

2023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： 塞利尼索片

企业名称： 上海德琪医药科技有限公  
司

## 申报信息

申报时间	2023-07-12 19:06:17	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

### 一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2018年1月1日至2023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。但仅因为转产、再注册等原因,单纯更改通用名的药品除外。符合本条件的新冠抗病毒用药可按程序申报。
- 2.2018年1月1日至2023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.纳入《国家基本药物目录(2018年版)》的药品。
- 4.2023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》以及《第一批鼓励仿制药品目录》《第二批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 5.2023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》所收录罕见病的药品。

药品通用名称(中文、含剂型)	塞利尼索片	医保药品分类与代码	XL01XXS286A001010183951; XL01XXS286A001010283951
药品类别	西药	是否为独家	是
药品注册分类	化药5.1类		
核心专利类型1	含酰肼的核运输调节剂及其用途	核心专利权期限届满日1	2032-07
核心专利类型2	赛灵克斯的多晶型物	核心专利权期限届满日2	2035-08
核心专利类型1	含酰肼的核运输调节剂及其用途	核心专利权期限届满日1	2032-07
核心专利类型2	赛灵克斯的多晶型物	核心专利权期限届满日2	2035-08
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	20mg/片 12片/盒; 16片/盒; 20片/盒; 32片/盒		
上市许可持有人(授权企业)	Karyopharm Therapeutics Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	本品与地塞米松联用,适用于既往接受过治疗且对至少一种蛋白酶体抑制剂,一种免疫调节剂以及一种抗CD38单抗难治的复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者。		
说明书用法用量	塞利尼索推荐剂量为每次80 mg,每周第1和第3天口服,总计160 mg/周;首次调整剂量为100 mg/周,二次调整剂量为80 mg/周,三次调整剂量为60 mg/周,中位剂量为115 mg/周;持续治疗直至疾病进展或出现不可耐受的毒性。		
所治疗疾病基本情况	多发性骨髓瘤(MM)是一种主要发生于中老年人的恶性浆细胞血液肿瘤,特征为克隆性浆细胞在骨髓中增殖,血、尿中出现单克隆免疫球蛋白或其片段,恶性增殖的浆细胞或其产生的单克隆免疫球蛋白等产物造成骨髓、骨骼、肾脏等相关靶器官损害。临床主要表现为贫血、骨病、肾功能不全、高钙血症等。MM发病约占血液肿瘤10%左右,是仅次于恶性淋巴瘤的第二常见的血液恶性肿瘤。我国发病率1.6人/10万,年发病患者约有2万人。		
中国大陆首次上市时间	2021-12	注册证号/批准文号	国药准字HJ20210083
全球首个上市国家/地区	美国	全球首次上市时间	2019-07
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	塞利尼索目前无同药理作用药品上市,同疾病治疗领域内上市新药情况如下:一、达雷妥尤单抗于2019年7月获批上市,2022年1月进入医保,报销范围包括与Rd或Vd联用治疗既往接受过≥1线治疗的RRMM患者以及单药治疗既往接受过蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂治疗的RRMM患者。一项中国真实世界研究纳入接受达雷妥尤单抗治疗的RRMM患者,显示中位无进展生存(PFS)时间为8.9个月,其中接受DRd方案治疗患者,中位PFS为14.4个月。达雷妥尤单抗进入医保近2年,		

可及性提高，越来越多的RRMM患者成为达雷妥尤单抗难治人群，该人群预后差，总生存仅8.3个月，是临床未满足的需求，亟需全新机制的药物。二、卡非佐米2021年7月在中国获批上市，2023年3月进入医保。与伊沙佐米方案相比，卡非佐米方案可以实现更深度的缓解（≥VGPR：66.3% vs 34.7%）。但卡非佐米是二代蛋白酶体抑制剂，对于既往接受硼替佐米和伊沙佐米治疗耐药患者疗效有限。三、泊马度胺自2020年11月在中国获批上市，2022年1月进入医保。

企业承诺书

↓ 下载文件 上海德琪企业承诺书.pdf

药品最新版法定说明书

↓ 下载文件 塞利尼索片说明书.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 塞利尼索产品注册证书.pdf

申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）

↓ 下载文件 塞利尼索片-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）将要同其他信息一同向社会公示

↓ 下载文件 塞利尼索片-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：
  - 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。
  - 急抢救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。
  - 肿瘤、罕见病用药统一按365天用药计算年费用。
  - 其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。
  - 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0.8m<sup>2</sup>。
    - 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积1.6m<sup>2</sup>。

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)
达雷妥尤单抗	是	400mg/20ml	4690	16mg/kg,	年度费用	23个疗程/年	253064

参照药品选择理由：①塞利尼索适应症为三类药物难治的多发性骨髓瘤患者，达雷妥尤单抗是唯一获批的抗CD38单抗；②达雷妥尤自从2022年纳入国家医保后是最广泛应用的MM疗法；③指南推荐均被国内外指南推荐治疗RRMM。

其他情况请说明：或者无参照：①国内没有获批同适应症的药品；②塞利尼索是全球首个且唯一的核输出蛋白XPO1抑制剂，全新靶点，全新作用机制，first-in-class，弥补后线多发性骨髓瘤患者临床治疗空白。

## 联系人信息

联系人	马朱林	联系电话	13816355112
-----	-----	------	-------------

## 二、有效性信息

试验类型1	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	STORM研究（治疗方案Sd）纳入122例复发或难治多发性骨髓瘤（RRMM）患者，既往经过中位7（3-18）线治疗且100%患者对蛋白酶抑制剂PIs和免疫调节药物IMiD及达雷妥尤单抗难治，77%患者为四药难治，68%患者为五药难治。53%患者有高危细胞遗传学因素。总缓解率ORR为26%，中位PFS为3.7个月，中位OS为8.6个月。四药难治患者的ORR为27%，五药难治患者的ORR为25%。
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1-STORM研究-新英格兰杂志-中英文.pdf
试验类型2	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	MARCH研究纳入82例复发或难治性RRMM患者，既往经过中位5（1-16）线治疗且100%患者对蛋白酶抑制剂PIs和免疫调节药物IMiDs无效，24%对达雷妥尤单抗治疗无效。中位接受13.7周塞利尼索联合地塞米松（Sd）治疗，总缓解率ORR为29.3%。20例三重难治人群的ORR为25%。对于既往接受过CAR-T患者人群，ORR达50%。本研究中中国患者临床获益与全球研究一致。
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2-March研究数据-中英文.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	SKd组纳入32例既往接受≥4线治疗的RRMM患者，ORR为78.1%，mPFS达15个月（23例为CD38单抗治疗后进展的患者，96%为CD38单抗难治，ORR达65%，mPFS为15个月，mOS为33个月）；SPd组纳入65例既往接受≥2线治疗的RRMM患者，ORR达50%（21例为CD38单抗经治的患者，96%为CD38单抗难治，ORR达52%，mPFS为8.7个月，mOS为21.8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3-STOMP研究数据-中英文.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	硼替佐米联合地塞米松（Vd）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	纳入402例既往接受过1-3线治疗的MM患者，比较SVd与Vd的疗效与安全性：SVd组可显著提高缓解率（ORR=76.4% vs. 62.3%，P=0.0012），显著延长患者生存（mPFS=13.93个月 vs. 9.46个月，P=0.0075），同时降低周围神经病变与死亡发生率。亚组分析显示，在≥65岁老年、高危细胞遗传学异常以及肾功能不全的患者中，SVd方案均可显著提高ORR和延长mPFS。
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4-全球多中心BOSTON研究数据-中英文.pdf
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无

试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	53例 RRMM 患者接受以塞利尼索为基础的联合方案治疗，患者接受过中位既往4线(1-11)治疗，47例患者可评估疗效，总有效率为44.7%(21/47)。中位起效时间为1.1 (0.7-2.7) 个月，中位缓解持续时间( $\geq$ PR)为7.8个月，中位无进展生存期为5.4个月，中位总生存期未达到。
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5-塞利尼索真实世界研究数据.pdf
试验类型1	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	STORM研究（治疗方案Sd）纳入122例复发或难治多发性骨髓瘤（RRMM）患者，既往经过中位7（3-18）线治疗且100%患者对蛋白酶体抑制剂PIs和免疫调节药物IMiD及达雷妥尤单抗难治，77%患者为四药难治，68%患者为五药难治。53%患者有高危细胞遗传学因素。总缓解率ORR为26%，中位PFS为3.7个月，中位OS为8.6个月。四药难治患者的ORR为27%，五药难治患者的ORR为25%。
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1-STORM研究-新英格兰杂志-中英文.pdf
试验类型2	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	MARCH研究纳入82例复发或难治性RRMM患者，既往经过中位5（1-16）线治疗且100%患者对蛋白酶体抑制剂PIs和免疫调节药物IMiDs无效，24%对达雷妥尤单抗治疗无效。中位接受13.7周塞利尼索联合地塞米松（Sd）治疗，总缓解率ORR为29.3%。20例三重难治人群的ORR为25%。对于既往接受过CAR-T患者人群，ORR达50%。本研究中中国患者临床获益与全球研究一致。
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2-March研究数据-中英文.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	SKd组纳入32例既往接受 $\geq$ 4线治疗的RRMM患者，ORR为78.1%，mPFS达15个月（23例为CD38单抗治疗后进展的患者，96%为CD38单抗难治，ORR达65%，mPFS为15个月，mOS为33个月）；SPd组纳入65例既往接受 $\geq$ 2线治疗的RRMM患者，ORR达50%（21例为CD38单抗经治的患者，96%为CD38单抗难治，ORR达52%，mPFS为8.7个月，mOS为21.8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3-STOMP研究数据-中英文.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT

试验对照药品	硼替佐米注射液 (Vd)
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	纳入402例既往接受过1-3线治疗的MM患者，比较SVd与Vd的疗效与安全性：SVd组可显著提高缓解率（ORR=76.4% vs. 62.3%，P=0.0012），显著延长患者生存（mPFS=13.93个月 vs. 9.46个月，P=0.0075），同时降低周围神经病变与死亡发生率。亚组分析显示，在≥65岁老年、高危细胞遗传学异常以及肾功能不全的患者中，SVd方案均可显著提高ORR和延长mPFS。
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4-全球多中心BOSTON研究数据-中英文.pdf
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	53例 RRMM 患者接受以塞利尼索为基础的联合方案治疗，患者接受过中位既往4线(1-11)治疗，47例患者可评估疗效，总有效率为44.7%(21/47)。中位起效时间为1.1 (0.7-2.7) 个月，中位缓解持续时间(≥PR)为7.8个月，中位无进展生存期为5.4个月，中位总生存期未达到。
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5-塞利尼索真实世界研究数据.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《2023 NCCN 美国国立综合癌症网络多发性骨髓瘤指南》RRMM治疗：推荐塞利尼索为基础的多种联合方案治疗RRMM，其中既往1-3线复发患者推荐：SVd(塞利尼索+硼替佐米+地塞米松) (1类证据)、SDd(塞利尼索+达雷妥尤单抗+地塞米松)、SKd(塞利尼索+卡非佐米+地塞米松)、SPd(塞利尼索+泊马度胺+地塞米松)方案；≥4线复发患者推荐：Sd(塞利尼索+地塞米松)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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 1-NCCN-中英文.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《2021 EHA-ESMO 欧洲血液协会-欧洲肿瘤医学会：MM诊断、治疗和随访临床实践指南》RRMM治疗：SVd(塞利尼索+硼替佐米+地塞米松)用于首次复发患者（非V难治、IA类推荐）
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-2021EHA-ESMO临床实践指南-中英文.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《中国多发性骨髓瘤指南（2022年修订）》RRMM治疗：推荐塞利尼索为基础的多种联合方案，治疗首次复发和多次复发骨髓瘤患者，方案包括：SVd(塞利尼索+硼替佐米+地塞米松)、SPd(塞利尼索+泊马度胺+地塞米松)、SDd(塞利尼索+达雷妥尤单抗+地塞米松)、SKd(塞利尼索+卡非佐米+地塞米松)
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 3-中国多发性骨髓瘤指南2022修订.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《中国首次复发多发性骨髓瘤诊治指南（2022版）》：推荐塞利尼索为基础的多种联合方案，治疗首次复发患者，方案包括：SVd(塞利尼索+硼替佐米+地塞米松)、SPd(塞利尼索+泊马度胺+地塞米松)、SDd(塞利尼索+达雷妥尤单抗+地塞米松)、SKd(塞利尼索+卡非佐米+地塞米松)、SRd(塞利尼索+来那度胺+地塞米松)

<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> 4-中国首次复发指南2022版-已高亮.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况5</p>	<p>《塞利尼索在多发骨髓瘤临床应用的专家共识(2022)》：建议使用以 Sd(塞利尼索+地塞米松)为基础的3药联合方案用于RRMM患者的治疗，首次复发的患者获益会更显著，如SVd(V：硼替佐米)、SKd(K：卡非佐米)、SPd(P：泊马度胺)、SDd(D：达雷妥尤单抗)、SRd(R：来那度胺)等。对于携带高危细胞遗传学特征、复发(特别是前线复发)、肾功能不全、老年等骨髓瘤患者都有显著获益。</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> 5-塞利尼索在多发骨髓瘤临床应用的专家共识2022.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>《2023 NCCN 美国国立综合癌症网络多发骨髓瘤指南》RRMM治疗：推荐塞利尼索为基础的多种联合方案治疗RRMM，其中既往1-3线复发患者推荐：SVd(塞利尼索+硼替佐米+地塞米松)（1类证据）、SDd(塞利尼索+达雷妥尤单抗+地塞米松)、SKd(塞利尼索+卡非佐米+地塞米松)、SPd(塞利尼索+泊马度胺+地塞米松)方案；≥4线复发患者推荐：Sd(塞利尼索+地塞米松)方案</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> 1-NCCN-中英文.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>《2021 EHA-ESMO 欧洲血液协会-欧洲肿瘤医学学会：MM诊断、治疗和随访临床实践指南》RRMM治疗：SVd(塞利尼索+硼替佐米+地塞米松)用于首次复发患者（非V难治、IA类推荐）</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> 2-2021EHA-ESMO临床实践指南-中英文.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>	<p>《中国多发骨髓瘤指南（2022年修订）》RRMM治疗：推荐塞利尼索为基础的多种联合方案，治疗首次复发和多次复发骨髓瘤患者，方案包括：SVd(塞利尼索+硼替佐米+地塞米松)、SPd(塞利尼索+泊马度胺+地塞米松)、SDd(塞利尼索+达雷妥尤单抗+地塞米松)、SKd(塞利尼索+卡非佐米+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> 3-中国多发骨髓瘤指南2022修订.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况4</p>	<p>《中国首次复发多发骨髓瘤诊治指南（2022版）》：推荐塞利尼索为基础的多种联合方案，治疗首次复发患者，方案包括：SVd(塞利尼索+硼替佐米+地塞米松)、SPd(塞利尼索+泊马度胺+地塞米松)、SDd(塞利尼索+达雷妥尤单抗+地塞米松)、SKd(塞利尼索+卡非佐米+地塞米松)、SRd(塞利尼索+来那度胺+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> 4-中国首次复发指南2022版-已高亮.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况5</p>	<p>《塞利尼索在多发骨髓瘤临床应用的专家共识(2022)》：建议使用以 Sd(塞利尼索+地塞米松)为基础的3药联合方案用于RRMM患者的治疗，首次复发的患者获益会更显著，如SVd(V：硼替佐米)、SKd(K：卡非佐米)、SPd(P：泊马度胺)、SDd(D：达雷妥尤单抗)、SRd(R：来那度胺)等。对于携带高危细胞遗传学特征、复发(特别是前线复发)、肾功能不全、老年等骨髓瘤患者都有显著获益。</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> 5-塞利尼索在多发骨髓瘤临床应用的专家共识2022.pdf</p>

资料须同时提供原文及中文翻译  
(件)

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

在塞利尼索获批前没有一个批准的治疗方案可以对三类药物难治MM患者展现出临床获益，新疗法的医学需求很迫切。MARCH研究是塞利尼索联合地塞米松 (Sd) 用于中国复发难治多发性骨髓瘤的开放标签、单臂的多中心研究。本研究共纳入82例患者，中位年龄 60岁。74.4%受试者伴高危细胞遗传学异常，其中 22.0%伴 del 17p13。首次 MM 诊断至此研究知情同意的中位时间为 3.2 年。受试者既往中位线数为5线。根据研究方案的入组标准，所有 82 例受试者均确认为硼替佐米和来那度胺两药难治。此外，23 例受试者接受过三类药物治疗（硼替佐米、来那度胺、达雷妥单抗），20 例确认为三类药物难治。82 例受试者中，由 IRC 根据 IMWG 标准评估的 ORR 为 29.3%。中位随访时间为 10.6 个月，IRC 评估的中位 DOR 为 4.7 个月，三类药物暴露人群的中位 DOR 为10.2个月。经统计专业复核，MARCH 研究 (mITT) 人群的主要疗效指标结果达到了本研究的主要目的，三类药物暴露人群和三类药物难治人群与mITT 人群结果保持一致。

《技术审评报告》原文 (可节  
选)

[↓ 下载文件](#) 塞利尼索片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

在塞利尼索获批前没有一个批准的治疗方案可以对三类药物难治MM患者展现出临床获益，新疗法的医学需求很迫切。MARCH研究是塞利尼索联合地塞米松 (Sd) 用于中国复发难治多发性骨髓瘤的开放标签、单臂的多中心研究。本研究共纳入82例患者，中位年龄 60岁。74.4%受试者伴高危细胞遗传学异常，其中 22.0%伴 del 17p13。首次 MM 诊断至此研究知情同意的中位时间为 3.2 年。受试者既往中位线数为5线。根据研究方案的入组标准，所有 82 例受试者均确认为硼替佐米和来那度胺两药难治。此外，23 例受试者接受过三类药物治疗（硼替佐米、来那度胺、达雷妥单抗），20 例确认为三类药物难治。82 例受试者中，由 IRC 根据 IMWG 标准评估的 ORR 为 29.3%。中位随访时间为 10.6 个月，IRC 评估的中位 DOR 为 4.7 个月，三类药物暴露人群的中位 DOR 为10.2个月。经统计专业复核，MARCH 研究 (mITT) 人群的主要疗效指标结果达到了本研究的主要目的，三类药物暴露人群和三类药物难治人群与mITT 人群结果保持一致。

《技术审评报告》原文 (可节  
选)

[↓ 下载文件](#) 塞利尼索片申请上市技术审评报告.pdf

### 三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息

BOSTON研究和MARCH研究数据显示塞利尼索无蓄积性毒性，无脏器毒性，美国FDA说明书目前无黑框警告。【不良反应】最常见的不良反应 (≥30%) 为恶心、血小板减少症、疲乏、贫血、食欲下降、体重下降、腹泻、呕吐、低钠血症、中性粒细胞减少症和白细胞减少症 (30%)。【注意事项】血小板减少症、中性粒细胞减少症、胃肠道毒性 (恶心、呕吐、腹泻)、体重下降/厌食、意识模糊状态和头晕、低钠血症、肿瘤溶解综合征、胚胎-胎儿毒性、白内障、服药期间避免驾驶或操作机械。【药物相互作用】无证据表明塞利尼索的药代动力学特征会受到细胞色素P450抑制剂和诱导剂同时给药的影响。塞利尼索预计不会影响其他药物的暴露。

药品不良反应监测情况和药品安  
全性研究结果

塞利尼索于 2019 年 07 月 03 日在美国首次获上市批准，之后于2021 年 12 月 14 日在中国获批上市治疗多发性骨髓瘤 (MM)。截至目前，本品已在美国、以色列、韩国、中国台湾和新加坡获批，可同时用于治疗MM和弥漫性大 B 细胞淋巴瘤 (DLBCL)；在欧盟、英国、中国大陆、澳大利亚和加拿大获批用于治疗MM。本品在递交中国上市申请时已同步递交风险管理计划，我司基于该文件并按照国家相关法规，持续实施上市后风险管理活动，确保患者获益风险平衡持续维持有利。在美国开展的两项关键性注册研究中，均未发现本品在人体存在蓄积毒性或重要脏器毒性，已批准的说明书中亦无黑框警告。基于已有数据，本品在治疗MM和DLBCL等适应症人群时，均有明显疗效且耐受性良好。本品的治疗相关风险已在上市批准说明书中的[不良反应]和[注意事项]等章节充分描述，可向公众进行有效的安全性信息的传递和沟通，指导患者安全用药。自本品于中国上市至今，我司持续通过常规药物警戒活动监测产品相关风险，截至目前未发现任何新的治疗相关重要风险或潜在安全性问题，基于对本品已有安全和疗效信息的总体评价，确认其获益-风险特征仍维持有利。

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 塞利尼索安全性信息.pdf

### 四、创新性信息

创新程度

塞利尼索是全球首个口服选择性核输出蛋白 (XPO1) 抑制剂，全新机制，以缓慢可逆的方式特异性地阻抑XPO1，改变了经蛋白酶体抑制剂、免疫调节剂、CD38单抗治疗后复发患者无药可治的困境，临床亟需，极大的填补了临床治疗空白。本品为十三五“国家重大新药创制”专项支持品种，获得国家药品监督管理局“优先审批”资格，被美国FDA纳入“优先审评”并授予“孤儿药”资格。

创新性证明文件

[↓ 下载文件](#) 塞利尼索创新程度-重大专项-优先审评-创新机制.pdf



应用创新	本药改变了复发或难治多发性骨髓瘤患者无药可治的困境，为他们带来了生的希望：①塞利尼索作用机制与现有骨髓瘤药物不重叠，可与多种药物进行联合②塞利尼索是口服制剂、可居家治疗、使用便利，提升患者依从性③塞利尼索主要是通过肝脏代谢，肝胆排泄，在轻中度肝损伤患者使用无需调整剂量④本药还可用于肾功能不全或肾损伤患者，可改善患者肾功能水平，中重度肾损伤患者使用本药无需调整剂量⑤老年患者应用安全，无需进行剂量调整
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 塞利尼索应用创新.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	①多发性骨髓瘤是血液系统第二大常见恶性肿瘤，我国发病率1.6/10万，年发病患者约2万人，患病率6.88/10万，2023年我国约有8万人患多发性骨髓瘤；②我国多发性骨髓瘤5年生存率仅为24.8%，显著低于美国等西方国家（美国47%），将本药纳入医保目录为患者提供更优治疗方案，提高患者回归社会的能力；③对整体社会来说，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。
符合“保基本”原则描述	①多发性骨髓瘤无法治愈、复发率高、复发后生存质量较差，未被满足需求巨大，迫切需要创新机制的新药，反复就医不断加剧患者的经济负担，造成的直接医疗成本与间接成本亦十分沉重；②塞利尼索是全新作用机制的药物，全球首个且唯一的核输出蛋白XPO1抑制剂，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。
弥补目录短板描述	①目前我国医保目录已经纳入了蛋白酶体抑制剂（如硼替佐米）、免疫调节剂（如来那度胺等）、抗CD38单抗（如达雷妥尤单抗）三大类药物，核输出蛋白抑制剂（XPO1抑制剂）尚未被收录；②塞利尼索对三类药物难治多发性骨髓瘤的完全缓解率达到26%，无进展生存期3.7月，弥补临床治疗空白，更好地解决未满足的需求。
临床管理难度描述	①多发性骨髓瘤有明确的诊疗标准，各阶段有治疗指南推荐；治疗过程有疗效评估标准，可最大程度保证临床用药合理性；②塞利尼索适应症描述清晰、人群精准（蛋白酶体抑制剂、免疫调节剂、抗CD38单抗三类药物难治患者）、基金影响可控；③口服便利，快速起效，反应持久，且疗效不受年龄、既往治疗情况、疾病状态影响，均有临床获益；整体安全性、耐受性良好，无脏器毒性，大多数副作用可逆，且可通过标准支持治疗或剂量调整缓解。