

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： 依库珠单抗注射液

企业名称： 阿斯利康（无锡）贸易有
限公司

申报信息

申报时间	2024-07-12 18:52:04	药品目录	药品目录内
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2024年12月31日协议到期，且不申请调整医保支付范围的谈判药品。
- 2.2024年12月31日协议到期，适应症或功能主治未发生重大变化，因适应症与医保支付范围不一致，主动申请调整支付范围的谈判药品。
- 3.2019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，主动申请调整医保支付范围的谈判药品和目录内其他药品。

药品通用名称（中文、含剂型）	依库珠单抗注射液	药品类别	西药
<input checked="" type="radio"/> 药品注册分类	治疗用生物制品 3.1类		
是否为独家	是	目录类别	谈判药品
协议/支付标准到期时间	2025年12月31日		
核心专利类型1	非典型溶血性尿毒症综合征生物标志物蛋白	核心专利权期限届满日1	2036-06
核心专利类型2	通过抑制补体活性延长同种异体移植物的存活	核心专利权期限届满日2	2029-09
核心专利类型3	治疗非典型溶血性尿毒症综合组的方法和组合物	核心专利权期限届满日3	2029-09
核心专利类型1	非典型溶血性尿毒症综合征生物标志物蛋白	核心专利权期限届满日1	2036-06
核心专利类型2	通过抑制补体活性延长同种异体移植物的存活	核心专利权期限届满日2	2029-09
核心专利类型3	治疗非典型溶血性尿毒症综合组的方法和组合物	核心专利权期限届满日3	2029-09
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	300 mg/30 ml		
上市许可持有人（授权企业）	Alexion Europe SAS		
说明书全部适应症/功能主治	本品（依库珠单抗）适用于儿童及成人以下疾病的治疗：- 阵发性睡眠性血红蛋白尿症（PNH）；- 非典型溶血性尿毒症综合征（aHUS）。本品（依库珠单抗）适用于成人以下疾病的治疗：- 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）；- 抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）。		
<input checked="" type="radio"/> 现行医保目录的医保支付范围	限：1.阵发性睡眠性血红蛋白尿症(PNH)的患者；2.非典型溶血性尿毒症综合征(aHUS)的患者；3.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)成人患者。		
所治疗疾病基本情况	视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）属于中国第一批罕见病目录病种，中国患病率约为3.31/10万，是一组自身免疫介导的中枢神经系统炎性脱髓鞘疾病，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，以20-40岁青壮年女性患者为主，90%在3年内复发，单次复发也可能导致永久性的残疾和生活质量的恶化，超过一半会失明或永久残疾/无法独立行走；如不进行积极治疗，33%将在首次发作后5年内死亡。		
同疾病治疗领域内或同药理作用	中国目前无针对AQP4抗体阳性的NMOSD同药理作用药品，依库珠单抗是唯一治疗成人AQP4抗体阳性NMOSD的C5补		

药品上市情况	体抑制剂。依库珠单抗靶向下游补体，直接针对疾病关键环节，显著降低NMOSD复发风险，单药治疗患者144周时（近3年）100%零复发，96%患者在192周（近4年）保持零复发。目前有两种其他作用机制生物制剂：①伊奈利珠单抗，2022年3月获批，同年纳入医保目录，靶向耗竭CD19+B细胞，治疗1093天时（近3年）在AQP4-IgG血清阳性受试者中78%无复发，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，妊娠、长期免疫球蛋白水平下降患者不适用，存在局限性。②萨特利珠单抗，2021年4月获批，2023年纳入医保目录，IL-6受体拮抗剂，治疗192周（近4年）时AQP4-IgG血清阳性患者单药治疗组73%无复发。仍有1/4左右人群面临复发和不可逆损伤风险。一项网状Meta分析表明，依库珠单抗、伊奈利珠单抗和萨特利珠单抗三种药物种，依库珠单抗单药治疗成为最佳治疗选择的可能性为99%，安全性经超16年临床使用经验验证，有超400例妊娠期使用经验。
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf
药品修改前法定说明书	↓ 下载文件 依库珠单抗注射液药品修改前法定说明书.pdf
药品修改后法定说明书	↓ 下载文件 依库珠单抗注射液药品修改后法定说明书.pdf
最新版《药品注册证书》（国产药品）或《进口药品注册证》（进口药品）。如首次上市版本和最新版不同，请分别提供	↓ 下载文件 依库珠单抗注射液进口药品注册证.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 依库珠单抗注射液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 依库珠单抗注射液PPT2.pdf

新增适应症或功能主治	获批时间	用法用量
本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）	2023-10-12	在视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）成人患者中：成人患者（≥18岁）的NMOSD给药方案包含一个4周起始期及随后的维持期： • 起始期：前4周每周一次IV输注900 mg本品，在25-45分钟内输注完毕。 • 维持期：第5周IV输注1,200 mg本品，在25-45分钟内输注完毕。后续每14±2天IV输注1,200 mg本品，在25-45分钟内输注完毕。

新增适应症或功能主治参照药品

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0.8m ² 。 ② 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积1.6m 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)
空白对照	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：依库珠单抗靶向治疗4个罕见病，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；NMOSD临床试验对照药为安慰剂；中国唯一有100%零复发试验数据的NMOSD治疗药品

其他情况请说明：-

三、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
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	PREVENT研究：①与基线前24个月年复发率1.99相比，依库珠单抗组的年复发率为0.02，安慰剂组年复发率0.35；②依库珠单抗组96例患者中有3例（3%）和安慰剂组47例患者中有20例（43%）确诊复发；③依库珠单抗单药亚组100%在治疗144周保持零复发
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件1.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	OLE研究：在192周（3.7年）时，94.4%的患者仍被裁定为无复发。所有依库珠单抗治疗患者的年复发率为0.025，而PREVENT安慰剂组为0.35；在OLE期间，37%的患者停止或减少传统免疫抑制治疗的使用
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件2.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	单药亚组分析：依库珠单抗单药治疗可有效预防长期复发，96%患者在192周（~4年）保持无复发；缓解AQP4-IgG + NMOSD患者的慢性免疫抑制负担，95%的患者接受依库珠单抗单药治疗没有残疾恶化
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件3.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	亚组分析：无论患者年龄、性别、人种、患病时间长短、复发史、基线EDSS评分如何、是否联合治疗免疫抑制治疗或既往使用利妥昔单抗，是否合并另一种自身免疫性疾病，依库珠单抗均可显著降低复发风险；

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 依库珠单抗试验数据结果证明文件4.pdf
试验类型5	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	依库珠单抗可降低亚洲AQP4+NMOSD患者的复发风险，其获益-风险特征与整体PREVENT人群相似，95.2%的亚洲患者在接受依库珠单抗治疗144周后仍未复发；依库珠单抗的益处在于长期治疗期间仍然维持
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）	-
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	获批后
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	日本上市后监测：复发率从患者使用依库珠单抗治疗之前2年的0.74/患者年，降低为依库珠单抗治疗后的0.02/患者年；在开始依库珠单抗治疗后，前6个月54.4%患者服用了免疫抑制剂，开始治疗后6-12个月内比例降为47.5%。
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件6.pdf
试验类型7	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	一项纳入了24项试验、2207名患者的模型分析显示：在七种药物（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）中，依库珠单抗预防复发效果最显著，在24个月时，接受依库珠单抗治疗的无复发患者的估计比例为98.9%
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件7.pdf
试验类型8	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）

对主要临床结局指标改善情况	一项网状Meta分析，提取RCT研究中的数据比较依库珠单抗、伊奈利珠单抗和萨特利珠单抗三种药物的治疗效果，依库珠单抗单药和/或联合治疗成为延迟AQP4+ NMOSD成人患者首次复发时间的最佳治疗选择的可能性最高，其中单药治疗成为最佳治疗选择的可能性为99%
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件8.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	PREVENT研究：①与基线前24个月年复发率1.99相比，依库珠单抗组的年复发率为0.02，安慰剂组年复发率0.35；②依库珠单抗组96例患者中有3例（3%）和安慰剂组47例患者中有20例（43%）确诊复发；③依库珠单抗单药亚组100%在治疗144周保持零复发
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件1.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	OLE研究：在192周（3.7年）时，94.4%的患者仍被裁定为无复发。所有依库珠单抗治疗患者的年复发率为0.025，而PREVENT安慰剂组为0.35；在OLE期间，37%的患者停止或减少传统免疫抑制治疗的使用
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件2.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	单药亚组分析：依库珠单抗单药治疗可有效预防长期复发，96%患者在192周（~4年）保持无复发；缓解AQP4-IgG+ NMOSD患者的慢性免疫抑制负担，95%的患者接受依库珠单抗单药治疗没有残疾恶化
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件3.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂

试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	亚组分析：无论患者年龄、性别、人种、患病时间长短、复发史、基线EDSS评分如何、是否联合治疗免疫抑制治疗或既往使用利妥昔单抗，是否合并另一种自身免疫性疾病，依库珠单抗均可显著降低复发风险；
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件4.pdf
试验类型5	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	依库珠单抗可降低亚洲AQP4+NMOSD患者的复发风险，其获益-风险特征与整体PREVENT人群相似，95.2%的亚洲患者在接受依库珠单抗治疗144周后仍未复发；依库珠单抗的益处长期治疗期间仍然维持
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）	-
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	获批后
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	日本上市后监测：复发率从患者使用依库珠单抗治疗之前2年的0.74/患者年，降低为依库珠单抗治疗后的0.02/患者年；在开始依库珠单抗治疗后，前6个月54.4%患者服用了免疫抑制剂，开始治疗后6-12个月内比例降为47.5%。
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件6.pdf
试验类型7	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	一项纳入了24项试验、2207名患者的模型分析显示：在七种药物（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）中，依库珠单抗预防复发效果最显著，在24个月时，接受依库珠单抗治疗的无复发患者的估计比例为98.9%
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件7.pdf

试验类型8	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
对主要临床结局指标改善情况	一项网状Meta分析，提取RCT研究中的数据比较依库珠单抗、伊奈利珠单抗和萨特利珠单抗三种药物的治疗效果，依库珠单抗单药和/或联合治疗成为延迟AQP4+ NMOSD成人患者首次复发时间的最佳治疗选择的可能性最高，其中单药治疗成为最佳治疗选择的可能性为99%
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 依库珠单抗试验数据结果证明文件8.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《中国视神经脊髓炎谱系疾病诊断与治疗指南（2021版）》：依库珠单抗单药或联合传统免疫抑制剂可显著降低AQP4-IgG阳性患者的疾病复发（A级推荐）
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
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 依库珠单抗临床指南诊疗规范推荐情况1.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《关于AQP4-IgG+ NMOSD管理的国际德尔菲共识（2023版）》：AQP4-IgG阳性NMOSD成人患者均可在明确诊断时、首次发作后或现有治疗失败而复发后开始使用依库珠单抗；现有的综述表明，妊娠期使用依库珠单抗治疗没有重大的安全性问题。
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
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 依库珠单抗临床指南诊疗规范推荐情况2.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《NMOSD诊断和治疗的更新 – 德国视神经脊髓炎研究组（NEMOS）的修订建议（2024版）》：推荐包括依库珠单抗在内的单克隆抗体的长期免疫治疗应作为单一疗法，除非存在合并症需要与经典免疫抑制疗法联合使用
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
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 依库珠单抗临床指南诊疗规范推荐情况3.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《拉丁美洲关于NMOSD治疗的建议（2023版）》：推荐依库珠单抗应成为NMOSD AQP4+诊断后的首选治疗方案之一；接受其他DMT治疗且仍具有临床活动（复发）的NMOSD AQP4+患者，应将依库珠单抗作为首选治疗方案之一
本次新增的适应症或功能主治	本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）
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 依库珠单抗临床指南诊疗规范推荐情况4.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《妊娠和视神经脊髓炎谱系障碍：法国多发性硬化症协会建议（2022版）》：接受依库珠单抗治疗的女性可以考虑母乳

喂养

本次新增的适应症或功能主治

本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）

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](#) 依库珠单抗临床指南诊疗规范推荐情况5.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

《中国视神经脊髓炎谱系疾病诊断与治疗指南（2021版）》：依库珠单抗单药或联合传统免疫抑制剂可显著降低AQP4-IgG阳性患者的疾病复发（A级推荐）

本次新增的适应症或功能主治

本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）

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](#) 依库珠单抗临床指南诊疗规范推荐情况1.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

《关于AQP4-IgG+ NMOSD管理的国际德尔菲共识（2023版）》：AQP4-IgG阳性NMOSD成人患者均可在明确诊断时、首次发作后或现有治疗失败而复发后开始使用依库珠单抗；现有的综述表明，妊娠期使用依库珠单抗治疗没有重大的安全性问题。

本次新增的适应症或功能主治

本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）

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](#) 依库珠单抗临床指南诊疗规范推荐情况2.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

《NMOSD诊断和治疗的更新 – 德国视神经脊髓炎研究组（NEMOS）的修订建议（2024版）》：推荐包括依库珠单抗在内的单克隆抗体的长期免疫治疗应作为单一疗法，除非存在合并症需要与经典免疫抑制疗法联合使用

本次新增的适应症或功能主治

本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）

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](#) 依库珠单抗临床指南诊疗规范推荐情况3.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

《拉丁美洲关于NMOSD 治疗的建议（2023版）》：推荐依库珠单抗应成为NMOSD AQP4+诊断后的首选治疗方案之一；接受其他DMT治疗且仍具有临床活动（复发）的NMOSD AQP4+患者，应将依库珠单抗作为首选治疗方案之一

本次新增的适应症或功能主治

本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）

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](#) 依库珠单抗临床指南诊疗规范推荐情况4.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

《妊娠和视神经脊髓炎谱系障碍：法国多发性硬化症协会建议（2022版）》：接受依库珠单抗治疗的女性可以考虑母乳喂养

本次新增的适应症或功能主治

本品适用于成人以下疾病的治疗：抗水通道蛋白4（AQP4）抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）

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](#) 依库珠单抗临床指南诊疗规范推荐情况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</p>	<p>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）。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$\geq 25\%$，86%eGFR达到较基线的改善$\geq 15\text{mL}/\text{min}/1.73\text{m}^2$。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。依库珠使用前患者需要PE/PI的9名患者，依库珠治疗后8名停止PE/PI。针对难治性gMG和NMOSD暂未发布《技术审评报告》。</p>
<p>《技术审评报告》原文（可节选）</p>	<p>↓ 下载文件 依库珠单抗注射液申请上市技术审评报告.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>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）。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$\geq 25\%$，86%eGFR达到较基线的改善$\geq 15\text{mL}/\text{min}/1.73\text{m}^2$。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。依库珠使用前患者需要PE/PI的9名患者，依库珠治疗后8名停止PE/PI。针对难治性gMG和NMOSD暂未发布《技术审评报告》。</p>
<p>《技术审评报告》原文（可节选）</p>	<p>↓ 下载文件 依库珠单抗注射液申请上市技术审评报告.pdf</p>

四、安全性信息

<p>药品说明书记载的安全性信息</p>	<p>【不良反应】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。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。【禁忌】对依库珠单抗、小鼠蛋白或本品任一辅料有过敏反应者。下列患者不得启动本品治疗：未缓解的脑膜炎奈瑟氏球菌感染者。目前未针对脑膜炎奈瑟氏球菌进行免疫接种的患者（除非他们接受适当的抗生素预防性治疗至疫苗接种满2周）。【注意事项】脑膜炎球菌感染：除非推迟本品治疗的风险大于发生脑膜炎球菌感染的风险，否则所有患者均须在接受本品治疗之前至少2周进行疫苗接种，以降低感染风险。脑膜炎球菌疫苗接种之后未滿2周即开始接受本品治疗的患者必须采用适当的预防性抗生素治疗直至疫苗接种满2周。其他系统性感染：输液反应，免疫原性，免疫接种，抗凝治疗，免疫抑制剂和乙酰胆碱酯酶抑制剂治疗 中国说明书同时还列出以下注意事项及相关管理：PNH、aHUS的实验室监测，PNH、aHUS、难治性gMG患者终止治疗</p>
<p>药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果</p>	<p>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，未发现影响依库珠单抗获益-风险的新发安全性信号；依库珠单抗的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</p>
<p>相关报导文献</p>	<p>↓ 下载文件 依库珠单抗安全性证明文件.pdf</p>

五、创新性信息

<p>创新程度</p>	<p>全球首个且中国唯一获批治疗成人AQP4抗体阳性NMOSD的C5补体抑制剂，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，精准且快速抑制疾病进展，进而显著降低NMOSD复发，单药治疗患者近3年内零复发、96%近4年内零复发。可靶向治疗4个罕见病，2次荣获盖伦奖，获美国、欧盟、日本等孤儿药认定，PNH和aHUS纳入CDE优先审评和我国临床急需进口药品清单</p>
<p>创新性证明文件</p>	<p>↓ 下载文件 依库珠单抗创新性证明文件.pdf</p>
<p>应用创新</p>	<p>特殊人群也可使用：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；可在65岁及以上的患者中使用；肾功能不全的患者无需调整剂量；亚组分析表明：无论患者年龄、人种、患病时间长短、复发史如何、是否合并另一种自身免疫性疾病，依库珠单抗均可显著降低复发风险。现有的综述表明，妊娠期使用依库珠单抗治疗没有重大的安全性问题。</p>
<p>应用创新证明文件</p>	<p>↓ 下载文件 依库珠单抗应用创新证明文件.pdf</p>

传承性（仅中成药填写）	-
传承性证明文件	-

六、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）是中国第一批罕见病目录病种，使用依库珠单抗可显著降低NMOSD复发，单药治疗患者100%近3年内零复发、96%近4年内零复发，95%近4年内无残疾恶化；与安慰剂相比，显著降低87%住院年发生率、减少89%血浆置换治疗年发生率降低、83%急性复发后静脉注射糖皮质激素治疗率；安全性经超16年临床使用经验验证，有超400例妊娠期使用经验。
符合“保基本”原则描述	依库珠单抗是可靶向治疗4个罕见病，有不可替代性，也是视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）的临床必需治疗药物，且适应症为罕见病，人群相对有限，对医保基金影响有限。依库珠单抗治疗NMOSD可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、并发症治疗等相关治疗费用和医保基金支出。依库珠单抗在国外已有超16年临床使用经验，有效保障中国参保人的合理用药需求。
弥补目录短板描述	可靶向治疗四个罕见病，有不可替代性；《中国NMOSD诊断与治疗指南（2021版）》明确“预防复发”是NMOSD核心治疗目标，依库珠单抗是中国唯一具有100%零复发试验数据的成人NMOSD治疗药品，最大化帮助患者减少残疾、改善预后；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。
临床管理难度描述	视神经脊髓炎谱系疾病（NMOSD）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。