

2025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：托夫生注射液

企业名称：渤健生物科技（上海）有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-18 13:49:20	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- ☒ 1.2020年1月1日至2025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。
- ☐ 2.2020年1月1日至2025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药品。
- ☐ 3.2025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。
- ☐ 4.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入国家卫生健康委等部门《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》《第五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。
- ☒ 5.2025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国家卫生健康委等部门《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）	托夫生注射液	医保药品分类与代码	XN07XXT226B002010185353
药品类别	西药	是否为独家	是
申报目录类别	商保创新药目录		
① 药品注册分类	化学药品5.1类		
核心专利类型1	药物活性成分化合物专利：ZL 2015 8 0024405.1	核心专利权期限届满日1	2035-04
核心专利类型1	药物活性成分化合物专利：ZL 2015 8 0024405.1	核心专利权期限届满日1	2035-04
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	15ml: 0.1g		
上市许可持有人（授权企业）	Biogen MA Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	本品用于治疗携带超氧化物歧化酶 1（SOD1）基因突变的肌萎缩侧索硬化（ALS）成人患者。 本品为附条件批准上市，有效性和安全性尚待上市后进一步确证。		
说明书用法用量	本品应在临床医生的指导下使用。 推荐剂量： 每次给药的推荐剂量为100 mg（15 mL）。 起始治疗应每14天给予一次负荷剂量，三次负荷剂量后，每28天给予一次维持剂量。 治疗维持时间： 应定期评估是否需要持续治疗，并且根据患者对治疗的表现和反应进行个体考虑。 给药方法： 本品应经鞘内注射给药，由有腰椎穿刺经验的临床医生进行给药或在其指导下进行。在配制和鞘内注射本品时，请使用无菌技术。		
所治疗疾病基本情况	肌萎缩侧索硬化，简称ALS，又称渐冻症，是一种严重致死性神经退行性疾病。被纳入《第一批罕见病目录》。临床以进行性发展的骨骼肌无力、萎缩、肌束颤动、延髓麻痹等为主要临床表现，平均发病年龄约50岁，随疾病进展，患者生活无法自理。大多数患者3-5年内死于呼吸衰竭。我国整体ALS发病率约为1.62/十万，患病率约3/十万。SOD1-ALS由SOD1基因突变引起，其发病机制为突变的SOD1蛋白异常聚集导致上下运动神经元损伤。中国SOD1-ALS约占所有ALS的2%-3%，约800-1200人。		
中国大陆首次上市时间	2024-09	注册证号/批准文号	国药准字HJ20240102
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	2023-04
是否为OTC	否		
同疾病治疗领域内或同药理作用	目前除托夫生外，临床无其他针对SOD1-ALS的特异性治疗药物。ALS现有药物包括利鲁唑和依达拉奉，其治疗ALS的作		

药品上市情况	用机制尚不完全明确，临床获益有限，且非针对SOD1-ALS。托夫生是首个靶向SOD1基因突变的ALS治疗药物，通过降解SOD1 mRNA减少致病蛋白，直接针对疾病的遗传原因。其优势在于机制、靶点明确，并在临床试验中显示出对疾病生物标志物（如NfL：神经丝蛋白轻链）的显著改善，提示具有减缓疾病进展的潜力。托夫生为附条件批准上市。	
企业承诺书	↓ 下载文件	渤健-企业承诺书-已盖章.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件	20240926托夫生注射液说明书-final.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《药品补充申请批准通知书》《药品再注册批准通知书》，请扫描成一个文件后上传	↓ 下载文件	20240926托夫生注射液药品注册证书-国药准字HJ20240102.pdf
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件	托夫生注射液PPT1.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件	托夫生注射液PPT2.pdf

参照药品信息

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	金额（元） ^①	疗程/周期 ^①
空白	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：目前除托夫生外无SOD1-ALS对因治疗药物上市。利鲁唑和依达拉奉不适用作为参照药：1非针对SOD1-ALS的靶向药物；2其治疗ALS作用机制尚不明确；3临床获益有限：利鲁唑仅能延长生存期2-3个月；依达拉奉仅可减缓特定ALS人群的病情进展。

其他情况请说明：托夫生具有明确且独特的作用机制，即通过降解 SOD1 mRNA，减少 SOD1 蛋白合成，从而降低毒性 SOD1 蛋白蓄积；关键临床试验和多项真实世界研究验证了其治疗SOD1-ALS的临床效果；是目前唯一获得 2024 EAN ALS管理指南强烈推荐的 SOD1-ALS一线治疗药物。中国ALS治疗相关的指南（2012版）和专家共识（2022版）尚未更新

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	早期启动托夫生治疗 vs 延迟启动托夫生治疗（原安慰剂组转为托夫生治疗）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	根据VALOR研究及其OLE148周终期分析显示与延迟用药相比，早期起始治疗可减缓疾病进展。早期治疗组的血浆NfL水

	平降低了67%，在ALSFRS-R评分、呼吸功能（SVC）和肌肉力量（HHD）上均观察到减缓恶化趋势，显示出长期治疗获益。早期治疗组的死亡或永久通气风险呈降低趋势（HR 0.64）。尤其在快速进展亚组，早期治疗将无事件生存期延长了约3.4年。
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 译稿-原文-3-CT91-European-Network-for-the-Cure-of-ALS-ENC-ALS-meeting-2025.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	早期启动托夫生治疗 vs 延迟启动托夫生治疗（原安慰剂组转为托夫生治疗）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	VALOR研究OLE 52周中期分析显示，早期治疗组血浆NfL水平持续降低，ALSFRS-R评分、呼吸功能（SVC）和肌肉力量（HHD）等其他临床终点观察到有利于早期治疗的趋势。这些探索性数据提示了长期治疗的潜在临床益处。
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 译稿-原文-2-VAOLR研究-Miler-TM-New-EnglJMed-2022.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	VALOR研究中，主要疗效终点为ALSFRS-R总评分自基线至第28周的变化，托夫生治疗28周显著降低血浆NfL（神经元轴突损伤的生物标志物）水平达55%，而安慰剂组NfL水平增加12%（差异为60%；P≤0.0001）。NfL降低提示神经元损伤减少，是预测临床获益合理依据。在mITT人群，与安慰剂组相比，托夫生组 ALSFRS-R 较基线下降幅度未达统计学显著性（差异1.2分）。
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的	↓ 下载文件 译稿-原文-2-VAOLR研究-Miler-TM-New-EnglJMed-2022.pdf
一致性、准确性和客观性）	
试验类型4	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	RCTs Meta分析: 安慰剂; 治疗前后Meta分析: 治疗前自身对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	共纳入了12项研究，涉及195名接受托夫生治疗的SOD1-ALS患者。荟萃分析显示，与安慰剂相比，托夫生显著减缓了ALSFRS-R评分的下降（SMD=0.44, P=0.03）和慢肺活量（SVC）的恶化（SMD=0.53, P=0.005）。治疗后患者疾病进展速率也显著降低（P<0.0001）。生物标志物方面，治疗使脑脊液中SOD1蛋白水平降低约30-35%，显著降低血浆神经丝轻链（NfL）水平。
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（除英语之外的外文资料，中文	↓ 下载文件 译稿-原文-4-Hamad-AA-et-al-Neurological-Sciences-2025.pdf

翻译件须经专业翻译机构认证， 以保证涉外资料原件与翻译件的 一致性、准确性和客观性)	
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无（观察性研究，与治疗前自身对照）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	德国一项多中心观察性研究（n=16，至少治疗6个月，平均11个月，最长18个月）显示，托夫生治疗期间，ALS进展率 (ALS-PR, ALSFRS-R月度变化)平均减缓0.2分/月（相对减缓25%）。16名患者中，7名患者ALSFRS-R评分增加，1名患者保持不变。呼吸功能保持稳定。除1名患者外，所有患者的血清NfL水平平均下降（平均降幅58%，p<0.01）。患者报告结局也显示出积极趋势。
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 （除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证， 以保证涉外资料原件与翻译件的 一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 译稿-原文-5-德国18个月-Meyer-T-et-al-Muscle-Nerve-2024-Sep.pdf
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	无（观察性研究）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	德国多中心队列研究（n=24，中位观察期6个月）显示，托夫生治疗期间，患者中位ALSFRS-R评分从基线38分降至35分，中位月度进展速率为0.11分，较治疗前（中位0.41分/月）显著减缓（p=0.04）。血清NfL中位水平从78.0 pg/ml降至36.0 pg/ml (p=0.02)，CSF pNfH中位水平从2226 pg/ml降至1151 pg/ml (p=0.02)。结果与三期研究一致
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 （除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证， 以保证涉外资料原件与翻译件的 一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 译稿-原文-6-2024-德国EAP12个月-Wiesenfarth-M-et-al-EClinicalMedicine-2024-Feb-15.pdf
试验类型7	真实世界数据
试验对照药品	治疗前自身对照（回顾性数据）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	一项意大利多中心回顾性观察研究纳入17名接受托夫生治疗至少48周（中位84周）的SOD1-ALS患者。与治疗前1年相比，治疗期间ALSFRS-R月度进展率（中位数从0.25降至0.00，p=0.023）和MRC评分月度进展率（中位数从0.54降至0.10，p=0.007）均显示统计学显著减缓。17名患者中有9名病情基本稳定或轻微改善。几乎所有患者的CSF和血清NfL水平均显著下降。
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 （除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证， 以保证涉外资料原件与翻译件的 一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 译稿-原文-7-2024-意大利-Sabatelli-M-et-al-J-Neurol-2024-Aug.pdf
试验类型8	真实世界数据

试验对照药品	无（治疗前自身对照/预期进展率）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	美国一项单中心回顾性观察研究纳入7名接受托夫生治疗SOD1-ALS患者（平均治疗持续时间18.4个月）。所有患者血清NfL（平均降幅57.9%）和CSF pNFH（平均降幅67.6%）均显著且持续下降。ALSFRS-R总分显示疾病稳定（平均变化1.1分）。功能独立性测量运动评分显著改善（平均增加5.13分）。研究认为托夫生治疗可带来有意义的功能保留，部分患者神经功能持续改善。
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 译稿-原文-8-美国-Smith-SE-et-al-Ann-Clin-Transl-Neurol-2025-Feb.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	早期启动托夫生治疗 vs 延迟启动托夫生治疗（原安慰剂组转为托夫生治疗）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	根据VALOR研究及其OLE148周终期分析显示与延迟用药相比，早期起始治疗可减缓疾病进展。早期治疗组的血浆NfL水平降低了67%，在ALSFRS-R评分、呼吸功能（SVC）和肌肉力量（HHD）上均观察到减缓恶化趋势，显示出长期治疗获益。早期治疗组的死亡或永久通气风险呈降低趋势（HR 0.64）。尤其在快速进展亚组，早期治疗将无事件生存期延长了约3.4年。
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 译稿-原文-3-CT91-European-Network-for-the-Cure-of-ALS-ENC-ALS-meeting-2025.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	早期启动托夫生治疗 vs 延迟启动托夫生治疗（原安慰剂组转为托夫生治疗）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	VALOR研究OLE 52周中期分析显示，早期治疗组血浆NfL水平持续降低，ALSFRS-R评分、呼吸功能（SVC）和肌肉力量（HHD）等其他临床终点观察到有利于早期治疗的趋势。这些探索性数据提示了长期治疗的潜在临床益处。
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 译稿-原文-2-VAOLR研究-Miler-TM-New-EnglJMed-2022.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	VALOR研究中，主要疗效终点为ALSFRS-R总分自基线至第28周的变化，托夫生治疗28周显著降低血浆NfL（神经元轴突损伤的生物标志物）水平达55%，而安慰剂组NfL水平增加12%（差异为60%；P < 0.0001）。NfL降低提示神经元损伤

	减少，是预测临床获益合理依据。在mITT 人群，与安慰剂组相比，托夫生组 ALSFRS-R 较基线下降幅度未达统计学显著性（差异1.2分）。
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 译稿-原文-2-VAOLR研究-Miler-TM-New-EnglJMed-2022.pdf
试验类型4	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	RCTs Meta分析: 安慰剂; 治疗前后Meta分析: 治疗前自身对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	共纳入了12项研究，涉及195名接受托夫生治疗的SOD1-ALS患者。荟萃分析显示，与安慰剂相比，托夫生显著减缓了ALSFRS-R评分的下降（SMD=0.44, P=0.03）和慢肺活量（SVC）的恶化（SMD=0.53, P=0.005）。治疗后患者疾病进展速率也显著降低（P<0.0001）。生物标志物方面，治疗使脑脊液中SOD1蛋白水平降低约30-35%，显著降低血浆神经丝轻链（NfL）水平。
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 译稿-原文-4-Hamad-AA-et-al-Neurological-Sciences-2025.pdf
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无（观察性研究，与治疗前自身对照）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	德国一项多中心观察性研究（n=16，至少治疗6个月，平均11个月，最长18个月）显示，托夫生治疗期间，ALS进展率(ALS-PR, ALSFRS-R月度变化)平均减缓0.2分/月（相对减缓25%）。16名患者中，7名患者ALSFRS-R评分增加，1名患者保持不变。呼吸功能保持稳定。除1名患者外，所有患者的血清NfL水平平均下降（平均降幅58%，p<0.01）。患者报告结局也显示出积极趋势。
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 译稿-原文-5-德国18个月-Meyer-T-et-al-Muscle-Nerve-2024-Sep.pdf
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	无（观察性研究）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	德国多中心队列研究（n=24，中位观察期6个月）显示，托夫生治疗期间，患者中位ALSFRS-R评分从基线38分降至35分，中位月度进展速率为0.11分，较治疗前（中位0.41分/月）显著减缓（p=0.04）。血清NfL中位水平从78.0 pg/ml降至36.0 pg/ml (p=0.02)，CSF pNFH中位水平从2226 pg/ml降至1151 pg/ml (p=0.02)。结果与三期研究一致
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（除英语之外的外文资料，中文	↓ 下载文件 译稿-原文-6-2024-德国EAP12个月-Wiesenfarth-M-et-al-EClinicalMedicine-2024-Feb-15.pdf

翻译件须经专业翻译机构认证， 以保证涉外资料原件与翻译件的 一致性、准确性和客观性)	
试验类型7	真实世界数据
试验对照药品	治疗前自身对照（回顾性数据）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	一项意大利多中心回顾性观察研究纳入17名接受托夫生治疗至少48周（中位84周）的SOD1-ALS患者。与治疗前1年相比，治疗期间ALSFRS-R月度进展率（中位数从0.25降至0.00，p=0.023）和MRC评分月度进展率（中位数从0.54降至0.10，p=0.007）均显示统计学显著减缓。17名患者中有9名病情基本稳定或轻微改善。几乎所有患者的CSF和血清NfL水平均显著下降。
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 （除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证， 以保证涉外资料原件与翻译件的 一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 译稿-原文-7-2024-意大利-Sabatelli-M-et-al-J-Neurol-2024-Aug.pdf
试验类型8	真实世界数据
试验对照药品	无（治疗前自身对照/预期进展率）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	美国一项单中心回顾性观察研究纳入7名接受托夫生治疗SOD1-ALS患者（平均治疗持续时间18.4个月）。所有患者血清NfL（平均降幅57.9%）和CSF pNFH（平均降幅67.6%）均显著且持续下降。ALSFRS-R总分显示疾病稳定（平均变化1.1分）。功能独立性测量运动评分显著改善（平均增加5.13分）。研究认为托夫生治疗可带来有意义的功能保留，部分患者神经功能持续改善。
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 （除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证， 以保证涉外资料原件与翻译件的 一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 译稿-原文-8-美国-Smith-SE-et-al-Ann-Clin-Transl-Neurol-2025-Feb.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	2024年欧洲神经病学学会（EAN）发布的ALS管理指南【强烈推荐，++】：强烈推荐托夫生应作为SOD1-ALS患者的一线治疗选择。
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出 （高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件 （除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证， 以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 译稿-原文-9-指南-Euro-J-of-Neurology-2024.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	2024年欧洲神经病学学会（EAN）发布的ALS管理指南【强烈推荐，++】：强烈推荐托夫生应作为SOD1-ALS患者的一线治疗选择。
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出	↓ 下载文件 译稿-原文-9-指南-Euro-J-of-Neurology-2024.pdf

（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	
--	--

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	托夫生注射液（规格：15ml: 0.1g）上市申请（受理号：JXHS2300067）于2024年9月26日获得国家药品监督管理局正式批准，药品批准文号为：国药准字HJ20240102。截至目前，CDE尚未公示其审评报告。
《技术审评报告》原文（可节选）	-
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	托夫生注射液（规格：15ml: 0.1g）上市申请（受理号：JXHS2300067）于2024年9月26日获得国家药品监督管理局正式批准，药品批准文号为：国药准字HJ20240102。截至目前，CDE尚未公示其审评报告。
《技术审评报告》原文（可节选）	-

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	不良反应：最常见不良反应（托夫生组发生率≥10%，且发生率大于安慰剂组）为疼痛（含背痛、肢体痛）、疲劳、关节痛、脑脊液白细胞增加和肌痛。严重不良反应包括脊髓炎（2.7%）、颅内压升高和/或视乳头水肿（2.7%）、神经根炎（1.4%）和无菌性脑膜炎（1.4%）。通过腰椎穿刺给药可能出现头痛、背痛、腰椎穿刺后综合征等不良反应。禁忌：对本品活性成分及任何辅料过敏者禁用。注意事项：已有严重不良反应脊髓炎和/或神经根炎、颅内压升高和/或视神经乳头水肿、无菌性脑膜炎（或化学性脑膜炎）的报告，如出现一致的症状，应进行诊断性检查和治疗，并可能需要中断或停用托夫生。如有临床指征，建议在用药前进行血小板、凝血和尿蛋白检测。对驾驶和使用机器能力有轻微影响。药物相互作用：尚未开展临床药物相互作用研究。体外研究显示托夫生不是主要CYP酶或转运蛋白的底物、抑制剂或诱导剂。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	上市后，全球范围内监管机构（如FDA, EMEA等）未发布与已上市托夫生安全性相关的举措（包括发布的安全性警告，黑框警告，撤市信息）。渤健建立了全球化的药物警戒系统，旨在确保收集、记录和整理来自全球的关于产品的安全和获益-风险信息。托夫生可解决SOD1-ALS人群中显著未满足的医疗需求，基于其良好的疗效结果和可接受的安全性特征。托夫生的定期安全性更新报告（汇总2024年10月24日至2025年4月24日报告期间收到的安全性和效率信息：根据上市数据，全球患者暴露量估计值为67.79患者治疗年，自上市以来累计暴露量约为159.13患者年）评估托夫生的获益-风险评估仍为积极的：基于对长期临床研究（长达360周）和上市后数据的分析，报告期内未发现新的安全性风险，耐受性良好，在本报告期间内，未因安全性原因采取任何措施，未对安全性问题汇总进行变更，也未对托夫生的风险特征提出新的建议。
相关报导文献	↓ 下载文件 Tofersen-PSUR-Submission-Record-20250701.pdf

四、创新性信息

创新程度	托夫生是全球首个获批、目前唯一针对SOD1基因突变的ALS治疗药物，填补临床空白，是由20个核苷酸组成的反义寡核苷酸(ASO)。ASO序列越长特异性、靶向性及稳定性越高。有“用于调节SOD-1表达的组合物专利”。通过与SOD1 mRNA结合，促使其降解，减少毒性SOD1蛋白蓄积，开启ALS对因治疗的创新时代。获得美国FDA优先审评、加速批准和快速通道及欧洲EMA特例批准。
创新性证明文件	↓ 下载文件 译稿-原文-FDA-EMA-integrated-review-特例批准-BMD-52853832.pdf
应用创新	托夫生是针对SOD1-ALS的治疗药物，这是一种致命的神经退行性疾病。本品经鞘内注射直接递送至中枢神经系统，可显著降低神经损伤生物标志物（NfL）水平，减缓疾病进展。维持治疗阶段给药频率为每28天给药一次，有助于提高患者依从性。治疗由医疗专业人员完成，操作技术成熟，无需药师、照护者频繁配置药品或给药。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 托夫生说明-译稿-原文-欧洲指南.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	肌萎缩侧索硬化（ALS）是一种进行性、致死性神经退行性疾病，导致患者逐渐丧失运动功能，最终因呼吸衰竭死亡，给患者、家庭及社会带来巨大经济和身心负担。SOD1-ALS作为其亚型（约占2%-3%），此前缺乏对因靶向治疗。托夫生作为首个靶向SOD1基因突变的药物，可减缓疾病进展，有望延长生存期和改善生存质量，减轻疾病负担，体现了对罕见病患者生命权益的保障和对提升国民健康福祉的积极贡献。
符合“保基本”原则描述	托夫生创新程度高、临床价值大、患者获益显著，符合商保创新药目录准入重点。ALS公众认知度高，SOD1是我国ALS人群最常见的致病基因，托夫生上市填补临床和多层次保障空白。2025年政府工作报告首次提出“制定创新药目录，支持创新药发展”，托夫生上市符合国家《支持创新药高质量发展的若干措施》政策指导方向，助力实现“真支持创新、支持真创新、支持差异化创新”目标。
弥补目录短板描述	当前医保目录中治疗ALS药物（如利鲁唑、依达拉奉）为非特异性治疗，主要用于减缓疾病整体进展，不能针对SOD1-ALS的特定遗传病因。托夫生是首个专门针对SOD1基因突变的靶向治疗药物，通过反义寡核苷酸技术直接干预致病蛋白的产生。它的上市，有效填补了我国医保目录在SOD1-ALS这一特定罕见病亚型治疗领域的空白，为患者提供了精准治疗新选择，满足了迫切的治疗需求。
临床管理难度描述	托夫生注射液的使用严格限定于经基因检测确诊的SOD1基因突变型ALS成人患者，获得欧洲指南明确推荐，其不适用于其他类型ALS，可避免超范围使用。给药方式为鞘内注射，需在有经验的神经内科医师指导下，在具备相应条件的医疗机构进行。需要定期随访，密切监测药物不良反应与治疗获益，具备相应成熟的临床观察指标（如：临床量表及生物标志物）。目前治疗主要集中在部分具备条件的ALS治疗中心，临床可控。