

# 聚乙二醇重组人生长激素注射液（金赛增®）

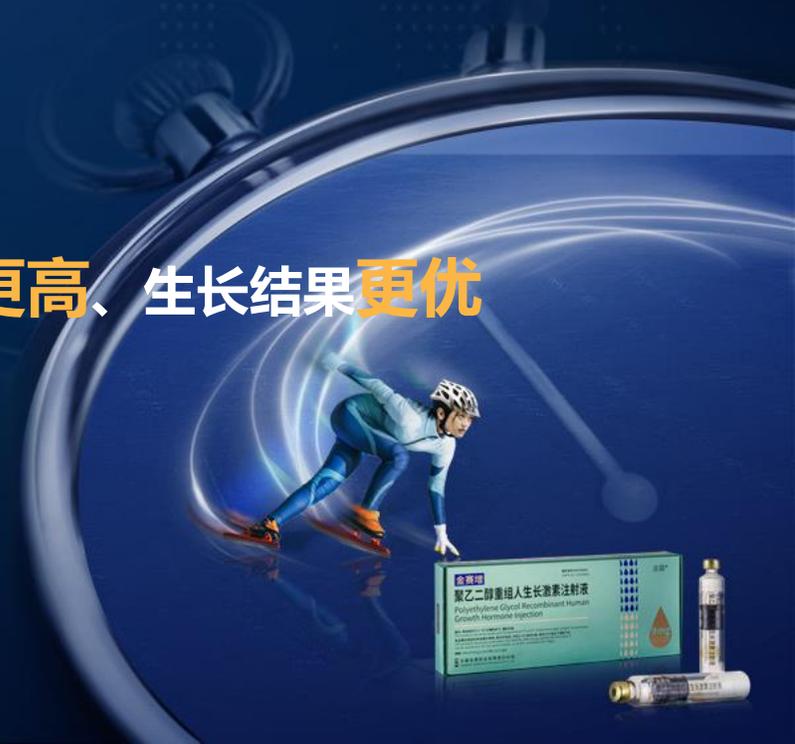
全球首个PEG长效生长激素，引领生长激素跨入周制剂治疗新时代

荣获国家科技进步二等奖，完全自主知识产权的创新药

创新且唯一U型PEG结构，实现半衰期与活性的完美结合

显著减少注射次数（52针 VS 365针），依从性更好、安全性更高、生长结果更优

长春金赛药业有限责任公司



# 全球首个PEG长效生长激素，供应有保障，儿童罕见病患者的更优选择！

01

基本信息

全球首个PEG长效生长激素，结束60多年每日注射历史

适应症：内源性生长激素缺乏（GHD）所引起的儿童生长缓慢，儿童罕见病

02

有效性

生长速率达13.41 cm/年，对比短效显著更优 ( $p < 0.05$ )，IGF-1升高更快 ( $p < 0.05$ )，更适合起始用药

疗效、安全性经长期、大样本真实世界临床用药检验

国内外权威指南/共识一致推荐，作为生长激素缺乏患者的更优推荐

03

安全性

安全性良好，与目录内短效生长激素一致，且相较同类长效生长激素安全性更好

04

创新性

荣获国家科技进步二等奖，完全自主知识产权的创新药

创新且唯一U型PEG修饰，实现半衰期与活性完美结合，结构天然无蓄积，100%纯度无抗体，

05

公平性

显著减少注射次数（52针 VS 365针），弥补目录内短效生长激素短板

替代目录内药品，基金影响可控

## 基本信息

【通用名】	聚乙二醇重组人生长激素注射液
【申报目录类别】	基本医保目录&商保创新药目录
【注册分类】	治疗用生物制品
【注册规格】	27IU/4.5mg/0.5ml/瓶、54IU/9.0mg/1.0ml/瓶
【中国大陆首次上市时间】	2014-01-06
【全球首个上市国家】	中国
【目前大陆地区同通用名药品的上市情况】	共0家
【是否OTC药品】	否

### 【适应症】

- 内源性生长激素缺乏（GHD）所引起的儿童生长缓慢，**建议纳入医保目录**；
- 性腺发育不全（特纳综合征，TS）所致女孩的生长障碍，**不建议纳入医保目录**；
- 特发性身材矮小（ISS），**不建议纳入医保目录**

### 【用法用量】

用法：皮下注射（上臂、大腿或腹部脐周），每周给药1次

用量：①GHD：0.2mg/kg/周；②TS：0.2mg/kg/周，建议用至骨骺闭合，或遵医嘱；③ISS：0.2mg/kg/周，建议用至骨骺闭合，或遵医嘱。以上3个适应症均可根据患儿治疗反应个体化调整剂量

## 参照药品

### 【建议参照药】人生长激素(重组人生长激素)注射液（短效水针）

- **医保目录内**：2009年纳入，用于生长激素缺乏症，与本次申报产品适应症相同
- **与本品最相似**：有效成分均为生长激素，作用机制相同、剂型一致
- **临床“金标准”**：临床应用最广泛、市场份额最大；国内外权威指南一致推荐；头对头临床试验对照组（GHD）

### 【对比参照药品的优势】

- **更高安全性，降低不良反应风险**：较日制剂降低免疫原性，抗体检出率为0，且一周一次给药无蓄积，长期用药更安全
- **更少注射次数，提升生活质量**：较日制剂**每年减少313次注射**（52针 vs 365针），显著提升依从性，长期治疗提高患儿及家庭生活质量
- ✓ **更高依从性，改善治疗效果**：相比重组人生长激素短效剂型，**生长速率和身高标准差积分改善均显著更优**



# 矮小损害身心健康，短效生长激素漏针严重影响疗效，亟需提升依从性 以改善治疗效果、减轻疾病负担



基本信息  
(2/2)

## 疾病基本情况

### □ 主要表现

- GHD是由垂体前叶分泌的生长激素不足所致的一种内分泌代谢性疾病，是罕见病的一种，以身材矮小为突出症状，发病率为1/8646<sup>1</sup>
- TS是一种女性表型的先天性染色体异常疾病，属罕见病范畴，主要表现为矮身材、性腺发育不良及一些特殊躯体特征等，发病率在活产女婴中约1/4000<sup>2</sup>；ISS指暂时未明原因的矮身材状态，患病率约1.92%<sup>3-4</sup>

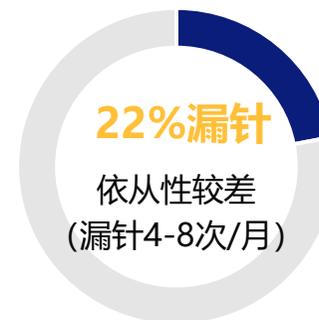
### □ 疾病负担

- 持续存在且未治疗的GHD，可引起成年期代谢紊乱、心血管疾病风险升高，严重的还可能影响患儿神经发育和免疫功能，同时引发心理健康问题，降低患者生活质量和寿命，**患儿治疗需求高**<sup>5-6</sup>

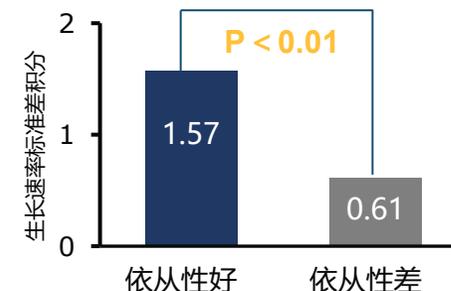
## 临床未满足需求

- **短效制剂每日注射，疾病负担沉重**：患者多为儿童，日制剂注射次数高（365次/年），患儿心理负担重，同时增加注射感染和断针风险及由此导致的额外费用，疾病负担沉重<sup>7</sup>
- **依从性差，影响治疗效果**：短效制剂漏针现象非常普遍且严重，依从性差将直接影响疗效<sup>8-9</sup>

调研显示短效制剂 22%患者  
严重漏针



漏针严重影响疗效



1、北京城区青少年生长激素缺乏侏儒发病率的调查  
2、Gravholt CH, et al. Eur J Endocrinol, 2017, 177 (3) : G1 G70.  
3、Li F, et al, 2021 Jan 25;5(2):140-147  
4、儿童特发性矮身材诊断与治疗中国专家共识  
5、COLLETT-SOLBERG P F, et al. Horm Res Paediatr, 2019, 92(1): 1-14.

6、生长激素缺乏性矮小患儿的免疫状态  
7、KAPLOWITZ P, et al. J Manag Care Spec Pharm, 2021, 27(8): 1118-28.  
8、安永报告：2020年开展的一项关于中国生长激素使用患者情况的群体调研，共计有效样本2864份  
9、Cutfield WS, et al. PLoS One 2011; 6:e16223.5.

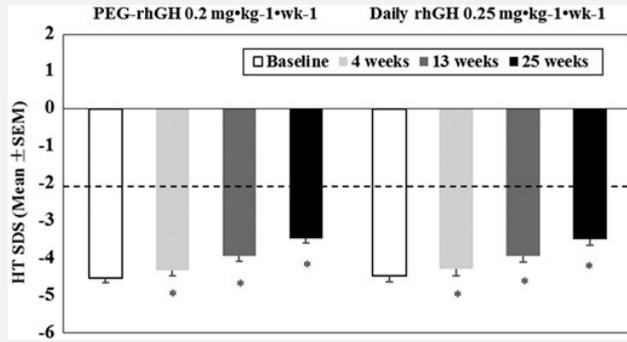
# 生长激素缺乏症：本品相比短效制剂，起效更快，疗效更优，更适合起始用药，疗效、安全性经真实世界检验



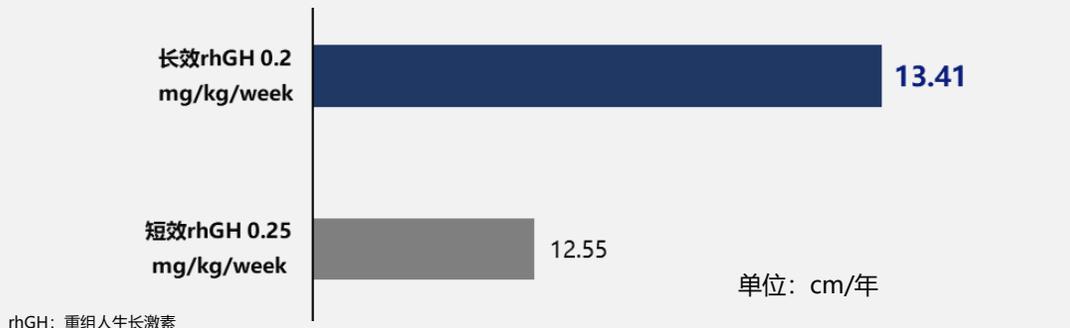
有效性  
(1/3)

生长激素缺乏症 (GHD)：全国6所医院开展的随机、双盲、头对头临床研究 (N=343) <sup>1</sup>

身高标准差积分：显著提升，治疗后第4周，13周，25周均优于短效制剂 (P < 0.05)，达1.06



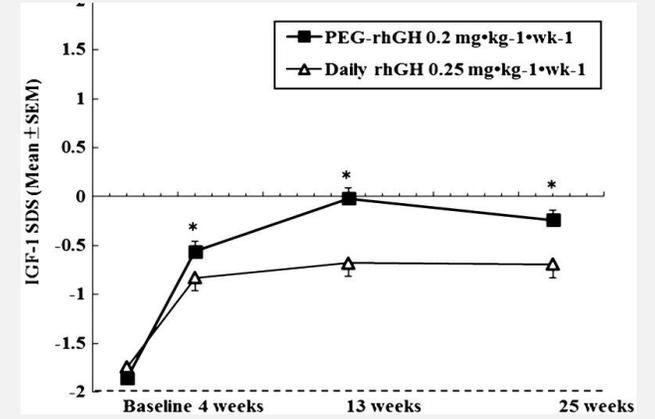
生长速率：达13.41cm/年，显著更优 (P < 0.05)，治疗3年平均生长速率达8.5cm/年



rhGH: 重组人生长激素

IGF-1标准差积分

- 治疗第4周即提升，显著优于短效制剂
- 整个治疗过程中在所有评估点均更优 (P < 0.01)



- 大型真实世界研究 (全国81个医学中心、1170例GHD儿童、治疗3年) 验证本品长期疗效和安全性<sup>2</sup>
- 5年长期回顾性研究：疗效持续，长期治疗身高持续增长，安全性良好，且有利于改善脂代谢<sup>3</sup>

1. Luo X, et al. Eur J Endocrinol. 2017 Aug;177(2):195-205.  
 2. Hou L, et al. J Clin Endocrinol Metab. 2023 Jul 14;108(8):2078-2086.  
 3. Hou L, et al. J Pediatr Endocrinol Metab. 2024;37(10):892-899.



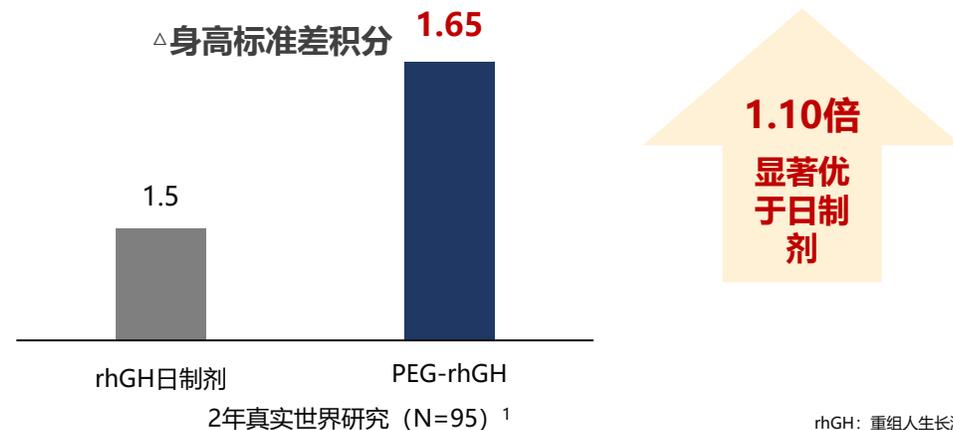
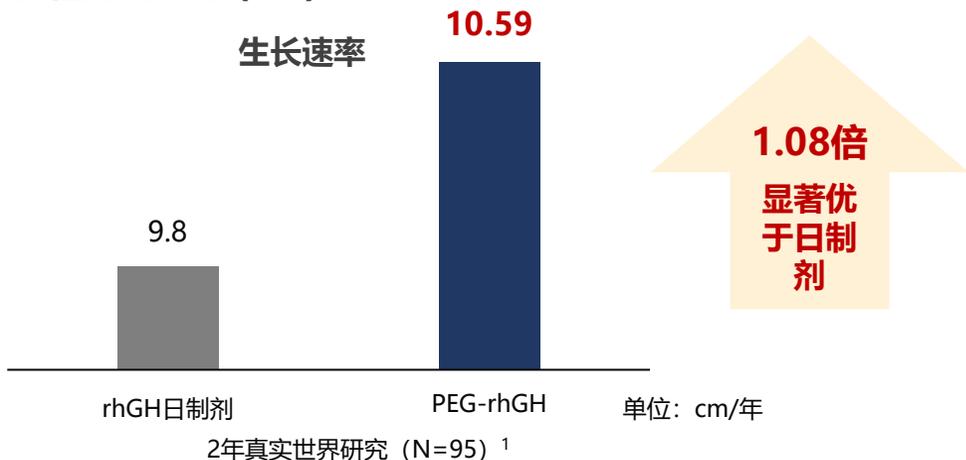
# 特发性身材矮小&特纳综合征（不建议纳入）：



有效性  
(2/3)

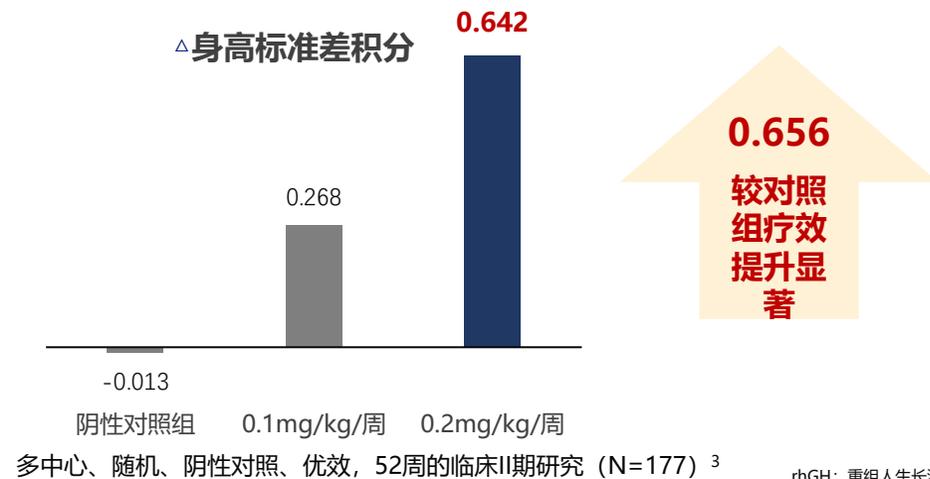
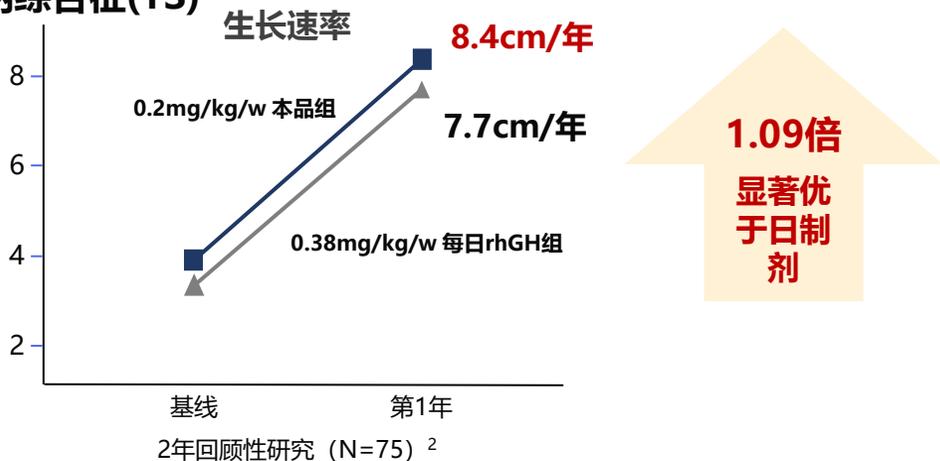
## 本品相比短效制剂，疗效同样更优，结果具有统计学差异

### 特发性身材矮小(ISS)



rhGH: 重组人生长激素

### 特纳综合征(TS)



rhGH: 重组人生长激素

1、Xie L, et al. Eur J Pediatr. 2024;183(10):4531-4539.  
 2、Gao X, et al. Horm Metab Res. 2022 Jun;54(6):e5.  
 3、聚乙二醇重组人生长激素注射液说明书



有效性  
(3/3)

# 获国内外权威指南/共识一致推荐，显著减少注射频率，减轻治疗负担，患儿的更优选择



国内指南

## 中华医学会儿科学分会内分泌遗传代谢学组 — 《中国儿童生长激素缺乏症诊治指南》（2024年）

- **长效和短效生长激素的疗效和安全性相当，两者都是生长激素缺乏症患者临床可选择的治疗方案。**且长效生长激素可降低注射频率，有助于减轻患儿心理负担及家庭照顾负担，从而提高患儿及家庭的依从性
- 在选择生长激素治疗方案时，**应考虑患儿的年龄、病程、生长发育状况，患儿及家庭的心理接受度、经济状况以及对治疗依从性的要求等因素**

国外共识

## 国际儿科内分泌学共识专家组 — 《儿童生长激素缺乏症中的长效生长激素治疗：共识声明》（2025年）

- 与短效制剂相比，长效生长激素制剂**在减少注射频率和治疗负担方面对生长激素缺乏症儿童具有潜在优势，长期可能改善依从性和治疗结局**



# 安全性良好，与目录内短效生长激素一致，且相较同类长效生长激素更优



安全性  
(1/1)

## 说明书记载的安全性良好

生长激素缺乏症：

- 基本为轻度至中度，如用药初期，少数患者或许会出现一过性外周水肿，极少数患者或有注射部位反应、一过性关节肿痛和一过性胰岛素升高，均为一过性发生，不需处理，可自行缓解<sup>1</sup>
- III期头对头临床试验结果表明，与短效制剂相比，无新增不良反应，在安全性评价方面无统计学差异<sup>2</sup>

## 安全性经大样本、长期真实世界验证

- 自2014年获批上市以来，未查询到国内外监管部门发布的任何关于本品的安全性警告、黑框警告及撤市信息
- 已上市10余年，安全性经长期真实世界临床验证
- 5年真实世界研究共纳入1207例GHD儿童受试者，研究期间药物相关严重AEs发生率为0，药物相关导致停药的AE发生率为0，且无新发或复发肿瘤发生<sup>3</sup>

1、聚乙二醇重组人生长激素注射液药品说明书  
 2、Luo X, et al. Eur J Endocrinol. 2017 Aug;177(2):195-205  
 3、Wu W, et al. Eur J Pediatr. 2025;184(7):434.

## 安全性更优 VS 同类长效生长激素<sup>1-7</sup>

免疫原性更低

半衰期稳定  
无体内蓄积

不良反应更少

应用经验更足

	聚乙二醇重组人生长激素注射液	CDE批准上市的同类长效生长激素注射液
抗体检出率	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 临床III期<sup>2</sup>: 0</li> <li>• 真实世界研究: 0 (近3000例内部数据, 暂未公开)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 临床III期<sup>5</sup>: 0</li> <li>• 无真实世界研究</li> </ul>
半衰期	32.19±4.58h	53.4-200h
药物蓄积指数	1.03 (无蓄积)	1.44 (有蓄积)
与药品相关的严重不良反应	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 临床III期<sup>2</sup>: 0%</li> <li>• 3年、5年真实世界<sup>3,4</sup>: 0%</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 临床III期<sup>5</sup>: 0.4%</li> <li>• 无真实世界研究</li> </ul>
与药品相关的导致停药的AE	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 临床III期<sup>2</sup>: 未提及</li> <li>• 3年、5年真实世界<sup>3,4</sup>: 0%</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 临床III期<sup>5</sup>: 暂时停药: 10.0%; 永久停药: 1.5%</li> <li>• 无真实世界研究</li> </ul>
常见不良反应	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 临床III期<sup>2</sup>: 基本为轻度至中度, 多为一过性, 注射部位各种反应(0.88%), 无丙氨酸氨基转移酶升高、天门冬氨酸氨基转移酶升高</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 临床III期<sup>5</sup>: 注射部位各种反应(9.6%)、丙氨酸氨基转移酶升高(1.1%)、天门冬氨酸氨基转移酶升高(1.1%)、关节痛(1.1%)</li> </ul>
上市时间	2014年1月	2025年5月
真实世界	已累计10w+患者	待验证

4、Liang Y, et al. J Clin Endocrinol Metab. 2025;110(8):e2605-e2613.  
 5、Hou L, et al. Drug Des Devel Ther. 2015 Dec 18;10:13-21.  
 6、怡培生长激素注射液说明书  
 7、Li L, et al. Curr Drug Metab. 2013 Jun;14(5):605-15.

- ✓ **全球首个PEG长效生长激素，获国家科技进步二等奖，完全自主知识产权创新药**
- ✓ **保障儿童罕见病人群用药需求，实现更优依从性与生长结果**
- ✓ **建成国际规模最大中试和生产基地，实现100%纯度PEG自研自产**

U型PEG修饰，  
实现半衰期与活性完美结合



适度延长半衰期至32h  
**实现长效化<sup>1</sup>**

掩盖药物表面抗原决定簇  
**降低免疫原性<sup>2</sup>**

- ✓ **每年减少313次注射**，极大减轻注射痛苦和心理负担，显著提升依从性，提高家庭生活质量<sup>3</sup>
- ✓ 提高依从性以提升疗效，相比短效制剂，**生长速率和身高标准差积分改善均显著更优<sup>4</sup>**
- ✓ 0抗体检出率，一周一次给药无蓄积，**长期用药更安全<sup>5-6</sup>**

应用  
创新

- ✓ 配备隐针电子笔，减少恐针、减轻痛感，智能化剂量更精准，患儿使用体验更佳
- ✓ 全程赠送针头，杜绝重复使用染菌风险，提高注射安全，每年节省患者费用达千元
- ✓ 可在开启后继续保存使用（2~8℃保存8周/25℃及以下保存7天），减少药品浪费<sup>1</sup>

1、聚乙二醇重组人生长激素注射液药品说明书  
2、Webster R, et al. Drug Metab Dispos 2007;35:9-16  
3、曾佩佩等. "重组人生长激素治疗对特发性矮小症儿童心理状态影响的分析." 中国儿童保健杂志 29.1(2021):5.

4、Luo X, et al. Eur J Endocrinol. 2017 Aug;177(2):195-205.  
5、罗小平. 聚乙二醇重组人生长激素注射液治疗儿童 GHD 四期临床研究. 中华医学会第二十四次全国儿科学术大会. 2019  
6、Hou L, et al. Drug Des Devel Ther. 2015 Dec 18;10:13-21.

## 弥补目录短板

- 目录内仅有短效生长激素，需每日注射，患者心理负担重影响生活质量，且依从性差直接降低治疗效果
- 本品采用创新U型PEG修饰，仅需每周给药一次，显著提升依从性以改善患者获益，弥补目录短板

## 符合“保基本”原则

- 较现有治疗显著提高患者生存质量，充分保障GHD罕见病患者的合理用药需求
- 有效避免短效生长激素因注射感染和高断针风险所致额外治疗费用
- 本品是对目录内药品的替代，医保基金影响可控

## 提升公众健康水平

- GHD为罕见病，除身材矮小外还会导致代谢紊乱、心血管疾病风险升高，同时引发心理健康问题，给患者带来持续的身心健康损害
- 本品作为疗效安全性更优的治疗手段，为患儿带来长远综合获益

## 医保管理难度小

- 本品获批适应症明确，指南推荐明晰，无临床滥用风险
- 用法用量明确，且每周仅需给药1次，患者依从性好，便于临床管理

恳请各位专家支持，为儿童罕见病患者提供  
疗效更优、安全性更佳的治疗选择！

