

# 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：           注射用埃普奈明          

企业名称：           武汉海特生物制药股份有  
                                  限公司

## 申报信息

申报时间	2024-07-12 10:43:03	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)	注射用埃普奈明	医保药品分类与代码	XL01XXA398B001010101938
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	环化变构TRAIL/APO2L及其编码基因与应用	核心专利权期限届满日1	2031-09
核心专利类型2	谷草转氨酶和乳酸脱氢酶的检测在早期评估抗肿瘤干预措施临床疗效中的应用	核心专利权期限届满日2	2031-08
核心专利类型1	环化变构TRAIL/APO2L及其编码基因与应用	核心专利权期限届满日1	2031-09
核心专利类型2	谷草转氨酶和乳酸脱氢酶的检测在早期评估抗肿瘤干预措施临床疗效中的应用	核心专利权期限届满日2	2031-08
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	100mg ( 8,000,000U ) /瓶		
上市许可持有人(授权企业)	武汉海特生物制药股份有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	本品联合沙利度胺和地塞米松用于既往接受过至少2种系统性治疗方案的复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，既往含免疫调节剂(如来那度胺、沙利度胺)方案难治的患者不直接受本联合方案治疗。		
说明书用法用量	本品须在有肿瘤治疗经验的医师指导下用药。用法: 将每瓶本品注入约4mL无菌注射用水、5%葡萄糖注射液或0.9%氯化钠注射液，轻微振荡至完全溶解，将溶解后的药液加于250mL 5%葡萄糖注射液或生理盐水中，持续静脉滴注90±15分钟。首次用药时，建议在滴注开始后的半小时内放慢滴注速度(不快于30滴/分钟)，待输注无异常后再调节至正常滴速。配制后的本品溶液在室温或2~8℃存放6小时不影响药活性，但从微生物学角度看，如果配药过程不能保证严格的无菌条件，应立即使用。配药如出现浑浊、沉淀和不溶物等现象，则不可使用。本品请勿静推，不得用同一输液器将本品与其他药物同时给药。用量: 本品联合口服沙利度胺和口服地塞米松治疗(TD方案): 每4周为1个疗程，18个疗程后，若持续临床获益且没有不可耐受的毒副作用，可遵医嘱继续使用。治疗期出现疾病进展或无法耐受的毒性时应终止治疗。本品的推荐起始剂量: 在28天治疗周期的第1~5天，静脉滴注给药，10mg/kg，每日1次。沙利度胺的推荐起始剂量: 在28天治疗周期的第1~28天，口服给药，150mg，每日1次。地塞米松的推荐起始剂量: 在28天治疗周期的第1~4天，口服给药，40mg，每日1次。剂量调整: 应用本品治疗过程中可能需要减少剂量、暂停治疗或终止治疗以管控不良反应。减少本品剂量的方法及针对本品不良反应可采取的剂量调整措施详见附件说明书。本品联合沙利度胺和地塞米松治疗时，如患者对150mg的沙利度胺或对40mg的地塞米松不能耐受，可分别将剂量降至100mg或20mg。对于可确认与其中一种或两种药物主要相关的不良反应，建议仅对相关药物采取减少剂量、暂停治疗或终止治疗的措施。推荐沙利度胺的首次减量为100mg/天，地塞米松的首次减量为20mg/天。特殊人群 肝功能不全患者 目前尚无肝功能不全患者的研究数据，肝功能不全患者不建议使用本品。(见附件说明书【注意事项】)。肾功能不全患者 轻度、中度肾功能		

	<p>下降患者不建议进行剂量调整。在重度肾功能下降（肾小球滤过率<math>&lt;30\text{mL}/\text{min}</math>）或需要透析的肾功能损害患者中尚没有用药经验，建议慎用本品（参见附件说明书【临床药理】药代动力学部分）。老年用药 考虑本品在<math>&gt;75</math>岁老年患者中没有用药经验，建议该人群慎用。儿童用药 尚无本品用于18岁以下患者的临床研究资料。</p>		
所治疗疾病基本情况	<p>多发性骨髓瘤（MM）是一种克隆性浆细胞异常增殖性疾病，是仅次于恶性淋巴瘤的第二常见血液恶性肿瘤。主要发生于中老年，目前仍无法治愈。浆细胞的恶性增殖及其产生的单克隆免疫球蛋白产物可造成骨髓、骨骼、肾脏等靶器官损害，临床主要表现为血钙增高、肾功能损害、贫血、骨病等。GCO 2022年中国发病率约2.1/10万，死亡率约1.3/10万，5年患病率（5-year prevalence）约0.8/10万。</p>		
中国大陆首次上市时间	2023-11	注册证号/批准文号	国药准字S20230063
该通用名全球首个上市国家/地区	中国	该通用名全球首次上市时间	2023-11
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	<p>已进入医保治疗MM的药物，包括蛋白酶体抑制剂：注射用硼替佐米（2005年上市）、枸橼酸伊沙佐米胶囊（2018年上市）、注射用卡非佐米（2021年上市）；免疫调节剂：来那度胺胶囊（2013年上市）、泊马度胺胶囊（2020年上市）；抗CD38单抗：达雷妥单抗注射液（2019年上市）；核输出蛋白抑制剂：塞利尼索片（2021年上市）。本品与参照药卡非佐米相近人群相比总生存期（OS）延长5.8个月，安全性优于卡非佐米。本品主要不良反应是肝毒性，未见卡非佐米具有的肝脏、肺、肾、胃肠、神经毒性，血液毒性轻微。MM是无法治愈的疾病，尽管近十几年来上市的新药很多，但患者终将复发进展，并且随着复发次数的增多，预后越来越差，多重耐药的患者会优先考虑既往未使用过的新机制的药物。本品是骨髓瘤领域唯一一款我国原研1类创新药，也是全球首个且唯一上市的死亡受体4/死亡受体5（DR4/DR5）激动剂，作用机制明确，疗效确定，安全性优于同疾病治疗领域其他药物，未见其他同疾病治疗领域药品常见的胃肠、心脏、肾、神经毒性，血液毒性轻微，可望与更多抗肿瘤药物联合应用，弥补未被满足的临床需求，为患者提供新的治疗选择。</p>		
企业承诺书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 企业承诺书.pdf		
药品最新版法定说明书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 药品最新版法定说明书.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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 埃普奈明注册证.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 注射用埃普奈明-含价格费用信息.pdf		
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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 注射用埃普奈明-不含价格费用信息.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。
  - 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积 $0.8\text{m}^2$ 。
  - 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积 $1.6\text{m}^2$ 。

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)
注射用卡非佐米	是	60mg/瓶	2196	20/27 mg/m <sup>2</sup> , 每周静脉用药2次, 连续3周停1周	年度费用	13个疗程/年	17.1万

**参照药品选择理由：** 本品与卡非佐米均是获批用于既往至少接受过2种治疗的复发或难治性多发性骨髓瘤（RRMM）的药物；卡非佐米纳入医保后广泛应用，是目录内合适的参照药；本品和卡非佐米均被CSCO指南推荐治疗RRMM。

**其他情况请说明：** 暂无参照：埃普奈明是全球首个且唯一上市的死亡受体4/死亡受体5（DR4/DR5）激动剂，全新靶点，全新作用机制，目前全球范围内已上市的药物中没有相同或相似作用机制的药物可参考。

## 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	安慰剂、沙利度胺和地塞米松
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	415例RRMM患者[试验组（本品+Td）276例，对照组（安慰剂+Td）139例]接受治疗，中位PFS（5.5个月vs.3.1个月，HR=0.62，P<0.0001）和中位OS（22.4个月vs.16.4个月，HR=0.70，P=0.0029）试验组较对照组均显著延长，客观缓解率（ORR）显著高于对照组（30.4% vs.13.7%，P=0.0002），p53缺失的高风险亚组试验组也有显著获益。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验类型1-CPTMM301研究文献-中英文.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	沙利度胺和地塞米松
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	71例RRMM患者（本品+Td组47例，Td组24例）进行了随机分配并接受了研究治疗。本品+Td组ORR为38.3%，临床缓解率为53.2%，均高于Td组（ORR25.0%，临床缓解率29.2%）；中位PFS两组分别为6.7个月和3.1个月，中位缓解持续时间（DOR）分别为7.1个月和3.2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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验类型2-CPTMM205研究文献-中文英.pdf
试验类型3	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	41例RRMM患者接受了本品联合沙利度胺治疗并且有疗效评价数据，ORR为22.0%，临床缓解率为34.1%，3个剂量组（5、8、10mg/kg）的ORR有高剂量组疗效好于低剂量组的趋势（18.2% vs.20.0% vs.26.7%），临床缓解率相近（36.4%vs.33.3%vs.33.3%）。中位无进展生存期和中位缓解持续时间分别为6.6个月和6.1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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验类型3-CPTMM203研究文献-中英文.pdf
试验类型4	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	27例RRMM患者接受了本品治疗并且可评价疗效，ORR为18.5%，临床缓解率为33.3%；5和6.5mg/kg组ORR为0，8、10和15mg/kg组，ORR分别为33.3%、16.7%、33.3%，5个剂量组临床缓解率分别为33.3%、33.3%、33.3%、16.7%、50.0%。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验类型4-CPTMM102研究文献-中英文.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂、沙利度胺和地塞米松
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	415例RRMM患者[试验组（本品+Td）276例，对照组（安慰剂+Td）139例]接受治疗，中位PFS（5.5个月vs.3.1个月，HR=0.62，P<0.0001）和中位OS（22.4个月vs.16.4个月，HR=0.70，P=0.0029）试验组较对照组均显著延长，客观缓解率（ORR）显著高于对照组（30.4% vs.13.7%，P=0.0002），p53缺失的高风险亚组试验组也有显著获益。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验类型1-CPTMM301研究文献-中英文.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	沙利度胺和地塞米松
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	71例RRMM患者（本品+Td组47例，Td组24例）进行了随机分配并接受了研究治疗。本品+Td组ORR为38.3%，临床缓解率为53.2%，均高于Td组（ORR25.0%，临床缓解率29.2%）；中位PFS两组分别为6.7个月和3.1个月，中位缓解持续时间（DOR）分别为7.1个月和3.2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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验类型2-CPTMM205研究文献-中文英.pdf
试验类型3	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	41例RRMM患者接受了本品联合沙利度胺治疗并且有疗效评价数据，ORR为22.0%，临床缓解率为34.1%，3个剂量组（5、8、10mg/kg）的ORR有高剂量组疗效好于低剂量组的趋势（18.2% vs.20.0% vs.26.7%），临床缓解率相近（36.4%vs.33.3%vs.33.3%）。中位无进展生存期和中位缓解持续时间分别为6.6个月和6.1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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验类型3-CPTMM203研究文献-中英文.pdf
试验类型4	单臂临床实验
试验对照药品	无

<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>27例RRMM患者接受了本品治疗并且可评价疗效，ORR为18.5%，临床缓解率为33.3%；5和6.5mg/kg组ORR为0，8、10和15mg/kg组，ORR分别为33.3%、16.7%、33.3%，5个剂量组临床缓解率分别为33.3%、33.3%、33.3%、16.7%、50.0%。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 试验类型4-CPTMM102研究文献-中英文.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>埃普奈明治疗复发难治多发性骨髓瘤的临床应用指导原则（2024年版）：推荐埃普奈明联合TD方案治疗既往接受过至少2种系统性治疗方案的RRMM患者。鼓励临床积极探索在埃普奈明/地塞米松两药基础上联合其他药物用于RRMM治疗。对伴发浆细胞瘤的患者，可探索采用含埃普奈明和硼替佐米的4药方案治疗。埃普奈明安全性、耐受性良好，建议对身体状况虚弱或对其他药物不耐受的MM患者，可探索埃普奈明1线或2线联合用药。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 埃普奈明治疗复发难治多发性骨髓瘤临床应用指导原则.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>CSCO恶性血液病诊疗指南2024：I级：来那度胺敏感：Apo+地塞米松+沙利度胺/来那度胺 来那度胺耐药：Apo+地塞米松+硼替佐米/卡非佐米 硼替佐米敏感：Apo+地塞米松+来那度胺/硼替佐米/卡非佐米 硼替佐米耐药：Apo+地塞米松+达雷妥尤单抗/卡非佐米/来那度胺/泊马度胺 来那度胺和硼替佐米耐药：I级：Apo+地塞米松+泊马度胺/达雷妥尤单抗 II级：Apo+塞利尼索+地塞米松</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 中国临床肿瘤学会恶性血液病诊疗指南2024.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>埃普奈明治疗复发难治多发性骨髓瘤的临床应用指导原则（2024年版）：推荐埃普奈明联合TD方案治疗既往接受过至少2种系统性治疗方案的RRMM患者。鼓励临床积极探索在埃普奈明/地塞米松两药基础上联合其他药物用于RRMM治疗。对伴发浆细胞瘤的患者，可探索采用含埃普奈明和硼替佐米的4药方案治疗。埃普奈明安全性、耐受性良好，建议对身体状况虚弱或对其他药物不耐受的MM患者，可探索埃普奈明1线或2线联合用药。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 埃普奈明治疗复发难治多发性骨髓瘤临床应用指导原则.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>CSCO恶性血液病诊疗指南2024：I级：来那度胺敏感：Apo+地塞米松+沙利度胺/来那度胺 来那度胺耐药：Apo+地塞米松+硼替佐米/卡非佐米 硼替佐米敏感：Apo+地塞米松+来那度胺/硼替佐米/卡非佐米 硼替佐米耐药：Apo+地塞米松+达雷妥尤单抗/卡非佐米/来那度胺/泊马度胺 来那度胺和硼替佐米耐药：I级：Apo+地塞米松+泊马度胺/达雷妥尤单抗 II级：Apo+塞利尼索+地塞米松</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 中国临床肿瘤学会恶性血液病诊疗指南2024.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>CPT-MM301是一项在中国大陆开展的多中心注册研究，评价本品联合TD方案与安慰剂联合Td方案治疗复发或难治性多发性骨髓瘤（RRMM）患者的疗效。研究人群为既往接受过至少2种系统性治疗方案的RRMM成人患者，并除外既往含免疫调节剂（如来那度胺、沙利度胺）方案难治的患者。研究的主要终点是PFS。共415例受试者进行随机分配并接受了研究治疗：本品+Td组276例，安慰剂+Td组139例。研究结果显示，本品+Td组的中位PFS相比安慰剂+Td组显著延长（5.5个月 vs.3.1个月，<math>P&lt;0.0001</math>），疾病进展或死亡的风险降低38%。关键次要终点也有统计学意义的改善，包括OS、ORR。与安慰剂+Td方案相比，长期随访（中位随访时间为48.0个月时）数据显示，本品+Td方案治疗可将死亡风险降低30%（<math>p=0.0029</math>）。根据IAC评估结果，本品+Td组患者的ORR较安慰剂+Td组显著提高（30.4% vs13.7%，</p>

	P=0.0002), VGPR以上缓解率显著升高(14.1% vs 2.2%, P<0.0001)。统计专业对关键性注册研究的数据进行复核后认同该研究达到主要疗效终点的结论。
《技术审评报告》原文(可节选)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 埃普奈明技术审评报告.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	CPT-MM301是一项在中国大陆开展的多中心注册研究,评价本品联合Td方案与安慰剂联合Td方案治疗复发或难治性多发性骨髓瘤(RRMM)患者的疗效。研究人群为既往接受过至少2种系统性治疗方案的RRMM成人患者,并除外既往含免疫调节剂(如来那度胺、沙利度胺)方案难治的患者。研究的主要终点是PFS。共415例受试者进行随机分配并接受了研究治疗:本品+Td组276例,安慰剂+Td组139例。研究结果显示,本品+Td组的中位PFS相比安慰剂+Td组显著延长(5.5个月 vs 3.1个月, P<0.0001),疾病进展或死亡的风险降低38%。关键次要终点也有统计学意义的改善,包括OS、ORR。与安慰剂+Td方案相比,长期随访(中位随访时间为48.0个月时)数据显示,本品+Td方案治疗可将死亡风险降低30%(p=0.0029)。根据IAC评估结果,本品+Td组患者的ORR较安慰剂+Td组显著提高(30.4% vs 13.7%, P=0.0002), VGPR以上缓解率显著升高(14.1% vs 2.2%, P<0.0001)。统计专业对关键性注册研究的数据进行复核后认同该研究达到主要疗效终点的结论。
《技术审评报告》原文(可节选)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 埃普奈明技术审评报告.pdf

### 三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	【不良反应】在本品联合沙利度胺和地塞米松(Td)治疗复发或难治性多发性骨髓瘤患者的临床研究中,共计纳入486例患者,本品联合Td组323例,对照组(Td或安慰剂联合Td)163例。试验组发生率高于对照组≥5%的不良反应包括:高血糖症、低钙血症、高脂血症、丙氨酸氨基转移酶(ALT)升高、天门冬氨酸氨基转移酶(AST)升高、血胆红素升高、中性粒细胞减少症、血乳酸脱氢酶升高和水肿。试验组发生率(所有级别)比对照组增加小于5%,但≥3级发生率增加≥1%的不良反应包括:低钾血症、低钠血症、高钾血症、肿瘤溶解综合征、γ-谷氨酰转移酶升高、肝损伤、白细胞减少症、淋巴细胞减少、周围神经病、上呼吸道感染和α-羟丁酸脱氢酶升高。【注意事项】肝毒性为本品的主要不良反应,所有接受本品治疗的患者应进行肝功能监测。在临床试验中曾报告肿瘤溶解综合征,发生肿瘤溶解综合征的患者应暂停本品治疗,对症治疗。患者可能有发生输液相关反应的风险,应密切监测患者在输注期间和输注后的反应,针对首次输液、具有过敏史的患者应加强监测。(详见说明书)
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	埃普奈明于2023年11月01日在国内首次获批上市,自药品上市后持有人主动持续开展药品上市后监测,建立并不断完善信息收集途径,主动、全面、有效地收集药品使用过程中的疑似药品不良反应信息,截止目前暂未收集到任何不良反应报告。
相关报导文献	<a href="#">↓ 下载文件</a> 药品最新版法定说明书.pdf

### 四、创新性信息

创新程度	埃普奈明是我国研发的具有自主知识产权的1类创新药,不仅是中国,也是全球首个且唯一1个靶向死亡受体4/死亡受体5(DR4/DR5)的治疗多发性骨髓瘤的药物。获得国内外多个国家和地区发明专利授权。获国家“重大新药创制”科技重大专项(2018ZX09733-003)、国家863计划(2005AA223H50)支持。
创新性证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 创新性证明文件.pdf
应用创新	多发性骨髓瘤是不可治愈性疾病,尽管新药不断涌现,患者终将面临复发。本品为全新机制药物,为患者提供了新的治疗选择。难治性患者、既往接受过多种方案重度治疗的患者、接受过IMiD和PI治疗的患者、IMiD和PI双药难治的患者及p53基因缺失的高风险患者等应用本品联合TD治疗均有显著获益。本品耐受性良好,不良反应可控,未见明显的血液毒性和肾毒性,可望与更多抗肿瘤药物联合应用,充分发挥其独特作用机制的优势。
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 应用创新证明文件CPTMM301研究文献-中英文.pdf
传承性(仅中成药填写)	-
传承性证明文件	-

### 五(一)、公平性信息

--	--

<p>所治疗疾病对公共健康的影响描述</p>	<p>多发性骨髓瘤是血液系统第二大恶性肿瘤，GCO 2022年我国发病率约2.1/10万，死亡率约1.3/10万，5年患病率（5-year prevalence）约0.8/10万。将本药纳入医保目录为患者提供新的治疗选择，延长生存期，提升人群整体健康水平，有助于实现《健康中国2030规划纲要》中癌症5年生存率提高15%的公共健康目标。</p>
<p>符合“保基本”原则描述</p>	<p>多发性骨髓瘤是无法治愈的疾病，尽管近十几年上市的新药很多，但患者终将复发进展，并且随着复发次数增多，预后越来越差。多重耐药的患者会优先考虑既往未使用过的新机制药物，因此，新靶点药物仍是临床未满足的需求。埃普奈明是全新机制的药物，全球首个且唯一的DR4/DR5激动剂，first-in-class，希望有机会参与到医保谈判，制定合理的医保支付标准，进入更多医院和双通道药店，保障MM患者用药可及可负担。</p>
<p>弥补目录短板描述</p>	<p>目前医保目录已收录蛋白酶体抑制剂、免疫调节剂、抗CD38单抗、核输出蛋白抑制剂四大类治疗多发性骨髓瘤的药物，DR4/DR5激动剂尚未被纳入；埃普奈明疗效明确，安全性好，弥补临床治疗空白，可为多发性骨髓瘤患者提供新的治疗选择，新的希望。</p>
<p>临床管理难度描述</p>	<p>多发性骨髓瘤有明确的诊疗标准，各阶段有治疗指南推荐；治疗过程及治疗结束有明确的疗效评估标准，可保证临床用药合理性；埃普奈明适应症明确，基金影响可控；整体安全性、耐受性良好，不良反应可控；患者住院使用，用法用量明确，不易产生滥用风险，临床管理难度低。</p>