

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：注射用贝林妥欧单抗

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 14:12:18	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)	注射用贝林妥欧单抗	医保药品分类与代码	XL01XCB246B001010178217
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3.1类		
核心专利类型1	适应症专利 (CN102209729B)	核心专利权期限届满日1	2029-11
核心专利类型1	适应症专利 (CN102209729B)	核心专利权期限届满日1	2029-11
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	35 µg/瓶，每盒含有1瓶冻干粉和1瓶静脉输注溶液稳定剂		
上市许可持有人(授权企业)	Amgen Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	用于治疗成人和儿童复发或难治性CD19阳性的前体B细胞急性淋巴细胞白血病。【注：①儿童用药：贝林妥欧单抗是国内首个且唯一儿童复发或难治性前体B细胞急性淋巴细胞白血病(R/R B-ALL)免疫治疗药物。②填补空白：填补医保目录内费城染色体阴性(ph-)B-ALL成人患者的免疫治疗空白。③增加治疗方案：为医保目录内费城染色体阳性(ph+)B-ALL患者使用TKI药物不耐受或耐药患者增加治疗方案，指南推荐贝林妥欧单抗与TKI药物联用方案。ph+急性淋巴细胞白血病为少见的亚型，仅约占儿童患者3%，成人患者25%。贝林妥欧单抗费城染色体阳性患者相关研究入组患者均为TKI伊马替尼耐药的患者。】		
说明书用法用量	①贝林妥欧单抗的剂量选择根据体重是否超过45kg进行划分，≥45kg体重的患者接受固定剂量给药，<45kg体重的患者根据体表面积计算剂量。患者在第1周期的第1-7天从低剂量起始，体重≥45kg者给予固定剂量9µg/日，<45kg者根据体表面积给予5µg/m ² /日；第1周期8-28天及后续的治疗周期1-28天均给予足剂量(即≥45kg者28µg/日，<45kg者15µg/m ² /日)。②1个疗程包括最多2个周期的诱导治疗、3个周期的巩固治疗及最多4个周期的维持治疗。1个诱导或巩固治疗周期由28天的连续静脉输注期，以及随后14天的无治疗间歇期组成(共42天)，1个维持治疗周期由28天的连续静脉输注期，以及随后56天的无治疗间歇期组成(共84天)。③成人患者在本品每个周期第1次给药前1小时、升高剂量前(例如第1周期第8日)，以及中断治疗4小时或以上后重启输注时，预先给予20mg的地塞米松。儿科患者在本品第1个周期内第1次给药前，升高剂量前(例如第1周期第8日)，以及第1个周期内中断治疗4小时或以上后重启输注时，预先给与地塞米松5mg/m ² ，最大剂量20mg。【注：贝林妥欧单抗治疗复发或难治性淋巴细胞白血病患者关键临床研究中，主要研究中对于完全缓解率的评估基于前2个周期，中位治疗1-2个周期，所有获得完全缓解的患者在2个周期内实现，真实世界的用药结局与临床研究一致。达到缓解后可根据患者情况桥接移植或后续治疗。中国真实世界用药数据调研结果显示，患者平均用药不超过1个周期。】		
所治疗疾病基本情况	急性淋巴细胞白血病(ALL)是一种罕见的起源于骨髓造血组织的侵袭性恶性肿瘤。我国ALL发病率0.69/10万，发病率低，儿童发病率2.17/10万。50%成人B-ALL患者和20%儿童B-ALL患者会复发或原发耐药。按发病率推算复发或难治B-ALL患者成人约3,000人，儿童1,300人。复发或难治ALL预后极差，二次或以上复发患者中位OS仅3个月，复发患者5年生存率小于10%。		
中国大陆首次上市时间	2020-12	注册号/批准文号	国药准字SJ20200026

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	2014-12
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	无同药理作用的药品。①R/R B-ALL治疗领域在目录内无公认的标准治疗方案，贝林妥欧单抗是R/R B-ALL免疫治疗突破创新药物。②贝林妥欧单抗是全球首个且唯一获批的CD3-CD19双特异性抗体。③贝林妥欧单抗是目前国内唯一获批儿童R/R B-ALL适应症的免疫治疗药物。		
企业承诺书	↓ 下载文件	1-1企业承诺书.pdf	
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件	1-2药品法定说明书.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	1-3进口药品注册证书.pdf	
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件	注射用贝林妥欧单抗PPT1.pdf	
申报药品摘要幻灯片（不含经济性/价格费用信息）将同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件	注射用贝林妥欧单抗PPT2.pdf	

参照药品信息

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)
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：① 目录内无公认的标准治疗方案，本品突破创新，填补空白；②全球首个且唯一CD3-CD19双抗，近二十年首个获批用于R/R B-ALL免疫治疗药物；③国内唯一获批用于儿童R/R B-ALL的免疫治疗药物

其他情况请说明：-

二、有效性信息

试验类型1	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	已发表中国真实世界研究，患者中位治疗1个周期：纳入43例在2021.8-2023.6月使用贝林妥欧单抗的R/R B-ALL患者，中位治疗1个周期，患者在接受贝林妥欧单抗治疗后接受化疗、桥接移植或CART。R/R患者CR/CRi率50%，微小残留病灶（MRD）转阴率64.2%，巩固治疗MRD转阴率90.9%，中位无事件生存期（EFS）未达到，1年EFS率为55.1%（95%CI：30%，74%）。
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 2-1-1中国真实世界研究.pdf
试验类型2	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	中国上市后真实世界用药数据市场调研，平均用药小于1个周期：调研了33家医院使用贝林妥欧单抗的168例患者（122成人，46儿童），贝林妥欧单抗对于R/R患者挽救治疗缓解率76%，缓解患者76.7%MRD转阴，成人平均用药天数18.37天，儿童平均用药天数19.2天。贝林妥欧单抗用药后49.4%的患者桥接移植。
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 2-1-2中国真实世界用药数据调研结果.pdf
试验类型3	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	美国真实世界研究，中位治疗2个周期：入组239例成人B-ALL患者。R/R患者缓解率为65%，中位无复发生存期（RFS）和OS分别为32.1个月和12.7个月。R/R Ph+ B-ALL患者亚组中，23/55例（42%）接受贝林妥欧单抗联合TKI治疗，CR/CRi率83%。126例接受贝林妥欧单抗作为首次挽救治疗，CR/CRi率70%，51例作为二次挽救治疗，CR/CRi率65%。
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 2-1-3美国真实世界研究.pdf
试验类型4	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	第一个验证贝林妥欧单抗治疗中国成人R/R B-ALL疗效的临床研究：20130316研究是一项多中心单臂研究，验证了贝林妥欧单抗在中国成人患者人群中的突出疗效。贝林妥欧单抗治疗2个周期内的CR率41%，CR/CRh率为46%，CR/CRh/CRi率为59%，CR/CRh患者MRD缓解率为83%，中位OS为9.2个月，中位RFS为4.3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 2-1-4中国成人患者-20130316研究.pdf
试验类型5	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	填补成人Ph- R/R B-ALL治疗空白的临床证据：MT103-211研究是一项多中心单臂研究，贝林妥欧单抗治疗2周期后

	43%患者达到CR/CRh，其中79%在第1个周期达到。73例在前2个周期达到CR/CRh的患者可评估MRD。其中60例（82%）达到MRD阴性，59例在第1周期，1例在第2周期。82例CR/CRh患者中位无复发生存期为5.9个月，所有患者中位OS为6.1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 2-1-5成人费城染色体阴性患者-MT103-211研究.pdf
试验类型6	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	第一个评估贝林妥欧单抗治疗成人R/R Ph+B-ALL疗效的临床研究：ALCANTARA研究是一项开放标签的II期研究，对贝林妥欧单抗用于成人R/R Ph+B-ALL治疗的有效性进行评价。45例患者中，16例（36%）在前2个周期实现CR/CRh（包括10例伴T315I突变的患者），88%的CR/CRh应答者达到了完全的MRD缓解。中位RFS和OS分别为6.7个月和7.1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 2-1-6成人费城染色体阳性TKI治疗失败患者-ALCANTARA研究.pdf
试验类型7	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	化疗
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	成人Ph-R/R B-ALL临床研究：TOWER研究是一项随机对照、多中心III期研究，治疗12周内（2周期内），贝林妥欧单抗对比化疗CR率34% vs 16%（CR/CRh/CRi: 44% vs 25%），显著延长EFS（估计6个月EFS率31% vs 12%）、中位缓解持续时间（7.3个月vs 4.6个月）和中位OS（7.7个月 vs 4.0个月）。首次挽救治疗使用本品生存获益更优。
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 2-1-7成人费城染色体阴性患者-TOWER研究.pdf
试验类型8	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	儿童患者研究：RIALTO是一项开放标签、单臂研究，28天<患者年龄<18岁。R/R ALL患儿使用贝林妥欧单抗，110例入组患者中有57例（52%）达到了CR且MRD缓解。中位OS14.6月，在2个周期后达到CR的患者73.5%进行了移植，前2个周期达到CR的患者中位RFS为8.5个月，贝林妥欧单抗治疗后接受移植患者1年OS率为87%。
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 2-1-8儿童患者-RIALTO研究.pdf
试验类型9	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	R/R ALL儿童患者（<18岁）临床研究：MT103-205研究是一项开放标签、单臂、I/II期研究。70例患儿使用推荐剂量贝林妥欧单抗，其中27例（39%）患者在前2个周期中达到CR，14例（53%）达到MRD完全缓解，达到CR患者中位RFS

贝林妥欧单抗，其中27例（59%）患者在治疗同期内达到CR，14例（52%）达到MRD完全缓解。达到CR患者中位RFS为4.4个月。所有70例患者中位OS7.5个月。13例CR患者在诱导治疗缓解期接受异基因造血干细胞移植。

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](#) 2-1-9儿童患者-MT103-205研究.pdf

试验类型10 单个样本量足够的RCT

试验对照药品 化疗

试验阶段 上市前

对主要临床结局指标改善情况

儿童患者研究：20120215研究是一项多中心、随机III期研究，入组108例首次复发高危B-ALL患儿，28天<年龄<18岁，中位随访22.4个月。贝林妥欧单抗vs化疗，24个月EFS率66.2%vs27.1%，贝林妥欧单抗显著降低事件发生风险达67%。MRD缓解率90%vs54%，24个月累计复发率24.9%vs70.8%。长期随访显示31个月时贝林妥欧单抗EFS（63%vs37%）和OS更优。

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](#) 2-1-10儿童患者-20120215研究.pdf

试验类型1 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

已发表中国真实世界研究，患者中位治疗1个周期：纳入43例在2021.8-2023.6月使用贝林妥欧单抗的R/R B-ALL患者，中位治疗1个周期，患者在接受贝林妥欧单抗治疗后接受化疗、桥接移植或CART。R/R患者CR/CRi率50%，微小残留病灶（MRD）转阴率64.2%，巩固治疗MRD转阴率90.9%，中位无事件生存期（EFS）未达到，1年EFS率为55.1%（95%CI：30%，74%）。

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](#) 2-1-1中国真实世界研究.pdf

试验类型2 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

中国上市后真实世界用药数据市场调研，平均用药小于1个周期：调研了33家医院使用贝林妥欧单抗的168例患者（122成人，46儿童），贝林妥欧单抗对于R/R患者挽救治疗缓解率76%，缓解患者76.7%MRD转阴，成人平均用药天数18.37天，儿童平均用药天数19.2天。贝林妥欧单抗用药后49.4%的患者桥接移植。

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](#) 2-1-2中国真实世界用药数据调研结果.pdf

试验类型3 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

美国真实世界研究，中位治疗2个周期：入组239例成人B-ALL患者。R/R患者缓解率为65%，中位无复发生存期（RFS）和OS分别为32.1个月和12.7个月。R/R Ph+ B-ALL患者亚组中，23/55例（42%）接受贝林妥欧单抗联合TKI治疗。

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 2-1-3美国真实世界研究.pdf
试验类型4	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	第一个验证贝林妥欧单抗治疗中国成人R/R B-ALL疗效的临床研究：20130316研究是一项多中心单臂研究，验证了贝林妥欧单抗在中国成人患者人群中的突出疗效。贝林妥欧单抗治疗2个周期内的CR率41%，CR/CRh率为46%，CR/CRh/CRi率为59%，CR/CRh患者MRD缓解率为83%，中位OS为9.2个月，中位RFS为4.3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 2-1-4中国成人患者-20130316研究.pdf
试验类型5	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	填补成人Ph- R/R B-ALL治疗空白的临床证据：MT103-211研究是一项多中心单臂研究，贝林妥欧单抗治疗2周期后43%患者达到CR/CRh，其中79%在第1个周期达到。73例在前2个周期达到CR/CRh的患者可评估MRD。其中60例（82%）达到MRD阴性，59例在第1周期，1例在第2周期。82例CR/CRh患者中位无复发生存期为5.9个月，所有患者中位OS为6.1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 2-1-5成人费城染色体阴性患者-MT103-211研究.pdf
试验类型6	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	第一个评估贝林妥欧单抗治疗成人R/R Ph+B-ALL疗效的临床研究：ALCANTARA研究是一项开放标签的II期研究，对贝林妥欧单抗用于成人R/R Ph+B-ALL治疗的有效性进行评价。45例患者中，16例（36%）在前2个周期实现CR/CRh（包括10例伴T315I突变的患者），88%的CR/CRh应答者达到了完全的MRD缓解。中位RFS和OS分别为6.7个月和7.1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 2-1-6成人费城染色体阳性TKI治疗失败患者-ALCANTARA研究.pdf
试验类型7	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	化疗
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	成人Ph-R/R B-ALL临床研究：TOWER研究是一项随机对照、多中心III期研究，治疗12周内（2周期内），贝林妥欧单抗

	对比化疗CR率34% vs 16% (CR/CRh/CRi: 44% vs 25%) , 显著延长EFS (估计6个月EFS率31% vs 12%) 、中位缓解持续时间 (7.3个月vs 4.6个月) 和中位OS (7.7个月 vs 4.0个月) 。首次挽救治疗使用本品生存获益更优。
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 2-1-7成人费城染色体阴性患者-TOWER研究.pdf
试验类型8	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	儿童患者研究：RIALTO是一项开放标签、单臂研究，28天<患者年龄<18岁。R/R ALL患儿使用贝林妥欧单抗，110例入组患者中有57例 (52%) 达到了CR且MRD缓解。中位OS14.6月，在2个周期后达到CR的患者73.5%进行了移植，前2个周期达到CR的患者中位RFS为8.5个月，贝林妥欧单抗治疗后接受移植患者1年OS率为87%。
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 2-1-8儿童患者-RIALTO研究.pdf
试验类型9	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	R/R ALL儿童患者 (<18岁) 临床研究：MT103-205研究是一项开放标签、单臂、I/II 期研究。70例患儿使用推荐剂量贝林妥欧单抗，其中27例 (39%) 患者在前2个周期内达到CR，14例 (52%) 达到MRD完全缓解。达到CR患者中位RFS为4.4个月。所有70例患者中位OS7.5个月。13例CR患者在诱导治疗缓解期接受异基因造血干细胞移植。
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 2-1-9儿童患者-MT103-205研究.pdf
试验类型10	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	化疗
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	儿童患者研究：20120215研究是一项多中心、随机III期研究，入组108例首次复发高危B-ALL患儿，28天<年龄<18岁，中位随访22.4个月。贝林妥欧单抗vs化疗，24个月EFS率66.2%vs27.1%，贝林妥欧单抗显著降低事件发生风险达67%。MRD缓解率90%vs54%，24个月累计复发率24.9%vs70.8%。长期随访显示31个月时贝林妥欧单抗EFS (63%vs37%) 和OS更优。
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 2-1-10儿童患者-20120215研究.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《CSCO恶性血液病诊疗指南2024》-成人复发难治急性淋巴细胞白血病：I级推荐R/R Ph- B-ALL和R/R Ph+ B-ALL患者的挽救治疗。
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 2-2-1CSCO恶性血液病诊疗指南2024.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2	《NCCN成人急性淋巴细胞白血病临床实践指南（2024v1）》：1类推荐R/R Ph- B-ALL挽救治疗，2A类推荐R/R Ph+ B-ALL挽救治疗。
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 2-2-2NCCN指南-成人急性淋巴细胞白血病-2024v1.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	中华医学会《中国成人急性淋巴细胞白血病诊断与治疗指南（2021年版）》：推荐贝林妥欧单抗为基础的挽救治疗。
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 2-2-3中华医学会-成人急性淋巴细胞白血病.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《CSCO儿童及青少年白血病诊疗指南2023》：II级推荐中危、高危患者治疗，可选择参加正在进行的临床试验，如贝林妥欧等。
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 2-2-4CSCO儿童及青少年白血病诊疗指南2023.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《NCCN儿童急性淋巴细胞白血病临床实践指南（2024v5）》：2A类推荐首次复发巩固治疗，移植后复发挽救治疗，多次难治复发挽救治疗。
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 2-2-5NCCN指南-儿童急性淋巴细胞白血病-2024v5.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《CSCO恶性血液病诊疗指南2024》-成人复发难治急性淋巴细胞白血病：I级推荐R/R Ph- B-ALL和R/R Ph+ B-ALL患者的挽救治疗。
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 2-2-1CSCO恶性血液病诊疗指南2024.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《NCCN成人急性淋巴细胞白血病临床实践指南（2024v1）》：1类推荐R/R Ph- B-ALL挽救治疗，2A类推荐R/R Ph+ B-ALL挽救治疗。
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 2-2-2NCCN指南-成人急性淋巴细胞白血病-2024v1.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	中华医学会《中国成人急性淋巴细胞白血病诊断与治疗指南（2021年版）》：推荐贝林妥欧单抗为基础的挽救治疗。
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 2-2-3中华医学会-成人急性淋巴细胞白血病.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《CSCO儿童及青少年白血病诊疗指南2023》：II级推荐中危、高危患者治疗，可选择参加正在进行的临床试验，如贝林妥欧等。
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 2-2-4CSCO儿童及青少年白血病诊疗指南2023.pdf

资料须同时提供原文及中文翻译件)	
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《NCCN儿童急性淋巴细胞白血病临床实践指南(2024v5)》:2A类推荐首次复发巩固治疗,移植后复发挽救治疗,多次难治复发挽救治疗。
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 2-2-5NCCN指南-儿童急性淋巴细胞白血病-2024v5.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	成人:①中国研究的CR/CRh率为47.8%(32/67;95%CI:35.4,60.3),达到主要疗效终点。29例受试者(43.3%)达到CR,3例受试者(4.5%)达到CRh,另有1例受试者达到CRi。中位OS为9.6个月(95%CI:6.4,无法估计)【2023.5成人适应症获得常规批准,详见说明书】。②贝林妥欧单抗药物治疗在有效性方面的临床价值是明确的。将中国研究与全球研究和日本研究进行有效性结果比较,各项研究都获得了相似的CR/CRh率,中国研究的RFS也和全球研究相似。③所有临床研究中获得CR/CRh的患者中有一部分接受了HSCT治疗,中国研究中有一部分患者接受了CAR-T治疗,给受试者争取到接受移植和新方法治疗的时机,也是这个产品治疗价值之一。儿童:对现有治疗手段反应不佳或既往接受多重治疗后仍然复发难治的儿童ALL患者,接受本品治疗可获得优于历史数据的完全缓解率,给这些缺少安全有效治疗手段的患者提供了持续缓解的生存机会或接受下一次造血干细胞移植的机会。贝林妥欧单抗可以给复发难治性儿童ALL患者带来更高的深度缓解,明显降低复发率,延长患者长期生存获益。
---------------------------------	---

《技术审评报告》原文(可节选)	↓ 下载文件 2-3技术评审报告.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	成人:①中国研究的CR/CRh率为47.8%(32/67;95%CI:35.4,60.3),达到主要疗效终点。29例受试者(43.3%)达到CR,3例受试者(4.5%)达到CRh,另有1例受试者达到CRi。中位OS为9.6个月(95%CI:6.4,无法估计)【2023.5成人适应症获得常规批准,详见说明书】。②贝林妥欧单抗药物治疗在有效性方面的临床价值是明确的。将中国研究与全球研究和日本研究进行有效性结果比较,各项研究都获得了相似的CR/CRh率,中国研究的RFS也和全球研究相似。③所有临床研究中获得CR/CRh的患者中有一部分接受了HSCT治疗,中国研究中有一部分患者接受了CAR-T治疗,给受试者争取到接受移植和新方法治疗的时机,也是这个产品治疗价值之一。儿童:对现有治疗手段反应不佳或既往接受多重治疗后仍然复发难治的儿童ALL患者,接受本品治疗可获得优于历史数据的完全缓解率,给这些缺少安全有效治疗手段的患者提供了持续缓解的生存机会或接受下一次造血干细胞移植的机会。贝林妥欧单抗可以给复发难治性儿童ALL患者带来更高的深度缓解,明显降低复发率,延长患者长期生存获益。
---------------------------------	---

《技术审评报告》原文(可节选)	↓ 下载文件 2-3技术评审报告.pdf
-----------------	--------------------------------------

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	【主要风险】细胞因子释放综合征,神经系统毒性,感染,肿瘤溶解综合征,中性粒细胞减少症和发热性中性粒细胞减少症,对驾驶和使用机械能力的影响,肝酶升高,胰腺炎,白质脑病。【注意事项】除了以上列出的风险外,还包括配制和给药错误,及免疫接种。【禁忌症】本品禁止用于已知对贝林妥欧单抗或制剂中任何成分过敏的患者。【药物相互作用】开始治疗时导致的细胞因子短暂释放可能会抑制CYP450酶。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	近5年来,各国监管机构未就本品发布过安全警告,黑框警告或撤市信息。在最新一期定期获益-风险评估报告(PBRER)中,基于全球安全性数据,本品的获益风险特征仍然是获益大于风险。本品于中国上市至今,基于已收集到的安全性数据,尚未发现新的安全性风险。
相关报导文献	↓ 下载文件 3-1定期获益风险评估报告摘要.pdf

四、创新性信息

创新程度	①贝林妥欧单抗是全球首个且唯一获批的CD3-CD19双特异性抗体;②贝林妥欧单抗经优先审评在国内上市;③获FDA“突破性疗法”认证,获医药和生物医疗行业的最高荣誉-“医药界的诺贝尔奖”盖伦奖;④获FDA和EMA孤儿药认证。
创新性证明文件	↓ 下载文件 4-1创新性证明文件.pdf

应用创新	①适应人群广，适应于儿童、老年人群，不需要减量。②作为“即用”的标准化药物无需等待制备，尤其是对于疾病恶性度高、进展迅速的前体B细胞急性淋巴细胞白血病患者来说，相比CAR-T应用更加便捷。③药物半衰期短，不良反应易控易管理，剂量调整灵活，严重血液学不良反应低，安全性更加可控。④适用于肝功能不好的患者，不增加肝静脉栓塞症（VOD）风险。⑤患者可根据实际情况选择院内或院外输注。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 4-2应用创新证明文件.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急性淋巴细胞白血病发病率低，死亡率高，1-4岁为发病高峰，复发或难治患者五年OS率低于10%，儿童用药保障意义重大。②中国急性淋巴细胞白血病造成的人均潜在生命损失年高达36.3年。
符合“保基本”原则描述	①保障儿童用药是保基本的重要部分；②复发或难治成人患者3000人，儿童患者1300人，适应症患者人数少，基金影响有限；③本药当前价格已为全球最低，为可参考国家/地区平均健保价格的51%；④可参考国家/地区（包括我国台湾、香港）已将本药纳入医保，实践显示患者平均用药不超过2个周期。
弥补目录短板描述	目录内无有效的药物治疗手段，本药是R/R B-ALL领域免疫治疗突破性里程碑药物，填补目录空白。①贝林妥欧单抗是全球首个且唯一的CD3-CD19双特异性抗体；②国内唯一获批用于儿童复发或难治患者的免疫治疗药物，同时覆盖成人患者；③安全性好、疗效突出，开启ALL免疫治疗新时代。
临床管理难度描述	①医保经办审核难度小：医保管理难度小，遵守给药方案可降低风险；疾病急骤，多需要住院，患者用药可根据疾病进展及实际情况在院内或院外输注。②适应症明确，无临床滥用风险：CD19是急性淋巴细胞白血病免疫治疗的首选靶点，本药精准靶向CD3和CD19，复发或难治人群有明确临床指征。③患者人数少，实际用药周期可控，国内外真实世界研究、临床实践及可参考国家/地区医保支付均证明实际平均用药小于2个周期。