

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：注射用戈沙妥珠单抗

企业名称：吉利德（上海）医药科技
有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-12 14:24:48	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)	注射用戈沙妥珠单抗	医保药品分类与代码	XL01FXG189B001010184241
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	具有胞内可裂解的键的免疫共轭物	核心专利权期限届满日1	2029-12
核心专利类型1	具有胞内可裂解的键的免疫共轭物	核心专利权期限届满日1	2029-12
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	180mg/瓶		
上市许可持有人(授权企业)	Gilead Sciences, Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	用于既往至少接受过2种系统治疗(其中至少1种治疗针对转移性疾病)的不可切除的局部晚期或转移性三阴性乳腺癌成人		
说明书用法用量	推荐剂量10mg/kg,每21天为一个治疗周期,在第1天和第8天静脉输注,持续治疗直至疾病进展或出现不可接受的毒性		
所治疗疾病基本情况	TNBC复发转移率高,死亡风险大,被称为“最难治的乳腺癌”,转移后5年生存率仅12%左右,死亡率是所有乳腺癌中最高的。中国晚期三阴乳腺癌发病率仅为十万分之1,远小于中国罕见病发病率的定义(发病率小于十万分之10)。三阴性乳腺癌(TNBC)是乳腺癌的一种亚型,其雌激素受体(ER),孕激素受体(PR)和人表皮生长因子受体-2(HER2)均为阴性。		
中国大陆首次上市时间	2022-06	注册号/批准文号	国药准字SJ20220015
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	2020-04
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	戈沙妥珠单抗(拓达维)是全球和国内首个且唯一获批用于治疗晚期三阴性乳腺癌的抗体偶联药物(ADC),目录内暂无同一治疗领域和同作用机制的靶向药品。		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书-盖章版.pdf		
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 拓达维说明书.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	↓ 下载文件 拓达维药品注册证和补充件.pdf		

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	
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 戈沙妥珠单抗含经济性.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含经济性/价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 戈沙妥珠单抗不含经济性.pdf

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)
无参照药	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：TNBC死亡率在所有乳腺癌中最高,被称为"最难治的乳腺癌".戈沙妥珠单抗是化疗无效后的挽救性治疗,且是全球和国内首个且唯一获批用于治疗晚期TNBC的ADC,目录内暂无同一治疗领域和同作用机制的靶向药品

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	无对照药
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在过去20年，此类乳腺癌患者的OS没有发生变化，且与其他分子亚型的晚期乳腺癌患者相比，mTNBC患者的OS仍然非常差。既往接受过治疗的mTNBC患者的ORR较低（10-15%）且PFS在较短（2-3个月）。然而，中国桥接研究入组了80例中国晚期三阴性乳腺癌（mTNBC）患者，中位治疗时长为5.6个月，ORR为38.8%，中位PFS为5.55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 中国临床试验.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无对照药
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该全球关键性研究入组了108例晚期三阴性乳腺癌（mTNBC）患者，中位治疗时长为5.1个月，ORR为33.3%，中位PFS为5.5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 全球临床试验.pdf
试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无对照药
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在过去20年，此类乳腺癌患者的OS没有发生变化，且与其他分子亚型的晚期乳腺癌患者相比，mTNBC患者的OS仍然非常差。既往接受过治疗的mTNBC患者的ORR较低（10-15%）且PFS在较短（2-3个月）。然而，中国桥接研究入组了80例中国晚期三阴性乳腺癌（mTNBC）患者，中位治疗时长为5.6个月，ORR为38.8%，中位PFS为5.55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 中国临床试验.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无对照药
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该全球关键性研究入组了108例晚期三阴性乳腺癌（mTNBC）患者，中位治疗时长为5.1个月，ORR为33.3%，中位PFS为5.5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 全球临床试验.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	2024年美国NCCN临床肿瘤学指南（乳腺癌），推荐戈沙妥珠单抗用于三阴性乳腺癌二线治疗的所有患者。证据等级I类，推荐等级优先。
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文件）	↓ 下载文件 NCCN指南和文献-1.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2023年欧洲ESMO转移性乳腺癌在线指南，推荐戈沙妥珠单抗作为转移性三阴性乳腺癌患者二线治疗优先选择。证据等级1，推荐强度A。
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文件）	↓ 下载文件 ESMO指南和文献-2.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	2024年中国晚期三阴性乳腺癌临床诊疗指南，戈沙妥珠单抗可作为二线及后线治疗优选方案，1B类证据；同时指南指出，无需检测Trop-2表达。
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文件）	↓ 下载文件 中国三阴乳腺癌指南和文献-3.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2024年中国临床肿瘤学会（CSCO）乳腺癌诊疗指南，推荐紫杉类治疗失败的晚期三阴性乳腺癌患者接受戈沙妥珠单抗治疗，即晚期三阴乳腺癌的二线及以上治疗使用戈沙妥珠单抗。证据级别2A，推荐级别II级。

<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 CSCO指南和文献-4.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况5</p>	<p>2024年中国抗癌协会乳腺癌诊治指南与规范，推荐戈沙妥珠单抗用于晚期三阴性乳腺癌患者的二线及以上治疗，同时指南指出，由于Trop-2在大多数乳腺肿瘤中呈高表达，目前不常规检测。</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 抗癌协会指南和文献-5.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>2024年美国NCCN临床肿瘤学指南（乳腺癌），推荐戈沙妥珠单抗用于三阴性乳腺癌二线治疗的所有患者。证据等级I类，推荐等级优先。</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 NCCN指南和文献-1.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>2023年欧洲ESMO转移性乳腺癌在线指南，推荐戈沙妥珠单抗作为转移性三阴性乳腺癌患者二线治疗优先选择。证据等级1，推荐强度A。</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 ESMO指南和文献-2.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>	<p>2024年中国晚期三阴性乳腺癌临床诊疗指南，戈沙妥珠单抗可作为二线及后线治疗优选方案，1B类证据；同时指南指出，无需检测Trop-2表达。</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 中国三阴乳腺癌指南和文献-3.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况4</p>	<p>2024年中国临床肿瘤学会（CSCO）乳腺癌诊疗指南，推荐紫杉类治疗失败的晚期三阴性乳腺癌患者接受戈沙妥珠单抗治疗，即晚期三阴乳腺癌的二线及以上治疗使用戈沙妥珠单抗。证据级别2A，推荐级别II级。</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 CSCO指南和文献-4.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况5</p>	<p>2024年中国抗癌协会乳腺癌诊治指南与规范，推荐戈沙妥珠单抗用于晚期三阴性乳腺癌患者的二线及以上治疗，同时指南指出，由于Trop-2在大多数乳腺肿瘤中呈高表达，目前不常规检测。</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 抗癌协会指南和文献-5.pdf</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

有效性评价包括1项全球关键II期单臂研究IMMU-132-01（NCT01631552）和1项目中国桥接单臂研究EVER-132-001（NCT04454437）。IMMU-132-01为一项全球多中心、单臂试验，研究入组了108例既往接受过至少2种系统性治疗的mTNBC患者，中位年龄55岁，疗效结果如下：总客观缓解率为33.3%，其中完全缓解率为2.8%，部分缓解率为30.6%；EVER-132-001为一项在中国开展的单臂、多中心试验，共入组80例中国mTNBC女性患者，中位年龄48岁，

	疗效结果与全球临床试验结果相近，具体如下：总客观缓解率为38.8%，其中完全缓解率为2.5%，部分缓解率为36.3%；中位持续缓解时间为5.6个月。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 拓达维申请上市技术审评报告.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	有效性评价包括1项全球关键II期单臂研究IMMU-132-01（NCT01631552）和1项目中国桥接单臂研究EVER-132-001（NCT04454437）。IMMU-132-01为一项全球多中心、单臂试验，研究入组了108例既往接受过至少2种系统性治疗的mTNBC患者，中位年龄55岁，疗效结果如下：总客观缓解率为33.3%，其中完全缓解率为2.8%，部分缓解率为30.6%；EVER-132-001为一项在中国开展的单臂、多中心试验，共入组80例中国mTNBC女性患者，中位年龄48岁，疗效结果与全球临床试验结果相近，具体如下：总客观缓解率为38.8%，其中完全缓解率为2.5%，部分缓解率为36.3%；中位持续缓解时间为5.6个月。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 拓达维申请上市技术审评报告.pdf

三、安全性信息

药品说明书刊载的安全性信息	拓达维®禁用于对本品发生重度超敏反应的患者。不良反应主要包括中性粒细胞减少症、腹泻、超敏反应、恶心和呕吐。本品可导致发生严重或危及生命的中性粒细胞减少症。发生中性粒细胞减少症发热时应暂停给药。可能会因中性粒细胞减少症而需要调整剂量。尿苷二磷酸葡萄糖醛酸基转移酶1A1（UGT1A1）活性降低患者使用本品时，密切监测是否出现重度中性粒细胞减少症。在药物相互作用方面，避免UGT1A1抑制剂以及UGT1A1诱导剂与本品联用。本品可引起重度腹泻。发生腹泻时，评估感染原因，根据临床指征，可以采用支持性措施。对本品治疗表现出过度的胆碱能反应的患者，可以在后续治疗时接受适当的预防用药。本品可导致出现重度和危及生命的超敏反应。建议接受本品治疗的患者使用预防输液反应药物。每次输注期间以及每次输注完成后至少30分钟，密切观察患者是否出现超敏反应和输液反应。本品可导致恶心呕吐，采用两种或三种药物联合方案进行预防用药，以预防化疗引起的恶心和呕吐。妊娠女性接受本品给药时，根据本品的作用机制，可能致畸和/或导致胚胎-胎儿死亡。应告知孕妇和育龄期女性本品对胎儿的潜在风险。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	除美国在首次上市许可时要求添加黑框警告外，各国家或地区药监部门5年内没有发布任何安全性警告和黑框警告，也没有任何撤市信息目前风险管理计划（RMP）里把黑框警告中的中性粒细胞减少症和腹泻作为重要的已识别风险，采用密切监测、剂量中断或延迟和给予止泻药等常规风险管理措施。这些风险不仅在说明书中有详细且明确的措施给予有效控制，而且药检的评审报告中也覆盖了该RMP，因此对于已批准适应症获益风险平衡没有影响，对公共健康影响也很小。
相关报导文献	-

四、创新性信息

创新程度	该药于2016年被美国FDA认定为突破性疗法,也被中国CDE授予优先审评审批资格,是国内首个且唯一获批的Trop-2靶点ADC,也是FDA和EMA唯一批准的Trop-2 ADC,且是国内首个且唯一获批的治疗晚期三阴性乳腺癌ADC。以Trop-2为靶点,人源化抗体,稳定的pH敏感可裂解连接器CL2A和独特的强效载药SN-38组成。其创新分子结构具有高选择性,精准释放,药效稳定和毒性可控等优势。
创新性证明文件	↓ 下载文件 CDE优先审评证明.pdf
应用创新	戈沙妥珠单抗的获益不受Trop-2和HER2表达水平以及BRCA突变状态影响,均能使患者受益,美国NCCN指南推荐其用于mTNBC全人群二线治疗。戈沙妥珠单抗对于老年人(≥65岁)、肝转移和既往接受过多次治疗的患者,均能带来全面而显著的生存获益,降低疾病进展风险,提高客观缓解率。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 拓达维说明书.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	三阴性乳腺癌是威胁女性的重大健康问题，且发病率呈现年轻化，这不但对女性个人健康有重要危害，还危及到整个家
-----------------	--

述	庭健康和幸福。戈沙妥珠单抗不仅可显著延长患者总生存期，还为年轻女性患者带来持续缓解与回归社会的机会，进一步提高晚期乳腺癌的5年生存率，助力“2030健康中国”目标的早日实现。
符合“保基本”原则描述	乳腺癌已成为全球第一大肿瘤,中国每年约新增乳腺癌患者42万,死亡11.7万,发病率每年递增3-4%。三阴性乳腺癌(TNBC)是乳腺癌的一种分型,约占15-20%,TNBC死亡率是所有乳腺癌中最高的。与其他分型的乳腺癌相比，TNBC的发病年龄小、进展更快、侵袭性高，预后差，且现在已有治疗药物效果不佳，亟需新的药物。戈沙妥珠单抗可显著延长患者总生存期，已被国际权威卫生技术评估机构推荐报销和使用。
弥补目录短板描述	戈沙妥珠单抗为目前唯一获批用于晚期TNBC治疗的靶向药品，能够解决临床后线患者“无药可用”的困境，为晚期TNBC患者带来新的治疗方式，弥补医保目录内无晚期TNBC靶向药的空白。
临床管理难度描述	靶点明确，诊疗路径清晰，处方依据确凿，临床滥用风险小。获批适应症明确，依据诊断证明、病理报告单等材料较易判断，便于医保经办审核执行。