

2024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： 注射用卡非佐米

企业名称： 百济神州（北京）生物科
 技有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-12 14:22:47	药品目录	药品目录内
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2024年12月31日协议到期，且不申请调整医保支付范围的谈判药品。
- 2.2024年12月31日协议到期，适应症或功能主治未发生重大变化，因适应症与医保支付范围不一致，主动申请调整支付范围的谈判药品。
- 3.2019年1月1日至2024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，主动申请调整医保支付范围的谈判药品和目录内其他药品。

药品通用名称（中文、含剂型）	注射用卡非佐米	药品类别	西药
<input checked="" type="radio"/> 药品注册分类	化学药品5.1类		
是否为独家	是	目录类别	谈判药品
协议/支付标准到期时间	2024年12月31日		
核心专利类型1	卡非佐米化合物专利	核心专利权期限届满日1	2025-08
核心专利类型1	卡非佐米化合物专利	核心专利权期限届满日1	2025-08
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	60mg		
上市许可持有人（授权企业）	Onyx Pharmaceuticals, Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。		
<input checked="" type="radio"/> 现行医保目录的医保支付范围	<p>【现行医保目录支付范围】限复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂：1. 每2个疗程需提供治疗有效的证据后方可继续支付；2. 由三级医院血液专科或血液专科医院医师处方。</p> <p>【申请调整医保目录支付范围，去除额外医保支付限定】限复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。【理由】①医保目录内其他多发性骨髓瘤药物，均无该医保支付范围限定描述；②卡非佐米与目录内其他骨髓瘤药物为替代关系，去除该限定，不额外增加医保基金负担；③说明书明确描述“持续治疗直到疾病进展”，可保证临床合理用药；④去除特定医师处方限定，利于学科发展、医联体上下协同诊疗；⑤医保支付范围已逐步与说明书趋同，无需额外限定。</p>		
所治疗疾病基本情况	多发性骨髓瘤（MM）是第二高发的血液肿瘤，约占血液肿瘤10%，发病率1.6/10万，老年群体中高发，人口老龄化加剧其发病率也呈持续上升态势。特征为骨髓浆细胞异常增生伴有单克隆免疫球蛋白或轻链过度生成，进而造成多发性溶骨性损害、高钙血症、贫血、肾脏损害等。随着医学进步MM已成为一种治疗反应率高，可深度缓解的肿瘤，中位生存期可达5-10年，但仍不可治愈，患者终将复发，随着线数增加愈发难治，危及生命。		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	MM治疗已从传统化疗迈入了新药治疗时代。目前蛋白酶体抑制剂（PIs）、免疫调节剂（IMiDs）、CD38 单克隆抗体是MM治疗的主要治疗手段，获批上市药物目前已全部纳入医保。①蛋白酶体抑制剂，是MM治疗的基石药物：主要有硼替佐米（2005）、伊沙佐米（2018）、卡非佐米（2021）。硼替佐米是第一个上市的一代PI，伊沙佐米是口服PI，而卡非佐米是新一代PI，不可逆性结合蛋白酶体发挥作用，抗肿瘤活性更强，同时与一代PI相比其神经毒性明显减低，并且可部分克服一代PI耐药。②免疫调节剂，通过抑制骨髓微环境，增强对MM细胞的免疫反应等机制杀伤肿瘤细胞，目前主要有：沙利度胺、来那度胺（2013）、泊马度胺（2020）。沙利度胺是第一代免疫调节剂，来那度胺是第二代免疫调节剂，具有更强的抑制血管生成和免疫调节作用。泊马度胺是第三代免疫调节剂药物，活性更强，用量较小，疗效更佳。③CD38单克隆抗体，是靶向杀伤表达特异性抗原的肿瘤细胞的新治疗手段：包含达雷妥尤单抗（2019）、艾沙妥昔单抗（未上市），常与蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂联合应用。		
企业承诺书	↓ 下载文件 1企业承诺书.pdf		

药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 2药品最新版法定说明书.pdf
最新版《药品注册证书》（国产药品）或《进口药品注册证》（进口药品）。如首次上市版本和最新版不同，请分别提供	↓ 下载文件 4最新版进口药品注册证.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 注射用卡非佐米PPT1.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 注射用卡非佐米PPT2.pdf

适应症或功能主治	获批时间	用法用量
本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。	2021-07-06	卡非佐米每周连续2天静脉给药，每次输液时间为30分钟，共3周，之后进入12天的休息期。每28天为1个治疗周期。第1周期的第1天和第2天按20mg/m ² 起始剂量进行卡非佐米给药。如果可以耐受，则在第1周期第8天将剂量升高至27mg/m ² 。在每个周期（每28天为1个周期）的第1、2、8、9、15、16、22和23天口服或静脉给予20mg地塞米松。在卡非佐米给药前30分钟至4小时内给予地塞米松。持续治疗直到疾病进展或出现不可接受的毒性。

参照药品

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：（1）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。
（2）急救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。
（3）肿瘤、罕见病用药原则上按365天用药计算年费用，如说明书中严格限定了治疗周期，可按治疗周期计算疗程费用，并予以说明。
（4）其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。
（5）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。
① 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m²。
② 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积1.6m²。

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）
枸橼酸伊沙佐米胶囊（2022年首次准入时联合评审指定参照药）	是	4mg	4932.92	本品的推荐起始剂量：在28天治疗周期的第1、8和15天，每周1次，每次口服给药4mg。	年度费用	按365天计算	192,912.54

参照药品选择理由：①同适应症：均仅用于复发难治MM治疗；②临床应用广泛：二线及以上MM中，伊沙佐米是最广泛的蛋白酶体抑制剂之一；③指南推荐：均被国内外指南推荐治疗RRMM；④机制和代际相似：均为新一代蛋白酶体抑制剂。

其他情况请说明：无

三、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	获批前
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。
对主要临床结局指标改善情况	中国242研究：纳入123例复发难治性多发性骨髓瘤（R/R MM）患者，经过中位4（2-19）线治疗且74%患者对标准治疗（蛋白酶体抑制剂PI和免疫调节药物IMiD）无效。接受≥6个周期的卡非佐米联合地塞米松（Kd），总缓解率ORR为35.8%，优于传统细胞毒性化疗或高剂量地塞米松治疗下的ORR（10-18%），中位PFS为5.6个月，中位OS为16.6月。本实验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）	↓ 下载文件 1中国242研究.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	来那度胺联合地塞米松（Rd）
试验阶段	获批前
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。
对主要临床结局指标改善情况	全球ASPIRE：纳入792例R/R MM患者，经中位2线治疗，15%PI难治，22%IMiD难治。达到主要终点，卡非佐米联合来那度胺和地塞米松组（KRd）mPFS 26.1月，Rd组仅为16.6月；mOS显著延长至48.3月；患者生活质量更优。横向对比伊沙佐米既往在RRMM患者中的全球RCT，mPFS仅为20.6月，mOS较对照组无统计学差异P=0.495。
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）	↓ 下载文件 2全球ASPIRE研究.pdf
试验类型3	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	获批后
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。
对主要临床结局指标改善情况	同一研究者展开两项真实世界研究均在R/R MM中探索疗效和安全性。前瞻性观察研究中期分析结果，卡非佐米联合来那度胺和地塞米松组（KRd）既往接受中位1线治疗，ORR率83.8%，≥VGPR（非常好的部分缓解率）66.3%。横向对比伊沙佐米联合来那度胺和地塞米松组（IRd），在既往接受中位1线治疗患者中，ORR率74%，≥VGPR率34.7%。
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）	↓ 下载文件 3欧洲RWE研究.pdf
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	伊沙佐米联合来那度胺和地塞米松（IRd），硼替佐米联合来那度胺和地塞米松（VRd）
试验阶段	获批后
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。
对主要临床结局指标改善情况	具有代表性的R/R MM患者中，二线及以上接受KRd，IRd或VRd治疗，到下次治疗时间(TTNT)的回顾性比较分析（TTNT是DEC的代表），相较于其他蛋白酶体抑制剂，真实世界中在以下情境更多选择KRd方案：临床获益，既往接受

(PI3K/AKT抑制剂)。相较于其他蛋白酶体抑制剂，其安全性在以下情况更多优于R/R方案：既往复发，既往接受过干细胞移植，既往蛋白酶体抑制剂或免疫调节剂经治，末线治疗难治，细胞遗传学高危，周围神经病变病史。

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）

[↓ 下载文件](#) 4美国RWE研究.pdf

试验类型5

其他

试验对照药品

伊沙佐米为基础的联合方案（如，IRd，ITd，ICd，Id）

试验阶段

获批后

适应症或功能主治

本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。

对主要临床结局指标改善情况

汇总分析11篇已发表的前瞻性研究、共2845例R/R MM患者，比较使用含卡非佐米或者伊沙佐米药物组合的疗效。卡非佐米较伊沙佐米带来更好的ORR（77% vs 64%）， \geq VGPR（48% vs 21%）， \geq CR（14% vs 7%），临床获益（84% vs 59%）；卡非佐米组合明显改善了OS（HR=0.79; P=0.01），和PFS（HR=0.61; P=0.0001）。

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）

[↓ 下载文件](#) 5汇总分析.pdf

试验类型1

单臂临床实验

试验对照药品

无

试验阶段

获批前

适应症或功能主治

本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。

对主要临床结局指标改善情况

中国242研究：纳入123例复发难治性多发性骨髓瘤（R/R MM）患者，经过中位4（2-19）线治疗且74%患者对标准治疗（蛋白酶体抑制剂PI和免疫调节药物IMiD）无效。接受 \geq 6个周期的卡非佐米联合地塞米松（Kd），总缓解率ORR为35.8%，优于传统细胞毒性化疗或高剂量地塞米松治疗下的ORR（10-18%），中位PFS为5.6个月，中位OS为16.6月。本实验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）

[↓ 下载文件](#) 1中国242研究.pdf

试验类型2

单个样本量足够的RCT

试验对照药品

来那度胺联合地塞米松（Rd）

试验阶段

获批前

适应症或功能主治

本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。

对主要临床结局指标改善情况

全球ASPIRE：纳入792例R/R MM患者，经中位2线治疗，15%PI难治，22%IMiD难治。达到主要终点，卡非佐米联合来那度胺和地塞米松组（KRd）mPFS 26.1月，Rd组仅为16.6月；mOS显著延长至48.3月；患者生活质量更优。横向对比伊沙佐米既往在RRMM患者中的全球RCT，mPFS仅为20.6月，mOS较对照组无统计学差异P=0.495。

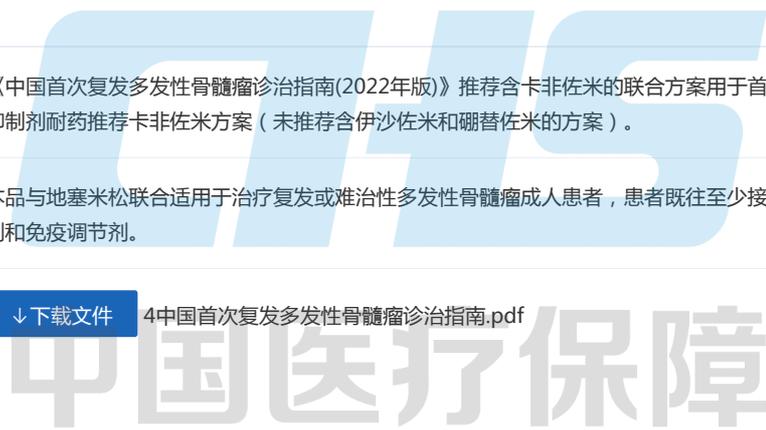
试验数据结果证明文件（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）

[↓ 下载文件](#) 2全球ASPIRE研究.pdf

试验类型3	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	获批后
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。
对主要临床结局指标改善情况	同一研究者展开两项真实世界研究均在R/R MM中探索疗效和安全性。前瞻性观察研究中中期分析结果，卡非佐米联合来那度胺和地塞米松组（KRd）既往接受中位1线治疗，ORR率83.8%，≥VGPR（非常好的部分缓解率）66.3%。横向对比伊沙佐米联合来那度胺和地塞米松组（IRd），在既往接受中位1线治疗患者中，ORR率74%，≥VGPR率34.7%。
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）	↓ 下载文件 3欧洲RWE研究.pdf
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	伊沙佐米联合来那度胺和地塞米松（IRd），硼替佐米联合来那度胺和地塞米松（VRd）
试验阶段	获批后
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。
对主要临床结局指标改善情况	具有代表性的R/R MM患者中，二线及以上接受KRd，IRd或VRd治疗，到下次治疗时间(TTNT)的回顾性比较分析（TTNT是PFS的代表）。相较于其他蛋白酶体抑制剂，真实世界中在以下情境更多选择KRd方案：临床复发，既往接受干细胞移植，既往蛋白酶体抑制剂或免疫调节剂经治，末线治疗难治，细胞遗传学高危，周围神经病变病史。
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）	↓ 下载文件 4美国RWE研究.pdf
试验类型5	其他
试验对照药品	伊沙佐米为基础的联合方案（如，IRd，ITd，ICd，Id）
试验阶段	获批后
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。
对主要临床结局指标改善情况	汇总分析11篇已发表的前瞻性研究、共2845例R/R MM患者，比较使用含卡非佐米或者伊沙佐米药物组合的疗效。卡非佐米较伊沙佐米带来更好的ORR（77% vs 64%），≥VGPR（48% vs 21%），≥CR（14% vs 7%），临床获益（84% vs 59%）；卡非佐米组合明显改善了OS（HR=0.79; P=0.01），和PFS（HR=0.61; P=0.0001）。
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）	↓ 下载文件 5汇总分析.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《中国多发性骨髓瘤指南（2022年修订）》R/R MM治疗：推荐卡非佐米为基础的多种联合方案，且Kd是唯一含有蛋白酶体抑制剂的两药方案推荐。《治疗解读》中提出对一代蛋白酶体抑制剂耐药的患者，治疗方案的选择须避免选用含伊沙佐米的治疗方案，建议采用卡非佐米方案。
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。

<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>↓ 下载文件 1中国多发性骨髓瘤指南.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>《2024版CSCO恶性血液病诊疗指南》R/R MM治疗：I级推荐卡非佐米为基础的联合方案，II级推荐含卡非佐米联合塞利尼索方案用于后线双耐药患者，一代蛋白酶体抑制剂耐药推荐卡非佐米方案（未推荐含伊沙佐米的方案）。</p>
<p>适应症或功能主治</p>	<p>本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。</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>↓ 下载文件 2CSCO恶性血液病诊疗指南.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>	<p>《2024 NCCN 美国国立综合癌症网络多发性骨髓瘤指南》R/R MM治疗：Kd方案I类推荐，卡非佐米联合方案指南I类推荐。</p>
<p>适应症或功能主治</p>	<p>本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。</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>↓ 下载文件 3NCCN多发性骨髓瘤指南.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况4</p>	<p>《中国首次复发多发性骨髓瘤诊治指南(2022年版)》推荐含卡非佐米的联合方案用于首次复发MM患者，一代蛋白酶体抑制剂耐药推荐卡非佐米方案（未推荐含伊沙佐米和硼替佐米的方案）。</p>
<p>适应症或功能主治</p>	<p>本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。</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>↓ 下载文件 4中国首次复发多发性骨髓瘤诊治指南.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况5</p>	<p>《2023 Mayo 梅奥指南》推荐卡非佐米联合方案用于治疗首次复发MM患者，且以卡非佐米为基础的方案是治疗R/R MM的重要选择，即使对第一代PI耐药也能很好的发挥临床疗效。</p>
<p>适应症或功能主治</p>	<p>本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。</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>↓ 下载文件 5Mayo梅奥指南.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>《中国多发性骨髓瘤指南（2022年修订）》R/R MM治疗：推荐卡非佐米为基础的多种联合方案，且Kd是唯一含有蛋白酶体抑制剂的两药方案推荐。《治疗解读》中提出对一代蛋白酶体抑制剂耐药的的患者，治疗方案的选择须避免选用含伊沙佐米的治疗方案，建议采用卡非佐米方案。</p>
<p>适应症或功能主治</p>	<p>本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。</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>↓ 下载文件 1中国多发性骨髓瘤指南.pdf</p>

件)	
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《2024版CSCO恶性血液病诊疗指南》R/R MM治疗：I级推荐卡非佐米为基础的联合方案，II级推荐含卡非佐米联合塞利尼索方案用于后线双耐药患者，一代蛋白酶体抑制剂耐药推荐卡非佐米方案（未推荐含伊沙佐米的方案）。
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。
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）	↓ 下载文件 2CSCO恶性血液病诊疗指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2024 NCCN 美国国立综合癌症网络多发性骨髓瘤指南》R/R MM治疗：Kd方案I类推荐，卡非佐米联合方案指南I类推荐。
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。
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）	↓ 下载文件 3NCCN多发性骨髓瘤指南.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年版)》推荐含卡非佐米的联合方案用于首次复发MM患者，一代蛋白酶体抑制剂耐药推荐卡非佐米方案（未推荐含伊沙佐米和硼替佐米的方案）。
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。
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）	↓ 下载文件 4中国首次复发多发性骨髓瘤诊治指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《2023 Mayo 梅奥指南》推荐卡非佐米联合方案用于治疗首次复发MM患者，且以卡非佐米为基础的方案是治疗R/R MM的重要选择，即使对第一代PI耐药也能很好的发挥临床疗效。
适应症或功能主治	本品与地塞米松联合适用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往至少接受过2种治疗，包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂。
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）	↓ 下载文件 5Mayo梅奥指南.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	20140242研究是一项卡非佐米联合地塞米松Kd用于中国复发和难治性多发性骨髓瘤患者的开放标签、单治疗组的多中心研究。既往治疗方案中位数为4.0（2~19），16.3%的患者曾接受过移植，其中75.6%对任何含PI方案难治，97.6%患者对任何含IMiD方案难治，74.0%对包括PI和IMiD的方案均难治。IRC评估的中位无进展生存期（PFS）为5.6（95%CI：4.6；6.5）个月。第12个月时的PFS无事件率为24.1%。PFS的中位随访时间为8.9个月。中位总生存期OS为16.6（95%CI：12.2；NE）个月，第12个月时的OS无事件率为63.3%，中位随访时间为10.4个月。总结：本研究所入组的人群可以代表目前大多数无标准治疗可选择的人群，在该人群中，研究结果达到了预期终点，并且显示出一定持续的有效性，尤其是研究中在PI难治亚组人群的ORR达到32.3%，与整体研究结果趋势一致。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 技术审评报告.pdf
国家药监局药品审评中心《技术	20140242研究是一项卡非佐米联合地塞米松Kd用于中国复发和难治性多发性骨髓瘤患者的开放标签、单治疗组的多中

<p>审评报告》中关于本药品有效性的描述</p> <p>《技术审评报告》原文（可节选）</p>	<p>心研究。既往治疗方案中位数为4.0（2~19），16.3%的患者曾接受过移植，其中75.6%对任何含PI方案难治，97.6%患者对任何含IMiD方案难治，74.0%对包括PI和IMiD的方案均难治。IRC评估的中位无进展生存期（PFS）为5.6（95%CI：4.6；6.5）个月。第12个月时的PFS无事件率为24.1%。PFS的中位随访时间为8.9个月。中位总生存期OS为16.6（95%CI：12.2；NE）个月，第12个月时的OS无事件率为63.3%，中位随访时间为10.4个月。总结：本研究所入组的人群可以代表目前大多数无标准治疗可选择的人群，在该人群中，研究结果达到了预期终点，并且显示出一定持续的有效性，尤其是研究中在PI难治亚组人群的ORR达到32.3%，与整体研究结果趋势一致。</p> <p>↓ 下载文件 技术审评报告.pdf</p>
---	---

四、安全性信息

<p>药品说明书载载的安全性信息</p>	<p>【不良反应】最常见的不良反应（发生率 > 20%）为：贫血、疲乏、血小板减少症、腹泻、呼吸道感染、恶心、发热、咳嗽、呼吸困难、中性粒细胞减少症和高血压。【禁忌】对本品活性成分或任何辅料过敏者禁用。哺乳期妇女禁用。由于卡非佐米与其他药品联合用药，请参考联用药品说明书，了解其他禁忌。【注意事项】心脏毒性、心电图改变、肺毒性、肺动脉高压、呼吸困难、高血压、急性肾功能衰竭、肿瘤溶解综合征、输液相关反应、出血、血小板减少症、静脉血栓形成、肝脏毒性和肝功能衰竭、血栓性微血管病、可逆性后部脑病综合征、乙型肝炎病毒再激活、进行性多灶性白质脑病、避孕、对驾驶和操作机械能力的影响、钠含量。【药物相互作用】无证据表明卡非佐米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。卡非佐米预计不会影响其他药物的暴露。</p>
<p>药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果</p>	<p>卡非佐米于2012年7月20日在美国获得首次上市批准，于2021年7月6日在中国获批。药品上市后，各国家或地区药监部门5年内未发布任何黑框警告、撤市信息；安全警示相关信息已在中国说明书【不良反应】【上市后经验】和【注意事项】章节进行提示。本品于中国上市至今，未实施额外的药物警戒活动，认为常规药物警戒活动足以应对所有重要已识别风险。通过常规药物警戒活动——不良反应报告、定期安全性信号检测和特定不良事件随访问卷，尚未发现新的重要风险。卡非佐米用于已获批适应症复发性或难治性多发性骨髓瘤（RRMM）的总体获益-风险特征仍然是获益大于风险。</p>
<p>相关报导文献</p>	<p>↓ 下载文件 药品不良反应监测情况.pdf</p>

五、创新性信息

<p>创新程度</p>	<p>较伊沙佐米（硼酸肽类蛋白酶体抑制剂），卡非佐米独有环氧酮类蛋白酶体抑制剂（伊沙佐米：硼酸肽类），是唯一共价抑制$\beta 2 + \beta 5$亚基的PI，高选择且唯一不可逆结合蛋白酶体，抗癌活性更强，脱靶效应更少。相较伊沙佐米，一代蛋白酶体抑制剂耐药的PSMB5突变细胞系显示，对卡非佐米敏感。T21A位点突变和硼替佐米耐药相关，该位点对不可逆结合蛋白酶体抑制剂高度敏感，故T21A位点突变的MM细胞，对卡非佐米尤为敏感。</p>
<p>创新性证明文件</p>	<p>↓ 下载文件 1创新性证明文件.pdf</p>
<p>应用创新</p>	<p>卡非佐米主要通过肽酶和环氧化物水解酶代谢，因此药代动力学特征受到细胞色素 P450 抑制剂或诱导剂的影响很小。体外数据表明，卡非佐米对人肝细胞CYP3A4 没有诱导作用。在中轻度肝功能不全和肾功能不全患者中无需调整剂量。而伊沙佐米应避免和CYP3A4强诱导剂联用，且对于中度重度肝损、严重肾功能不全或需要透析的终末期肾病患者要减低起始剂量。本药易于临床管理，持续使用，患者依从性提升，使用成本降低。</p>
<p>应用创新证明文件</p>	<p>↓ 下载文件 2应用创新证明文件.pdf</p>
<p>传承性（仅中成药填写）</p>	<p>-</p>
<p>传承性证明文件</p>	<p>-</p>

六、公平性信息

<p>所治疗疾病对公共健康的影响描述</p>	<p>①我国多发性骨髓瘤发病率为1.6/10万，为血液系统第二常见恶性肿瘤，生存率低、复发率高；②包含卡非佐米在内的蛋白酶体抑制剂，已成为多发性骨髓瘤治疗的基石药物，弥补未满足需求。</p>
<p>符合“保基本”原则描述</p>	<p>①去除本品额外的医保支付限定，与目录内其他多发性骨髓瘤药物保持一致，保障患者用药公平可及；②卡非佐米上市后多次降价，现有价格低于参照药及国际最低价，保障患者用药可负担。</p>
<p>弥补目录短板描述</p>	<p>①蛋白酶体抑制剂是中国骨髓瘤治疗基石，其他PI易产生耐药性且缓解深度有限、周围神经毒性发生率高；②卡非佐米</p>

为新一代高选择性、不可逆性的PI，为耐药、复发及高危患者带来更深缓解、更长生存。

临床管理难度描述

①多发性骨髓瘤诊疗标准明确，治疗指南清晰，有疗效评估标准，可最大程度保证其临床用药合理性；②卡非佐米适应症清晰、人群精准，静脉输注管理严格，入院便于监测和全程管理，无药物滥用风险；③去除本品额外的医保支付限定，与其他骨髓瘤药物一致，便于临床报销管理。