

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：达雷妥尤单抗注射液（皮下注射）

企业名称：强生制药有限公司

申报信息

申报时间	2024-07-10 12:04:41	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2019年1月1日至2024年6月30日(含，下同)期间，经国家药监部门批准上市的新通用名药品，仅因转产、再注册等单纯更改通用名的药品除外。
- 2.2019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，且针对此次变更获得药品批准证明文件的通用名药品。
- 3.2024年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入《国家基本药物目录(2018年版)》的药品。
- 4.2024年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入卫生健康委等部门《首批鼓励研发申报儿童药品清单》《第二批鼓励研发申报儿童药品清单》《第三批鼓励研发申报儿童药品清单》《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》以及《第一批鼓励仿制药品目录》《第二批鼓励仿制药品目录》《第三批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 5.2024年6月30日前经国家药监部门批准上市，说明书适应症或功能主治中包含有卫生健康委《第一批罕见病目录》《第二批罕见病目录》所收录罕见病的药品。

药品通用名称(中文、含剂型)	达雷妥尤单抗注射液(皮下注射)	医保药品分类与代码	XL01FCD337B002030178537
药品类别	西药	是否为独家	是
① 药品注册分类	治疗用生物制品 2.2 类(原发性轻链型淀粉样变); 治疗用生物制品 3.1 类(多发性骨髓瘤)		
核心专利类型1	生物制品活性成分的序列结构专利; 生物制品医药用途专利(相关专利号: ZL200680017915.7 专利名称: 用于治疗多发性骨髓瘤的CD38抗体)	核心专利权期限届满日1	2026-03
核心专利类型2	生物制品医药用途专利(相关专利号: ZL201710164800.0 专利名称: 用于治疗多发性骨髓瘤的CD38抗体)	核心专利权期限届满日2	2026-03
核心专利类型3	生物制品医药用途专利(相关专利号: ZL201680042671.1 专利名称: 用于治疗轻链淀粉样变性及其它CD38阳性血液恶性肿瘤的抗CD38抗体)	核心专利权期限届满日3	2036-05
核心专利类型1	生物制品活性成分的序列结构专利; 生物制品医药用途专利(相关专利号: ZL200680017915.7 专利名称: 用于治疗多发性骨髓瘤的CD38抗体)	核心专利权期限届满日1	2026-03
核心专利类型2	生物制品医药用途专利(相关专利号: ZL201710164800.0 专利名称: 用于治疗多发性骨髓瘤的CD38抗体)	核心专利权期限届满日2	2026-03
核心专利类型3	生物制品医药用途专利(相关专利号: ZL201680042671.1 专利名称: 用于治疗轻链淀粉样变性及其它CD38阳性血液恶性肿瘤的抗CD38抗体)	核心专利权期限届满日3	2036-05
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	1800mg(15ml)/瓶		
上市许可持有人(授权企业)	Janssen-Cilag International NV		
说明书全部适应症/功能主治	1. 多发性骨髓瘤: 本品适用于(1) 与来那度胺和地塞米松联合用药或与硼替佐米、美法仑和泼尼松联合用药治疗不适合自体干细胞移植的新诊断的多发性骨髓瘤成年患者。(2) 与来那度胺和地塞米松联合用药或与硼替佐米和地塞米松		

联合用药治疗既往至少接受过一线治疗的多发性骨髓瘤成年患者。(3) 与泊马度胺和地塞米松联合用药治疗既往接受过至少一线治疗(包括来那度胺和蛋白酶体抑制剂)的多发性骨髓瘤患者。(4) 单药治疗复发和难治性多发性骨髓瘤成年患者,患者既往接受过包括蛋白酶体抑制剂和免疫调节剂的治疗且最后一次治疗时出现疾病进展。2. 原发性轻链型淀粉样变:本品联合硼替佐米、环磷酰胺和地塞米松适用于新诊断的原发性轻链型淀粉样变患者。本方案不适合也不推荐用于患有NYHA III B 级或IV 级心脏疾病或Mayo III B 期的原发性轻链型淀粉样变患者。

说明书用法用量

本品不用于静脉给药,应仅使用规定剂量进行皮下注射给药。多发性骨髓瘤:本品单药治疗、与来那度胺和地塞米松(Rd)、泊马度胺和地塞米松(Pd)联合用药治疗(4周为一个周期的给药方案)的标准给药方案:第1-8周每周一次(共给药8次),第9-24周每2周一次(共给药8次),从第25周起直到疾病进展每4周一次。本品与硼替佐米、美法仑和泼尼松(VMP)联合用药治疗的给药方案(6周为一个周期的给药方案):第1-6周每周一次(共给药6次),第7-54周每3周一次(共给药16次),从第55周起直到疾病进展每4周一次。本品与硼替佐米和地塞米松(Vd)联合用药治疗的给药方案(3周为一个周期的给药方案):第1-9周每周一次(共给药9次),第10-24周每3周一次(共给药5次),从第25周起直到疾病进展每4周一次。原发性轻链型淀粉样变:本品联合硼替佐米、环磷酰胺和地塞米松(4周为一个周期)用于原发性轻链型淀粉样变的给药方案:第1周-第8周每周一次(共给药8次)第9周-第24周每2周一次(共给药8次)从第25周起直到疾病进展或最多2年每4周一次。

所治疗疾病基本情况

原发性轻链型淀粉样变纳入第一批罕见病目录,中国年发病患者约0.4-0.7万人。致死性高、晚期预后差,中位生存期13个月,达雷妥尤单抗注射液(皮下注射)获批前,尚无获批治疗药物。多发性骨髓瘤是无法治愈的血液系统第二常见恶性肿瘤,临床以静脉治疗为主,静脉给药耗时长且增加输注不良反应风险,患者生活质量欠佳,心肾合并症发生率高,需限制静脉液体量降低超负荷风险。静脉给药占用医疗资源大,医护负担重,床位周转难

中国大陆首次上市时间

2021-09

注册证号/批准文号

国药准字SJ20210025

该通用名全球首个上市国家/地区

美国

该通用名全球首次上市时间

2020-05

是否为OTC

否

同疾病治疗领域内或同药理作用
药品上市情况

多发性骨髓瘤临床以蛋白酶体抑制剂(上市时间/化合物:05年硼替佐米,18年伊沙佐米,21年卡非佐米)、免疫调节剂(13年来那度胺,20年泊马度胺)和CD38单抗(19年达雷妥尤单抗)等为主要治疗方式,以上药品均已在目录中。获批尚未医保的药品为两款CAR-T。目录内达雷妥尤单抗注射液,双重作用机制杀死骨髓瘤细胞并调节免疫,实现多发性骨髓瘤目前最长生存获益:新诊断患者中位PFS达62月,中位OS达90月,复发难治患者中位PFS达45月,中位OS达68月。此次申报纳入的皮下注射剂型,升级骨髓瘤治疗模式,优化医疗资源利用效率:给药仅需3-5分钟,与静脉剂型疗效相当,IRR发生率显著降低62%,显著减轻液体输注负荷,降低心肾合并症发生率,医护首次和后续治疗工作时间分别减少63.8%、49.5%,患者椅位时间减少97%,86%患者偏好皮下剂型且此次申报的皮下剂型,较目录内静脉剂型新增原发性轻链型淀粉样变适应症(第一批罕见病目录),本药上市前尚无其他获批药物。作为全球首个且唯一治疗药物,突破罕见病原发性轻链型淀粉样变无药可治的困境,降低79%主要器官恶化导致的进展或死亡风险,填补罕见病临床空白

企业承诺书

↓ 下载文件

企业承诺书_强生制药有限公司.pdf

药品最新版法定说明书

↓ 下载文件

药品最新版法定说明书.pdf

所有《药品注册证书》(国产药品)或《进口药品注册证》(进口药品),包括首次上市的批准注册证明文件和历次补充注册、再注册批准证明文件,请扫描成一个文件后上传

↓ 下载文件

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

达雷妥尤单抗皮下注射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

达雷妥尤单抗皮下注射PPT2.pdf

说明：

- 1、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。
- 2、中成药：一律填写日均费用。
- 3、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）急抢救、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)
达雷妥尤单抗注射液	是	400mg/20ml/瓶	3698.07	推荐剂量为16mg/kg, 静脉输注, 联合硼替佐米和地塞米松：第1-9周, 每周一次给药, 第10-24周, 每3周给药一次, 自第25周起, 每4周给药一次, 联合硼替佐米、美法仑和泼尼松：第1-6周, 每周一次给药, 第7-54周, 每3周给药一次, 自第55周起, 每4周给药一次 单药或联合来那度胺和地塞米松：第1-8周, 每周一次给	年度费用	年	209,062.56 ; 219,017.92 ; 228,973.28

药，第9-24周，每2周一次给药，自第25周起，每4周一次给药

参照药品选择理由：1. 医保目录内药品 2. 相同化合物成分 3. 均适用于多发性骨髓瘤全线人群，临床应用最广泛，且多发性骨髓瘤为主适应症 4. 主适应症有直接头对头大型注册 III 期临床实验证据

其他情况请说明：400mg/20ml/瓶最低挂网价：3698.07元 100mg/5ml/瓶最低挂网价：1279.61元

二、有效性信息

试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	达雷妥尤单抗静脉制剂单药 (Dara IV)
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	COLUMBA III期研究纳入522例复发/难治多发性骨髓瘤患者，中位随访29.3个月，SC组总缓解率ORR44%，IV组为40%；中位PFS为IV组6.1m，SC组5.6m；中位OS为IV组25.6m，SC组28.2m。SC组平均最大药物谷浓度为591 $\mu\text{g}/\text{mL}$ ，IV组为496 $\mu\text{g}/\text{mL}$ ，表明SC疗效和药代动力学均非劣于IV。SC组IRR发生率13%，IV组为34%，SC显著降低IRR发生
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 研究1_COLUMBA.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	MMY1010中国复发/难治多发性骨髓瘤患者研究表明，Dara SC药代动力学，疗效，安全性与国际研究中观察到的一致。平均（SD）最大谷浓度为826（335） $\mu\text{g}/\text{ml}$ ，输液相关反应（IRR）和注射部位反应（ISR）发生率较低，分别为1例和2例（均为1级）。中位随访时间7.5个月，总体缓解率57.1%，非常好的部分缓解及以上（ $\geq\text{VGPR}$ ）比例38.1%，完全缓解及以上（ $\geq\text{CR}$ ）比例19.0%
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 研究2_MMY1010.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	PAVO是一项II期单臂临床研究，纳入25例复发/难治多发性骨髓瘤患者。中位随访14.2个月时，Dara SC 1800mg组的总缓解率（ORR）为52%，其中 $\geq\text{CR}$ 率为4%， $\geq\text{VGPR}$ 率为32%。IRR发生率为16%
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 研究3_PAVO.pdf
试验类型4	非RCT队列研究

试验类型4	3FRC1队列研究
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	PLEIADES—一项多中心II期临床研究表明，适合移植的新诊断多发性骨髓瘤组，中位随访3.9个月DVRd总缓解率97%，≥CR率16.4%；IRR发生率9%。不适合移植的新诊断多发性骨髓瘤组，中位随访14.3个月D-VMP总缓解率89.6%，≥CR率47.8%；IRR发生率9%。既往接受≥1线RRMM患者中，中位随访14.7个月DRd总缓解率93.8%，≥CR率38.5%；IRR发生率4.6%
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文件）	↓ 下载文件 研究4_PLEIADES.pdf
试验类型5	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	泊马度胺和地塞米松
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	APOLLO是一项III期随机对照临床研究，共纳入304例复发/难治多发性骨髓瘤患者，其中DPd组151例，Pd组153例。中位随访30.7个月时，DPd组显著延长患者的PFS（DPd组12.1个月，Pd组7.0个月）。中位随访39.6个月时，D-Pd组的中位PFS2相比Pd组显著延长；D-Pd组患者的OS较Pd组出现具有临床意义的改善（DPd组34.4个月，Pd组23.7个月）
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文件）	↓ 下载文件 研究5_APOLLO.pdf
试验类型6	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	硼替佐米联合马法兰和泼尼松
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	ALCYONE研究对象为不适合移植的新诊断多发性骨髓瘤患者，经研究者判断适合的D-VMP组患者可自任何周期的第1天起转为DARA SC给药：57例从IV给药转为SC给药，转换后中位随访3.7个月，SC中位给药时间为5分钟。转为SC给药的患者（中位给药次数为5次）均未出现IRR。在第2剂SC给药之后，有43例（81.1%）患者偏好SC给药；在第4剂SC给药之后，有38例（86.4%）患者偏好SC给药
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文件）	↓ 下载文件 研究6_ALCYONE.pdf
试验类型7	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	来那度胺+地塞米松（Rd）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	MAIA研究（不适合移植的新诊断多发性骨髓瘤患者）中有135例（37%）患者从IV给药转为了SC给药，转换后中位随访7.0个月。DARA SC的中位给药时间为5分钟。转为DARA SC给药的患者（中位给药次数为8次）均未出现IRR。103例（76.3%）患者在转换给药途径后报告了任何级别的TEAE，分别有29例（21.5%）和6例（4.4%）报告了3级和4级TEAE。
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文件）	↓ 下载文件 研究7_MAIA.pdf

试验类型8	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	研究纳入了2020年8月——2020年11月期间美国莱文癌症研究所Dara IV转换为Dara SC或者是首次使用Dara SC（既往未暴露过Dara）的58例浆细胞疾病患者。Dara IV转换为Dara SC的患者比例为62%；85%为MM患者，12为AL患者，3%为原发浆白患者。没有患者出现IRR，患者可以从Dara IV转为Dara SC，而不需要监测或加强前期用药。
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 研究8_美国真实世界研究.pdf
试验类型9	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	日本一项真实世界研究纳入了12例2021年6月至2022年5月期间在神户市医疗中心综合医院从DARA IV转为SC的MM患者。在为期6个月的安全性评估中，除一例中性粒细胞减少症外，未观察到新出现的3级AE。这些结果表明，从DARA IV转换为DARA SC后，患者可以耐受，且DARA SC的给药时间较短，无IRR事件发生。
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 研究9_日本真实世界研究.pdf
试验类型10	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	硼替佐米联合环磷酰胺和地塞米松
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	入组388例新诊断系统性轻链型淀粉样变患者的ANDROMEDA III期RCT临床研究表明，与VCd组相比，D-VCd组血液学CR率更高（60% vs. 19%）。亚洲人群中位随访25.8个月时，DVCd组的血液学CR率较VCd组更高（69% vs 16%）；18个月器官缓解率DVCd组高于VCd组（心脏：67% vs 10%；肾脏62% vs 38%），DVCd显著延缓患者主要器官恶化的无进展生存期
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 研究10_ANDROMEDA_JSH.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	达雷妥尤单抗静脉制剂单药（Dara IV）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	COLUMBA III期研究纳入522例复发/难治多发性骨髓瘤患者，中位随访29.3个月，SC组总缓解率ORR44%，IV组为40%；中位PFS为IV组6.1m，SC组5.6m；中位OS为IV组25.6m，SC组28.2m。SC组平均最大药物谷浓度为591μg/mL，IV组为496μg/mL，表明SC疗效和药代动力学均非劣于IV。SC组IRR发生率13%，IV组为34%，SC显著降低IRR发生
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 研究1_COLUMBA.pdf

试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	MMY1010中国复发/难治多发性骨髓瘤患者研究表明，Dara SC药代动力学，疗效，安全性与国际研究中观察到的一致。平均（SD）最大谷浓度为826（335）μg/ml，输液相关反应（IRR）和注射部位反应（ISR）发生率较低，分别为1例和2例（均为1级）。中位随访时间7.5个月，总体缓解率57.1%，非常好的部分缓解及以上（≥VGPR）比例38.1%，完全缓解及以上（≥CR）比例19.0%
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 研究2_MMY1010.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	PAVO是一项II期单臂临床研究，纳入25例复发/难治多发性骨髓瘤患者。中位随访14.2个月时，Dara SC 1800mg组的总缓解率（ORR）为52%，其中≥CR率为4%，≥VGPR率为32%。IRR发生率为16%
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 研究3_PAVO.pdf
试验类型4	非RCT队列研究
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	PLEIADES一项多中心II期临床研究表明，适合移植的新诊断多发性骨髓瘤组，中位随访3.9个月DVRd总缓解率97%，≥CR率16.4%；IRR发生率9%。不适合移植的新诊断多发性骨髓瘤组，中位随访14.3个月D-VMP总缓解率89.6%，≥CR率47.8%；IRR发生率9%。既往接受≥1线RRMM患者中，中位随访14.7个月DRd总缓解率93.8%，≥CR率38.5%；IRR发生率4.6%
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 研究4_PLEIADES.pdf
试验类型5	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	泊马度胺和地塞米松
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	APOLLO是一项III期随机对照临床研究，共纳入304例复发/难治多发性骨髓瘤患者，其中DPd组151例，Pd组153例。中位随访30.7个月时，DPd组显著延长患者的PFS（DPd组12.1个月，Pd组7.0个月）。中位随访39.6个月时，D-Pd组的中位PFS2相比Pd组显著延长；D-Pd组患者的OS较Pd组出现具有临床意义的改善（DPd组34.4个月，Pd组23.7个月）
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 研究5_APOLLO.pdf

试验类型6	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	硼替佐米联合马法兰和泼尼松
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	ALCYONE研究对象为不适合移植的新诊断多发性骨髓瘤患者，经研究者判断适合的D-VMP组患者可自任何周期的第1天起转为DARA SC给药：57例从IV给药转为SC给药，转换后中位随访3.7个月，SC中位给药时间为5分钟。转为SC给药的患者（中位给药次数为5次）均未出现IRR。在第2剂SC给药之后，有43例（81.1%）患者偏好SC给药；在第4剂SC给药之后，有38例（86.4%）患者偏好SC给药
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 研究6_ALCYONE.pdf
试验类型7	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	来那度胺+地塞米松（Rd）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	MAIA研究（不适合移植的新诊断多发性骨髓瘤患者）中有135例（37%）患者从IV给药转为了SC给药，转换后中位随访7.0个月。DARA SC的中位给药时间为5分钟。转为DARA SC给药的患者（中位给药次数为8次）均未出现IRR。103例（76.3%）患者在转换给药途径后报告了任何级别的TEAE，分别有29例（21.5%）和6例（4.4%）报告了3级和4级TEAE。
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 研究7_MAIA.pdf
试验类型8	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	研究纳入了2020年8月——2020年11月期间美国莱文癌症研究所Dara IV转换为Dara SC或者是首次使用Dara SC（既往未暴露过Dara）的58例浆细胞疾病患者。Dara IV转换为Dara SC的患者比例为62%；85%为MM患者，12为AL患者，3%为原发浆白患者。没有患者出现IRR，患者可以从Dara IV转为Dara SC，而不需要监测或加强前期用药。
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 研究8_美国真实世界研究.pdf
试验类型9	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	日本一项真实世界研究纳入了12例2021年6月至2022年5月期间在神户市医疗中心综合医院从DARA IV转为SC的MM患者。在为期6个月的安全性评估中，除一例中性粒细胞减少症外，未观察到新出现的3级AE。这些结果表明，从DARA IV转换为DARA SC后，患者可以耐受，且DARA SC的给药时间较短，无IRR事件发生。
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 研究9_日本真实世界研究.pdf
试验类型10	单个样本量足够的RCT

试验对照药品	硼替佐米联合环磷酰胺和地塞米松
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	入组388例新诊断系统性轻链型淀粉样变患者的ANDROMEDA三期RCT临床研究表明，与VCd组相比，D-VCd组血液学CR率更高（60% vs. 19%）。亚洲人群中位随访25.8个月时，DVCd组的血液学CR率较VCd组更高（69% vs 16%）；18个月器官缓解率DVCd组高于VCd组（心脏：67% vs 10%；肾脏62% vs 38%），DVCd显著延缓患者主要器官恶化的无进展生存期
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 研究10_ANDROMEDA_JSH.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	中国多发性骨髓瘤诊治指南（2022版）1.不适合移植患者初始诱导方案可以选用：达雷妥尤单抗/马法兰/醋酸泼尼松/硼替佐米、达雷妥尤单抗/来那度胺/地塞米松 2.首次复发患者尽可能选用含蛋白酶体抑制剂（卡非佐米、伊沙佐米、硼替佐米）、免疫调节剂（泊马度胺、来那度胺）、达雷妥尤单抗以及核输出蛋白抑制剂（塞利尼索）等3~4药联合化疗
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 指南1-中国多发性骨髓瘤诊治指南2022年修订.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	美国NCCN 多发性骨髓瘤指南2024.v4版 适合移植的NDMM患者推荐Dara-VRd方案；不适合移植的NDMM患者中I级推荐Dara-Rd方案，也同时推荐Dara-VMP方案；复发难治MM患者中I级推荐Dara-Kd、Dara-Rd、Dara-Pd、Dara-Vd方案。任何含有Dara的联合治疗方案既可以是静脉注射也可以是皮下注射，相较于Dara静脉注射，皮下注射的给药方式和装置有所不同
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 指南2-美国NCCN多发性骨髓瘤指南2024v4版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	欧洲ESMO 多发性骨髓瘤指南 适合移植的NDMM患者中诱导方案首选推荐Dara-VTd；不适合移植的NDMM患者首选推荐Dara-Rd和Dara-VMP。首次复发的RRMM患者中以达雷妥尤单抗为基础的多项方案也均为I类推荐。
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 指南3-欧洲ESMO多发性骨髓瘤指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2021年中国系统性轻链型淀粉样变性诊断和治疗指南 推荐达雷妥尤单抗皮下制剂+VCd方案作为所有初治AL淀粉样变患者（适合移植和不适合移植）的首选方案。
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 指南4-2021年中国系统性轻链型淀粉样变性诊断和治疗指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	2024年v2版NCCN系统性轻链型淀粉样变指南 推荐达雷妥尤单抗皮下制剂+VCd方案作为Mayo I - IIIA期初治轻链型淀粉样变首选方案；III B期患者推荐达雷妥尤单抗皮下制剂（剂量调整）+VCd、达雷妥尤单抗单药方案；有严重神经病变的患者推荐达雷妥尤单抗单药方案。
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 指南5-2024年v2版NCCN系统性轻链型淀粉样变指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	中国多发性骨髓瘤诊治指南（2022版） 1.不适合移植患者初始诱导方案可以选用：达雷妥尤单抗/马法兰/醋酸泼尼松/硼替佐米、达雷妥尤单抗/来那度胺/地塞米松 2.首次复发患者尽可能选用含蛋白酶抑制剂（卡非佐米、伊沙佐米、硼替佐米）、免疫调节剂（泊马度胺、来那度胺）、达雷妥尤单抗以及核输出蛋白抑制剂（塞利尼索）等3~4药联合化疗
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 指南1-中国多发性骨髓瘤诊治指南2022年修订.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	美国NCCN 多发性骨髓瘤指南2024.v4版 适合移植的NDMM患者推荐Dara-VRd方案；不适合移植的NDMM患者中 I 级推荐Dara-Rd方案，也同时推荐Dara-VMP方案；复发难治MM患者中 I 级推荐Dara-Kd、Dara-Rd、Dara-Pd、Dara-Vd方案。任何含有Dara的联合治疗方案既可以是静脉注射也可以是皮下注射，相较于Dara静脉注射，皮下注射的给药方式和装置有所不同
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 指南2-美国NCCN多发性骨髓瘤指南2024v4版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	欧洲ESMO 多发性骨髓瘤指南 适合移植的NDMM患者中诱导方案首选推荐Dara-VTd；不适合移植的NDMM患者首选推荐Dara-Rd和Dara-VMP。首次复发的RRMM患者中以达雷妥尤单抗为基础的多项方案也均为 I 类推荐。
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 指南3-欧洲ESMO多发性骨髓瘤指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2021年中国系统性轻链型淀粉样变性诊断和治疗指南 推荐达雷妥尤单抗皮下制剂+VCd方案作为所有初治AL淀粉样变患者（适合移植和不适合移植）的首选方案。
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 指南4-2021年中国系统性轻链型淀粉样变性诊断和治疗指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	2024年v2版NCCN系统性轻链型淀粉样变指南 推荐达雷妥尤单抗皮下制剂+VCd方案作为Mayo I -III A期初治轻链型淀粉样变首选方案；III B期患者推荐达雷妥尤单抗皮下制剂（剂量调整）+VCd、达雷妥尤单抗单药方案；有严重神经病变的患者推荐达雷妥尤单抗单药方案。
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 指南5-2024年v2版NCCN系统性轻链型淀粉样变指南.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	审评认可达雷妥尤单抗SC+CyBorD 联合治疗可明显改善轻链淀粉样患者早期临床获益：与CyBorD治疗相比，达雷妥尤单抗SC联合CyBorD治疗的总体CHR率明显改善(试验组vs对照组)（东亚亚组58.6%vs 9.7%；中国亚组66.7% vs0）；东亚亚组中位随访时间9.4个月时，MOD PFS的HR为0.21，达雷妥尤单抗SC+CyBorD组未达到中位MOD PFS，CyBorD组为13.47个月。 Dara-SC与Dara-IV单药治疗在既往至少接受3种治疗的多发性骨髓瘤患者中的早期临床缓解获益具有等效：与Dara-IV组相比，在Dara-SC组中观测到的ORR数值更高（41.1% vs. 37.1%）。中位总随访时间为7.46个月，两个治疗组的中位PFS相当（SC 5.59月, IV 6.08月），中位随访期为29.3个月时，SC 组的中位OS为28.2月，（IV 组为25.6 月)中国患者接受皮下制剂治疗后可以获得与全球人群一样的临床获益趋势。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 上市技术审评报告.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	审评认可达雷妥尤单抗SC+CyBorD 联合治疗可明显改善轻链淀粉样患者早期临床获益：与CyBorD治疗相比，达雷妥尤单抗SC联合CyBorD治疗的总体CHR率明显改善(试验组vs对照组)（东亚亚组58.6%vs 9.7%；中国亚组66.7% vs0）；东亚亚组中位随访时间9.4个月时，MOD PFS的HR为0.21，达雷妥尤单抗SC+CyBorD组未达到中位MOD PFS，CyBorD组为13.47个月。 Dara-SC与Dara-IV单药治疗在既往至少接受3种治疗的多发性骨髓瘤患者中的早期临床缓解获益具有等

效：与Dara-IV组相比，在Dara-SC组中观测到的ORR数值更高（41.1% vs. 37.1%）。中位总随访时间为7.46个月，两个治疗组的中位PFS相当（SC 5.59月, IV 6.08月），中位随访期为29.3个月时，SC组的中位OS为28.2月，（IV组为25.6月）中国患者接受皮下制剂治疗后可以获得与全球人群一样的临床获益趋势。

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 上市技术审评报告.pdf

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	本品的安全性特征与静脉制剂相似，但IRR发生率较低（较静脉剂型降低62%）。根据汇总临床试验中患者数据可知，最常见的不良反应（≥20%）包括中性粒细胞减少症、上呼吸道感染、输注相关反应、血小板减少症、贫血、腹泻、便秘和疲乏。肾功能不全是多发性骨髓瘤常见的并发症，本药在肾损害患者中给药方案与正常患者一致（详见说明书）
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	达雷妥尤单抗是一种人抗CD38人源性单克隆抗体，为多发性骨髓瘤的治疗提供了一种新的作用机制。已在多发性骨髓瘤人群中证实了稳健的临床活性。此外，近期研究表明，达雷妥尤单抗联合硼替佐米、环磷酰胺和地塞米松治疗新诊断的淀粉样轻链淀粉样变性患者具有稳健的临床获益。已充分表征了达雷妥尤单抗治疗后的安全性特征。重要已识别风险包括乙型肝炎病毒再激活和血型分型干扰（次要抗原）（间接库姆斯试验阳性），在临床上是可控的。总体而言，达雷妥尤单抗在获批适应症中的获益风险特征被认为是有益的
相关报导文献	↓ 下载文件 达雷妥尤单抗皮下注射安全性支持文件结论.pdf

四、创新性信息

创新程度	治疗原发性轻链型淀粉样变获优先审评资格，治疗用生物制品2.2类，专利期至2036年 双重作用机制，从疾病源头靶向克隆性浆细胞，减少游离轻链产生和沉积并调节免疫，带来4.3倍血液学缓解，7倍心脏缓解，降低79%主要器官恶化导致的进展或死亡风险 重组人透明质酸酶实现剂型创新，促进药物吸收，增加药物生物利用度，多发性骨髓瘤治疗实现皮下给药取代静脉给药，与静脉剂型转化无风险，降低62%输注相关不良反应
创新性证明文件	↓ 下载文件 机制创新.pdf
应用创新	全球首个中国唯一CD38单抗皮下剂型，升级骨髓瘤治疗模式 唯一获批原发性轻链型淀粉样变药物，填补临床空白 便捷性高：固定剂量给药仅3-5分钟(对比静脉5-7小时)，无需配药、无余液管理/药物浪费，使门诊/日间病房治疗成为可能 安全性佳：为因容量管理而无法接受静脉治疗的心肾合并症患者提供最佳治疗方案 医疗资源利用效率高：医生首次和后续治疗工作时间分别减少63.8%、49.5%，患者椅位时间减少97%
应用创新证明文件	↓ 下载文件 应用创新.pdf
传承性（仅中成药填写）	-
传承性证明文件	-

五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	1. 《“健康中国2030”规划纲要》中明确“完善罕见病用药保障政策”，达雷妥尤单抗（皮下注射）为原发性轻链型淀粉样变(第一批罕见病目录)唯一获批药物，填补临床空白，急需纳入目录 2. “健康中国2030”指出，到2030年总体癌症5年生存率提高15%。目前，多发性骨髓瘤总体患者5年生存率仅为24.8%，达雷妥尤单抗实现最长生存获益，急需纳入目录
符合“保基本”原则描述	1. 纳入医保将替换目录内静脉剂型药物，不增加基金支出。原发性轻链型淀粉样变为罕见病（第一批罕见病目录），基金支出十分有限 2. 皮下剂型能有效节省不良反应处理、置管护理及住院相关费用，优化医疗资源与医保基金使用效率
弥补目录短板描述	1. 原发性轻链型淀粉样变属罕见病(第一批罕见病目录)，尚无任何产品获批。本药为全球首个且唯一获批治疗药物，解决患者无药可治的困境 2. 达雷妥尤单抗静脉剂型给药耗时长（5-7小时）且增加毒性和感染的风险，患者生活质量欠佳。达雷妥尤单抗皮下剂型仅需3-5分钟给药，大幅降低患者及医生治疗时间 3. 对因容量管理而无法接受静脉治疗的心肾合并症患者，静脉大液体量治疗易引起容量超负荷风险，皮下提供更好方案
临床管理难度描述	1. 给药仅需3-5分钟（对比静脉剂型需5-7小时），显著减少医护人员工作时间及椅位占用时间 2. 按固定剂量给药，无需

额外稀释配液，减少给药误差风险和配置负担 3. 皮下注射显著减轻液体输注负荷，是容量超负荷风险患者的更好选择，肾功不全患者 无需减少剂量，便于临床管理 4. 全球上市4年，不良反应安全可控