

## 申报条件:

- 新增通用名药品
- 《第一批罕见病目录》所收录罕见病的药品

卫伟迦®  
艾加莫德α注射液 (efgartigimod alfa-fcab)

zaiLab  
再鼎医药

# 艾加莫德α注射液 (卫伟迦®)



全球首个

国内目前唯一

获批用于成人全身型重症肌无力治疗的FcRn拮抗剂

申报企业: **再鼎医药**贸易(苏州)有限公司

# 目录

1

## 基本信息

- 艾加莫德是目前**全球首个且唯一获批**用于全身型重症肌无力的靶向**FcRn抗体片段**；推荐静注人免疫球蛋白(pH4)为其参照药
- 重症肌无力(MG)是一种罕见的自身免疫性疾病，疾病负担严重；目前仍以传统常规治疗为主、缺乏安全有效的创新治疗手段，药物选择方面仍存在未满足需求

2

## 有效性

- **疗效确切**，首个周期的MG-ADL和QMG应答率为68%和63%；**深度获益**，能显著减少MG加重事件发生
- 长期治疗（约3年）中的每个周期都能观察到MG-ADL和QMG评分的改善，使达到有临床意义改善的患者比例进一步提升
- 真实世界实践中验证了艾加莫德的疗效与安全性

3

## 安全性

- 总体安全性和安慰剂相当，主要为**轻中度**不良反应，长期治疗**安全可耐受**

4

## 创新性

- 独特的片段结构保留了亲和力高、特异性高、免疫原性低，构成有效性和安全性的基石
- 输注时间更短、疗效持久，有利于患者回归正常生活；临床适用性高

5

## 公平性

- 全身型重症肌无力作为第一批**罕见病**目录病种之一
- 艾加莫德能够填补医保目录内靶向机制药物空白，其诊疗路径和使用清晰、便于医保管理

# 艾加莫德 α 注射液是目前全球首个且唯一获批用于全身型重症肌无力的靶向FcRn片段抗体，并推荐静注人免疫球蛋白(pH4)为其参照药

<b>通用名</b>	<b>艾加莫德 α 注射液</b>		
<b>注册规格</b>	400 mg/20 ml/瓶		
<b>适应症</b>	本品 <b>与常规治疗药物联合</b> 用于治疗 <b>乙酰胆碱受体 (AChR) 抗体阳性的成人全身型重症肌无力 (gMG)</b> 患者		
<b>用法用量</b>	本品的推荐剂量为 10 mg/kg，静脉输注 1 小时， <b>每周一次，连续4周</b> 。在体重≥120 kg 的患者中，本品的推荐剂量为每次输注 1200 mg (3瓶)。根据临床评价结果 <b>决定是否给予后续的治疗周期</b> 。 在临床试验 ( <b>长达26周治疗期</b> ) 中，接受艾加莫德α注射液治疗的患者 <b>平均接受了2个周期的治疗</b> 。对于接受艾加莫德α注射液治疗的患者，至第二个治疗周期的平均时间和中位时间分别为第一个治疗周期首次输注后94天和72天。		
<b>中国大陆上市时间</b>	2023年6月	<b>目前大陆地区同通用名药品的上市情况</b>	无
<b>全球首个上市国家/地区及上市时间</b>	美国； 2021年12月	<b>是否为OTC药品</b>	否

## 参照药建议：**静注人免疫球蛋白(pH4)**

### 1 医保内、同适应症

静注人免疫球蛋白(pH4)已纳入**医保目录内**用于治疗**全身型重症肌无力(gMG)**

### 2 同剂型

与艾加莫德同为**注射剂**

### 3 作用机制相近

与艾加莫德的机制在**加速致病性抗体清除**方面相近

### 4 临床实践丰富

在国内外有丰富的gMG**长期维持**使用经验

#### 其他情况说明：

- 艾加莫德因独有Fc段改造技术，相较于静注人免疫球蛋白与FcRn靶点亲和力更高，促进致病性抗体清除效率更佳，且同时阻断FcRn的抗原提呈，能减少免疫因子释放
- 参照药用法用量来自美国真实世界数据和加拿大实践

# 重症肌无力(MG)是一种罕见的自身免疫性疾病，疾病负担严重；目前仍以传统常规治疗为主、缺乏安全有效的创新治疗手段，药物选择方面仍存在未满足需求

## 重症肌无力(MG)是罕见的自身免疫性疾病

## 现有治疗未满足需求大



- 我国MG发病率约0.68/10万
- 其中，**乙酰胆碱受体抗体阳性成人全身型重症肌无力(gMG)**发病率约**0.31/10万**，每年新增**0.4万人**



病情严重

- 15-20%患者在短期内病情会迅速进展为危及生命的**肌无力危象**
- 危象患者**死亡率**高达**11.5%**



疾病负担重

- 国内36.17%患者因MG失业或停学
- **超过一半**患者生活**不能完全自理**



停药率高

- 现有传统治疗药物副作用明显，**55.8%**的患者曾**由于副作用而停药**

胆碱酯酶抑制剂

“对症治疗”

- **溴比斯的明 (已纳入医保)**
- 对致病性自身抗体无干预，仅短暂改善大部分MG患者的临床症状，起效快但作用短暂
- 副作用有恶心、流涎、腹痛、腹泻、心动过缓及出汗增多等。心绞痛、哮喘、机械性肠梗阻及尿路阻塞患者禁用。肌无力危象时使用可能会加剧呼吸困难

静注人免疫球蛋白 (IVIG)

- **已纳入医保**
- 通过中和降低抗体水平等机制改善症状，但部分患者应答不佳
- 常见不良反应为头痛、发热、皮疹等，少见但严重不良反应为血栓形成和急性肾功能衰竭；高龄、既往肾脏损害和糖尿病患者慎用
- 人血液制品**供不应求**，且存在传播病原体的潜在风险

补体C5抑制剂

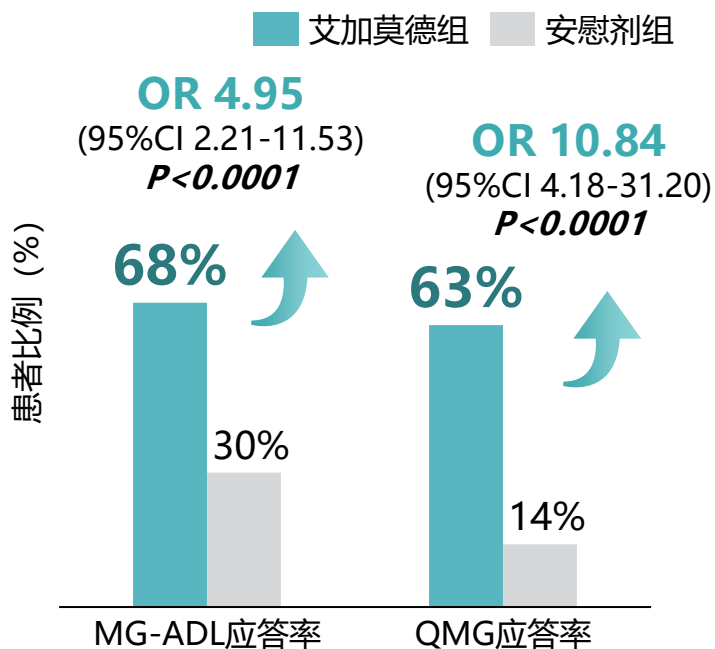
- **依库珠单抗 (未纳入医保)** 获批治疗抗乙酰胆碱受体抗体阳性的难治性全身型重症肌无力
- 仅能阻断自身抗体的部分致病机制
- 有致命性脑膜炎球菌感染的风险，有FDA安全性黑框警告

# 艾加莫德疗效确切，首个周期的MG-ADL和QMG应答率分别为68%和63%；深度获益，除改善MG-ADL和QMG评分外，可显著减少MG加重事件发生

艾加莫德ADAPT研究：全球多中心、随机、双盲、安慰剂对照，为期26周的III期临床试验

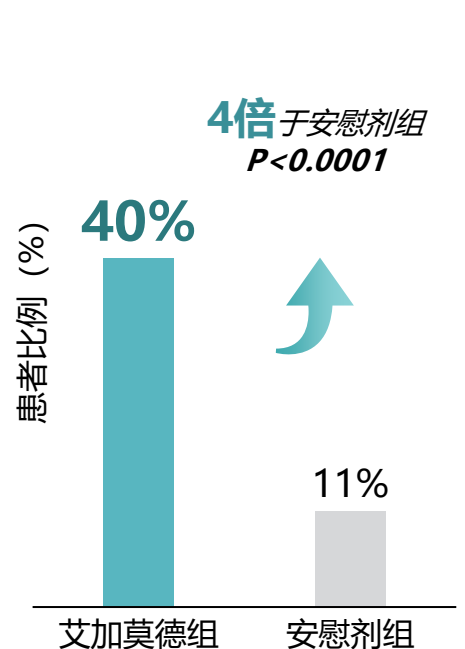
## 疗效确切

AChR Ab+患者在首个周期的MG-ADL应答率为68%，QMG应答率为63%

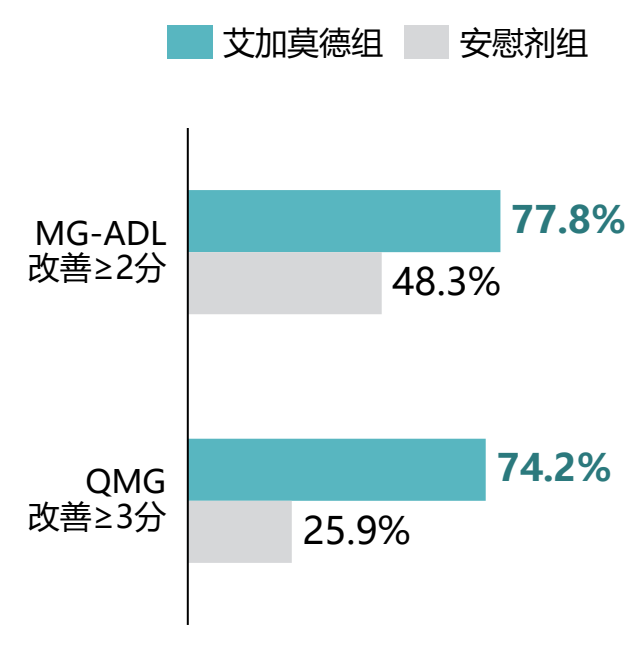


## 深度获益

40%患者在前8周达到MG-ADL 0或1分



MG-ADL改善≥2分和QMG改善≥3分的患者比例均高于安慰剂组



MG加重事件比例  
(艾加莫德组 vs 安慰剂组)

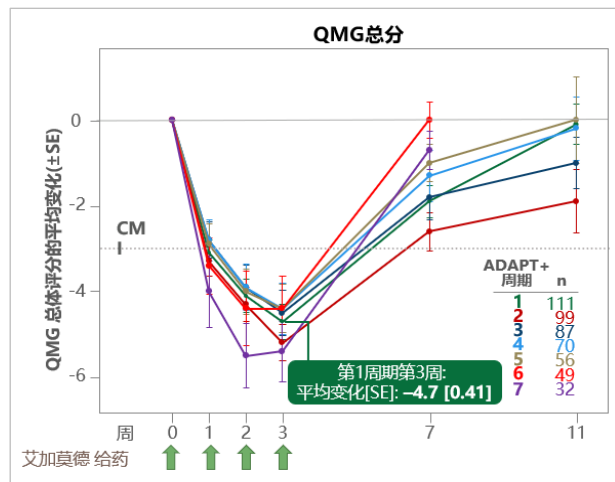
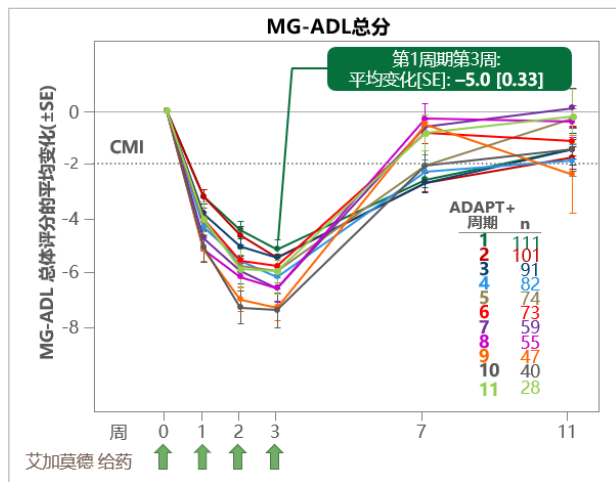
21%  
VS  
44%  
(p=0.0016)

# 艾加莫德在长期治疗（约3年）中的每个周期都能观察到MG-ADL和QMG评分的改善，使达到有临床意义改善的患者比例进一步提升

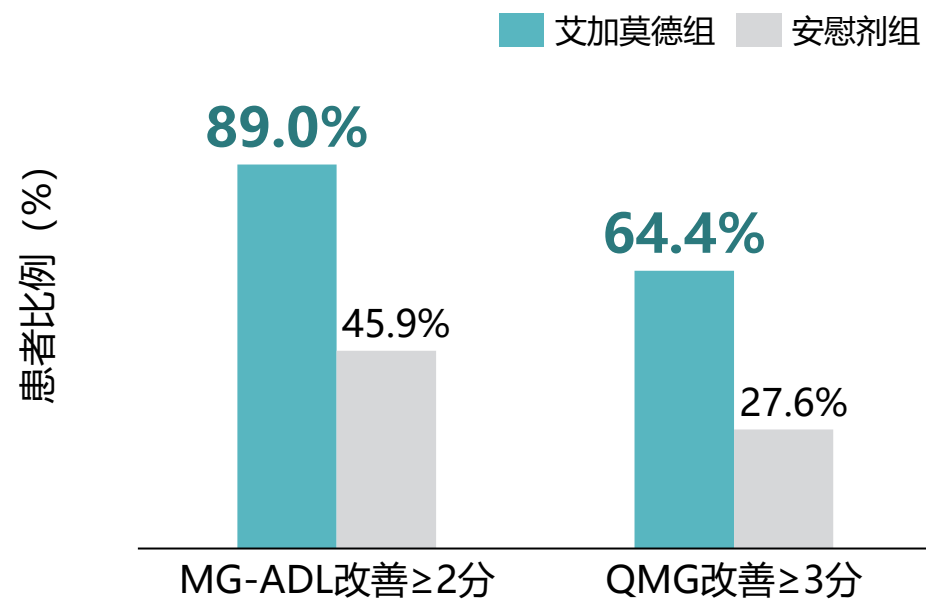
艾加莫德ADAPT+研究：ADAPT研究的开放标签扩展阶段，为期3年的多中心、开放标签、单臂临床试验

## 长期使用：疗效显著且稳定

AChR Ab+患者接受艾加莫德治疗后，MG-ADL和QMG总分在**每个周期**都能观察到**有临床意义的改善**（多达11个周期，约3年）



各周期最大平均MG-ADL评分改善≥2分的患者比例为**89%**；QMG评分改善≥3分的患者比例为**64.4%**



AChR Ab+: 乙酰胆碱受体抗体阳性；MG-ADL: 重症肌无力日常活动量表；QMG: 定量重症肌无力评分



# 中国海南博鳌先行先试项目验证艾加莫德在真实世界中的疗效与安全性；并且艾加莫德已经获得中国权威指南推荐

艾加莫德海南先行先试真实世界研究

## 疗效显著

- 所有患者均实现MG-ADL较基线改善 $\geq 2$ 分且维持 $\geq 4$ 周，首个周期平均最大降低7.8分

## 显效迅速

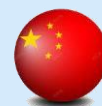
- 第1周80%患者达到MG-ADL应答，第2周平均较基线降低7分
- QMG评分第一周期内平均最大降低9分

## 疗效持久

- 停药5周时所有患者评分仍较基线改善；80%患者MG-ADL改善 $\geq 2$ 分

MG-ADL：重症肌无力日常活动量表；QMG：定量重症肌无力评分

## 权威临床指南推荐



中国重症肌无力诊断和治疗指南(2020版)

中国免疫学会神经免疫分会

艾加莫德作为**生物制剂**药物治疗**推荐**



是靶向FcRn的抗体片段，其与FcRn的亲合力超过正常IgG抗体的Fc部分，艾加莫德通过与FcRn结合阻断IgG循环，导致引起自身免疫疾病IgG抗体的快速消耗。关键性III期临床试验(ADAPT)结果显示，67.7%接受艾加莫德治疗的AChR-GMG患者达到治疗终点。



# 艾加莫德治疗的总体安全性和安慰剂相当，主要为轻中度不良反应，长期治疗安全可耐受

## 药品说明书刊载的安全性信息

艾加莫德α注射液治疗组中发生率≥5%，并且比安慰剂组高的不良反应有：

- **呼吸道感染**（艾加莫德组33% vs. 安慰剂组29%）
- **头痛**（32% vs. 29%）
- **尿路感染**（10% vs. 5%）
- **异常感觉**（7% vs. 5%）
- **肌痛**（6% vs. 1%）

用药禁忌：对本品活性成分及任何辅料存在超敏反应

## 药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

根据艾加莫德α注射液最新的定期安全性更新报告（截止2022/12/16）：

美国、日本、欧洲、中国上市至今，**无**药监机构发布关于艾加莫德α注射液**安全性警告、黑框警告及撤市**等相关信息

自全球首次上市以来**没有新的重大安全信息**，艾加莫德α注射液获益/风险保持有利

## 艾加莫德长期治疗安全性

根据III期开放标签扩展ADAPT+研究（持续时间中位数为651天，最长1,074天）：

最常见AE为上呼吸道感染，鼻咽炎，尿路感染，头痛，恶心和腹泻；不良事件主要为**轻中度，因AE停药率低**

艾加莫德安全性和耐受性与ADAPT研究相似，随着用药时间的延长，**AE/SAE，感染性AE发生的IR值**（患者年校正的相对风险）**并未增加**

## 与目录内同治疗领域药品安全性方面的主要优势

同领域其他药品存在脑膜炎球菌败血症、血栓形成、急性肾损伤等黑框警告，且部分药物可引起溶血反应、急性肺水肿、精神异常等严重不良反应；此外还存在心绞痛、支气管哮喘、机械性肠梗阻及尿路梗塞等禁忌症，治疗本身造成的负担较重。**而本品**不良反应主要为**轻中度**，禁忌症也仅有超敏反应一项，不经肝脏代谢，分子量小，肾脏负担轻



# 作为全球首个且国内唯一获批的FcRn拮抗剂，艾加莫德独特的片段结构保留了亲和力高、特异性高、免疫原性低，构成有效性和安全性的基石，并荣获国际殊荣

## 独特的片段结构保证疗效可靠、耐受性佳



**全球首个且国内唯一获批的FcRn拮抗剂**  
FcRn是全球最新的精准阻断IgG再循环的靶点



免疫系统影响小，感染风险低  
阻断全部致病性抗体的致病途径



**独有抗体片段的结构优势**  
分子量小，不妨碍白蛋白与FcRn结合



组织分布广，覆盖全身肌群  
不影响白蛋白和血脂水平



**本品具有特有基因修饰技术**  
与FcRn靶点亲和力高，不易结合FcγR



高效占据FcRn，保证疗效  
继发其他免疫反应风险低

## 获得国际殊荣



2023爱迪生奖 “优化  
治疗类” 银奖



2022盖伦奖 “最佳生  
物技术产品” 提名

# 艾加莫德方案输注时间更短、疗效持久，有利于患者回归正常生活；临床适用性高

## 给药便利 规律生活

## 临床适用性高

### 艾加莫德 α 注射液

- 治疗周期：连续4周每周静脉输注1次
- 通常首个治疗周期后，疗效可维持4-25周不等

- 每次输注1小时



患者可以规律安排工作生活  
减少疾病负担

### 静注人免疫球蛋白

- 诱导期：需连续注射5天
- 维持期：每3-4周注射1次

- 每次输注4-5小时



定期住院治疗对患者的  
工作生活干扰较大

Vs

肝功能损伤、轻度肾功能损伤患者**无需调整剂量**

**年龄、性别和人种**对艾加莫德暴露量**无**任何具有**临床意义的影响**，对老年患者无年龄上限的限制

不被P450酶代谢，**药物相互作用有限**

对**合并症负担较重**的MG患者具有良好的**适用性**

# 全身型重症肌无力(gMG)作为第一批罕见病目录病种之一，艾加莫德能够填补医保目录内靶向机制药物空白，其诊疗路径和使用清晰、便于医保管理

1

## 提升公共健康水平

- gMG在各年龄段均可发病，在**30和50岁左右**呈发病双峰，失学/失业的MG患者中超过90%由该病直接导致，**超过50%患者生活无法完全自理**，危害患者及照料者的生存质量及社会劳动能力
- 我国MG患者**平均死亡年龄为59岁**（低于我国平均寿命），且死亡率仍在逐年增长
- 根据研究模型折算成经济价值，艾加莫德可**降低27%**由患者及照料者的**生产力损失造成的经济负担**

2

## 符合“保基本”原则

- gMG为我国**罕见病**目录病种之一，患者**发病率较低**，因此艾加莫德的适用人群有限，**不会过多增加医保基金总预算**
- 本品在**美国、英国、日本和韩国**获得用于治疗重症肌无力的“**孤儿药**”称号

3

## 弥补目录短板

- gMG为我国**罕见病**目录病种之一，目前仍以激素、免疫抑制剂等传统药物为主，**缺乏兼顾疗效安全、可长期治疗**的靶向机制药物。现有治疗副作用大、起效时间长、治疗达标率低、给药方式困难或不便等，患者亟待有效的治疗药物改善生活质量及生活能力
- 艾加莫德作为**全球首个且国内目前唯一**获批用于**成人gMG的FcRn拮抗剂**，其医保纳入将填补此疾病领域的空白

4

## 临床管理难度低

- gMG诊断流程和标准明确且属于罕见病，患者人数有限。艾加莫德适应症明确，**无临床滥用或超说明书使用风险**，医保经办管理难度小
- 整体**安全耐受性良好**，不增加严重感染发生率；**IVIg**易引起头痛、肾损、过敏等**副作用及存在使用禁忌**，且经常**无法保证正常供应**