

**全球同类首创 FGF23 靶向制剂：布罗索尤单抗注射液**  
**(商品名：麟平®)**

**全球指南推荐**

**显著改善X连锁低磷血症和肿瘤性骨软化症成人患者的磷稳态和骨骼矿化障碍**

# 目录



## 药品基本信息

全球同类首创的成纤维生长因子23(FGF23)靶向制剂，显著改善X连锁低磷血症(XLH)和肿瘤性骨软化症(TIO)成人患者的磷稳态和骨骼矿化障碍



## 安全性

最常见不良反应为头痛及注射部位反应，注射部位反应的严重程度通常为轻度，总体耐受性良好。



## 有效性

起效迅速，持续并显著改善XLH患儿骨代谢指标、骨骼矿化与下肢畸形，长期疗效稳定并具有促进身高增长作用。对成人TIO及XLH患者血磷亦有显著改善。



## 创新性

全球同类首创的FGF23靶向制剂，精准干预XLH病因，同步改善磷稳态与骨骼矿化障碍，疗效持久且安全性良好。获FDA突破性疗法认证。



## 公平性

为中国XLH和TIO成人患者提供一种新型的FGF23靶向制剂，弥补此类罕见病用药目录短板，实现“起效迅速，疗效显著，耐受良好”三重获益

# 布罗索尤单抗是目前唯一获批用于XLH和TIO的FGF23靶向制剂，其适应症对应《第一批罕见病目录》中第51号病种—低磷性佝偻病；并列入第二批《临床急需境外新药名单》

## 药品通用名：布罗索尤单抗注射液

- 注册规格：10mg(1ml)/瓶、20 mg(1ml)/瓶、30mg(1ml)/瓶

## 说明书适应症：

- 用于成人和1岁及以上儿童患者的X连锁低磷血症（XLH）
- 用于成人无法根治性切除或定位的磷酸盐尿性间充质肿瘤相关的肿瘤性骨软化症（TIO）中的FGF23相关性低磷血症

## 目前大陆地区同通用名药品的上市情况：无

## 参照药品建议：无参照，首版商保创新药品目录无同类治疗药物

## 中国大陆首次上市时间：2021年1月5日

## 全球首个上市国家/地区及上市时间：欧盟，2018年2月

## 是否为OTC药品：否

## 是否独家：是

\*注：说明书规格30mg(1ml)/瓶，未来不做销售，多地已撤销挂网

## 列入第二批《临床急需境外新药名单》<sup>1</sup>



国家药品监督管理局药品审评中心  
CENTER FOR DRUG EVALUATION, NMPA

当前位置：新闻中心>>工作动态>>通知公告>>新闻正文

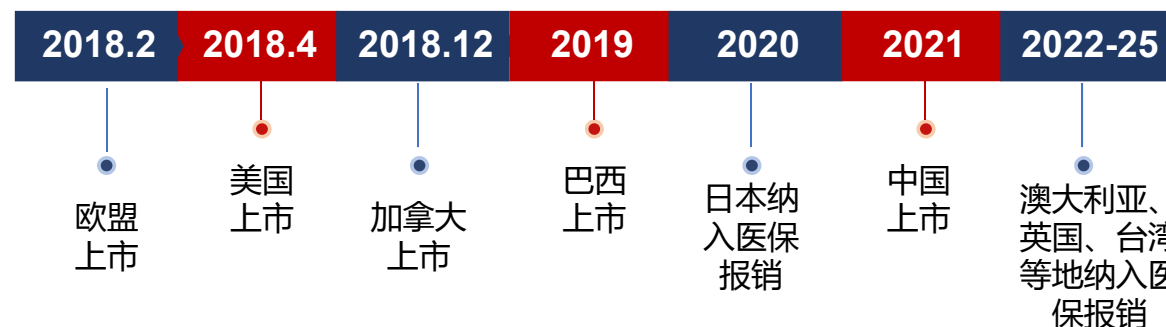
### 关于发布第二批临床急需境外新药名单的通知

发布日期：20190529

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
3	Crysvita (Burosumab)	Kyowa Kirin Limited	欧 盟	2018/2/19	内分 泌和 代谢 病	FGF23	X 连锁低磷佝偻病	罕见病用药。目前尚无有效 治疗药物。

## FDA和欧盟药品管理局(EMA)分别授予治疗XLH的孤儿药资格<sup>2</sup>

## FDA授予突破性疗法认证，批准用于XLH/TIO的首个靶向治疗药物<sup>2</sup>



1. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/82f3bf94dc2c38d1a24d851f0e44914b>

2. Lamb, Yvette N. "Burosumab: First Global Approval." *Drugs* vol. 78,6 (2018): 707-714. doi:10.1007/s40265-018-0905-7

**XLH和TIO是一类罕见的骨骼矿化障碍疾病，以低磷血症、身高受损、畸形、骨折及高并发症风险为主要临床特征；致残致畸率高，症状可逐渐加重且需长期管理**

**中国XLH和TIO患者患病率低，在治患者人数约1000人<sup>1</sup>**

中国大陆：无XLH和TIO的流行病学数据，国内在治XLH患者人数约1000人，儿童患者约占75%；TIO患者约400人，多见于成人<sup>1</sup>

中国台湾：XLH患病率约为1/20万<sup>2</sup>

德国：TIO发病率和患病率分别为 $\leq 0.094/10$ 万和 $0.187/10$ 万<sup>3</sup>

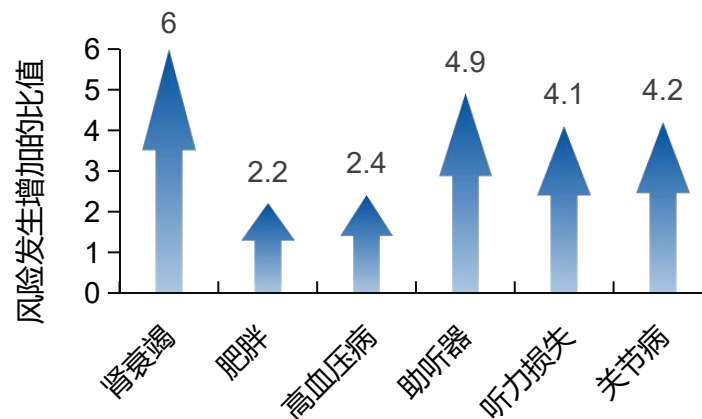
**中国XLH和TIO患者数约  
9600人<sup>1</sup>**

**在治患者人数约1400人<sup>1</sup>**

**XLH和TIO患者身高受损、畸形/骨折率高并发症风险大**

**矮身材**：XLH成人终身高仅为 $138.8 \pm 8.1$ cm ( $-4.6 \pm 2.1$ SD)<sup>5</sup>；椎体畸形TIO患者身高可缩减 $>40\%$ <sup>6</sup>  
**畸形**：**40-67%**的XLH患者需要外科治疗矫正畸形<sup>7</sup>；**60.4%**的TIO患者合并椎体畸形<sup>6</sup>  
**骨折**：**39%**成人XLH患者发生过至少1次骨折；**84.6%**的TIO患者发生过病理性骨折

**XLH患者发生肾衰竭、高血压病、听力损失的发生风险增加，降低生活质量<sup>8</sup>**



**布罗索尤单满足XLH和TIO患者的治疗需求**



• **填补治疗空白**：为中国XLH和TIO患者提供一种**FGF23靶向制剂**，起效快速，疗效持久



• **疗效显著**：靶向结合XLH和TIO的致病因子，骨代谢指标持续改善



• **耐受良好**：最常见不良反应为头痛及注射部位反应，**不增加肾钙质沉着症并降低甲状旁腺亢进症发生风险**



• **患者依从性高**：儿童2周注射1次，成人4周注射1次

XLH, X-连锁低磷血症; TIO, 肿瘤性骨软化症; SD, 标准差; FGF23, 成纤维生长因子23

# 临床研究及真实世界研究显示布罗索尤单抗平均剂量与推荐起始剂量相当

## • 用法用量<sup>1</sup>:

- XLH儿童患者（1岁至18岁以下）推荐起始剂量为 0.8 mg/kg，四舍五入至最接近的10mg，每2周一次；
- XLH成人患者（18岁及以上）推荐剂量为 1 mg/kg，四舍五入至最接近的10 mg，每4周一次；
- TIO成人患者的推荐起始剂量为 0.3 mg/kg，四舍五入至最接近的10 mg，每4周一次。

研究类型	治疗时长	人数	末次随访时剂量
临床研究 <sup>2</sup>	64周	29名儿童XLH	0.98 mg/kg <sup>#</sup>
真实世界 <sup>3</sup>	2.2年*	107名儿童及青少年XLH	0.62 mg/kg*
注册研究 <sup>4</sup>	≥12个月	65名儿童XLH	1.06 mg/kg*
注册研究 <sup>4</sup>	≥12个月	28名青少年XLH	0.72 mg/kg*
真实世界 <sup>5</sup>	15个月*	13名成人XLH	≈ 1mg/kg <sup>&amp;</sup>
临床研究 <sup>6</sup>	44周	9名成人TIO（中国）	1.3 mg/kg <sup>#</sup>

} p<0.05

## XLH患者使用推荐剂量即可满足治疗需求

4项研究总计**242**名儿童、青少年和成人XLH患者，末次随访时平均或中位剂量**与推荐起始剂量相当**；**青少年XLH患者**的单位用药剂量显著**低于**儿童患者。

TIO患者平均治疗剂量较大，与其疾病异质性有关。且相关研究较少。

XLH, X-连锁低磷血症; TIO, 肿瘤性骨软化症

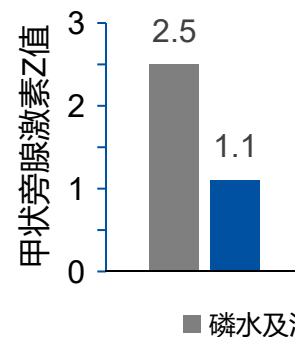
# 布罗索尤单抗不良事件多为轻中度，儿童人群中安全性良好，各国家均未发布安全性黑框警告

## 说明书中全年龄段人群的不良反应多为轻中度

发生率	人群	不良反应
说明书 <sup>1</sup>		
≥10% (常见)	儿童	注射部位反应、咳嗽、头痛、发热、四肢疼痛、呕吐、牙脓肿、维生素D水平降低、腹泻、皮疹、恶心、便秘、龋齿及肌肉疼痛
	成人	背痛、注射部位反应、头痛、牙齿感染、不宁腿综合征、肌肉痉挛、便秘、维生素D水平降低、头晕

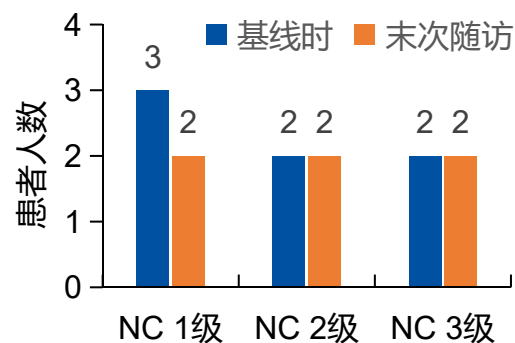
FDA批准布罗索尤单抗用于6-12月龄XLH患者<sup>2</sup>

## 降低继发性甲状旁腺功能亢进症发生风险<sup>3</sup>



单抗组患者PTH水平较磷水及活性维生素D组有**显著差异**。表明布罗索尤单抗可**减少甲状旁腺亢进症的发生风险**

## 降低肾钙质沉着症的发生风险<sup>4</sup>



布罗索尤单抗治疗期间**无一例**患儿出现**NC恶化**或**新发NC**，且1例基线NC完全消退

PTH, 甲状旁腺激素; NC, 肾钙质沉着症

1. 布罗索尤单抗注射液说明书, 2. 布罗索尤单抗美国注射液说明书, 3. Calcif Tissue Int. 2025 Mar 28;116(1):56. doi: 10.1007/s00223-025-01363-z

4. Front Pediatr. 2024 Dec 2;12:1487890. doi: 10.3389/fped.2024.1487890. eCollection 2024.

# 国内外指南/共识均推荐布罗索尤作为1岁及以上儿童XLH患者一线治疗

nature reviews nephrology <https://doi.org/10.1038/s41581-024-0029-x>

Evidence-based guidelines Check for updates

## Clinical practice recommendations for the diagnosis and management of X-linked hypophosphataemia

Dieter Haffner<sup>1</sup>, Francesco Emma<sup>2</sup>, Lothar Seefried<sup>3</sup>, Wolfgang Höglner<sup>4</sup>, Kassim M. Javali<sup>5</sup>, Detlef Bockemuhl<sup>6</sup>, Justine Bacchetta<sup>7</sup>, Deborah Eastwood<sup>8</sup>, Martin Bissler<sup>9</sup>, Dirk Schmechel<sup>10</sup>, Philippe Wicart<sup>11</sup>, Gema Arispe<sup>12</sup>, Elena Lovricheva<sup>13</sup>, Pol Harwood<sup>14</sup>, Martha Kriehöfer<sup>15</sup>, Oliver Gardiner<sup>16</sup>, Federico Di Rocco<sup>17</sup>, Catherine Chaussain<sup>18,19</sup>, Maria Luisa Brandi<sup>20</sup>, Lars Savendahl<sup>21</sup>, Karine Blot<sup>22</sup>, Peter Kamenicky<sup>23</sup>, Lars Røjmark<sup>24</sup> & Agneta Linglart<sup>25</sup>

**Abstract**

X-linked hypophosphataemia (XLH) is a rare metabolic bone disorder caused by pathogenic variants in the *PHEX* gene, which is predominantly expressed in osteoblasts, osteocytes and odontoblasts. XLH is characterized by increased synthesis of the bone-derived phosphaturic hormone fibroblast growth factor 23 (FGF23), which results in renal phosphate wasting with consecutive hypophosphataemia, rickets, osteomalacia, disproportionate short stature, oral manifestations, pseudofractures, craniosynostosis, enthesopathies and osteoarthritis. Patients with XLH should be provided with multidisciplinary care organized by a metabolic bone expert. Historically, these patients were treated with frequent doses of oral phosphate supplements and active vitamin D, which was of limited efficacy and associated with adverse effects. However, the management of XLH has evolved in the past few years owing to the availability of burosumab, a fully humanized monoclonal antibody that neutralizes circulating FGF23. Here, we provide updated clinical practice recommendations for the diagnosis and management of XLH to improve outcomes and quality of life in these patients.

Sections
Introduction
Methods
Diagnosis of XLH
Evaluation of responses to therapy
Follow-up of patients with X-linked hypophosphataemia
Treatment of children with X-linked hypophosphataemia
Treatment of adults with X-linked hypophosphataemia
Prevention and management of hyperparathyroidism
Treatment with recombinant human growth hormone
Treatment of musculoskeletal symptoms
Management of pregnant and lactating patients
Orthopaedic management
Management of oral health
Management of hearing problems

A list of affiliations appears at the end of the paper. [e-mail: d.haffner@hannover.de](mailto:d.haffner@hannover.de)  
Nature Reviews Nephrology

## Nature共识推荐意见

所有儿童XLH患者将单抗作为一线治疗使用

## 支持理由:

- 1. 单抗治疗结果从:
- ① 长期有效性<sup>1</sup>
- ② 患者全面性<sup>2,3</sup>
- (未设置任何入组条件)
- ③ 低剂量单抗与低剂量传统疗法疗效对比<sup>4</sup>

论证了Burosmab优于传统治疗因此获得了全面一线推荐

## 低磷性佝偻病/骨软化症诊治实践指南

中华医学会内分泌学分会 中国内分泌代谢病专科联盟  
通信作者:王昱, Email: wuying01@163.com  
通信作者单位:上海交通大学医学院附属瑞金医院内分泌代谢病科,上海 200025

【摘要】 低磷性佝偻病/骨软化症是一类罕见疾病,累及多系统和多器官,具有较高的致残、致畸率,需要多学科共同诊治和管理。为提高低磷性佝偻病/骨软化症的诊治和管理水平,中华医学会内分泌学分会和中国内分泌代谢病专科联盟组织全国内分泌科、儿科、骨科等专家共同讨论制定该病诊治实践指南。

【关键词】 佝偻病, 骨软化症, 指南  
DOI: 10.3760/cma.j.cn311282-20231011-00113

Practice guideline on the diagnosis and treatment of hypophosphatemic rickets/osteomalacia  
Chinese Society of Endocrinology, China Endocrinology and Metabolism Specialist Alliance  
Corresponding author: Wang Yuting, Email: wuying01@163.com  
Department of Endocrine and Metabolic Diseases, Ruijin Hospital, Shanghai Jiao Tong University School of Medicine, Shanghai 200025, China

【Summary】 Hypophosphatemic rickets/osteomalacia is a rare disease that involves multiple systems and organs, leading to a high rate of disability and deformity. It requires a multidisciplinary approach for diagnosis and management. To improve management level of hypophosphatemic rickets/osteomalacia, Chinese Society of Endocrinology and China Endocrinology and Metabolism Specialist Alliance invited experts from departments of endocrinology, pediatrics, orthopedics to develop this practice guideline for the diagnosis and treatment of hypophosphatemic rickets/osteomalacia.

【Key words】 Hypophosphatemia; Rickets; Osteomalacia; Guideline  
DOI: 10.3760/cma.j.cn311282-20231011-00113

一、前言  
低磷性佝偻病/骨软化症是一组由于遗传性或获得性原因导致以低磷血症为主要特征的骨骼矿化障碍性疾病,具有较高的致残、致畸率。儿童期起病者称为佝偻病,成人期起病者称为骨软化症。该病为罕见病,已经被列入《中国第一批罕见病目录》第51号疾病。近年来,我国先后发布了《中国低磷性佝偻病/骨软化症诊疗指南》(儿童X连锁低磷性佝偻病诊疗专家共识)和《低磷性骨软化症临床管理共识》,为促进低磷性佝偻病/骨软化症的规范诊疗起到重要作用<sup>1,2</sup>。随着对该类疾病的认识不断深入,我国也积累了临床研究和实践的数据。为进一步提高对该病的诊断水平,及时开展治疗,提高低磷性佝偻病/骨软化症患者生活质量,中华医学会内分泌学分会和中国内分泌代谢病专科联盟牵头组织全国内分泌科、儿科、骨科等科室的专家,共同讨论和制定了该病的诊治实践指南。

二、病因及临床分型  
临床上低磷血症并不少见,其病因包括肾脏排磷增加、肠道磷吸收减少及细胞外磷向细胞内转移等三

方面。低磷性佝偻病/骨软化症多为肾脏对磷的排泌增加所致,主要是遗传性疾病,包括X连锁低磷性佝偻病(XLH)、常染色体显性低磷性佝偻病(ADHR)、常染色体隐性低磷性佝偻病(ARHR)、伴高钙尿症低磷性佝偻病(HHHR)等;少数为获得性疾病,如肿瘤性骨软化症(TIO)、范科尼综合征、药物所致等。近年来,随着体内重要的调控因子成纤维生长因子23 (fibroblast growth factor 23, FGF23)的发现,该病发病机制逐渐被阐明,并据此其发病机制由FGF23过多所致,分为FGF23介导的低磷性佝偻病/骨软化症和非FGF23介导的低磷性佝偻病/骨软化症两类(表1)。

(一) FGF23介导的低磷性佝偻病/骨软化症  
FGF23主要由成骨细胞及骨细胞分泌,在体内磷稳态维持及维生素D调节方面发挥重要作用。其活性形式为全段FGF23 (rFGF23),当rFGF23被降解为羧基端(cFGF23)和氨基端(nFGF23)后则失去生物活性。rFGF23主要通过抑制肾近端小管钠磷共转运蛋白的表达,直接抑制肾脏对磷的重要吸收,导致经肾丢失的磷增多;另一方面,rFGF23可通过抑制1 $\alpha$ -羟化酶抑制活性维生素D-1,25-二羟维

## 中华内分泌学会推荐意见

建议作为1岁或以上XLH儿童以及具有严重骨异常放射学证据的青少年一线治疗

## 支持理由:

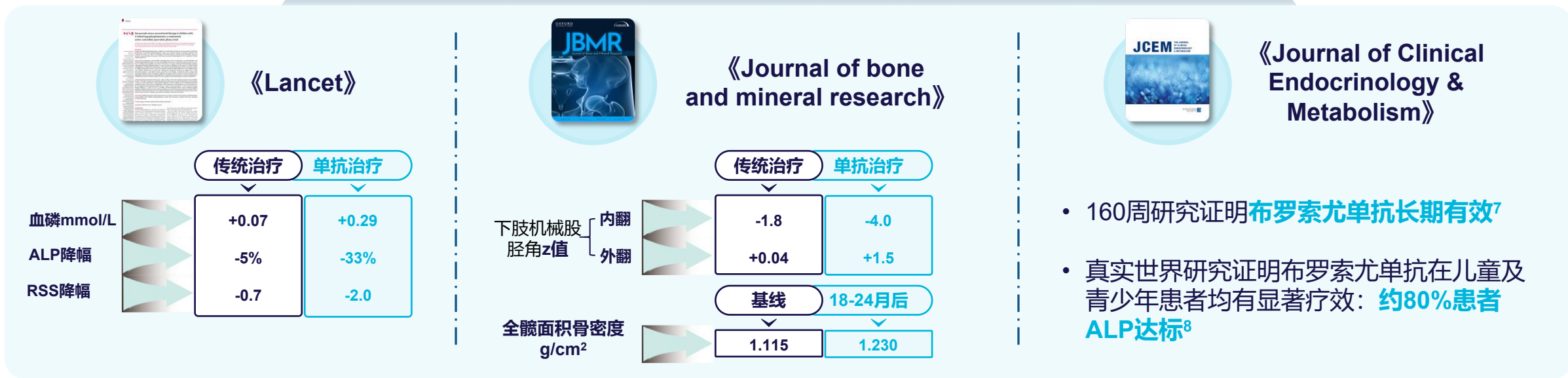
- 单抗治疗结果从:
- ① 64周RCTI临床优效结局,且长期安全有效<sup>1</sup>
- ② 尽早治疗获益显著<sup>3</sup>
- ③ 国内真实世界研究<sup>5</sup>

论证了Burosmab优于传统治疗因此获得了一线推荐

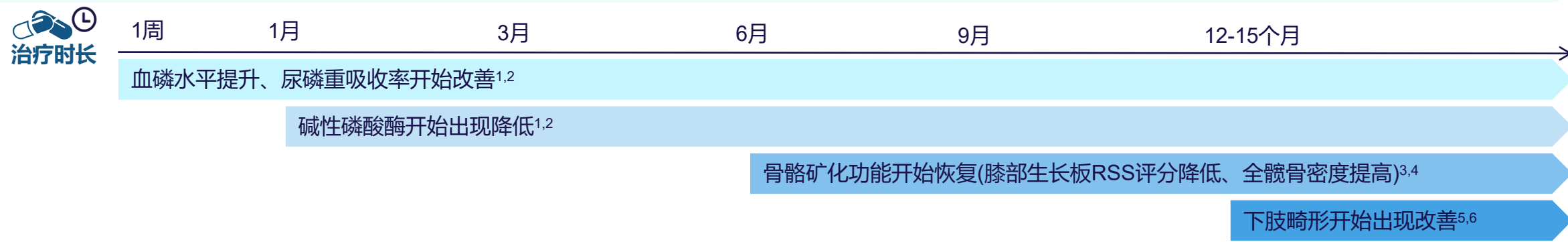
1. Linglart, A. et al. Sustained efficacy and safety of burosumab, a monoclonal antibody to FGF23, in children with X-linked hypophosphatemia. J. Clin. Endocrinol. Metab. 107, 813–824 (2022). 2. Ewert, A. et al. Effects of burosumab treatment on mineral metabolism in children and adolescents with X-linked hypophosphatemia. J. Clin. Endocrinol. Metab. 108, e998–e1006 (2023). 3. Walker, E. Y. X. et al. burosumab in management of X-linked hypophosphataemia: a retrospective cohort study of growth and serum phosphate levels. Arch. Dis. Child. 108, 379–384 (2023). 4. Imel, E. A., et al. burosumab versus phosphate/active vitamin D in pediatric X-linked hypophosphatemia: a sub-group analysis by dose level. J. Clin. Endocrinol. Metab. 108, 2990–2998 (2023). 5. 方韶哈, 邓芳, 袁悦, 等. 布罗索尤单抗治疗儿童X连锁低磷性佝偻病疗效评估[J]. 中华内分泌代谢杂志, 2024, 40(1): 11-16. DOI: 10.3760/cma.j.cn311282-20231011-00113.

# 布罗索尤单抗：先改善骨代谢指标，再改善骨骼矿化与下肢畸形全面优于传统治疗

多项研究从不同期的治疗结局报道了布罗索尤单抗对于儿童XLH患者的改善



- 160周研究证明布罗索尤单抗长期有效<sup>7</sup>
- 真实世界研究证明布罗索尤单抗在儿童及青少年患者均有显著疗效：**约80%患者ALP达标<sup>8</sup>**



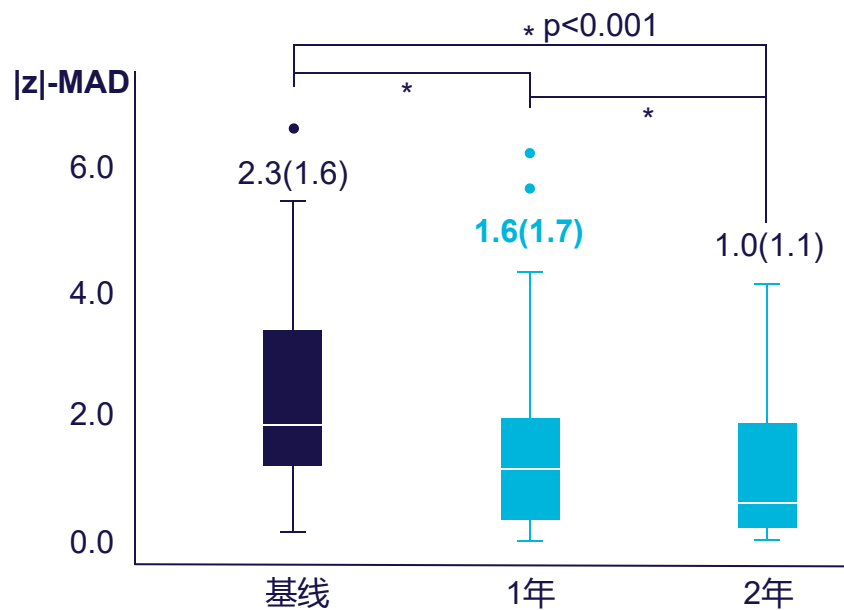
XLH: X-连锁低磷性佝偻病; ALP: 碱性磷酸酶; RSS: 桡尺骨评分  
 1. Journal of Bone and Mineral Research, Volume 39, Issue Supplement\_1, November 2024, SAT-121, <https://doi.org/10.1093/jbmr/zjae183> Published: 20 November 2024, 2. Imel EA, et al. Lancet. 2019 Jun 15;393(10189):2416-2427.  
 3. Patki, Rucha et al. Journal of bone and mineral research : the official journal of the American Society for Bone and Mineral Research, zjaf092. 13 Jul. 2025, doi:10.1093/jbmr/zjaf092; 4. 中华内分泌代谢杂志, 2024,40(1) : 11-16. DOI: 10.3760/cma.j.cn311282-20231011-00113, 5. Imel, E. A. et al. Lancet 393, 2416–2427 (2019), 5. Ward, Leanne M et al. Journal of bone and mineral research : the official journal of the American Society for Bone and Mineral Research, zjaf079. 13 Jun. 2025, doi:10.1093/jbmr/zjaf079; 6. Lim, Hayeon et al. "Two-year structural skeletal outcomes of burosumab therapy in pediatric X-linked hypophosphatemia: A radiographic cohort study." Journal of children's orthopaedics, 18632521251398403. 20 Nov. 2025, doi:10.1177/18632521251398403

# 布罗索尤单抗可显著改善XLH患儿的下肢畸形、减少手术需求，并具有显著的身高追长效应

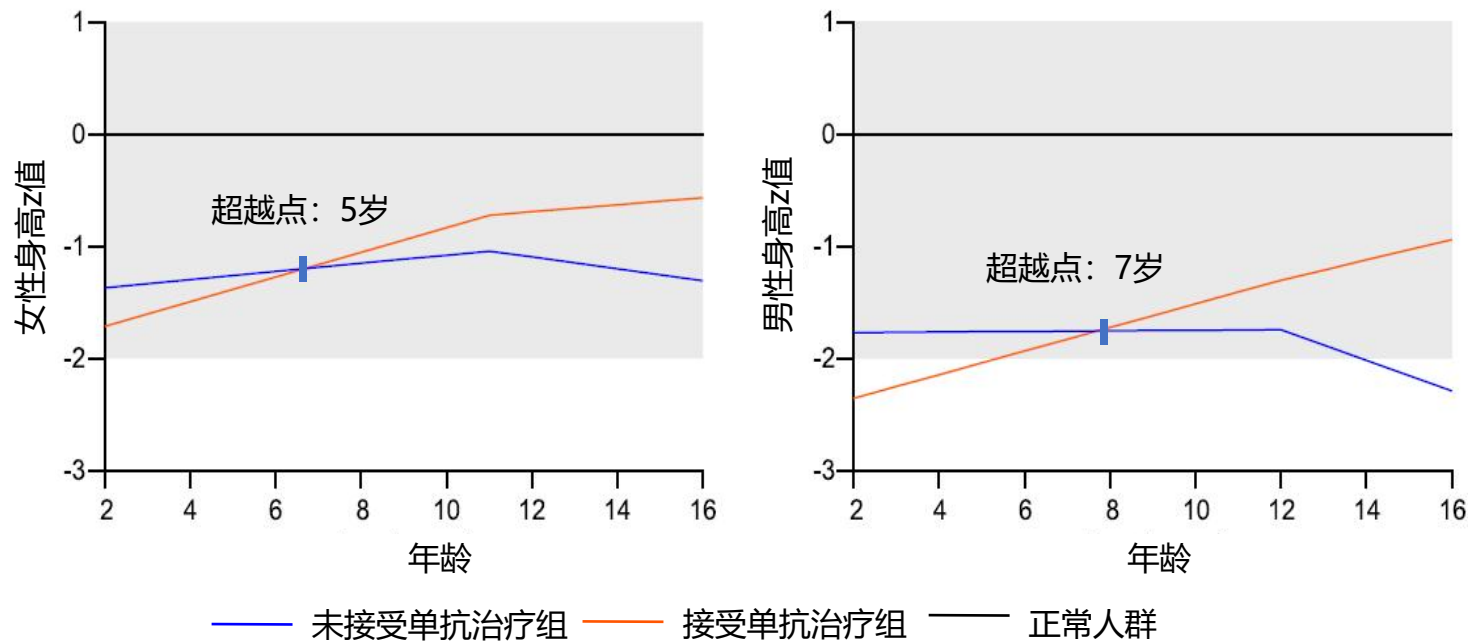
**1年起效：** 单抗治疗1年后显著改善MAD-z值，且改善幅度随治疗时间延长而递增<sup>1</sup>

**身高追长：** 单抗组 vs 未接受单抗组 儿童年追长效应 +0.085z 青少年年追长效应 +0.121z；p均<0.0001。单抗组患儿的身高z值分别在女性5岁、男性7岁时超过未治疗组且青少年单抗组中身高Z值持续升高，而未治疗组则呈下降趋势<sup>2</sup>。

## 下肢机械轴偏移距离持续改善



## 布罗所有单抗持续促进身高增长



MAD, 下肢机械轴偏移距离; XLH: X - 连锁低磷性佝偻病

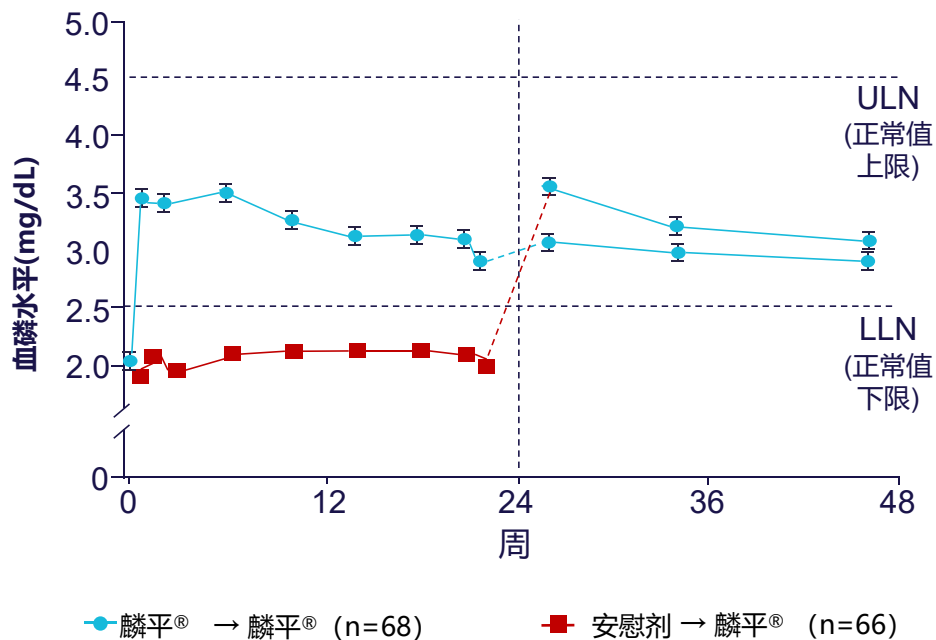
1. Journal of children's orthopaedics, 18632521251398403. 20 Nov. 2025. doi:10.1177/18632521251398403 2. J Clin Endocrinol Metab. March 31, 2026. doi:10.1210/clinem/dgag136

# 布罗索尤单抗可显著改善成人XLH和TIO患者的血磷水平

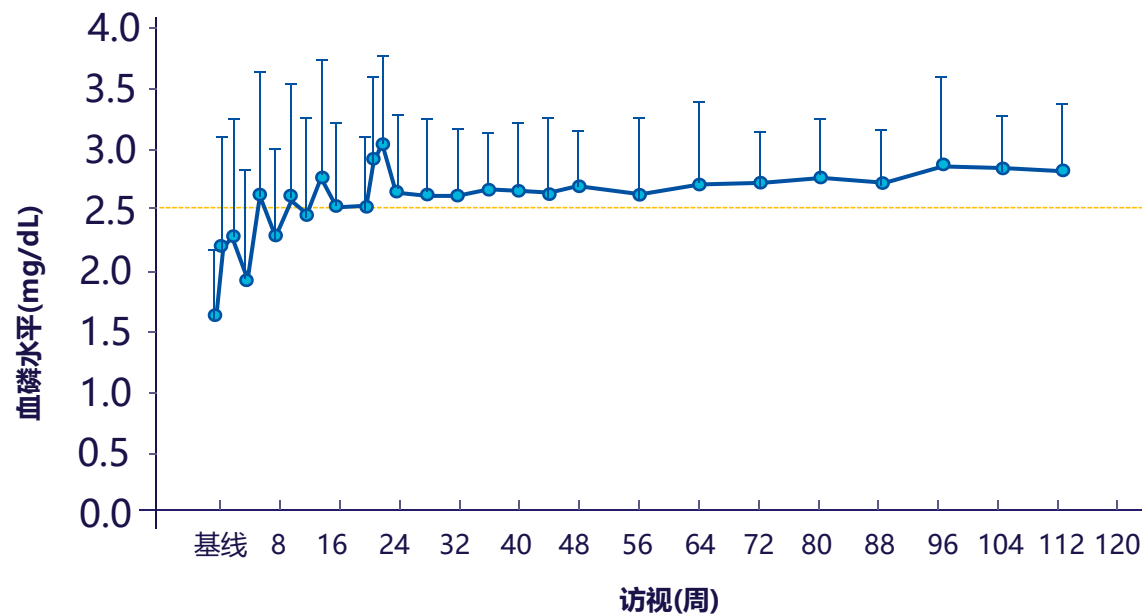
- 快速起效：**与安慰剂相比，布罗索尤单抗显著改善血磷和骨转换相关生化指标，第1周时血磷即可达标，第24周时94%成人XLH患者血磷正常达标<sup>1</sup>

- 下肢畸形改善：**成人TIO患者平均血磷水平升高，并在第14周至第112周始终高于LLN(2.5 mg/dL)，且在正常范围内<sup>2</sup>

### 成人XLH患者血磷显著改善



### 成人TIO患者血磷显著改善



XLH, X-连锁低磷血症; TIO, 肿瘤性骨软化症

1. Portale AA et al. Calcif Tissue Int. 2019Sep;105(3):271-284  
 2. Imanishi Y, et al. J Bone Miner Res. 2021 Feb;36(2):262-270

# 布罗索尤单抗是全球首个且唯一获批的FGF23靶向制剂，填补了XLH和TIO对因治疗空白

## 疗效优势

01

- ✓ **创新机制**：抑制FGF23下游信号通路，从而降低肾磷排出、增加肠磷吸收、改善骨骼矿化<sup>1</sup>
- ✓ **维持血磷稳态**：布罗索尤单抗半衰期约为19天，持久控制患者全天血磷波动<sup>2</sup>，促进骨对磷的吸收
- ✓ **抑制FGF23过量表达的额外获益**：1) 骨代谢、骨骼矿化及畸形相关指标改善；2) 生长发育正常化趋势（身高z评分平均年追长效应：儿童 +0.085/年、青少年 +0.121/年）

## 安全性优势

02

- ✓ **全人源化单克隆抗体，低中和性抗体发生率，长期治疗有效，不良反应多为轻中度**
- ✓ **降低甲状旁腺功能亢进症、肾钙质沉着症发生风险**：研究显示布罗索尤单抗可显著降低甲状旁腺激素水平，并改善肾磷阈值（肾磷阈降低是导致肾钙质沉着症发生的主要发生风险因素之一）<sup>3-4</sup>
- ✓ **FDA批准用于6-12月龄儿童XLH患者**

## 依从性优势

03

- ✓ **有效时间长，无需多次给药<sup>2</sup>**：皮下注射，儿童2周给药1次、成人4周给药1次即可有效维持血磷稳态，避免了传统治疗因长期腹泻、单日反复给药、口感差导致的低依从性<sup>1</sup>。

(19) 中华人民共和国国家知识产权局



(12) 发明专利

(10) 授权公告号 CN 101652476 B  
(45) 授权公告日 2012.07.04

(21) 申请号 200880004814.5 A61P 3/02 (2006.01)  
 (22) 申请日 2008.02.14 A61P 5/18 (2006.01)  
 (30) 优先权数据 A61P 19/08 (2006.01)  
 034018/2007 2007.02.14 JP A61P 19/10 (2006.01)  
 (85) PCT申请进入国家阶段日 C07K 16/22 (2006.01)  
 2009.08.12 C12N 1/15 (2006.01)  
 (86) PCT申请的申请数据 C12N 1/19 (2006.01)  
 PCT/JP2008/052918 2008.02.14 C12N 1/21 (2006.01)  
 (87) PCT申请的公布数据 C12N 5/10 (2006.01)  
 W02008/099969 JA 2008.08.21 C12P 21/08 (2006.01)  
 (73) 专利权人 协和发酵麒麟株式会社 审查员 徐益君  
 地址 日本东京都  
 (72) 发明人 山崎雄司 浦川到 吉田均  
 青野友纪子 山下武美 岛田孝志  
 长谷川尚  
 (74) 专利代理机构 中国专利代理(香港)有限公司  
 72001  
 代理人 张萍 李连涛  
 (51) Int. Cl.  
 C12N 15/09 (2006.01)  
 A61K 39/395 (2006.01)  
 A61P 3/00 (2006.01)

权利要求书 1 页 说明书 40 页  
序列表 22 页 附图 15 页(54) 发明名称  
抗 FGF23 抗体和含有该抗体的药物组合物

(57) 摘要

本发明提供一种抗 FGF23 抗体和通过使用此抗体对 FGF23 活性的抑制起到预防或治疗作用的一种作为预防或治疗药物的药物组合物。一种由杂交瘤细胞 C10( 索取号 FERM BP-10772) 产生的抗人 FGF23 抗体或此抗体的功能性片段。

专利号：

ZL200880004814.5

专利证书

# 布罗索尤单抗可以填补国家商保药品目录内无FGF23靶向制剂的空白，长期维持磷稳态，更适合儿童，提高患者治疗依从性

## 对公共健康影响重大

- XLH多以儿童患者为主，慢性低磷患儿可出现生长发育迟缓、下肢畸形且疾病严重程度随年龄增长而递增。致残致畸率高(约40%患者需要辅具帮助行走)，严重影响生活质量。
- TIO多发于成年，60.4%的TIO患者合并椎体畸形，84.6%的TIO患者发生过病理性骨折。
- 布罗索尤单抗长期使用改善患儿下肢畸形，保障患儿正常回归社会。

## 弥补原目录短板

- 本品为弥补目录空白的原研新药物，商保目录内无同类适应症药品
- 布罗索尤单抗疗效优异、耐受性良好、长期管理方便，可弥补目前临床药物治疗上的不足

## 患者长期管理难度低

- 布罗索尤单抗说明书中的适应症标明针对儿童/成人XLH和成人TIO，**其诊断方法明确，便于医保经办机构审核执行**
- 在医疗专业人员指导下用药，**无临床滥用风险**
- **XLH和TIO为罕见病，患者人数少**，且诊疗集中于三甲医院，患者人数相对可控

**感谢各位专家**

**Thanks**