

注射用维拉苷酶 β 注射液 (戈芮宁®)

- 国内首个适用于戈谢病的酶替代疗法为中国1类治疗用生物制品
- 以“临床急需的短缺药品、防治重大传染病和罕见病等疾病的创新药和改良型新药”纳入优先审评审批程序。

北海康成（上海）生物科技有限公司

目录

01 药品基本信息

国内首个适用于戈谢病的酶替代疗法为中国1类治疗用生物制品

02 安全性

安全性和耐受性良好，未见严重安全风险

03 有效性

显著改善脾脏体积、血红蛋白、肝脏体积和血小板计数

04 创新性

自主知识产权，多项发明专利认证

05 公平性

填补了一线治疗药物的空白，惠及中国戈谢病患者

通用名	注射用维拉苷酶β		
适应症	适用于12岁及以上青少年和成人 I 型和III型戈谢病患者的长期酶替代治疗（ERT）		
注册规格	400单位(U)/瓶（冻干制剂）		
用法用量	初治患者的推荐起始剂量为60U/kg，每2周一次。可根据每例患者治疗目标的达到和维持情况进行剂量调整（本品在临床试验中最低有效维持剂量为30U/kg）		
中国大陆首次上市时间	2025年5月13日上市申请（NDA）获国家药监局（NMPA）批准		
全球首个上市国家/地区及时间	中国，2025年5月13日（全球首发）		
目前大陆地区同通用名上市情况	无，本品为独家	是否为OTC药品	否
参照药品建议 无参照药	理由如下： 1. 目录内无适宜治疗药物可比：当前中国大陆医保目录中尚无一线治疗I型和III型戈谢病适应症的特异性疗法药物列入。唯一获批的艾格司他是SRT药物，为I型成人戈谢病患者二线治疗药物，儿童和青少年用药存在巨大临床未满足需求¹ 2. 戈谢病治疗的未满足需求：本品作为中国首个自主研发的酶替代疗法，具有显著的潜力填补现有治疗空白，因此选择空白对照用于分析更具合理性		

1. 中国成人戈谢病诊治专家共识2020

疾病基本情况

戈谢病是一种溶酶体贮积病，由酸性 β -葡糖脑苷脂酶活性缺乏引起，在第一批罕见病目录中位列第31号疾病

- 发病率：全球为0.7-1.75/10万，中国为0.2-0.5/10万¹
- 确诊患者：全球约10万人，中国已登记患者462人（中国流行病学系统登记2021年登记患者数量）²
- 各地区发病率不同，东亚地区II型和III型比例较高，可能达30%-50%¹
- 以**幼儿和青少年居多**，50%的患者在**1-5岁**出现明显症状¹

严重威胁患者的生命健康和生活质量^{2,3}，有效干预可逆转病程：

- 脏器受累：脾脏体积可增大至正常的15倍(最高可达75倍)，肝脏增大至2-3倍。
- 骨骼并发症：76%-94%的I型患者会出现骨病，50%需手术或关节置换。
- 血液系统症状：血小板减少导致严重贫血。

未满足的需求

临床急需

- **ERT是戈谢病的标准治疗**，是国内外各项指南推荐的一**线治疗**。目前目录内没有ERT治疗药物。
- 目录内没有用于**儿童和青少年I型戈谢病及III型戈谢病**相关的治疗药物，无法控制疾病进展。未治疗患者青少年期面临较高死亡风险，生活质量显著下降
- 脾肿大、血小板减少引起的出血风险、骨危象、骨坏死、肺动脉高压、肝肺综合征等**严重并发症是导致死亡**的重要原因
- 约 25% 未经酶替代疗法治疗的患者最终需进行脾切除术¹，但**脾切除不能完全解决并发症**。

药物可及性不足性

- 用药保障有限，仅覆盖少部分患者，仅有**23%的患者能够足量用药**¹。大部分患者完全自费，药物使用不足量，疗效难以保障，治疗中断情况较为普遍

1.中国戈谢病患者诊疗状况及疾病负担调研报告2023;

2.中国成人戈谢病诊治专家共识 (2020); 3. 中国儿童戈谢病诊治专家共识 (2021)

维拉苷酶β安全性和耐受性良好，未见严重安全风险

主要不良反应（常见，≥1/100，<1/10）

系统器官分类	不良反应
免疫系统	超敏反应（输液相关反应）
代谢/营养	高尿酸血症、低钙血症、低磷酸盐血症
实验室检查	胆碱酯酶升高、血肌酸磷酸激酶升高
其他	头痛、发热、感冒样症状

✓ 安全性总结

研究对象：35 例 I 型 & III 型戈谢病患者，年龄 12-61 岁
总体安全性：无严重不良反应

多项研究显示ERT疗法耐受性良好，严重不良事件罕见，安全性被广泛认可

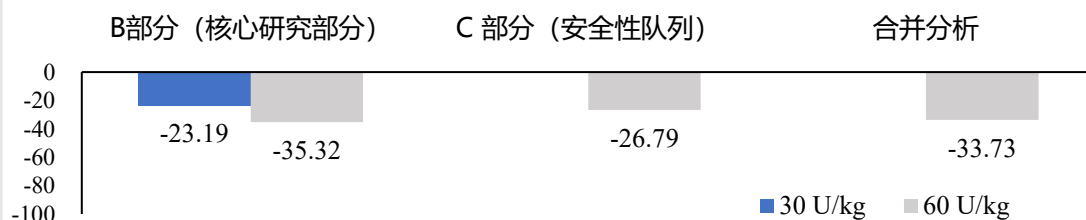
- ✓ 现有酶替代治疗方案整体安全性良好^[1]。少数接受治疗的患者会产生抗体；极少数患者需预先用药预防过敏反应^[2]。
- ✓ 以伊米苷酶为例，全世界有超过4000名戈谢病患者接受了该药物治疗，结果显示安全且耐受性良好^[3]。
- ✓ 一项基于8项临床试验（n=300）的系统综述结果显示，ERT安全性良好，共报告25例严重不良事件，几乎均与治疗无关^[4]。

[1] 孟岩. 戈谢病的特异性治疗进展[J]. 中华内科杂志, 2024, 63(7): 702-711. DOI: 10.3760/cma.j.cn112138-20240328-00199.
[2] Elstein D, Zimran A. Review of the safety and efficacy of imiglucerase treatment of Gaucher disease. Biologics. 2009;3:407-17
[3] Gaucher Disease Medication <https://emedicine.medscape.com/article/944157-medication?form=fpf>
[4] Shemesh E, Deroma L, Bembi B, Deegan P, Holjak C, Weinreb NJ, Cox TM. Enzyme replacement and substrate reduction therapy for Gaucher disease. Cochrane Database Syst Rev. 2015 Mar 27;2015(3):CD010324.

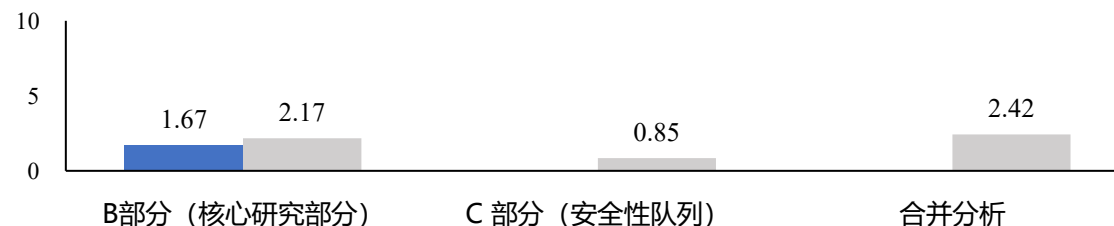
维拉苷酶β显著改善戈谢病患者脾脏体积、血红蛋白、肝脏体积和血小板计数

- ✓ 9个月治疗后，60U/kg剂量组患者的脾脏体积减少**35.32%**，血红蛋白水平增加**2.17 g/dL**，肝体积减少**18.80%**，血小板计数增加**19.42 × 10⁹/L**。
- ✓ 临床试验中发现，中国戈谢病患者（基线）严重程度可能较其他国家严重。
- ✓ 接受30U/kg和60U/kg剂量治疗后，患者临床症状均或明显改善，其中60U/kg剂量组更明显。

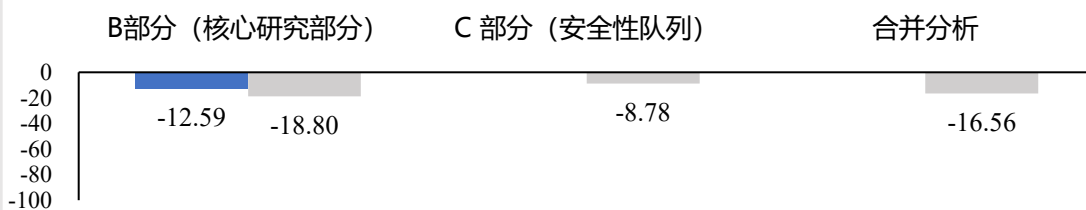
✓ 脾脏体积减小比例



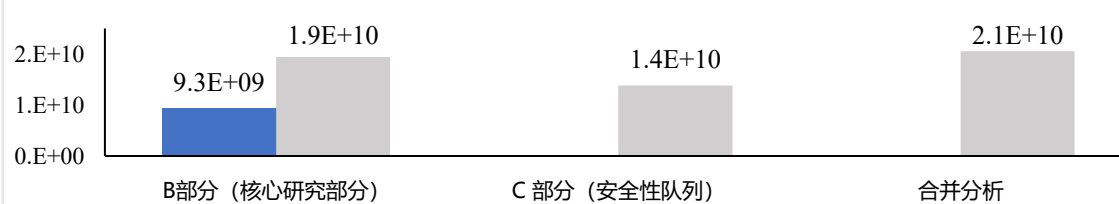
✓ 血红蛋白浓度升高数值



✓ 肝脏体积减小比例



✓ 血小板计数升高数值



国内外成人/儿童指南共识明确提出ERT是戈谢病治疗的标准治疗方案



中国成人戈谢病诊治专家共识 (2020)

ERT特异性地补充患者体内缺乏的酶，减少葡萄糖脑苷脂在体内的贮积，为**戈谢病的特异性治疗**^[1]



中国儿童戈谢病诊治专家共识 (2021)

ERT能**显著改善 I 型和 III 型患者**的内脏和血液学指标，缓解骨痛，维持正常生长发育，提高生活质量^[2]



加拿大国家戈谢病基金会治疗指南

ERT可显著**降低戈谢病并发症风险，提高患者生命质量**^[3]



美国国家戈谢病基金会治疗指南

ERT通过静脉输注补充缺失酶，可有效治疗溶酶体贮积症，**缓解症状并防止永久性损害**^[4]

[1] 中华医学会血液学分会红细胞疾病（贫血）学组. 中国成人戈谢病诊治专家共识（2020）[J]. 中华医学杂志, 2020, 100(24): 1841-1849

[2] 中华医学会儿科学分会内分泌遗传代谢学组, 中华医学会儿科学分会血液学组, 中华医学会医学遗传学分会, 等. 中国儿童戈谢病诊治专家共识（2021）[J]. 中华儿科杂志, 2021, 59(12): 1025-1031

[3] Treatment Options | National Gaucher Foundation of Canada <https://gauchercanada.ca/treatment-options/>

[4] Enzyme Replacement Therapy for Gaucher Disease <https://www.gaucherdisease.org/gaucher-diagnosis-treatment/treatment/enzyme-replacement-therapy/>

资格认定

- ✓ 国家药品监督管理局纳入优先审评品种名单（“临床急需的短缺药品、防治重大传染病和罕见病等疾病的创新药和改良型新药”纳入优先审评审批程序”）
- ✓ 多项国家知识产权局发明专利认证（一种维拉昔酶 β 的纯化方法和药液和重组细胞及其制备方法和应用）
- ✓ 2025VBEF “中国创新医药与生物制品TOP100” 奖

创新程度高

- ✓ 戈芮宁是**国内首个本土自主研发**生产适用于12岁及以上青少年和成人I型和III型戈谢病患者的长期酶替代治疗，属**一类治疗用生物制品**，将大大提升国内患者用药可及。
- ✓ 戈芮宁于2025年3月成为我国**首个顺利通过分段生产试点**品种注册核查与上市前GMP符合性检查的创新生物药。戈芮宁为后续国家局建立可复制、可推广的生物制品分段生产监管制度提供有利的经验。
- ✓ 相较于国外已上市产品，其通过CRISPR-Cas9技术敲除糖基化修饰酶 α -1,3-mannosyl-glycoprotein 2- β -N-acetylglucosaminyltransferase (GnTI) 基因后的CHO-K1细胞中表达，**易于工业化大规模培养，简化了传统生产工艺**。
- ✓ 戈芮宁采用**最先进的强化罐流生产工艺生产**，提升工业化产能，降低单位产品的成本，确保酶产品的高质量要求。

对公共健康影响

- 维拉苷酶β注射液是国产创新酶替代疗法（ERT），适用于**I型和III型戈谢病**。
- 戈谢病是一种严重影响肝脾、血液和骨骼的罕见病，未及时治疗可导致多器官损伤。
- 维拉苷酶β注射液显著改善**肝脾功能、血液指标和骨骼健康**，大幅提升患者生存率和生活质量

符合“可负担性”原则

- 戈谢病患者需终身治疗，经济负担重
- 维拉苷酶β注射液通过国产化生产，**进一步降低治疗费用，减轻患者用药负担，节约医保费用**

弥补药品目录空白

- 国内现有戈谢病治疗以进口药物为主，存在**费用高、可及性差**的问题。
- 维拉苷酶β注射液作为**首个国产ERT**，以更低成本提供与进口药物相当的疗效
- 该药填补了医保目录内一线治疗药物的空白，为患者提供了经济高效的治疗选择

临床管理难度低

- 适应症单一，**不存在临床滥用或超适应症用药**
- 维拉苷酶β注射液为冻干制剂，便于储运，适合家庭或门诊使用。
- 每两周静脉滴注一次，操作简便、安全性高，降低了医疗管理复杂性