

FOSUN PHARMA
复星医药



新增罕见病适应症，拟申请调入

注射用人干扰素 γ



申报企业：上海凯茂生物医药有限公司

01 药品基本信息

罕见病治疗用药，适用于降低慢性肉芽肿病（CGD）相关严重感染的发生频率和严重程度。

02 有效性

持续使用可显著提高CGD患者生存率。

对各类基因缺陷和遗传型的CGD患者都有疗效。

长时间使用组（≥60天）患者的严重感染发生频率显著低于未使用和短时间使用组（<60天）患者。

03 安全性

安全性良好，且严重程度较低，无任何严重不良反应报告。

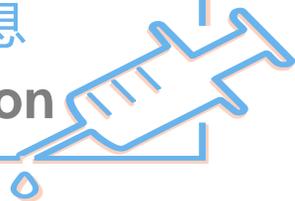
04 创新性

干扰素 γ 是全球唯一获批用于CGD适应症的药物。
本品在国内独家上市。

05 公平性

填补国内CGD适应症的药物空白。
罕见病用药，目标人群数量有限；临床管理难度低，有助于医保基金精准管理。

01 药品基本信息 Basic information



2022年8月，CDE按优先审评审批路径，批准注射用人干扰素 γ （简称：IFN γ ）新增罕见病适应症（慢性肉芽肿病，CGD）。CGD为原发性免疫缺陷（列入第二批罕见病目录，编号66），填补了国内临床CGD适应症治疗空白。

（目前本品仅为CGD患儿临床用药保供生产）

通用名：**注射用人干扰素 γ**

注册规格：**100万IU/瓶，200万IU/瓶**

中国大陆首次上市时间：**1995年4月**

中国大陆CGD适应症上市时间：**2022年8月**

目前大陆地区同通用名药品的上市情况：**无（国内独家）**

全球首个上市国家/地区及上市时间：**美国/1999年2月（全球首次以孤儿药获批CGD适应症）**

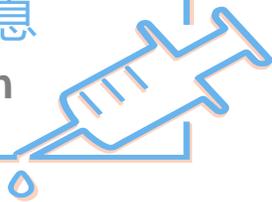
是否为OTC药品：**否**

参照药品建议：**无（IFN γ 是全球唯一获批CGD适应症的药品。**

目录内无该治疗领域药品）

01 药品基本信息

Basic information



适应症

- ① 类风湿性关节炎；
- ② 肝纤维化；
- ③ 降低慢性肉芽肿病相关严重感染的发生频率和严重程度。



疾病基本情况

CGD欧美发病率约1/200,000~1/250,000（我国尚无流行病学数据），根据现有可及文献^[1-64]，自1985年至2024年7月，全国累计病例约571例。CGD由先天性吞噬细胞功能障碍引起，平均诊断年龄为2.5岁，CGD患儿因自身原发性免疫缺陷，不可避免地频繁受累于反复发作的严重感染，重者致命。临床仅采用常规抗感染治疗通常疗效欠佳，对患儿身心造成重大痛苦。添加IFN γ 治疗后可明显缓解症状，及时减轻痛苦，有效提高患儿生存质量，降低死亡率。CGD目前唯一治愈疗法是造血干细胞移植（HSCT），不同医疗机构报道的移植率约为11.1%~66.7%^[1,13,38,39,61]。对于拟行HSCT的患儿，IFN γ 除治疗用药外，还用于移植前病情管理阶段的感染控制。



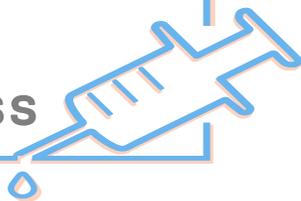
用法用量

本品应在临床医师指导下使用。每瓶制品用灭菌注射用水1ml溶解，皮下或肌肉注射。

- ① 类风湿性关节炎：开始时每天肌肉注射50万国际单位（IU），连续3~4天后，如无明显不良反应，将剂量增到每天100万IU，第二个月开始改为隔天150~200万IU肌肉注射，总疗程3个月。
- ② 肝纤维化：前3个月，每天注射100万国际单位（IU）；后6个月，隔天注射100万IU；总疗程9个月。
- ③ 慢性肉芽肿病（CGD）：推荐剂量为2.25万IU/kg/次，每周2~3次，皮下或肌肉注射。确诊后建议长期规律用药；治疗过程中可根据患者的临床状况调整给药频次和剂量（按医嘱）；如果发生不良反应，应予酌情减量或中断治疗。

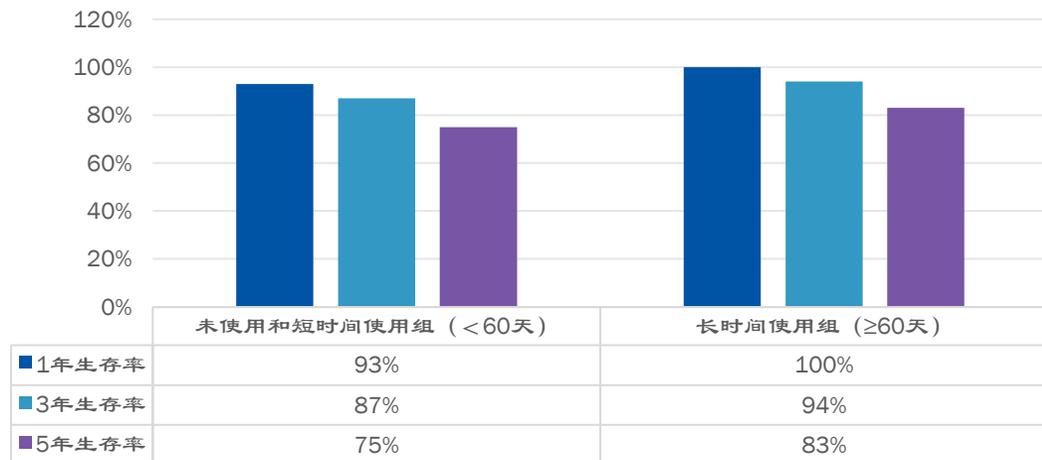
02 有效性

Effectiveness



真实世界回顾性研究结果显示：

(1) 持续使用可显著提高CGD患者生存率，长时间使用组（ ≥ 60 天）与短时间用药及未用药组（ < 60 天）相比，具有统计学显著差异（ $p=0.0292$ ）。



- (2) 对各类基因缺陷和遗传型的CGD患者都有疗效。
- (3) 长时间使用组患者的严重感染发生频率[1.8(± 1.58)次/年]显著低于未使用和短时间使用组患者[2.97(± 2.46)次/年]（ $p=0.0001$ ）。
- (4) IFN γ 的应用和HSCT术后存活有显著的正相关性。

国家药品审评中心出具的《技术评审报告》中关于本品有效性的描述：

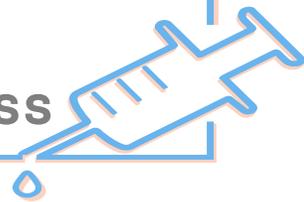
CGD的当前治疗主要为感染发作后使用抗生素/抗真菌/抗结核药物对症治疗，尚无针对控制感染发作的免疫疗法，因此无法对疾病进行良好管理，存在尚未满足的临床需求。

采用成组t检验进行组间比较，发现未使用和短时间使用组严重感染事件发生频率显著高于长时间使用组。



02 有效性

Effectiveness



FOSUNPHARMA
复星医药



临床指南/诊疗规范推荐



美国过敏、哮喘和免疫学学会 (AAAAI)

“PID 诊断和管理规范”推荐 IFN γ 用于 CGD 的治疗和预防。



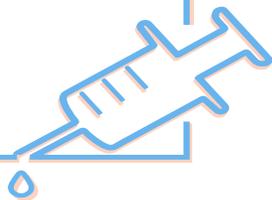
儿童临床使用免疫调节剂
(上海) 专家共识》

推荐 IFN γ 用于治疗儿童 CGD。



美国国家过敏和传染病研究所 (NIAID)

“慢性肉芽肿病”宣教指南推荐 CGD 使用 IFN γ 与抗菌/抗真菌联合治疗和预防。



不良反应情况:

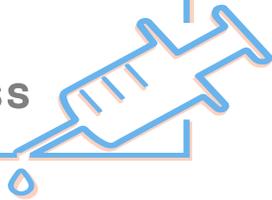
- 最常见不良反应是发热，常在开始用药阶段发生，在注射后3~4小时后出现，多数为低热（38℃以下），仅少数在38℃以上，持续数小时自行消退。一般用药2~4天后即不再有发热反应。
- 其它不良反应有疲劳、不适、头疼、肌痛、关节痛、食欲不振、恶心等。

安全性监测:

- 各国家/地区药监部门均未发布安全性警告、黑框警告、撤市信息。
- 本品在CGD患者中报告的主要不良反应为发热，严重程度通常为CTCAE 1级或2级。
- 根据历年上市后ADR监测，本品在临床应用中的长期安全性普遍良好。

04 创新性

Innovation



FOSUN PHARMA
复星医药



创新程度:

干扰素 γ 是全球唯一获批用于CGD适应症的药物，本品在国内独家上市。本品新增慢性肉芽肿病（CGD）适应症的注册申请纳入CDE优先审评审批。

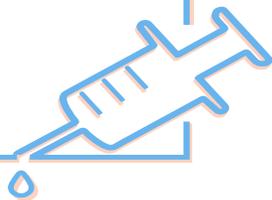
CGD由先天性吞噬细胞功能障碍引起，吞噬细胞中的NADPH氧化酶通过一系列反应产生超氧化物，超氧化物具有高效杀菌作用。CGD中，吞噬细胞呼吸爆发缺陷，无法有效清除病原微生物，使患者反复遭受严重感染和炎症侵袭。IFN γ 通过提高血清和中性粒细胞一氧化氮水平，从而代替O₂⁻的防御及杀菌功能；此外，IFN γ 可显著增加中性粒细胞刺激指数，从而改善CGD患者中性粒细胞的氧化爆发活性。

应用创新:

CGD患者因原发性免疫缺陷，导致病原体清除能力受损，仅用常规抗感染治疗无法对疾病进行良好的系统性管理，而合并使用IFN γ 可以明显降低CGD患者的感染发生频率和严重程度，有效提高患者生存质量，改善生存结局。

05公平性

Fairness



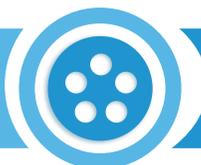
01



所治疗疾病对公共健康的影响

CGD为罕见病，自1985年至今全国累计病例约571例^[1-64]，约75%的CGD患儿在6月龄内起病，表现为反复发作的严重感染，可能致命（死亡率20.8%~32.9%）。对于CGD患者尤其是儿童的医保投入，可有效改善患儿生存质量、使其能够长期存活，促进患儿健康长大、正常融入社会，同时，也可减轻照护者的身心负担、降低照护者的生产力损失，为患者及其家庭带来希望，具有良好的社会效应。

02



符合“保基本”原则

①CGD起病年龄越小疾病表现越重，致死风险也越大，早期规范用药可以有效管理疾病，符合医院和社会医疗安全的基本要求。

②本品可降低CGD患者严重感染的发生频率和严重程度，在有效减轻患者疾病负担的同时，还可以降低门诊、住院、检查等医疗资源利用，节约基金的其他治疗支出。

03



弥补目录短板

填补国内CGD适应症药物空白，为罕见病患儿的持续治疗提供基本保障。

04



临床管理难度

①本品适应症明确、安全性良好。

②患者通常在严重感染发作时入院治疗，依从性好，医生可按照说明书进行给药，不易产生药物滥用风险。

③CGD为罕见病，患者人数极其有限，临床管理难度低，有助于医保基金精准管理。