

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：达妥昔单抗 β 注射液

企业名称：百济神州（北京）生物科技
有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-12 13:45:59	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)	达妥昔单抗β注射液	医保药品分类与代码	XL01XCD354B002010183716
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	治疗疾病的用途 (EP3071220)	核心专利权期限届满日1	2034-11
核心专利类型1	治疗疾病的用途 (EP3071220)	核心专利权期限届满日1	2034-11
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	20mg(4.5ml)/瓶		
上市许可持有人(授权企业)	Recordati Netherlands B.V.		
说明书全部适应症/功能主治	达妥昔单抗β适用于治疗≥12月龄的高危神经母细胞瘤患者，这些患者既往接受过诱导化疗且至少获得部分缓解，并且随后进行过清髓性治疗和干细胞移植治疗；也适用于治疗伴或不伴有残留病灶的复发性或难治性神经母细胞瘤。在治疗复发性神经母细胞瘤之前，应采取适当措施使活动性进展性疾病保持稳定。		
说明书用法用量	剂量：达妥昔单抗β治疗需连续5个疗程，每个疗程35天。个体剂量基于体表面积计算，每个疗程的总剂量应为100mg/m ² 。达妥昔单抗β给药方式的两种选择：●在各疗程的前10天内连续输注给药（共240小时），日剂量为10mg/m ² ●或在各疗程的前5天内输注给药，每日持续输注8小时，日剂量为20mg/m ² 更多详细信息请参照药品说明书。		
所治疗疾病基本情况	①神经母细胞瘤是好发于儿童的颅外实体恶性肿瘤，为第二批罕见病目录内病种，在我国0-14岁儿童中发病率7.72/100万，患者总数占儿童恶性肿瘤的8%~10%，死亡人数占比却高达15%，危害极大 ②高危和复发难治性神经母细胞瘤恶性程度高，对患儿生命造成严重威胁，研究显示，高危患儿5年总生存率仅48.9%，复发和难治患儿中位生存时间仅11.0和27.9个月 ③以达妥昔单抗β为代表的GD2单抗可显著提升治愈潜能		
中国大陆首次上市时间	2021-08	注册证号/批准文号	国药准字SJ20210023
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	2017-05
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	目前医保目录内无同疾病治疗领域同药理作用药品。医保目录外药品中，另一GD2单抗那西妥单抗注射液于2022.11获批与粒细胞-巨噬细胞集落刺激因子(GM-CSF)联合给药，适用于伴骨或骨髓病变的复发或难治性高危神经母细胞瘤患者。目前，达妥昔单抗β为唯一同时获批适用于“初治高危神经母细胞瘤”和“复发或难治性神经母细胞瘤患者”的GD2单抗，且复发或难治性适应症无伴骨或骨髓病变和联合用药要求。		
企业承诺书			

	↓ 下载文件 1-1企业承诺书.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 1-2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	↓ 下载文件 1-3所有进口药品注册证.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 达妥昔单抗β注射液PPT1.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 达妥昔单抗β注射液PPT2.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	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：唯一获批“初治高危”和“复发/难治性”神经母细胞瘤的GD2单抗，填补神母免疫治疗药物空白；两个适应症均无国家医保目录内药品；临床试验为单臂或本品对照本品+IL-2

其他情况请说明：-

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	达妥昔单抗β+IL-2
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究为一项多中心、随机对照的3期临床试验。共纳入初治高危神经母细胞瘤患者406例，以3年无事件生存率（EFS）为主要疗效终点，评估达妥昔单抗β联合或不联合IL-2的临床有效性。疗效分析显示，当用于高危神经母细胞瘤患者的一线维持治疗时，达妥昔单抗β单药治疗显示了与联合IL-2治疗相似的生存结局，5年的EFS率分别为53%和57%，5年的OS率分别为63%和62%，两组间未见明显疗效差别。
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 2-1-1APN311-302.pdf

试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	异维甲酸
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究以SIOPEN HR-NBL1研究中未接受免疫治疗的患者466例为历史对照组，将APN311-302研究中接受达妥昔单抗β免疫治疗患者378例与之进行比较，共844例患者纳入分析。研究结果显示，达妥昔单抗β免疫治疗组及未接受免疫组的5年EFS率分别为57%和42%， $p < 0.001$ ；5年OS率分别为64%和50%， $p < 0.001$ 。该研究表明达妥昔单抗β给高危神经母细胞瘤患者带来明确生存获益。
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）	↓ 下载文件 2-1-2APN311-302-历史对照研究.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	达妥昔单抗β+IL-2
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究为纳入复发或难治性神母160例，评估达妥昔单抗β联合IL-2是否可改善复发或难治性神母的EFS。疗效分析显示，达妥昔单抗β对比达妥昔单抗β+IL-2的3年EFS率分别为57%和54%（ $p = 0.721$ ），3年OS率分别为71%和71%（ $p = 0.904$ ），两组之间无明显疗效差别，结果表明，达妥昔单抗β为复发或难治性神母患者带来明显的生存获益。
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）	↓ 下载文件 2-1-3APN311-202V3研究.pdf
试验类型4	其他
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	该研究为同情用药项目，在53例高危神母患者（其中48例复发或难治患者）中评估了达妥昔单抗β免疫治疗的临床疗效。分析显示，入组患者4.9年PFS率和5.2年OS率分别为33.1%和47.7%。研究还基于AIEOP数据库未使用免疫治疗复发患者数据构建历史队列，相比历史对照，达妥昔单抗β使复发患者4年OS率从15%提高至41%，远期生存获益显著。同时，研究表明，患者实际临床平均用药4.6个疗程。
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 2-1-4APN311-303研究.pdf
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	37例患者纳入本研究，平均用药4.1个疗程，中位随访86天（32~262天），6例患者预后改善，包括1例由部分缓解达完全缓解，2例由部分缓解改善为非常好部分缓解，3例非常好部分缓解患者获得了完全缓解；23例完全缓解和4例部分缓解患者疾病状态维持不变。73%患者处于完全缓解状态。结果显示中国高危和复发或难治性神母患儿对达妥昔单抗β的总体耐受性良好，严重不良反应发生率低于国外文献报道。
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 2-1-5海南天津先行先试用药.pdf

试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	达妥昔单抗 β +IL-2
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究为一项多中心、随机对照的3期临床试验。共纳入初治高危神经母细胞瘤患者406例，以3年无事件生存率（EFS）为主要疗效终点，评估达妥昔单抗 β 联合或不联合IL-2的临床有效性。疗效分析显示，当用于高危神经母细胞瘤患者的一线维持治疗时，达妥昔单抗 β 单药治疗显示了与联合IL-2治疗相似的生存结局，5年的EFS率分别为53%和57%，5年的OS率分别为63%和62%，两组间未见明显疗效差别。
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 2-1-1APN311-302.pdf
试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	异维甲酸
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究以SIOPEL HR-NBL1研究中未接受免疫治疗的患者466例为历史对照组，将APN311-302研究中接受达妥昔单抗 β 免疫治疗患者378例与之进行比较，共844例患者纳入分析。研究结果显示，达妥昔单抗 β 免疫治疗组及未接受免疫组的5年EFS率分别为57%和42%， $p < 0.001$ ；5年OS率分别为64%和50%， $p < 0.001$ 。该研究表明达妥昔单抗 β 给高危神经母细胞瘤患者带来明确生存获益。
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）	↓ 下载文件 2-1-2APN311-302-历史对照研究.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	达妥昔单抗 β +IL-2
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究为纳入复发或难治性神经母细胞瘤160例，评估达妥昔单抗 β 联合IL-2是否可改善复发或难治性神经母细胞瘤的EFS。疗效分析显示，达妥昔单抗 β 对比达妥昔单抗 β +IL-2的3年EFS率分别为57%和54%（ $p = 0.721$ ），3年OS率分别为71%和71%（ $p = 0.904$ ），两组之间无明显疗效差别，结果表明，达妥昔单抗 β 为复发或难治性神经母细胞瘤患者带来明显的生存获益。
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）	↓ 下载文件 2-1-3APN311-202V3研究.pdf
试验类型4	其他
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	该研究为同情用药项目，在53例高危神经母细胞瘤患者（其中48例复发或难治患者）中评估了达妥昔单抗 β 免疫治疗的临床疗效。分析显示，入组患者4.9年PFS率和5.2年OS率分别为33.1%和47.7%。研究还基于AIEOP数据库未使用免疫治疗复发患者数据构建历史队列，相比历史对照，达妥昔单抗 β 使复发患者4年OS率从15%提高至41%，远期生存获益显著。同时，研究表明，患者实际临床平均用药4.6个疗程。
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 2-1-4APN311-303研究.pdf

试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	37例患者纳入本研究，平均用药4.1个疗程，中位随访86天（32~262天），6例患者预后改善，包括1例由部分缓解达完全缓解，2例由部分缓解改善为非常好部分缓解，3例非常好部分缓解患者获得了完全缓解；23例完全缓解和4例部分缓解患者疾病状态维持不变。73%患者处于完全缓解状态。结果显示中国高危和复发或难治性神经母细胞瘤患儿对达妥昔单抗β的总体耐受性良好，严重不良反应发生率低于国外文献报道。
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 2-1-5海南天津先行先试用药.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	儿童神经母细胞瘤诊疗专家共识CCCG-NB-2021方案：达妥昔单抗β在国内已获批进入临床应用，适应证为：①治疗年龄≥12个月的高危患儿，这些患儿既往接受过诱导化疗且至少获得部分缓解，并随后进行了清髓性治疗和干细胞移植治疗；②治疗伴或不伴有残留病灶的复发性或难治性神经母细胞瘤。在治疗复发性神经母细胞瘤之前，应采取适当措施使活动性、进展性疾病保持稳定。
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）	↓ 下载文件 2-2-1儿童神经母细胞瘤诊疗专家共识CCCG-NB-2021方案.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《NCCN神经母细胞瘤临床实践指南2024V2》：建议高危神经母细胞瘤患者巩固治疗后使用达妥昔单抗β联合异维甲酸作为维持治疗；基于研究已证实联合IL-2不具有生存获益反而增加治疗毒性，建议不联合IL-2使用；诱导治疗及巩固治疗后发生疾病进展的高危神经母细胞瘤患者，推荐可采用GD2单抗联合化疗方案；对于诱导治疗后未达CR的高危患者，推荐可尽早采用GD2单抗联合化疗的桥接治疗方案。
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）	↓ 下载文件 2-2-2NCCN神经母细胞瘤临床实践指南2024v2.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2021版GD2抗体达妥昔单抗β治疗神经母细胞瘤的临床应用专家共识》：推荐达妥昔单抗β用于经过规范治疗（须包含诱导化疗、清髓性治疗和造血干细胞移植）后的高危神经母细胞瘤患者，以及复发或难治性神经母细胞瘤患者。
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）	↓ 下载文件 2-2-32021年GD2抗体达妥昔单抗β治疗神经母细胞瘤的临床应用专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2018年英国国家卫生与临床优化研究所NICE《达妥昔单抗β治疗神经母细胞瘤（TA538）》指南：推荐达妥昔单抗β注射液用于治疗≥12月龄的高危神经母细胞瘤患者，这些患者既往接受过诱导化疗且至少获得部分缓解，并且随后进行过清髓性治疗和干细胞移植治疗。达妥昔单抗β是高危、复发或难治性神经母细胞瘤的重要治疗选项。
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）	↓ 下载文件 2-2-42018年英国国家卫生与临床优化研究所NICE推荐.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《2017版德国儿科肿瘤学与血液病学协会（GPOH）神经母细胞瘤诊断与治疗指南》：对于已完成巩固治疗的高危神经母细胞瘤患者，推荐达妥昔单抗β单药进行治疗。
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）	↓ 下载文件 2-2-52017版德国GPOH神经母细胞瘤诊断与治疗指南.pdf

资料须同时提供原文及中文翻译件)	
临床指南/诊疗规范推荐情况1	<p>儿童神经母细胞瘤诊疗专家共识CCCG-NB-2021方案：达妥昔单抗β在国内已获批进入临床应用，适应证为：①治疗年龄≥12个月的高危患儿，这些患儿既往接受过诱导化疗且至少获得部分缓解，并随后进行了清髓性治疗和干细胞移植治疗；②治疗伴或不伴有残留病灶的复发性或难治性神经母细胞瘤患儿。在治疗复发性神经母细胞瘤患儿之前，应采取适当措施使活动性、进展性疾病保持稳定。</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>↓ 下载文件 2-2-1儿童神经母细胞瘤诊疗专家共识CCCG-NB-2021方案.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况2	<p>《NCCN神经母细胞瘤临床实践指南2024v2》：建议高危神经母细胞瘤患者巩固治疗后使用达妥昔单抗β联合异维甲酸作为维持治疗；基于研究已证实联合IL-2不具有生存获益反而增加治疗毒性，建议不联合IL-2使用；诱导治疗及巩固治疗后发生疾病进展的高危神经母细胞瘤患者，推荐可采用GD2单抗联合化疗方案；对于诱导治疗后未达CR的高危患者，推荐可尽早采用GD2单抗联合化疗的桥接治疗方案。</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>↓ 下载文件 2-2-2NCCN神经母细胞瘤临床实践指南2024v2.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况3	<p>《2021版GD2抗体达妥昔单抗β治疗神经母细胞瘤的临床应用专家共识》：推荐达妥昔单抗β用于经过规范治疗（须包含诱导化疗、清髓性治疗和造血干细胞移植）后的高危神经母细胞瘤患者，以及复发或难治性神经母细胞瘤患者。</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>↓ 下载文件 2-2-32021年GD2抗体达妥昔单抗β治疗神经母细胞瘤的临床应用专家共识.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况4	<p>2018年英国国家卫生与临床优化研究所NICE《达妥昔单抗β治疗神经母细胞瘤（TA538）》指南：推荐达妥昔单抗β注射液用于治疗≥12月龄的高危神经母细胞瘤患者，这些患者既往接受过诱导化疗且至少获得部分缓解，并且随后进行过清髓性治疗和干细胞移植治疗。达妥昔单抗β是高危、复发或难治性神经母细胞瘤的重要治疗选项。</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>↓ 下载文件 2-2-42018年英国国家卫生与临床优化研究所NICE推荐.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况5	<p>《2017版德国儿科肿瘤学与血液病学协会（GPOH）神经母细胞瘤诊断与治疗指南》：对于已完成巩固治疗的高危神经母细胞瘤患者，推荐达妥昔单抗β单药进行治疗。</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>↓ 下载文件 2-2-52017版德国GPOH神经母细胞瘤诊断与治疗指南.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	<p>对于高危神经母细胞瘤患者一线维持治疗，研究APN311-302中的R2期 MAT后接受免疫治疗患者（367例）的生存期数据与历史对照人群（R1期仅接受MAT治疗的450例）进行比较。历史对照组中，5年OS率为50%。APN311-302中，5年OS率为65%，两组之间的OS差异具有统计学意义（$P < 0.0001$），表现出达妥昔单抗β免疫疗法的优势。多项针对复发/难治性神经母细胞瘤的临床研究，证实了达妥昔单抗β在ORR、EFS和OS方面表现出显著的临床获益。我国高危神经母细胞瘤尚无有效的靶向治疗药物获批上市，多项境外临床试验证实本品具有明确的临床获益，可延长经过诱导化疗和干细胞移植患者的无进展生存期，并可降低复发难治患者的疾病进展或死亡风险。</p>
《技术审评报告》原文（可节选）	<p>↓ 下载文件 2-3技术审评报告节选.pdf</p>
国家药监局药品审评中心《技术	<p>对于高危神经母细胞瘤患者一线维持治疗，研究APN311-302中的R2期 MAT后接受免疫治疗患者（367例）的生存期数</p>

审评报告》中关于本药品有效性的描述	据与历史对照人群（R1期仅接受MAT治疗的450例）进行比较。历史对照组中，5年OS率为50%。APN311-302中，5年OS率为65%，两组之间的OS差异具有统计学意义（ $P < 0.0001$ ），表现出达妥昔单抗免疫疗法的优势。多项针对复发/难治性神经母细胞瘤的临床研究，证实了达妥昔单抗在ORR、EFS和OS方面表现出显著的临床获益。我国高危神经母细胞瘤尚无有效的靶向治疗药物获批上市，多项境外临床试验证实本品具有明确的临床获益，可延长经过诱导化疗和干细胞移植患者的无进展生存期，并可降低复发难治患者的疾病进展或死亡风险。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 2-3技术审评报告节选.pdf

三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	常见不良反应为发热、疼痛，超敏反应、呕吐、腹泻、毛细血管渗漏综合征、贫血、中性粒细胞减少症、血小板减少症和低血压。禁忌急性3级或4级、或广泛性慢性移植抗宿主病。治疗期间注意监测超敏反应，疼痛，毛细血管渗漏综合征，眼部神经类疾病，周围神经病变，全身感染，和血液学毒性。避免在给药期间至最后一个疗程后10周内接种疫苗。不建议合并使用静脉注射免疫球蛋白。不建议在首个疗程前2周到末个疗程后1周内进行皮质类固醇合并治疗，用于危及生命的病症除外。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	达妥昔单抗于2017年5月8日于欧洲首次获批上市。2021年8月12日在中国获附条件批准上市。药品上市后，各国家或地区药监部门未发布任何安全警告、黑框警告、撤市信息。相关安全性信息已在说明书【不良反应】【注意事项】章节进行详细解释说明。在2022年11月09日至2023年11月08日年度定期获益-风险评估报告中，对本报告周期内收到的安全性数据进行了评价。对已批准的适应症，达妥昔单抗的获益大于风险。基于本报告期内获得的安全性信息，达妥昔单抗的安全性特征保持不变，无需更新风险管理计划中的当前风险。
相关报导文献	↓ 下载文件 3-1定期获益-风险评估报告节选-中文.pdf

四、创新性信息

创新程度	达妥昔单抗被列入国家《第一批临床急需境外新药名单》，纳入CDE优先审评。是国内首个上市的GD2单抗，填补国内神母免疫治疗空白。GD2在神经母细胞瘤中100%特异性表达，是治疗神母的理想靶点。达妥昔单抗非岩藻糖基化程度更高，带来更强肿瘤杀伤作用；糖基化结构中不含 α -半乳糖苷酶，降低过敏反应发生率和严重程度。患者生存获益显著，可提升高危患者5年OS率至64%，复发难治患者3年OS率至71%。
创新性证明文件	↓ 下载文件 4-1创新程度.pdf
应用创新	本品是目前唯一获批治疗“初治高危”和“复发/难治性”神经母细胞瘤两类适应症人群的GD2单抗，患者群体获益面广。本品长期输注方案（在各疗程的前10天内连续输注给药）显著降低GD2单抗引起的疼痛等不良反应，提高患者依从性。固定仅需5个疗程的治疗方案，半年时间结束治疗，短期用药，长期获益，方便临床制定治疗计划和控制用药成本。有效期长达36个月，注射液配制后累计最长可储存10天，储存优势可以减少药物浪费。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 4-2应用创新.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	高危神经母细胞瘤异质性强、恶性程度高，被称为“儿童肿瘤之王”，患者生存预后差，给患儿和家庭带来极其沉重的负担，若患儿死亡对家庭来说又将是不可磨灭的打击。达妥昔单抗可以显著提高患儿的长期生存获益，让患儿有更多机会回归家庭和校园，给患者和家庭带来治愈希望，未来将为社会创造无限的价值
符合“保基本”原则描述	①达妥昔单抗显著提升患者的长期生存获益，给患者带来治愈希望，是高危神母治疗的首选药物，也是神母患者最基本的保障需求②神经母细胞瘤发病罕见，已被列入《第二批罕见病目录》，纳入医保目录后对医保基金影响极其有限
弥补目录短板描述	①达妥昔单抗是国内首个上市的靶向GD2单抗，目前唯一获批用于“初治高危”和“复发/难治性”神经母细胞瘤两类适应症人群的免疫治疗药物 ②目前医保目录内无任何神经母细胞瘤治疗药物，达妥昔单抗可填补目录空白 ③被列入国家《第一批临床急需境外新药名单》

临床管理难度描述

①达妥昔单抗 β 为固定疗程一次性用药，半年左右结束治疗，非长期用药，不会提高经办审核难度 ②达妥昔单抗 β 临床适应症和处方条件明确，无临床滥用风险，不增加医保管难度