

注射用司妥昔单抗

(萨温珂®)

百济神州（北京）生物科技有限公司

司妥昔单抗：我国首个且唯一获批，用于治疗人体免疫缺陷病毒阴性和人疱疹病毒8型阴性的多中心Castleman病（iMCD¹）的成人患者。无适宜参照药

产品基本信息

【通用名】	注射用司妥昔单抗
【注册规格】	① 400mg/瓶 ② 100mg/瓶
【临床常用规格】	① 400mg/瓶 (拟谈判规格)
【说明书适应症】	本品用于治疗人体免疫缺陷病毒（HIV）阴性和人疱疹病毒8型（HHV-8）阴性的多中心Castleman病（MCD）成人患者
【中国大陆首次上市时间】	2021/11/30
【全球首个上市国家/地区及上市时间】	美国，2014/4/23
【目前大陆地区同通用名药品上市情况】	无

参照药品

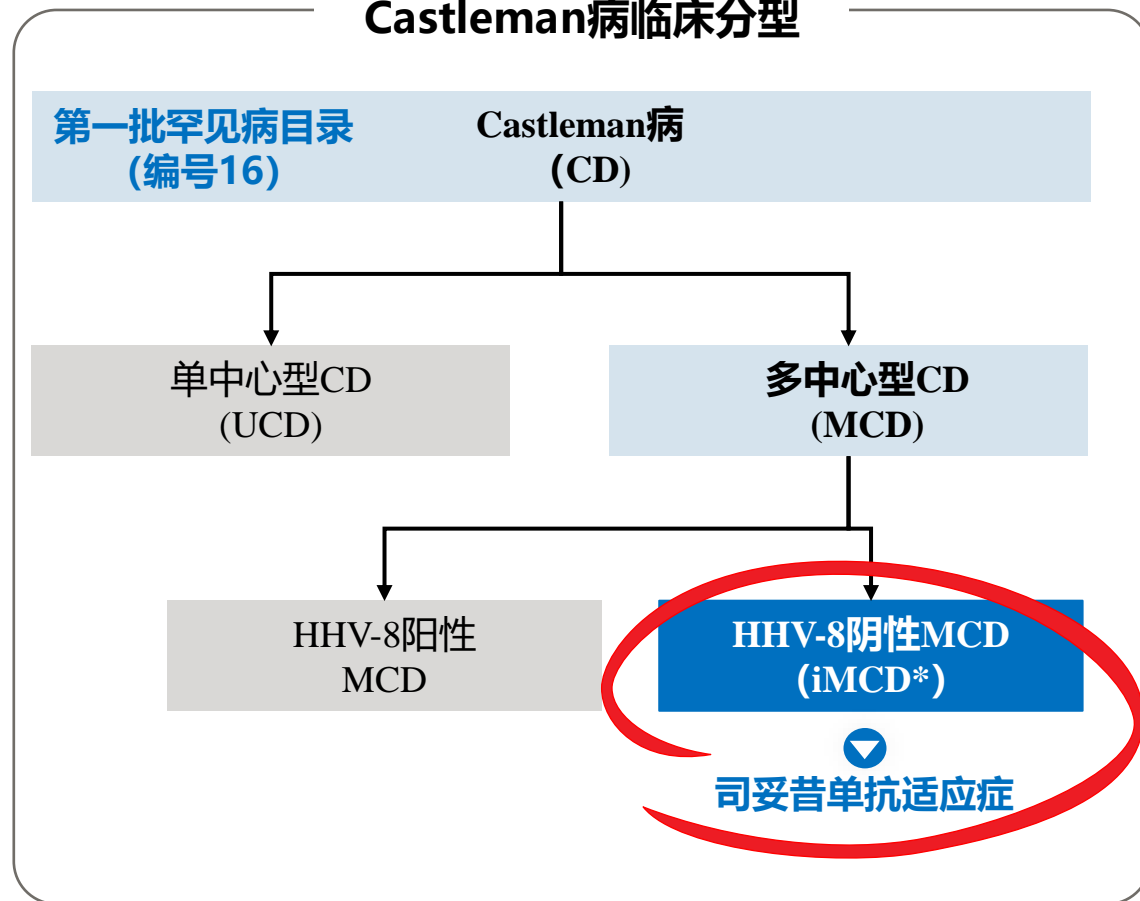
【建议参照药品】 无参照药品

【参照药品选择理由】

- 司妥昔单抗是中国**首个且唯一获批**罕见病多中心Castleman病的治疗药物，也是FDA、EMA唯一获批治疗药物
- 注册临床研究无阳性对照药
- **目录内无该治疗领域药品**

Castleman病是第一批罕见病目录收录病种，适应症iMCD患者人数极少，20年来40家中心累计确诊治疗仅580人。严重影响日常生活

Castleman病临床分型



适应症缩写：特发性多中心Castleman病，英文iMCD - Idiopathic Multicentric Castleman Disease

数据来源：

1. Mukherjee, Sudipto et al. *Blood advances* vol. 6,2 (2022): 359-367.

疾病特点

多器官受累

- 患者多发淋巴结肿大,伴有发热、盗汗、乏力、体重下降、贫血、肝功能不全、肾功能不全和容量负荷过多（全身水肿、胸腔积液、腹水等）等多种全身表现，严重影响日常生活

iMCD患者人数少

- 暂无中国发病患病率，参考美国数据¹推算每年我国新发超千人
- 公众认知有限，漏诊、误诊常见
- **全球最大规模Castleman病研究**—中国Castleman病协作组发起全国回顾性研究：**2000年以来40家中心确诊治疗iMCD患者仅580人²**

2. Zhang L et al. *Lancet Reg Health West Pac.* 2023;34:100720

中国iMCD患者5年死亡率高达49%，患者无药可用，临床急需

司妥昔单抗

基本信息

有效性

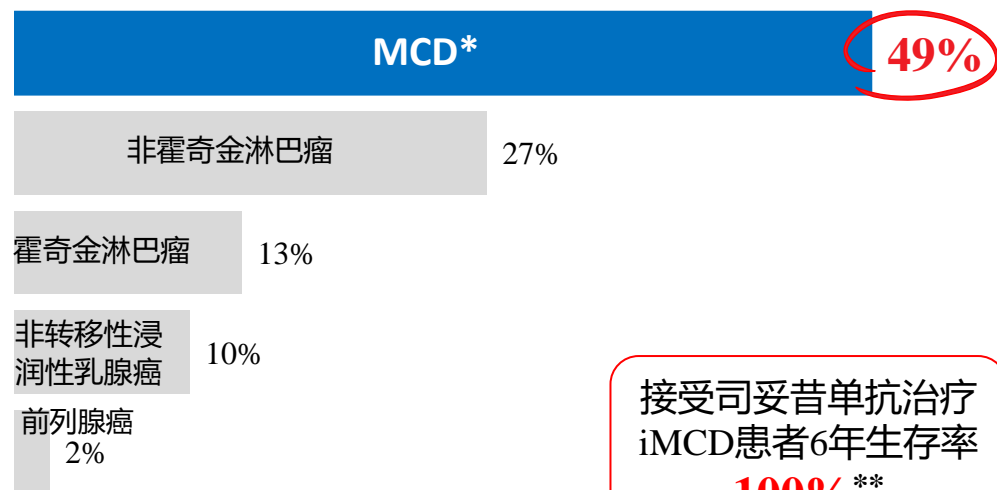
安全性

创新性

公平性

疾病死亡率高，需要及时诊断治疗

疾病5年死亡率¹⁻⁴



接受司妥昔单抗治疗
iMCD患者6年生存率
100%**

过去无获批药可用，临床急需

- 司妥昔单抗获批前，iMCD在我国无任何治疗药物获批
- 2018年治疗iMCD的司妥昔单抗被纳入国家《临床急需境外新药名单（第一批）》⁵

附件

临床急需境外新药名单（第一批）

序号	药品名称 (活性成分)	企业名称 (持证商)	首次批准地	欧美日首次 批准日期	治疗领域	治疗靶点	适应症	列为临床急需原因
1	Siltuximab	Janssen Biotech, Inc.	美国	2014/4/23	免疫系统	IL-6	多中心卡斯特莱曼病	罕见病用药
2	Elosulfase Alfa	Biomarin Pharmaceutical Inc.	美国	2014/2/14	内分泌和代谢	C6S,KS	IVA型黏多糖贮积症	MPS IVA 是罕见疾病。MPS IVA 是一种遗传性疾病，由于体内降解糖聚糖（GAG）的溶酶体酶 N-乙酰半乳糖胺-6-硫酸酯酶（GALNS）缺失或活性不足，造成 GAG 及其代谢物硫酸角质素（KS）和 6-硫酸软骨素在多器官和组织内逐渐沉积，进而导致器官功能减退。最常见特征为进行性骨骼发育不良、频繁手术以及活动能力、睡眠功能受限和早期

司妥昔单抗为患者带来长期生存希望

备注：

* 暂用MCD数据

** 长期扩展研究结果：纳入 I/II 期研究接受司妥昔单抗治疗治疗有效患者

适应症缩写：特发性多中心Castleman病，英文iMCD - Idiopathic Multicentric Castleman Disease

数据来源：

1. Fajgenbaum DC et al. Blood. 2017, 129(12): 1646-1657

2. Dispenzieri A et al. Am J Hematol. 2012, 87(11): 997-1002

3. <https://www.cancer.net/>

司妥昔单抗为临床必需、临床急需

4. Zhang X et al. Cancer Sci. 2018, 109(1): 199-206.

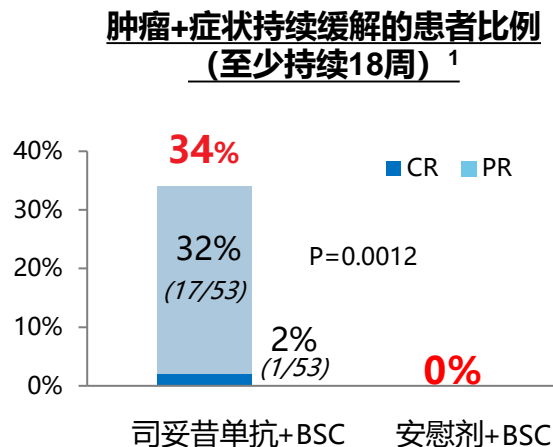
5. CDE. 关于发布第一批临床急需境外新药名单的通知

唯一iMCD随机对照试验证实，显著提高18周持续肿瘤和症状缓解率，6年疾病控制率达97%，生存率100%，真实世界研究疗效一致

临床试验

1 II期RCT¹

- **目前iMCD唯一**随机对照临床试验
- 相比安慰剂组显著提高持续肿瘤和症状缓解率 **(34% vs 0%)**



2 长期扩展研究²

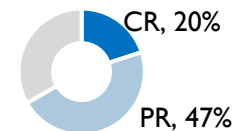
- 中位随访时间至6年时，接受司妥昔单抗治疗的iMCD患者，**疾病控制率达97%，生存率100%**

备注：
RCT - Randomized Controlled Trial
BSC - Best Supportive Care 最佳支持治疗

真实世界研究

1 真实世界研究 – 韩国³

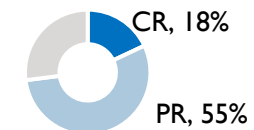
- 6个月影像学评估缓解率：**66.7%**



6个月时缓解率-影像学评估

2 真实世界研究 – 波兰⁴

- 总体缓解率：**73%**
- 3年OS：81%，长期缓解患者OS达100%



总体缓解率

3 真实世界研究 – 意大利⁵

- 完全缓解率：**33.0%**
- 3名CR患者未出现疾病进展，DoR分别为为20、23、37个月



缓解率

数据来源：

1. van Rhee F, et al. *Lancet Oncol.* 2014 Aug;15(9):966-74.
2. van Rhee F, et al. *Lancet Haematol.* 2020 Mar;7(3):e209-e217
3. Min GJ, et al. *Korean J Intern Med.* 2021;36(2):424-432

4. Ostrowska B, et al. *Leuk Lymphoma.* 2021;62(12):3031-3034.
5. Tonalini L, et al. *Hematol Oncol.* 2018;36(4):689-692.

司妥昔单抗获得国内外多项权威指南推荐，作为iMCD一线首选治疗

司妥昔单抗

基本信息

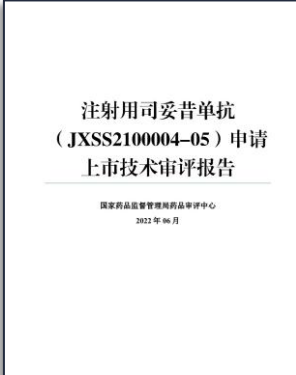
有效性

安全性

创新性

公平性

技术审评报告 (节选)



司妥昔单抗注射液 (JXSS2100004-05) 申请上市技术审评报告
国家药品监督管理局药品审评中心
2022年06月

- 由独立审评委员会评估的司妥昔单抗治疗组肿瘤和症状持续缓解率显著高于安慰剂组，司妥昔单抗经过随机对照研究证实了其用于治疗MCD的有效性。在关键研究中**入组了一定比例的中国患者，获益风险趋势与总体受试人群一致**
- MCD发病率较低，有多器官损害且预后差，**目前我国尚无有效的靶向治疗药物获批上市**。司妥昔单抗用于治疗MCD已在随机对照研究中证实其疗效，且安全性良好。

国内外临床指南/诊疗规范推荐

国内外指南均推荐司妥昔单抗为iMCD的**一线首选治疗**

CSCO淋巴瘤诊疗指南 (2023)

I级推荐iMCD患者使用司妥昔单抗治疗。

中国罕见病诊疗指南 (2019)

提及司妥昔单抗是**唯一获得FDA批准**的治疗MCD的药物。

中国CD诊断与治疗专家共识 (2021)

推荐无论重型或非重型iMCD患者，司妥昔单抗均为**一线首选**推荐用药。

NCCN B细胞淋巴瘤临床实践指南 (2023)

推荐iMCD患者**首选**司妥昔单抗治疗，司妥昔单抗治疗有效的患者**持续维持使用**直至疾病进展。

CDCN iMCD治疗国际循证共识指南 (2018)

无论重型或非重型iMCD患者，抗IL-6单克隆抗体司妥昔单抗均是iMCD**首选的一线治疗**。

说明书刊载的安全性信息

- 最常见的不良反应是感染（包括上呼吸道感染）、瘙痒症、皮疹、关节痛和腹泻，发生在接受司妥昔单抗治疗的20%以上的患者中。
- 本品治疗相关的最严重不良反应是速发过敏反应。在临床研究中，5.1%的本品单药治疗患者出现输液反应或超敏反应（其中0.8%出现3级及以上反应）。

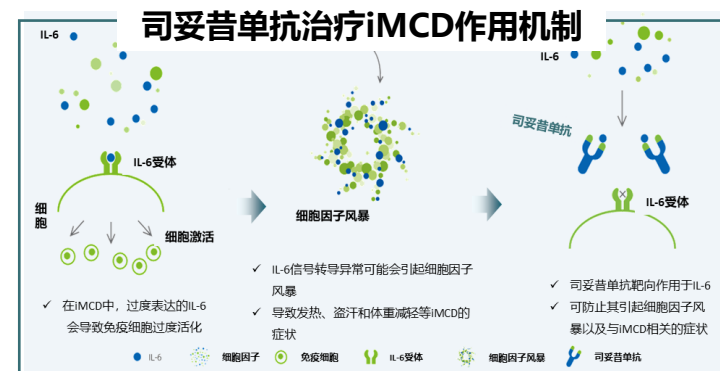
药品不良反应监测情况

- 药品上市后，各国家或地区药监部门5年内**未发布任何安全警告、黑框警告、撤市信息。**
- 目前进行的常规药物安全信息监测中也**未发现任何新的药物安全信号**

司妥昔单抗是首个获批抗IL-6靶向单抗，填补iMCD治疗空白。靶点亲和力高，不增加IL-6水平，用药更有效安全。适用老年患者无需调整剂量

机制创新：首个获批抗IL-6靶向单抗，填补iMCD治疗空白

- 靶点**亲和力高**，不易被IL-6R竞争性拮抗 ➡ **治疗更有效**
- 直接拮抗IL-6，**不增加IL-6水平**，避免IL-6在中枢神经的增加 ➡ **用药更安全**



应用创新：老年患者无需进行剂量调整

- 临床研究中，司妥昔单抗单药治疗患者中，127例（35%）患者为65岁及以上¹。
- 观察到老年患者和年轻患者的整体安全性特征并无差异，且在药代动力学方面也未见与年龄相关的显著性差异。

数据来源：

1. 注射用司妥昔单抗说明书

“从零到一”保障罕见病医疗，填补目录空白，基金影响可控，易于临床管理

所治疗疾病 对公共健康的影响

- iMCD严重影响日常生活，中国患者5年死亡率高达49%，患者疾病负担沉重
- 截至目前本品是国内唯一获批药物，打破无药可用困境，显著提高患者生存率和生命质量
- **从零到一保障罕见病医疗，满足社会健康需求**

符合“保基本”原则

- 本目录内无治疗iMCD药物，纳入可保障参保人员用药需求
- 相比其他价格高昂的罕见病药，司妥昔单抗**更可负担**
- **基金影响可控**：根据中国Castleman病协作组发起的一项全国回顾性研究，2000年以来40家中心确诊治疗iMCD共580人，预计实际用药人群更少

弥补目录短板

- 被列入**《第一批罕见病目录》**（目录编号：16）
- 被列入国家**《第一批临床急需境外新药名单》**
- 打破该治疗领域无药可用困境，可**填补目录内iMCD治疗空白**

临床管理难度

- 适应症明确，诊疗标准清晰，不存在临床滥用的情况
- 目前国内正在接受治疗的患者均能在医院进行简便的药物输注和随访管理

中国首个且唯一获批治疗罕见病iMCD的药物，赋予患者生存的希望和曙光

- ✓ 《第一批罕见病目录》收录病种
- ✓ 临床必须、临床急需，列入《第一批临床急需境外新药名单》
- ✓ 显著提高患者生存获益，6年生存率100%
- ✓ 国内外多项权威指南推荐的一线首选治疗
- ✓ 填补临床治疗空白，为患者带来长期生存希望