世界研究证实，奥加伊妥单抗治疗R/R B-ALL患者的实际中位为2瓶(最多3瓶)，不足一周期即可达到缓解(CR/CRi 77.8%)，ORR 88.9%，MRD转阴率66.7%。因此证实，奥加伊妥单抗实际使用不足1周期即可达到强效治疗。

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文件)

[↓ 下载文件](#) 【研究2】天津血研所1周期3瓶.pdf

试验类型3 真实世界数据

试验对照药品 CAR-T

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

【中国上市后真实世界研究证实，奥加伊妥单抗实际治疗最多1周期】基于2023年中国多中心真实世界研究证实，奥加伊妥单抗治疗R/R B-ALL成人患者实际使用仅1周期，治疗后CR/CRi 60%，显著高于CAR-T(CR/CRi 50%)。因此证实，奥加伊妥单抗实际使用仅1周期即可达到强效缓解和治疗，且疗效优于CAR-T。

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文件)

[↓ 下载文件](#) 【研究3】中国多中心1周期.pdf

试验类型4 真实世界数据

试验对照药品 无

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

【奥加伊妥单抗中位治疗2周期、7瓶，且疗效良好】：美国真实世界研究发现，奥加伊妥单抗的中位治疗周期为2周期，累计剂量为3.3mg/m²(即7瓶：第一周期1.8mg/m²，4瓶；第二周期1.5mg/m²，3瓶)。奥加伊妥单抗治疗患者的CR/CRi为63%，MRD转阴率为44%。27%的患者在应答后桥接移植。奥加伊妥单抗治疗的中位应答时间为11.5个月，中位OS为11.6个月

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文件)

[↓ 下载文件](#) 【研究4】美国多中心2周期7瓶.pdf

试验类型5 真实世界数据

试验对照药品 无

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

【奥加伊妥单抗中位治疗2周期，且疗效良好】奥加伊妥单抗治疗患者中，接受移植的患者的中位治疗周期为2周期、未接受移植患者的中位治疗周期也为2周期。CR/CRi为69%，MRD阴性率为79%。中位随访时间111.7个月，中位

	OS为11.7个月。6个月、12个月的OS率分别为68%、46%。奥加伊妥珠单抗治疗后接受造血干细胞移植和CAR-T的中位OS分别为22.8个月和22.8个月
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 【研究5】英国多中心2周期.pdf
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	【奥加伊妥珠单抗中位治疗2周期，且疗效良好】美国一项真实世界研究发现，奥加伊妥珠单抗治疗的中位治疗周期为2周期。中位随访时间19个月，CR/CRi为76%。自最后一次使用奥加伊妥珠单抗至移植前间隔中位时间1.9个月。移植2年后，复发率为18%，死亡率为41%。中位OS为21.2个月。
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 【研究6】美国芝加哥单中心2周期.pdf
试验类型7	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	化疗：FLAG方案、Ara-C+米托蒽醌、高剂量Ara-C等
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【奥加伊妥珠单抗为患者带来更快速深度缓解、提升移植机会及2年和3年长期生存获益】：奥加伊妥珠单抗可使更多患者达到完全缓解（80.7% vs.29.4%），提升微小残留病转阴率（78.4% vs. 28.1%）；显著提升患者接受造血干细胞移植的机会（41% vs.11%）；有效提升患者总生存率（2年OS：22.8% vs.10.0%，3年OS：20.3% vs.6.5%），增加治愈机会。
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 【研究7】三期临床研究.pdf
试验类型8	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	化疗：FLAG方案、Ara-C+米托蒽醌、高剂量Ara-C等
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【奥加伊妥珠单抗提升患者接受移植机会，进而提升患者生存获益】：奥加伊妥珠单抗治疗的所有患者中43%桥接移植，2年生存率为41%。其中首次HSCT移植后mOS为11.8个月，2年生存率为46%。而对于奥加伊妥珠单抗治疗达到缓解即首次桥接HSCT，患者获益最大：2年生存率为51%
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 【研究8】三期临床研究长期研究.pdf
试验类型9	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	化疗：FLAG方案、Ara-C+米托蒽醌、高剂量Ara-C等
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【奥加伊妥珠单抗提升患者微小残留病转阴率，MRD转阴后移植的中位生存期高达19.2个月】：在实现缓解的121例患者中，76例治疗后MRD转阴。MRD阴性组与MRD阳性组患者的中位OS分别为14.1个月和7.2个月。奥加伊妥珠单抗治

	疗达到MRD转阴后，患者再接受移植，mOS高达19.2个月
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 【研究9】三期临床研究中位生存期19个月.pdf
试验类型10	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	化疗：FLAG方案、Ara-C+米托蒽醌、高剂量Ara-C等
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【奥加伊妥珠单抗亚洲人群分析显示，可为患者带来快速深度缓解，提升接受移植比例及生存期】：提升总缓解率（71% vs. 20.8%），更多达到缓解的患者实现了微小残留病转阴：77.3% vs. 20%。更多患者在接受治疗后直接进行造血干细胞移植：48.4% vs. 12.5%。与传统药物相比，奥加伊妥珠单抗的中位总生存期更长：5.8个月 vs. 3.9个月
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 【研究10】奥加伊妥珠单抗三期临床研究亚洲亚组分析.pdf
试验类型1	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	【中国上市后真实世界研究证实，奥加伊妥珠单抗实际治疗不足1周期】基于2020年3月至2022年9月北京医疗机构真实世界研究证实，奥加伊妥珠单抗治疗复发难治性前体B细胞急淋患者，成人患者实际使用仅2瓶即可达到CR（CR/CRi 66.7%），MRD转阴率100%，同时肝毒性和VOD(肝小静脉闭塞病)发生率更低，更安全。因此证实，奥加伊妥珠单抗实际使用不足1周期即可达到强效安全治疗。
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 【研究1】高博单中心1周期2瓶.pdf
试验类型2	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	【中国上市后真实世界研究证实，奥加伊妥珠单抗实际治疗最多1周期】基于2022-2023年天津血研所真实世界研究证实，奥加伊妥珠单抗治疗R/R B-ALL患者的实际中位为2瓶（最多3瓶），不足一周期即可达到缓解（CR/CRi 77.8%），ORR 88.9%，MRD转阴率66.7%。因此证实，奥加伊妥珠单抗实际使用不足1周期即可达到强效治疗。
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 【研究2】天津血研所1周期3瓶.pdf
试验类型3	真实世界数据
试验对照药品	CAR-T
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	【中国上市后真实世界研究证实，奥加伊妥珠单抗实际治疗最多1周期】基于2023年中国多中心真实世界研究证实，奥加伊妥珠单抗治疗R/R B-ALL成人患者实际使用仅1周期，治疗后CR/CRi 60%，显著高于CAR-T（CR/CRi 50%）。因此证实，奥加伊妥珠单抗实际使用仅1周期即可达到强效缓解和治疗，且疗效优于CAR-T。

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 【研究3】中国多中心1周期.pdf
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	【奥加伊妥珠单抗中位治疗2周期、7瓶，且疗效良好】：美国真实世界研究发现，奥加伊妥珠单抗的中位治疗周期为2周期，累计剂量为3.3mg/m ² （即7瓶：第一周期1.8mg/m ² ，4瓶；第二周期1.5mg/m ² ，3瓶）。奥加伊妥珠单抗治疗患者的CR/CRi为63%，MRD转阴率为44%。27%的患者在应答后桥接移植。奥加伊妥珠单抗治疗的中位应答时间为11.5个月，中位OS为11.6个月
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 【研究4】美国多中心2周期7瓶.pdf
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	【奥加伊妥珠单抗中位治疗2周期，且疗效良好】奥加伊妥珠单抗治疗患者中，接受移植的患者的中位治疗周期为2周期、未接受移植患者的中位治疗周期也为2周期。CR/CRi为69%，MRD阴性率为79%。中位随访时间111.7个月，中位OS为11.7个月。6个月、12个月的OS率分别为68%、46%。奥加伊妥珠单抗治疗后接受造血干细胞移植和CAR-T的中位OS分别为22.8个月和22.8个月
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 【研究5】英国多中心2周期.pdf
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	【奥加伊妥珠单抗中位治疗2周期，且疗效良好】美国一项真实世界研究发现，奥加伊妥珠单抗治疗的中位治疗周期为2周期。中位随访时间19个月，CR/CRi为76%。自最后一次使用奥加伊妥珠单抗至移植前间隔中位时间1.9个月。移植2年后，复发率为18%，死亡率为41%。中位OS为21.2个月。
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 【研究6】美国芝加哥单中心2周期.pdf
试验类型7	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	化疗：FLAG方案、Ara-C+米托蒽醌、高剂量Ara-C等
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【奥加伊妥珠单抗为患者带来更快速深度缓解、提升移植机会及2年和3年长期生存获益】：奥加伊妥珠单抗可使更多患者达到完全缓解（80.7% vs.29.4%），提升微小残留病转阴率（78.4% vs. 28.1%）；显著提升患者接受造血干细胞移植的机会（41% vs.11%）；有效提升患者总生存率（2年OS：22.8% vs.10.0%，3年OS：20.3% vs.6.5%），增加治愈机会。

<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 【研究7】三期临床研究.pdf</p>
<p>试验类型8</p>	<p>RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>化疗：FLAG方案、Ara-C+米托蒽醌、高剂量Ara-C等</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市前</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>【奥加伊妥珠单抗提升患者接受移植机会，进而提升患者生存获益】：奥加伊妥珠单抗治疗的所有患者中43%桥接移植，2年生存率为41%。其中首次HSCT移植后mOS为11.8个月，2年生存率为46%。而对于奥加伊妥珠单抗治疗达到缓解即首次桥接HSCT，患者获益最大：2年生存率为51%</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 【研究8】三期临床研究长期研究.pdf</p>
<p>试验类型9</p>	<p>单个样本量足够的RCT</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>化疗：FLAG方案、Ara-C+米托蒽醌、高剂量Ara-C等</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市前</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>【奥加伊妥珠单抗提升患者微小残留病转阴率，MRD转阴后移植的中位生存期高达19.2个月】：在实现缓解的121例患者中，76例治疗后MRD转阴。MRD阴性组与MRD阳性组患者的中位OS分别为14.1个月和7.2个月。奥加伊妥珠单抗治疗达到MRD转阴后，患者再接受移植，mOS高达19.2个月</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 【研究9】三期临床研究中位生存期19个月.pdf</p>
<p>试验类型10</p>	<p>单个样本量足够的RCT</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>化疗：FLAG方案、Ara-C+米托蒽醌、高剂量Ara-C等</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市前</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>【奥加伊妥珠单抗亚洲人群分析显示，可为患者带来快速深度缓解，提升接受移植比例及生存期】：提升总缓解率（71% vs. 20.8%），更多达到缓解的患者实现了微小残留病转阴：77.3% vs. 20%。更多患者在接受治疗后直接进行造血干细胞移植：48.4% vs. 12.5%。与传统药物相比，奥加伊妥珠单抗的中位总生存期更长：5.8个月 vs. 3.9个月</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 【研究10】奥加伊妥珠单抗三期临床研究亚洲亚组分析.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>2024年《中国临床肿瘤学会（CSCO）恶性血液病诊疗指南（2024年）》中推荐，可同时治疗费城染色体阴性和阳性患者，其中对于费城染色体阴性的复发难治性ALL患者使用奥加伊妥珠单抗为一级推荐</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 【指南1】2024CSCO指南.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>《2024年美国NCCN急性淋巴细胞白血病诊疗指南》：奥加伊妥珠单抗作为复发难治性急淋患者的治疗选择之一，待治疗达到缓解后，接受造血干细胞移植。其中对于费城染色体阴性患者使用奥加伊妥珠单抗治疗被列为1类推荐</p>

<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 【指南2】2024NCCN指南.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>	<p>2024年《中国成人急性淋巴细胞白血病诊断与治疗指南》中推荐，使用奥加伊妥珠单抗为基础，作为复发难治急淋患者的挽救治疗</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 【指南3】中国成人急性淋巴细胞白血病诊断与治疗指南2024年版.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>2024年《中国临床肿瘤学会（CSCO）恶性血液病诊疗指南（2024年）》中推荐，可同时治疗费城染色体阴性和阳性患者，其中对于费城染色体阴性的复发难治性ALL患者使用奥加伊妥珠单抗为一级推荐</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 【指南1】2024CSCO指南.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>《2024年美国NCCN急性淋巴细胞白血病诊疗指南》：奥加伊妥珠单抗作为复发难治性急淋患者的治疗选择之一，待治疗达到缓解后，接受造血干细胞移植。其中对于费城染色体阴性患者使用奥加伊妥珠单抗治疗被列为1类推荐</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 【指南2】2024NCCN指南.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>	<p>2024年《中国成人急性淋巴细胞白血病诊断与治疗指南》中推荐，使用奥加伊妥珠单抗为基础，作为复发难治急淋患者的挽救治疗</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 【指南3】中国成人急性淋巴细胞白血病诊断与治疗指南2024年版.pdf</p>

<p>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</p>	<p>【1】《技术审评报告》指出，各关键临床试验数据表明奥加伊妥珠单抗展现出显著的优效效果。评审认可在复发难治性CD22阳性成人ALL患者（总人群）中，奥加伊妥珠单抗治疗组的血液学缓解率优于对照组，代表显著临床获益，给更多患者接受造血干细胞移植机会。亚裔患者在接受奥加伊妥珠单抗治疗相比于传统药物组优势有一致的趋势。【2】三期临床研究显示，奥加伊妥珠单抗的完全缓解率高达80.7%，是对照组的2.7倍（80.7% vs. 29.4%），其中亚洲人群的优势更为显著，是对照组的3.4倍。在取得完全缓解的所有患者中，奥加伊妥珠单抗的微小残留病（MRD）转阴率高达78%，是对照组的2.8倍，亚洲人群优势同样显著，是对照组的3.9倍。用于一线挽救治疗患者的完全缓解率达到87.7%，而对于高肿瘤负荷患者仍可获益，骨髓原始细胞比例高于90%患者，总缓解率仍高达70%，是对照组的4.1倍。【3】接受奥加伊妥珠治疗患者中，41%的患者有机会接受移植，是对照组的3.8倍，而患者达到缓解后首次接受移植，两年生存率高达41%；患者治疗达到微小残留病（MRD）转阴后接受移植，中位生存期高达19.2个月。</p>
--	--

<p>《技术审评报告》原文（可节选）</p>	<p>↓ 下载文件 注射用奥加伊妥珠单抗申请上市技术审评报告.pdf</p>
------------------------	--

<p>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</p>	<p>【1】《技术审评报告》指出，各关键临床试验数据表明奥加伊妥珠单抗展现出显著的优效效果。评审认可在复发难治性CD22阳性成人ALL患者（总人群）中，奥加伊妥珠单抗治疗组的血液学缓解率优于对照组，代表显著临床获益，给更多患者接受造血干细胞移植机会。亚裔患者在接受奥加伊妥珠单抗治疗相比于传统药物组优势有一致的趋势。【2】三期临床研究显示，奥加伊妥珠单抗的完全缓解率高达80.7%，是对照组的2.7倍（80.7% vs. 29.4%），其中亚洲人群的优势更为显著，是对照组的3.4倍。在取得完全缓解的所有患者中，奥加伊妥珠单抗的微小残留病（MRD）转阴率高达78%，是对照组的2.8倍，亚洲人群优势同样显著，是对照组的3.9倍。用于一线挽救治疗患者的完全缓解率达到87.7%，而对于高肿瘤负荷患者仍可获益，骨髓原始细胞比例高于90%患者，总缓解率仍高达70%，是对照组的4.1倍。【3】接受奥加伊妥珠治疗患者中，41%的患者有机会接受移植，是对照组的3.8倍，而患者达到缓解后首次接受移植，两年生存</p>
--	---

率高达41%；患者治疗达到微小残留病（MRD）转阴后接受移植，中位生存期高达19.2个月。

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 注射用奥加伊妥珠单抗申请上市技术审评报告.pdf

三、安全性信息

药品说明书收载的安全性信息

①说明书中的不良反应包括肝脏毒性，骨髓抑制，输液相关反应等。但真实世界研究显示，通过有效的患者识别和预处理，可将肝小静脉闭塞病（VOD）的实际发生几率降至0%。②全球范围内，奥加伊妥珠单抗5年内没有发生过撤市。

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

【1】肝小静脉闭塞病（VOD）可通过一系列有效防控手段来避免，且真实世界实际发生率可降至0%：①2022年中华医学会发布《造血干细胞移植后肝窦系阻塞综合征（VOD）诊断与治疗中国专家共识》，表明近年来我国发生率显著降低，成人低于儿童②高危患者可提前识别，进行重点管理③对高危患者进行重点有效预防，通过熊去氧胆酸（UDCA）预处理的方式可显著降低移植后肝小静脉闭塞病的发生率（从18.5%降至3.0%）④真实世界显示，通过有效的患者识别和预处理，可将肝小静脉闭塞病（VOD）的实际发生几率降至0%（多中心回顾性分析显示，异基因移植后VOD的整体发生率仅0.4%，多项美国真实世界研究发现，通过进行有效的预处理后，未报告VOD发生）【2】接受奥加伊妥珠单抗的复发或难治性ALL患者会出现肝脏毒性，包括肝小静脉闭塞病（VOD）和造血干细胞移植（HSCT）后非复发性死亡的风险增加。根据Ⅲ期INO-VATE研究结果，奥加伊妥珠单抗治疗期间不良事件的发生率与标准化疗相当，严重不良事件发生率低于贝林妥欧单抗（根据贝林妥欧单抗Ⅲ期研究）。

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 安全性证明文件.pdf

四、创新性信息

创新程度

①我国首个且唯一获批用于急性淋巴细胞白血病的抗体药物偶联物（ADC），比传统药更精准、比靶向药更强大的杀伤能力，通过具有高度稳定并可精准释放的连接体，连接了靶向CD22人源化单抗和强效细胞毒性的利泊霉素，实现对肿瘤细胞DNA的强效损伤。②精准靶向：CD22存在于90%以上的B细胞急性淋巴细胞白血病患者中。③获得FDA孤儿药认证、优先审评和突破性认证，EMA孤儿药认证，CDE优先审评。

创新性证明文件

[↓ 下载文件](#) 机制创新支持材料.pdf

应用创新

【1】提升患者依从性：①每周期28天，仅需输注3次，每次1小时，门诊进行，而贝林妥欧单抗需每天24小时持续输注，持续28天，需住院。②显著缩短患者住院天数（与贝林妥欧单抗相比缩短23天、比传统治疗缩短36天）【2】更适合特殊人群：①高肿瘤负荷患者（骨髓原始细胞比例>50%）获益显著，总缓解率达70-75%②老年患者无法接受移植，但指南推荐仍可使用奥加伊妥珠单抗治疗，提升缓解率，疗效显著

应用创新证明文件

[↓ 下载文件](#) 应用创新支持材料.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成人复发难治急性淋巴细胞白血病是有极高死亡风险的罕见肿瘤，医保目录内无有效治疗药物；②74%患者确诊18个月内复发，5年生存率<10%，中位生存期3-6个月，成人患者未满足需求高，生存面临严峻挑战。急需有效药物挽救生命；③移植是获得长期生存甚至治愈的主要方式，移植后5年生存率是未移植2.5倍；④显著提升总缓解率和移植比例，推动《健康中国2030》恶性肿瘤5年生存率提高15%。

符合“保基本”原则描述

①接受一线治疗，快速达到缓解，接受移植，延长生存是罕见肿瘤患者基本医疗需求②成人需求更紧迫，相比儿童，成人复发率高且生存率差，成人复发率是儿童1.5倍，5年生存率<10%，生存堪忧（5年生存率是儿童1/9）③奥加伊妥珠单抗通过快速深度缓解，使更多患者接受移植，2年和3年生存率是传统药物的2倍和3倍，达到MRD转阴后移植的中位生存期高达19.2个月，实现更长期生存获益，通过接受移植获得治愈机会

弥补目录短板描述

①医保目录中无治疗复发难治B细胞急淋患者有效药物，传统治疗手段后患者生存率低、死亡率高：中位生存期3-6个月，5年生存率<10%②奥加伊妥珠单抗是中国首个且唯一治疗急淋的抗体药物偶联物（ADC），疗效卓越，显著提高患者总缓解率和微小残留病（MRD）转阴率，CAR-T治疗失败的患者，奥加伊妥珠单抗治疗后缓解率可达66.7%。使更多患者有机会移植，延长生命，填补成人复发难治性B细胞急淋患者用药空白

临床管理难度描述

①中国成人急性淋巴细胞白血病发病率0.32/10万人，是罕见肿瘤，患者数量非常有限，医保基金影响可控 ②适应症明确，仅用于成人复发难治性B细胞急性淋巴细胞白血病，且有明确的诊断标准及治疗指南，不易造成滥用 ③三期临床、国内外多个真实世界研究、指南共识及周边国家医保报销支付均证实，奥加伊妥珠单抗实际使用不超过2周期，患者实现缓解即可停药，因此治疗周期可控