

# 依库珠单抗注射液

## (商品名：舒立瑞®)

阿斯利康医药（青岛）有限公司

### 协议期内新增儿童罕见病适应症：

- 1.本品适用于**儿童**以下疾病的治疗：**抗乙酰胆碱受体(AChR)抗体阳性的6岁及以上难治性全身型重症肌无力(gMG)**
  - 2.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)
- 现医保支付范围：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。
  - 协议期：2026年1月1日至2027年12月31日

**全球首个且唯一#获批治疗儿童难治性gMG\*的生物制剂，填补临床治疗空白！**

#“唯一”统计截至2026年6月2日；数据来源：中国CDE<https://www.cde.org.cn/>；美国FDA <https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/drug-approvals-and-databases>；欧盟EMA；<https://www.ema.europa.eu/en/medicines>

\*抗乙酰胆碱受体(AChR)抗体阳性的6岁及以上难治性全身型重症肌无力(gMG)



# 目录

1

## 基本信息

儿童难治性gMG以常规免疫治疗为主，超50%疗效不足<sup>9</sup>、副作用明显，严重危害患儿身心健康  
**依库珠单抗注射液全球首个且唯一<sup>#</sup>获批治疗儿童难治性gMG<sup>^</sup>的生物制剂，建议空白对照**

2

## 有效性

治疗**1周**症状较基线显著改善\*，26周**70%(7/10)**达到最小疾病状态，激素减量患者中26周日均激素剂量降低**65.3%<sup>21</sup>**，提升患儿生活质量，获权威指南推荐<sup>3</sup>

3

## 安全性

安全性良好，**未报告生长发育相关不良事件<sup>21</sup>**

4

## 创新性

**创新机制直击病因<sup>27,28</sup>**，荣获**2次盖伦奖<sup>29</sup>**，**全球首个且唯一<sup>#</sup>获批治疗儿童难治性gMG的生物制剂**

5

## 公平性

**填补目录空白**，助力难治性gMG患儿身心健康和学业发展，符合国家医保目录**保基本**定位

\*QMG: -3.6(1.2)[-6.17,-0.94],P=0.0116; MG-ADL: -1.6(0.6)[-2.92,-0.34],P=0.0167

<sup>#</sup>“唯一”统计截至2026年6月2日 数据来源: 中国CDE<https://www.cde.org.cn/>; 美国FDA <https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/drug-approvals-and-databases>; 欧盟EMA; <https://www.ema.europa.eu/en/medicines>

<sup>^</sup>抗乙酰胆碱受体(AChR)抗体阳性的6岁及以上难治性全身型重症肌无力(gMG)



# 依库珠单抗注射液全球首个且唯一#获批治疗儿童难治性gMG的生物制剂，建议空白对照

申请目录类别：国家基本医保目录

## 基本信息

通用名	依库珠单抗注射液	商品名	舒立瑞®
药品注册分类	治疗用生物制品3.1类	注册证书到期时间	2028年7月
说明书适应症	<p>本品适用于<b>儿童</b>及成人以下疾病的治疗：阵发性睡眠性血红蛋白尿症（PNH）（目录内）；非典型溶血性尿毒症综合征（aHUS）（目录内）；<b>抗乙酰胆碱受体（AChR）抗体阳性的6岁及以上难治性全身型重症肌无力（gMG）</b>（目录内仅包含成人适应症）</p> <p>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）</p>		
注册规格	300mg/30mL		
用法用量#	<p>在体重20kg的儿童难治性gMG患者中，本品给药方案为：</p> <p>-起始期：前2周每周600mg</p> <p>-维持期：第3周600mg；后续每2周600mg</p>		
中国大陆首次上市时间	2018年9月		
大陆地区同通用名药品的上市情况	无		
全球首个上市国家及上市时间	美国，2007年3月		
是否为OTC药品	否		

## 参照品建议

**空白对照**（从各角度评估均无适当参照药品）

## 空白对照选择理由

- ① 全球**首个且唯一#**获批治疗儿童难治性gMG的靶向药物，填补临床空白。
- ② 临床试验为单臂，无对照组。

**gMG临床主要治疗科室为神经内科**



# 儿童难治性gMG危象风险倍增，严重致患儿死亡，目前常规免疫治疗超50%疗效不足且副作用明显，严重影响患儿的身心健康

## 儿童难治性gMG基本情况

- 儿童全身型重症肌无力 (gMG) 是一种罕见的神经肌肉疾病，可导致不同程度和持续时间的肌无力，可累及全身骨骼肌，**严重影响患者学业生活和身心健康<sup>1-3</sup>**。
- 中国儿童gMG的患病率约为**4.5/100万<sup>4</sup>**，其中AChR抗体阳性率约64%<sup>5</sup>，约**10%~20%为难治性<sup>3</sup>**，与非难治性相比，急性加重风险增加**4.7倍**，危象风险增加4倍，**严重可导致患儿死亡<sup>6</sup>**。
- 现有以**常规免疫治疗为主**（激素和非激素类免疫抑制剂）<sup>3,7-8</sup>，**超50%疗效不足<sup>9</sup>**、**副作用明显**，存在**极大临床未满足需求**。

## 儿童难治性gMG-临床未满足需求

现有治疗对儿童gMG患者的身心健康、学业表现等产生长远不利影响。

- **现有常规免疫治疗疗效不佳**。3年缓解率为48.6%<sup>9</sup>，糖皮质激素诱发的MG加重发生率约为33.3%，如进展到严重的呼吸或吞咽困难等，将需要进入ICU紧急救治<sup>10</sup>。
- **现有常规免疫治疗副作用明显**。导致患儿生长迟缓，87%的患者最终身高低于目标身高<sup>11</sup>；引发肥胖、继发性糖尿病、继发性库欣综合征等；以及其他严重不良反应，例如骨髓抑制、肝肾功能损伤及远期肿瘤风险等<sup>12-18</sup>。
- **严重危及患儿长远发展**。由于无有效安全的治疗手段，对儿童gMG患者的学业表现、心理健康、人际交往等产生长远不利影响，严重增加家庭和社会负担。

**视神经脊髓炎谱系疾病 (NMOSD)** 是第一批罕见病目录病种，发病率约0.278/10万，其中AQP4抗体阳性成人患者占55%~63%<sup>19,20</sup>，以急性期和缓解期交替为特点。现有目录内药品包括萨特利珠单抗和伊奈利珠单抗，均被指南推荐用于显著延缓疾病复发时间或降低疾病复发和减缓残疾进展<sup>20</sup>。

1. Finniss MF, et al. Autoimmune Dis. 2011;2011:404101. 2. Cao Y, Bu B. Arch Neurol & Neurosci. 2 (3): 2019. ANN. MS. ID. 539.3. 中华医学会神经病学分会神经免疫学组. 中华神经科杂志, 2025, 58(7): 721.4. Chung B, Wong V, Ip P. J Child Neurol. 2003;18(3):217-9.5. Zhang X, et al. J Neurol Neurosurg Psychiatry. 2007;78(4):386-90.6. Engel-Nitz NM, et al. Muscle Nerve. 2018; 58(1):99-105.7. Wiendl H, et al. Ther Adv Neurol Disord. 2023 ;16:17562864231213240. 8. Narayanaswami P, et al. Neurology. 2021 Jan 19;96(3):114-122. 9. Tanitnun Paprad, et al. 2025 WMS poster.10. Lotan I, et al. J Neurol. 2021 Dec;268(12):4573-4586. 11. Simon D, et al. J Rheumatol. 2002 ;29(6):1296-300.12. 中华医学会内分泌学分会. 中华内分泌代谢杂志, 2023;39(4):289-296.13. Cain DW, Cidlowski JA. Immune regulation by glucocorticoids. Nat Rev Immunol. 2017 Apr;17(4):233-247. 14. Crabtree NJ, et al. GBone. 2018 Nov;116:181-186.15. Caplan A, et al. J Am Acad Dermatol. 2017 ;76(2):201-207.16. Kerrebijn KF, de Kroon JP. Arch Dis Child. 1968;43(231):556-61.17. Ribeiro D, et al. Eur J Pediatr. 2015 Jul;174(7):911-7.18. Wolthers OD, Schou AJ. Horm Res. 2005;64(3):116-8.19. Tian DC, et al. Lancet Reg Health West Pac. 2020 Sep 6;2:100021.20. 中华医学会神经病学分会神经免疫学组. 中华神经科杂志, 2025;58(7):687-703.



# 依库珠单抗注射液是全球首个且唯一<sup>#</sup>获批儿童难治性gMG的生物制剂，填补临床空白，疗效确切



## 快速改善肌无力症状 帮助患者回归正常生活

- 1周可快速缓解肌无力症状、提升日常活动能力，QMG/MG-ADL较基线显著改善\*
- 26周100%病情改善，70% (7/10) 达到疾病最小状态，接近正常生活状态<sup>21</sup>



## 减少2/3激素暴露 潜在减少发育损伤与全身副作用

- 激素减量患者中26周日均激素剂量降低65.3%<sup>21^</sup>;

一项多中心、开放标签、3期研究，纳入11例年龄为12-17岁的AChR-ab阳性的难治性gMG患者，旨在评估依库珠单抗治疗AChR-ab阳性青少年难治性gMG患者的有效性及安全性，试验期间允许患者使用稳定剂量的免疫抑制剂或丙种球蛋白，最终10名患者完成评估。

<sup>#</sup>该研究在26周时分析了8例激素使用患者，其中3例患者激素剂量降低

QMG: -3.6(1.2)[-6.17,-0.94],P=0.0116; MG-ADL: -1.6(0.6)[-2.92,-0.34],P=0.0167

"唯一"统计截至2026年6月2日数据来源: 中国CDE<https://www.cde.org.cn/>; 美国FDA <https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/drug-approvals-and-databases>; 欧盟EMA; <https://www.ema.europa.eu/en/medicines>

QMG, 重症肌无力定量评分量表; MG-ADL, 重症肌无力日常生活活动量表;

21.Brandsema JF, et al. Pediatr Neurol. 2024 Jul;156:198-207.



# 权威指南：依库珠单抗注射液可用于治疗≥6岁难治性gMG



中华医学会  
CHINESE MEDICAL ASSOCIATION

神经病学分会神经免疫学组

## 《中国重症肌无力诊断和治疗指南（2025版）》<sup>3</sup>

“靶向生物制剂也有用于JMG的国内外研究，如依库珠单抗在美国获批用于6岁及以上难治性MG。”

国家药监局药品审评中心暂未发布针对儿童难治性gMG适应症的《技术审评报告》

中国已获批适应症：本品适用于儿童以下疾病的治疗：抗乙酰胆碱受体(AChR)抗体阳性的6岁及以上难治性全身型重症肌无力(gMG)



# 依库珠单抗单药<sup>a</sup>治疗NMOSD\*患者100%约3年内(144周)零复发<sup>b22</sup>

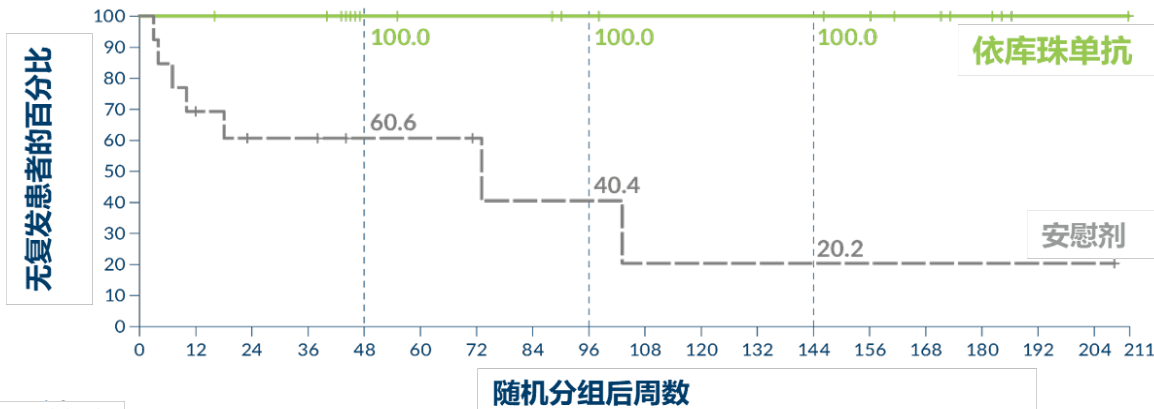
单药<sup>a</sup>治疗患者\* 100%约3年内(144周)零复发<sup>b22</sup>

96%患者约4年内(192周)零复发<sup>bc23</sup>

95%约4年内(192周)无残疾恶化<sup>22,23</sup>

## NMOSD\*指南推荐意见总结

图.PREVENT研究未接受伴随免疫抑制治疗的患者首次判定为复发的时间



存在风险的患者例数	21	21	20	20	14	13	13	13	11	9	9	9	9	8	6	4	1	1
依库珠单抗	21	21	20	20	14	13	13	13	11	9	9	9	9	8	6	4	1	1
安慰剂	13	9	6	6	4	4	3	2	2	1	1	1	1	1	1	1	1	1

一项随机、双盲、平行对照III期研究 (PREVENT研究), 纳入143例AQP4-IgG 阳性NMOSD成年患者以2:1的比例随机分配, 接受静脉输注依库珠单抗或安慰剂, 主要终点是首次确诊复发。次要结果包括确定的年复发率、生活质量和扩展残疾状态量表 (EDSS)得分。

\*成人抗水通道蛋白4 (AQP4) 抗体阳性的视神经脊髓炎谱系疾病(NMOSD)  
<sup>a</sup>单药治疗指PREVENT研究中未接受伴随免疫抑制治疗的患者, 100%是指在研究期间没有患者发生判定的复发;  
<sup>b</sup>零复发是指PREVENT研究在对34例 (包括依库珠单抗21例, 安慰剂13例) 基线时未使用IST患者的亚组分析中显示, 接受依库珠单抗治疗患者均未出现复发;  
<sup>c</sup>PREVENT OLE研究的结果基于中期分析, 数据截止日期为2019年7月31日, 主要目标是评估安全性。由于该研究是开放性研究且缺乏对照组, 因此应谨慎解读有效性或临床意义的任何干扰



中华医学会  
CHINESE MEDICAL ASSOCIATION

神经病学分会神经免疫学组

## 《中国视神经脊髓炎谱系疾病诊断与治疗指南 (2025版)》<sup>20</sup>

“依库珠单抗可显著降低AQP4-IgG阳性患者的疾病复发 (A级推荐)”



# 依库珠单抗安全性良好，未报告生长发育相关不良事件，治疗儿童gMG的不良事件均为轻中度，且评估多与依库珠单抗无关

## 整体安全性良好

- 安全性经超**19年**临床经验检验。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**，大多数不良事件为轻中度，未发现影响依库珠单抗获益-风险的新发安全性信号<sup>24</sup>。
- 儿童难治性gMG III期研究中，出现的不良事件均为**轻中度**，且多与依库珠单抗无关<sup>21</sup>。
- 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<sup>25</sup>，通过每两年一次的脑膜炎疫苗注射可以预防。上市后脑膜炎球菌累计感染率持续降低，2024年仅为每100患者年0.25例<sup>26</sup>。
- **无**PNH、aHUS、NMOSD或难治性gMG儿童患者发生需要停用本品的输液反应<sup>25</sup>。
- 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、额外新增的黑框警告、撤市信息。

gMG, 全身型重症肌无力; TEAE, 治疗中出现的不良事件; AChR-ab, 乙酰胆碱受体抗体



# 依库珠单抗创新机制直击病因，荣获2次盖伦奖，全球首个且唯一# 获批治疗儿童难治性gMG的生物制剂，临床获益显著

## 主要创新

- 依库珠单抗是**全球首个且唯一#**获批治疗≥6岁**儿童**抗AChR抗体阳性**难治性gMG**的生物制剂。
- 依库珠单抗为靶向补体C5的人源化单克隆抗体，**直击病因，保护神经肌肉接头<sup>27,28</sup>**。
- 荣获**2次盖伦奖<sup>29</sup>**，突破性同时靶向**治疗4个罕见病**，具有不可替代性。
- 特殊人群使用：基于有限的暴露于依库珠单抗的妊娠数据（少于300个妊娠结果），未发现胎儿畸形或胎儿-新生儿毒性的风险增加；可在65岁及以上患者中使用；肾功能不全患者无需调整剂量<sup>25</sup>。

## 创新获益

依库珠单抗治疗儿童难治性gMG，**1周**症状较基线显著改善\*；26周**100%**病情改善，**70% (7/10)** 达到最小疾病状态，激素减量患者中日均激素剂量降低**65.3%<sup>21^</sup>**；提升患儿生活质量。

依库珠单抗说明书中关于妊娠哺乳期使用的说明如下：尚未在接受依库珠单抗治疗的妊娠妇女中开展良好对照研究。基于有限的暴露于依库珠单抗的妊娠数据（少于300个妊娠结果），未发现胎儿畸形或胎儿-新生儿毒性的风险增加。由于缺乏设计良好的对照性研究，不确定性依旧存在。因此，建议在妊娠妇女使用依库珠单抗前或期间进行个体风险受益分析。如妊娠期考虑必须使用本品治疗，建议根据当地指南进行母体和胎儿的严密监测。

\*QMg: -3.6(1.2)[-6.17,-0.94],P=0.0116; MG-ADL: -1.6(0.6)[-2.92,-0.34],P=0.0167

#“唯一”统计截至2026年6月2日 中国CDE<https://www.cde.org.cn/>; 美国FDA <https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/drug-approvals-and-databases>; 欧盟EMA; <https://www.ema.europa.eu/en/medicines>

^该研究在26周时分析了8例激素使用患者，其中3例患者激素剂量降低



# 依库珠单抗注射液填补目录空白，助力难治性gMG患儿身心健康和学业发展，符合国家医保目录保基本定位

## 提升患者健康水平

- 儿童gMG现以常规免疫治疗为主，治疗达标率低于50%<sup>9</sup>、副作用明显，严重影响患儿生活质量及长远发展。
- 依库珠单抗是全球首个且唯一<sup>#</sup>获批治疗≥6岁儿童AChR抗体阳性难治性gMG的生物制剂，治疗26周100%病情改善，70% (7/10) 达到疾病最小状态，激素减量患者中日均激素剂量降低65.3%<sup>21</sup>，**助力患儿身心健康和学业发展，减轻家庭和社会负担。**

## 填补药品目录空白

- 依库珠单抗是**全球首个且唯一<sup>#</sup>**获批治疗≥6岁儿童AChR抗体阳性难治性gMG的生物制剂，**填补临床及目录空白。**
- 突破性同时靶向治疗多个罕见病的成人及儿童患者人群，具有**不可替代性。**

## 符合“保基本”原则

- 符合国家完善**儿童用药供应保障**的总体要求。
- 纳入目录将使儿童难治性gMG患者的治疗需求及用药可及性、可负担性得到**基本保障。**
- 依库珠单抗成人难治性gMG适应症纳入医保多年，费用水平合理，且儿童患者基于体重给药方案，用量及费用约为成人患者的一半，**符合参保人承受能力。**
- 儿童难治性gMG适应症人群有限，**基金支出影响可控。**

## 便于临床管理

- 疾病诊断明确，临床路径清楚，**临床管理难度较小**，临床滥用或超说明书用药的风险较低。

<sup>#</sup>“唯一”统计截至2026年6月2日 中国CDE <https://www.cde.org.cn/>; 美国FDA <https://www.fda.gov/drugs/development-approval-process-drugs/drug-approvals-and-databases>; 欧盟EMA; <https://www.ema.europa.eu/en/medicines>

