

# 依库珠单抗注射液 (舒立瑞®)

阿斯利康 (无锡) 贸易有限公司

- 依库珠单抗可**靶向治疗4个罕见病#**，具有不可替代性
- **中国唯一\***获批治疗成人AQP4抗体阳性NMOSD的C5补体抑制剂
- 疗效与安全性已有**超16年**国内外临床使用经验
- 荣获**2次盖伦奖**

## 申请纳入医保适应症：

**抗水通道蛋白4 (AQP4) 抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病(NMOSD)成人患者**

*其他三个适应症\*\*已纳入2023版国家医保目录*

\*截止日期为2024年7月8日，中国内地唯一

\*\*其他三个适应症：儿童及成人阵发性睡眠性血红蛋白尿症 (PNH)，儿童及成人非典型溶血性尿毒症综合征 (aHUS)，成人抗乙酰胆碱受体 (AChR) 抗体阳性的难治性全身型重症肌无力 (gMG)

#4个罕见病适应症均纳入《中国第一批罕见病目录》

# 目录

1	药品基本信息	依库珠单抗可 <b>靶向治疗4个罕见病</b> ，具有不可替代性
2	安全性	有 <b>超16年</b> 循证医学证据及临床使用经验， <b>超400例</b> 妊娠期使用经验 <sup>c</sup>
3	有效性	单药治疗 <sup>a</sup> 患者 <b>100%</b> 近3年内 <b>零复发</b> ， <b>96%</b> 患者近4年内 <b>零复发</b> <sup>db</sup>
4	经济性	<b>罕见病</b> 患者数量有限，对医保基金 <b>影响可控</b>
5	创新性	中国 <b>唯一</b> <sup>*</sup> 获批治疗AQP4抗体阳性NMOSD的C5补体抑制剂，精准、快速抑制疾病进展 <sup>2,3</sup>
6	公平性	弥补医保目录短板，帮助患者恢复劳动力或学习能力， <b>社会回报高</b>

\*截止日期为2024年7月8日，中国内地唯一

a. 单药治疗指PREVENT研究中未接受伴随免疫抑制治疗的患者，100%是指在研究期间没有患者发生判定的复发<sup>11,16</sup>

b. 零复发是指PREVENT研究在对34例（包括舒立瑞®21例，安慰剂13例）基线时未使用IST患者的亚组分析中显示，接受舒立瑞®治疗患者均未出现复发<sup>16</sup>

c. 434例妊娠期使用经验来自PNH和aHUS适应症；尚未在接受依库珠单抗治疗的妊娠妇女中开展良好对照研究，建议在妊娠妇女使用依库珠单抗前或期间进行个体风险受益分析。如妊娠期考虑必须使用本品治疗，建议根据当地指南进行母体和胎儿的严密监测<sup>10</sup>

d. PREVENT OLE研究的结果基于中期分析，数据截止日期为2019年7月31日，主要目标是评估安全性。由于该研究是开放性研究且缺乏对照组，因此应谨慎解读有效性或临床意义的任何干扰

## 依库珠单抗可靶向治疗4个罕见病，具有不可替代性

### 基本信息

- 通用名：**依库珠单抗注射液**
- 说明书适应症（均为中国第一批罕见病目录病种）：
  - ✓ **申请纳入医保适应症：抗水通道蛋白4 (AQP4) 抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病(NMOSD)成人患者**
  - ✓ **已纳入医保支付范围：阵发性睡眠性血红蛋白尿症(PNH)的患者，非典型溶血性尿毒症综合征(aHUS)的患者，抗乙酰胆碱受体(AChR)抗体阳性的难治性全身型重症肌无力(gMG)的成人患者**
- 注册规格：**300 mg (30 ml)/瓶**
- 用法用量#：
  - ✓ 在**PNH成人患者**中：起始期：前4周每周一次静脉(IV)输注600 mg，维持期：第5周及后续每14±2天IV输注900 mg
  - ✓ 在**aHUS、难治性 gMG<sup>b</sup>和NMOSD<sup>a</sup>成人患者**中：起始期：前4周每周一次IV输注900 mg，维持期：第5周及后续每14±2天IV输注1200mg
  - ✓ 在体重小于40 kg的**PNH和aHUS儿童患者**中，基于体重给药
- 中国大陆首次上市时间：**2018年9月**
- 目前大陆地区同通用名药品的上市情况：**无**
- 全球首个上市国家及上市时间：**美国，2007年3月**
- 是否为OTC药品：**否**

### 参照品建议

空白对照

### 参照药品选择理由

从各角度评估均无适当参照药品：

1. 依库珠单抗可**靶向治疗4个罕见病**，具有不可替代性
2. 依库珠单抗是**中国唯一\***获批治疗成人AQP4抗体阳性NMOSD的C5补体抑制剂
3. NMOSD<sup>a</sup>临床试验对照药品为**安慰剂**
4. 依库珠单抗是**中国唯一\***具有**100% 零复发<sup>cd</sup>**试验数据<sup>\*\*</sup>的成人NMOSD<sup>a</sup>治疗药品<sup>1-4</sup>

\*截止日期为2024年7月8日，中国内地唯一；#详见说明书

a 抗水通道蛋白4 (AQP4) 抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病(NMOSD)

b 抗乙酰胆碱受体(AChR)抗体阳性的难治性全身型重症肌无力(gMG)

c. 100%是指在研究期间没有患者发生判定的复发，零复发是指PREVENT研究在对34例（包括舒立瑞®21例，安慰剂13例）基线时未使用IST患者的亚组分析中显示，接受舒立瑞®治疗患者均未出现复发<sup>16</sup>；d.PREVENT OLE研究的结果基于中期分析，数据截止日期为2019年7月31日，主要目标是评估安全性。由于该研究是开放性研究且缺乏对照组，因此应谨慎解读有效性或临床意义的任何干扰；\*\*已发表试验数据

1. Bruce A C Cree, et al. Lancet. 2019 Oct 12; 394 (10206): 1352-1363. 2. Br J Haematol. 2019; 185(2): 297-310. 3. Pittock S J, et al. Multiple Sclerosis Journal, 2022, 28(3): 480-486. 4. Pittock S J, et al. N Engl J Med. 2019;381(7):614-625.

## 预防复发是NMOSD核心治疗目标，依库珠单抗中国唯一\*具有100%零复发<sup>b</sup>试验数据的NMOSD<sup>#</sup>治疗药品

### 所治疗疾病基本情况 - NMOSD

- **视神经脊髓炎谱系疾病 (NMOSD)为中国第一批罕见病目录病种** (编号81)
- 以严重的视神经炎和横贯性脊髓炎为主要特征，具有**高复发、高致残性<sup>1</sup>**，20~40岁**青壮年女性患者为主**；如不进行治疗，**33%**将在首次发作后**5年内死亡<sup>2</sup>**
- **90%**在3年内复发<sup>1</sup>，**单次复发**也可能导致**永久性的残疾**，**复发持续时间**平均达**17.5天<sup>5</sup>**
- **预防复发是NMOSD的核心治疗目标<sup>1</sup>**，也是**减少残疾、改善预后**的关键
- 中国人群中NMOSD患病率为**3.31/10万<sup>3</sup>**，其中AQP4抗体阳性的成人患者约占其55%~63%<sup>1,4</sup>，预估目前中国确诊且使用靶向治疗的AQP4抗体阳性NMOSD成人患者 **< 2000人<sup>c</sup>**

### 弥补的未满足治疗需求 - NMOSD

- **疾病负担重：**
  - 超过一半会失明或永久残疾/无法独立行走<sup>2</sup>**
  - 35% 因NMOSD住院<sup>5</sup>**
  - 超过60%在日常生活不能完全自理<sup>6</sup>**
  - 超过1/3患者未就业，14%丧失劳动能力或学习能力<sup>6</sup>**
- **已上市其他机制NMOSD生物制剂仍存在局限性：**
  - ❑ 萨特利珠单抗和伊奈利珠单抗**单药**降低复发风险为**74%~77%<sup>7-8</sup>**，**单药**治疗3年左右时无复发患者比例为**73~78%<sup>7-8</sup>**，**仍有1/4左右人群面临复发和不可逆损伤风险；**
  - ❑ 因此临床迫切需求可**显著预防复发且安全性良好的**治疗药物
  - ✓ **依库珠单抗**单药<sup>a</sup>治疗患者**100%**近3年内**零复发<sup>b</sup>**，安全性经**16年**循证医学证据及临床使用经验检验<sup>9</sup>

\*截止日期为2024年7月8日，中国内地唯一；#成人抗水通道蛋白4 (AQP4) 抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病(NMOSD)  
a.单药治疗指PREVENT研究中未接受伴随免疫抑制治疗的患者，100%是指在研究期间没有患者发生判定的复发<sup>9-10</sup>  
b.零复发是指PREVENT研究在对34例(包括舒立瑞®21例，安慰剂13例)基线时未使用IST患者的亚组分析中显示，接受舒立瑞®治疗患者均未出现复发<sup>10</sup>  
c.仅基于流行病学数据进行推算，考虑了基本医保覆盖率、就诊率、诊断率、治疗率等

1. 中国免疫学会神经免疫分会. 中国神经免疫学和神经病学杂志, 2021,28(6):423-436. 2. Wingerchuk D M, et al. Journal of managed care & specialty pharmacy, 2022, 28(12-a Suppl). 3. Jyh Y H, et al. Multiple Sclerosis and Related Disorders, 2018 (19): 20-24. 4. 国家统计局. 第七次全国人口普查数据. <http://www.stats.gov.cn/sj/pcsj/rkpc/7rp/zk/indexch.htm>. 5. Royston M et al. Neurol Ther. 2021;10(2):767-783 EMA, 2019. 6. 《中国NMOSD患者综合社会调查白皮书》. 7. Bruce A C Cree, et al. Lancet. 2019 Oct 12; 394 (10206):1352-1363. 8. Traboulsee A, et al. Lancet Neurol, 2020,19(5):402-412. 9. Socié G, et al. Br J Haematol. 2019;185(2):297-310. 10. Pittcock SJ, et al. N Engl J Med. 2019;381(7):614-625.

# 安全性经16年循证医学证据及临床使用经验检验，超400例妊娠期使用经验<sup>a</sup>

## 在国内外不良反应发生情况

- **上市后10年药物警戒安全性数据显示**：依库珠单抗**安全性良好**，大多数不良事件为轻中度，未发现影响依库珠单抗获益-风险的新发安全性信号<sup>1</sup>
- 其获益已被与**临床研究及上市后使用**中的安全性经验进行权衡，积极的获益风险特征**得到广泛验证**
- 药品上市后，各国家或地区药监部门5年内**未**发布安全性警告、黑框警告、撤市信息

## 药品说明书刊载的安全性信息

- 支持性安全性数据来自**33项临床研究**，其中包含了**1,555例**暴露于依库珠单抗的补体介导疾病的患者，涉及的疾病包括PNH、aHUS、难治性gMG和NMOSD<sup>2</sup>
- **最常见**的不良反应是**头痛**（主要发生在给药初期），最严重的不良反应是脑膜炎球菌感染<sup>2</sup>

## 目录内其他机制NMOSD生物制剂的安全性

- NMOSD**近90%为女性患者**，**依库珠单抗安全性**经超**16年**临床使用经验验证，并有**超过400例妊娠期使用经验<sup>3a</sup>**，**未发现**胎儿畸形或胎儿-新生儿毒性的风险增加，预计对母乳喂养的新生儿/婴儿**没有影响<sup>2</sup>**，现有的综述表明<sup>4</sup>，**妊娠期使用**依库珠单抗治疗**没有**重大的安全性问题
- 亚组分析表明<sup>5</sup>：依库珠单抗的**安全性在更广泛人群中得到验证**，无论患者年龄、人种、患病时长、复发史如何、是否合并另一种自身免疫性疾病，均可显著降低复发风险

- **伊奈利珠单抗**需要常规B细胞监测，增加感染发生率，**广泛识别杀伤带来安全性风险<sup>6-7</sup>**，**妊娠**、长期免疫球蛋白水平下降患者**不适用<sup>8-9</sup>**
- **萨特利珠单抗**对**妊娠女性**使用本品相关的发育风险的**数据有限<sup>10</sup>**

a.434例妊娠期使用经验来自PNH和aHUS适应症；尚未在接受依库珠单抗治疗的妊娠妇女中开展良好对照研究，建议在妊娠妇女使用依库珠单抗前或期间进行个体风险受益分析。如妊娠期考虑必须使用本品治疗，建议根据当地指南进行母体和胎儿的严密监测<sup>2</sup>

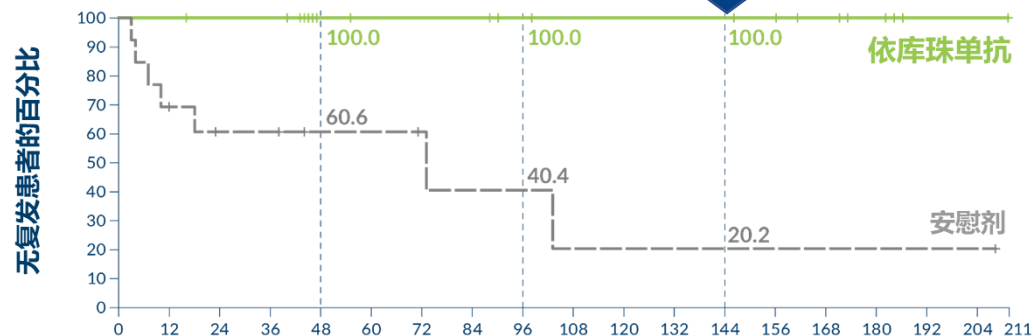
1. Br J Haematol. 2019; 185(2): 297-310. 2.依库珠单抗注射液说明书. NMPA. 2023年. 3. Socié G, et al. Br J Haematol. 2019;185(2):297-310. 4. Kumpfel T, et al. J Neurol. 2024;271(1):141-176. 5. Palace J, et al. Multiple Sclerosis and Related Disorders. 2020; 1. 6. Chen D et al. J Clin Med. 2016. 5(12). 7. Engel P et al. Immunity. 1995. 3(1): 39-50. 8. Chakravarty EF, et al. Blood. 2011. 117(5): 1499-506. 9. Mao Draayer Y, et al. Nat Rev Neurol. 2020. 16(3): 154-170. 10.萨特利珠单抗注射液说明书. 修改日期 2021年4月30日.



依库珠单抗显著且长期预防复发<sup>1-5\*</sup>，减少复发相关急性期治疗<sup>6-7</sup>，疗效在真实世界也得到广泛检验<sup>8</sup>

PREVENT及OLE研究(中期分析<sup>#</sup>): 依库珠单抗单药<sup>a</sup>治疗患者**100%**近3年内(144周)零复发<sup>b</sup>，**96%**患者近4年内(192周)零复发<sup>bd</sup>，**95%**近4年内无残疾恶化<sup>1,9</sup>

单药<sup>a</sup>治疗患者**100%**近3年内零复发



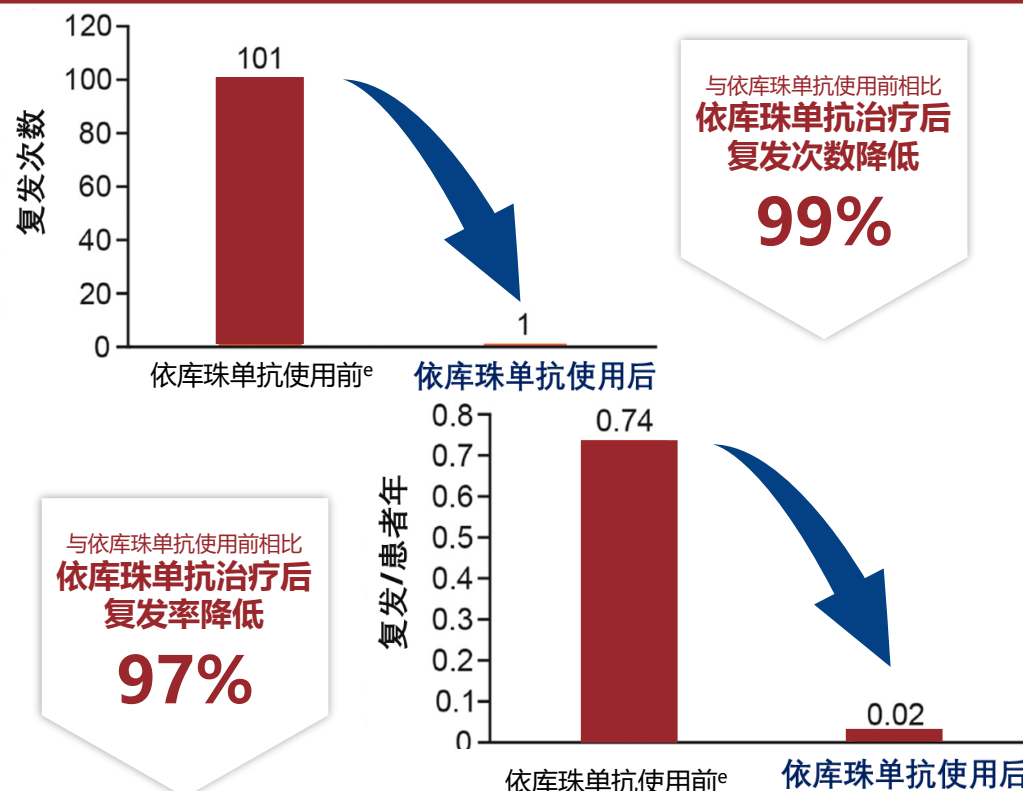
复发相关的急性治疗年发生率<sup>10-11\*</sup>



PREVENT: 在未接受伴随免疫抑制剂治疗的亚组中, 接受舒立瑞®治疗患者在144周内无复发, 而接受安慰剂治疗的患者中有54%(7/13)出现疾病复发<sup>1,9</sup>

\* 与安慰剂相比; # PREVENT OLE研究的结果基于中期分析, 数据截止日期为2019年7月31日, 主要目标是评估安全性。由于该研究是开放性研究且缺乏对照组, 因此应谨慎解读有效性或临床意义的任何干扰; a 单药治疗指PREVENT研究中未接受伴随免疫抑制剂治疗的患者, 100%是指在研究期间没有患者发生判定的复发; b 零复发是指PREVENT研究在对34例(包括舒立瑞®21例, 安慰剂13例)基线时未使用IST患者的亚组分析中显示, 接受舒立瑞®治疗患者均未出现复发<sup>16</sup>; d PREVENT OLE研究的结果基于中期分析, 数据截止日期为2019年7月31日, 主要目标是评估安全性。由于该研究是开放性研究且缺乏对照组, 因此应谨慎解读有效性或临床意义的任何干扰; e 开始依库珠单抗治疗之前的2年

真实世界研究显示<sup>8</sup>: 依库珠单抗使用前<sup>e</sup>的复发率为0.74/患者年, 依库珠单抗治疗后降低为0.02/患者年, 还可有效降低激素使用



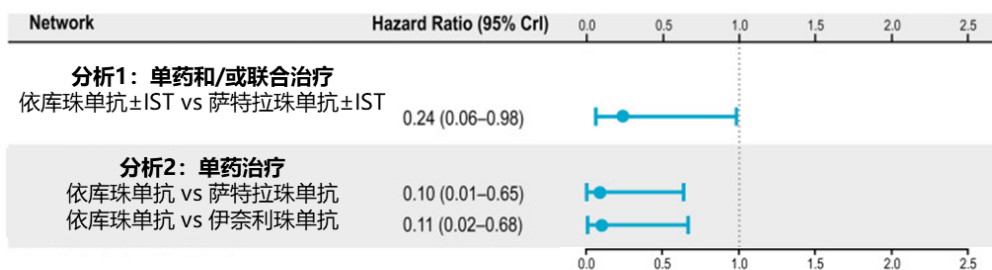
一项来自日本对上市后真实世界研究, 纳入2019年11月至2022年4月1日147名在日本接受依库珠单抗治疗的AQP4+ NMOSD成人患者, 最终71例纳入安全性分析, 68例纳入疗效分析

1. Pittcock SJ, et al. N Engl J Med. 2019;381(7):614-625. 2. Holmøy T, et al. J Neurol. 2020;4522-4536. 3. Asavapanumas N, et al. Expert Opin Biol Ther. 2021;21(8):1073-1086. 4. Zhu W, Wang Z, Hu S, et al. Neural Neuroimmunol Neuroinflamm. 2019;6(3):e561. 5. Singh P, et al. Frontiers in Neurology. 2021, 12: 696387. 6. 依库珠单抗注射液说明书. NMPA. 2023年 7. Kim HJ, Pittcock SJ, Berthele A, et al. Presented at: The 35th Congress of the European Society for Treatment and Research in Multiple Sclerosis; September 11-13, 2019; Stockholm, Sweden. Abstract P604. 8. Ther Adv Neurol Disord. 2023 Jun 30;16:17562864231181177. 9. Pittcock S J, et al. Multiple Sclerosis Journal, 2022, 28(3): 480-486. 10. Kumpfel T, et al. J Neurol. 2024;271(1):141-176. 11. Luo J, et al. Int Immunopharmacol. 2022;110:109004.

与伊奈利珠单抗和萨特利珠单抗相比，依库珠单抗最显著预防复发\*，成为最佳治疗的可能性为99%#

网状Meta分析<sup>1</sup>：生物制剂中，依库珠单抗最有可能成为最佳预防复发的治疗；其中依库珠单抗单药治疗成为最佳治疗选择的可能性为99%，而伊奈利珠单抗和萨特利珠单抗的可能性均低于1%

治疗	单药+联合治疗	单药治疗
依库珠单抗	97.63%	98.67%
伊奈利珠单抗	-	00.74%
萨特利珠单抗	02.37%	00.59%
安慰剂	0	0



三种生物制剂成为AQP4+ NMOSD成人首次复发时间的最佳治疗选择的概率

#一项网状Meta分析，在缺乏头对头临床试验的情况下，提取RCT研究中的数据，通过贝叶斯方法，比较依库珠单抗、伊奈利珠单抗和萨特利珠单抗三种药物的治疗效果，并估计连接网络中任何一对干预措施之间的相对治疗效果及某种干预成为互联网络中所有干预措施中最佳治疗方法的概率

1. Wingerchuk D M, et al. *Neurol Ther*. 2022;11(1): 123-135. 2. Luo J, et al. *Int Immunopharmacol*. 2022;110:109004.

建模研究<sup>2</sup>：在7种药物中（依库珠单抗、伊奈利珠单抗、萨特利珠单抗、利妥昔单抗、托珠单抗、硫唑嘌呤和吗替麦考酚酯），依库珠单抗最显著防止患者复发，24个月时，98.9%依库珠单抗治疗患者无复发

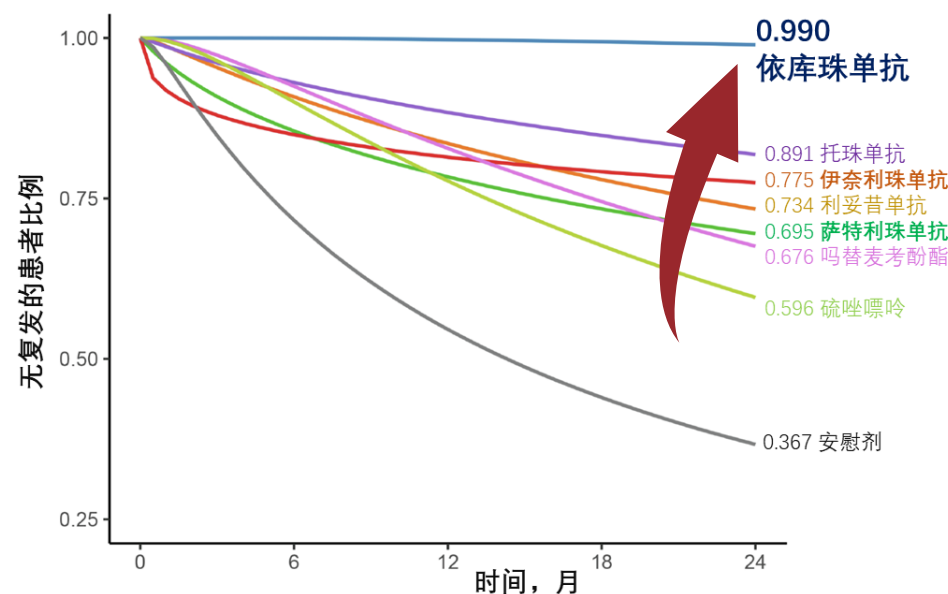
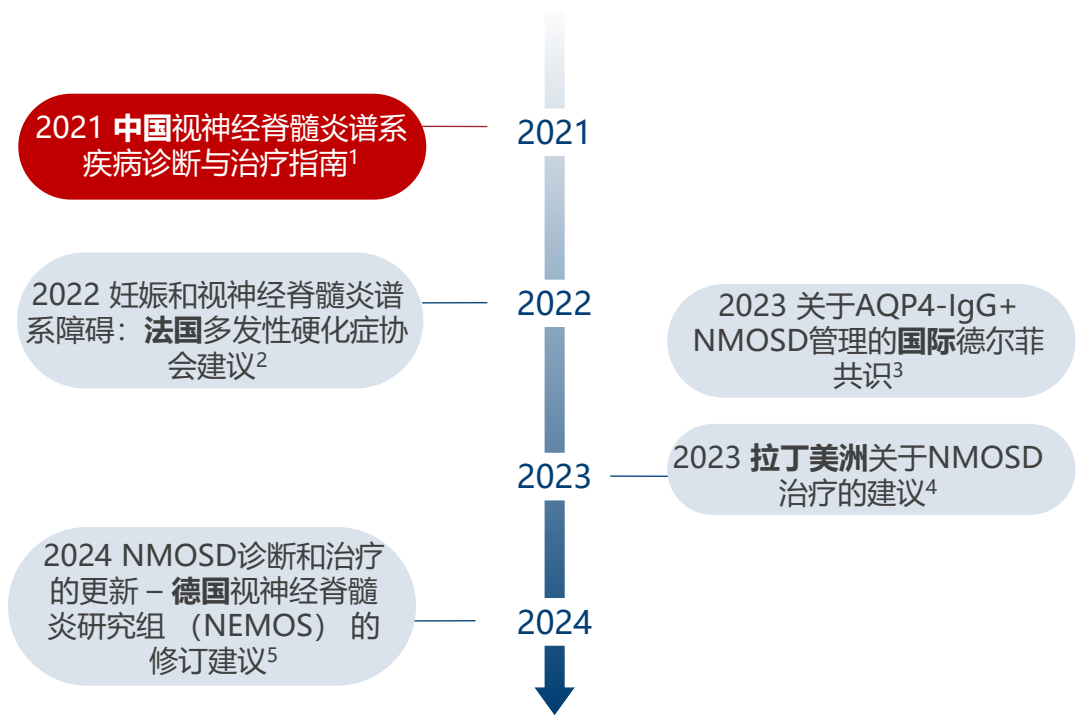


图. 不同药物和安慰剂无复发患者的比例

\*一项建模研究，基于已发表的24项临床试验，2207名患者的数据，以首次复发时间为主要终点建立药效学模型，对治疗NMOSD的七种药物进行了定量比较（7种药物分别为依库珠单抗、伊奈利珠单抗、萨特利珠单抗、利妥昔单抗、托珠单抗、硫唑嘌呤和吗替麦考酚酯），以评估每种药物预防复发的长期疗效

# 依库珠单抗治疗NMOSD<sup>a</sup>获国内外权威指南/共识一致推荐



**推荐意见总结**

- **A级推荐**依库珠单抗作为AQP4抗体阳性NMOSD的**一线首选**<sup>1,3-4</sup>之一
- 推荐依库珠单抗作为AQP4抗体阳性NMOSD的**单药治疗**<sup>1,5</sup>之一
- **妊娠期**使用依库珠单抗治疗**没有重大的安全性问题**<sup>2-3</sup>

### 依库珠单抗《技术评审报告》

- ✓ **NMOSD<sup>a</sup> 和 难治性gMG<sup>b</sup>**: 暂未发布《技术评审报告》
- ✓ **PNH**: C4-002研究: 对成年PNH患者在本试验所述剂量下, **依库珠单抗安全性良好**; 与基线相比, **主要有效性指标LDH AUC和所有次要终点都得到统计学显著性改善**: 以LDH相对基线的变化为指标的溶血; FACIT-疲劳工具衡量的QoL; 伴有QoL指标 (EORTC QLQ-C30衡量) 显著改善, PNH Ⅲ型红细胞显著增多, 溶血显著减轻 (LDH相对基线的变化、天冬氨酸转氨酶、游离血红蛋白减少为依据)
- ✓ **aHUS**: C10-004研究: 26周治疗, **63%达到完全TMA缓解**. **82%达到血液学终点**, LDH正常化患者达82%。与基线相比, 73%患者肌酐降低≥25%, 86%eGFR达到较基线的改善≥15mL/min/1.73m<sup>2</sup>。90%从基线到26周达到无PE/PI事件, 显示**依库珠单抗治疗期间不再需要PE/PI**。

<sup>a</sup> 成人抗水通道蛋白4 (AQP4) 抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病(NMOSD)  
<sup>b</sup> 成人抗乙酰胆碱受体(AChR)抗体阳性的难治性全身型重症肌无力(gMG)

1. 中国免疫学会神经免疫分会. 中国神经免疫学和神经病学杂志. 2021;28(6):423-436. 2. Mult Scler. 2023 Jan;29(1):37-51. 3. Paul F, et al. Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm. 2023;10(4):e200124. 4. 《拉丁美洲关于临床实践中视神经脊髓炎谱系疾病的管理和治疗的共识建议》. 5. Kümpfel T, et al. J Neurol. 2024;271(1):141-176. 6.



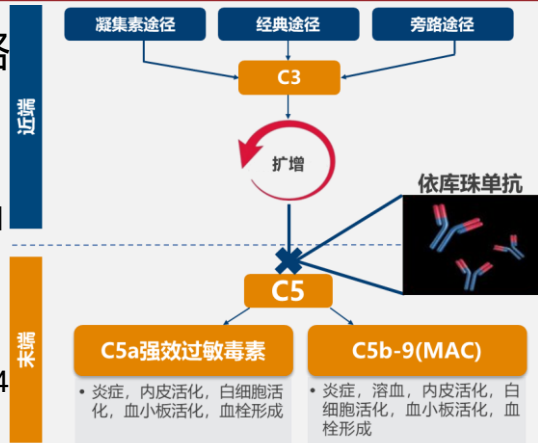
**中国唯一\*获批治疗NMOSD#的C5补体抑制剂，中国唯一\*具有100%零复发<sup>b</sup>数据的NMOSD#治疗药品**

主要创新点

1. 美国、欧盟、日本等多国**孤儿药认定**<sup>1</sup>
2. 荣获**2次盖伦奖**<sup>2</sup>
3. 可**同时治疗4个罕见病**，具有不可替代性
4. PNH和aHUS纳入**CDE优先审评**，豁免注册临床试验获批
5. PNH和aHUS纳入我国**临床急需罕见病用药和儿童用药**

创新机制

直接靶向致病机制下游通路关键位置  
↓  
减轻AQP4抗体所导致的神经细胞损伤效应  
↓  
**精准、快速抑制疾病进展**<sup>3,4</sup>



创新点带来的患者获益

- **显著且长期预防复发**<sup>5-9\*\*</sup>，单药治疗<sup>a</sup>患者**100%**近3年内**零复发**<sup>5,10<sup>b</sup></sup>、**96%**近4年内**零复发**<sup>10<sup>bd</sup></sup>
- **95%**近4年内**无残疾恶化**<sup>5,10</sup>，**减少复发相关急性期治疗**<sup>11,12</sup>，还可有效**降低激素使用**<sup>13</sup>
- **安全性**经超**16年**临床使用经验验证，并有**超过400例**妊娠期使用经验<sup>c</sup>
- **特殊人群也可使用**<sup>11</sup>：**未发现胎儿畸形**或胎儿-新生儿毒性风险增加，预计对母乳喂养的新生儿/婴儿**没有影响**；**65岁及以上**患者可使用；**肾功能不全**患者无需调整剂量

\*截止日期为2024年7月8日，中国内地唯一；\*\*与安慰剂相比；#成人抗水通道蛋白4 (AQP4) 抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病(NMOSD)  
a.单药治疗指PREVENT研究中未接受伴免疫抑制治疗的患者，100%是指在研究期间没有患者发生判定的复发<sup>10,5</sup> b. 100%是指在研究期间没有患者发生判定的复发，零复发是指PREVENT研究在对34例(包括舒立瑞®21例，安慰剂13例)基线时未使用1ST患者的亚组分析中显示，接受舒立瑞®治疗患者均未出现复发<sup>c</sup> c.434例妊娠期使用经验来自PNH和aHUS适应症；尚未在接受依库珠单抗治疗的妊娠妇女中开展良好对照研究，建议在妊娠妇女使用依库珠单抗前或期间进行个体风险受益分析。如妊娠期考虑必须使用本品治疗，建议根据当地指南进行母体和胎儿的严密监测<sup>d</sup> d.PREVENT OLE研究的结果基于中期分析，数据截止日期为2019年7月31日，主要目标是评估安全性。由于该研究是开放性研究且缺乏对照组，因此应谨慎解读有效性或临床意义的任何干扰

1. <https://www.businesswire.com/news/home/20190627005768/en/Alexion-Receives-FDA-Approval-SOLIRIS%C2%AE-eculizumab-Treatment-2024.7.5.2>. <https://alexion.com/en/our-medicines/medicines/soliris>. 3 中国免疫学会神经免疫分会 中国神经免疫学和神经病学杂志, 2021,28(6):423-436. 4. Wingerchuk D M, et al. Journal of managed care & specialty pharmacy, 2022, 28(12-a Suppl). 5. Pittock SJ, et al. N Engl J Med. 2019;381(7):614-625. 6. Holmøy T, et al. J Neurol. 2020; 4522-4536. 7. Asavaapornas N et al. Expert Opin Biol Ther. 2021;21(8):1073-1086. 8. Zhu W, Wang Z, Hu S, et al. Neural Neuroimmunol Neuroinflamm. 2019;6(3):e561. 9. Singh P, et al. Frontiers in Neurology. 2021, 12: 696387. 10. Pittock S J, et al. Multiple Sclerosis Journal, 2022, 28(3): 480-486. 11. 依库珠单抗注射液说明书. NMPA. 2023年. 12. Kim HJ, Pittock SJ, Berthele A, et al. Presented at: The 35th Congress of the European Society for Treatment and Research in Multiple Sclerosis; September 11-13, 2019; Stockholm, Sweden. Abstract P604. 13. Ther Adv Neurol Disord. 2023 Jun 30;16:17562864231181177. 14. Socié G, et al. Br J Haematol. 2019;185(2):297-310.

# 弥补国家医保目录对NMOSD<sup>a</sup>罕见病靶向药物短板，最大化帮助患者减少残疾、改善预后

## 对公共健康的影响

### 依库珠单抗治疗可提升全民健康水平：

- 显著**降低87%**住院的年发生率<sup>1-2#</sup>
- 显著**减少89%**血浆置换治疗的年发生率<sup>1-2#</sup>
- 显著**降低83%**急性复发静脉注射糖皮质激素治疗率<sup>1-2#</sup>
- **95%**近4年内无残疾恶化<sup>3-4</sup>
- **无论**患者年龄、人种、患病时长、复发史、是否合并另一种自身免疫性疾病，**均可显著降低复发风险**<sup>4-8#</sup>

## 弥补药品目录短板

- **同时治疗4个罕见病**，具有不可替代性
- **中国唯一**<sup>\*</sup>有**100% “零复发”**<sup>b</sup>数据的NMOSD<sup>a</sup>治疗药品<sup>3-4, 9-10</sup>，最大化帮助患者**减少残疾、改善预后**
- 可有效**弥补现医保目录内**药品保障的**短板**，及临床治疗药物需求

## 符合“保基本”原则

- **同时治疗4个罕见病**，具有不可替代性
- 罕见病NMOSD的**临床必需药物**，人群相对有限，**对医保基金影响安全可控**
- 降低患者疾病相关管理成本，**减少**复发、住院、糖皮质激素、血浆置换、并发症治疗等<sup>1-2</sup>**相关治疗费用和医保基金支出**
- 依库珠单抗**国外已有超16年**临床使用经验，有效保障中国参保人的合理用药需求

## 临床管理难度

- NMOSD<sup>a</sup>的疾病诊断明确，临床路径清楚，**临床管理难度较小**，**无**临床滥用或超说明书用药的风险

\*截止日期为2024年7月8日

#与安慰剂相比

a. 成人抗水通道蛋白4 (AQP4) 抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病(NMOSD)

b. 100%是指在研究期间没有患者发生判定的复发，零复发是指PREVENT研究在对34例（包括舒立瑞®21例，安慰剂13例）基线时未使用IST患者的亚组分析中显示，接受舒立瑞®治疗患者均未出现复发<sup>16</sup>

1. Kumpfel T, et al. J Neurol. 2024;271(1):141-176. 2. Luo J, et al. Int Immunopharmacol. 2022;110:109004. 3. Pittock S J, et al. Multiple Sclerosis Journal. 2022, 28(3): 480-486. 4. Pittock S J, et al. N Engl J Med. 2019;381(7):614-625. 5. Holmøy T, et al. J Neurol. 2020; 4522-4536. 6. Asavapanumas N, et al. Expert Opin Biol Ther. 2021;21(8):1073-1086. 7. Zhu W, Wang Z, Hu S, et al. Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm. 2019;6(3):e561. 8. Singh P, et al. Frontiers in Neurology. 2021, 12: 696387. 9. Bruce A C Cree, et al. Lancet. 2019 Oct 12; 394 (10206):1352-1363. 10. Br J Haematol. 2019; 185(2): 297-310.