

达妥昔单抗 β 注射液

(凯泽百[®])

百济神州（北京）生物科技有限公司

首个且唯一获批“初治高危”和“复发/难治性”神经母细胞瘤的免疫治疗药物，填补空白，建议无参照

产品基本信息

【通用名】	达妥昔单抗β注射液（申报新增商保创新药目录）		
【注册规格】	20mg(4.5ml)/瓶		
【说明书适应症】 (神经母细胞瘤，第二批罕见病目录病种)	- 适用于治疗≥12月龄的高危神经母细胞瘤患者，这些患者既往接受过诱导化疗且至少获得部分缓解，并且随后进行过清髓性治疗和干细胞移植治疗； - 也适用于治疗伴或不伴有残留病灶的复发性或难治性神经母细胞瘤。		
【说明书用法用量】	治疗需连续5个疗程，每个疗程35天。个体剂量基于体表面积计算，每个疗程的总剂量应为100 mg/m ² 。		
	达妥昔单抗β 给药方式的两种选择： 【长时程输注方案】在各疗程的前 10 天内连续输注给药（共 240 小时），日剂量为 10 mg/m² 【短时程输注方案】或在各疗程的前 5 天内输注给药，每日持续输注 8 小时，日剂量为 20 mg/m²		
【中国大陆首次上市时间】	2021/8	【目前大陆同通用名药品上市情况】	无
【全国首个上市国家及上市时间】	欧盟，2017/5	【是否为OTC药品】	否

建议参照药品：无

1. 填补神经母细胞瘤免疫治疗药物空白：唯一*获批“初治高危”和“复发/难治性”神经母细胞瘤的GD2单抗
2. 两个适应症均无国家医保目录内药品
3. 国内上市的另一GD2单抗仅获批限于伴骨/骨髓转移的复发/难治性神经母细胞瘤，且不在国家医保目录内

*唯一：截至2025年7月，下同
缩写：GD2，双唾液酸神经节苷脂；IL-2，白细胞介素-2



神经母细胞瘤被称为“儿童肿瘤之王”，为罕见病目录病种；本品为患者带来显著长期生存获益，帮助患者实现治愈可能，临床价值大

疾病基本情况

【疾病介绍】

- 好发于儿童的颅外实体肿瘤，源于未分化的交感神经节细胞¹
- 患者总数占儿童恶性肿瘤的8%~10%，死亡人数却占比高达15%^{1,2}；被称为**“儿童肿瘤之王”**，

第二批罕见病目录病种

【大陆地区发病率】 7.72/100万（0-14岁儿童）³

【年发病患者总数】 约1780例

【未满足需求】

- 在不接受免疫治疗的情况下，高危患者5年无事件生存率仅37.7%，5年总生存率仅48.9%⁴，复发和难治患者中位OS分别仅11.0和27.9个月⁵，亟需有效方式提升高危和复发/难治患者生存

弥补未满足需求情况

- 达妥昔单抗β填补国内神经母细胞瘤免疫治疗空白，**为患儿带来显著的长期生存获益**，可显著提升高危患者5年OS率至70%⁶，复发/难治性患者3年OS率至71%⁷
- 达妥昔单抗β**帮助患儿实现治愈可能**，超60%高危用药患儿可实现5年无疾病进展/复发/死亡，重新回归学校和家庭⁶
- 达妥昔单抗β为**说明书固定疗程用药**，只需在半年左右用药5个周期，即可实现长期获益

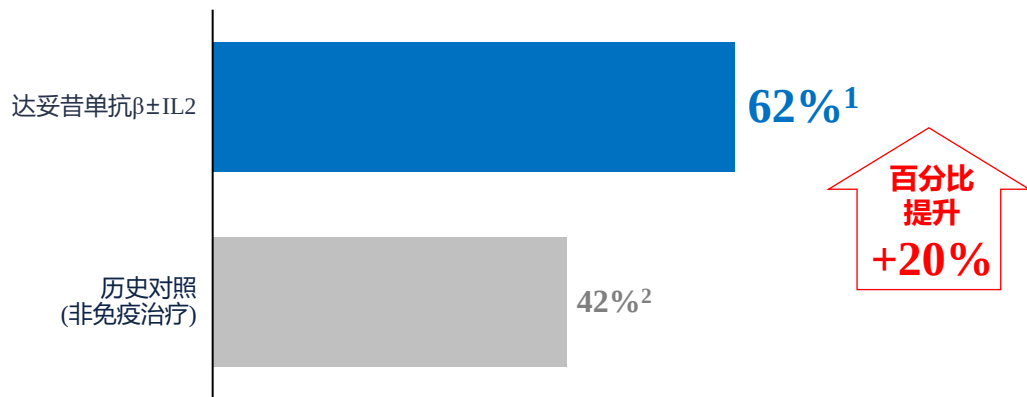


在初治高危患者中，达妥昔单抗β生存获益明确，显著提升患儿治愈潜能

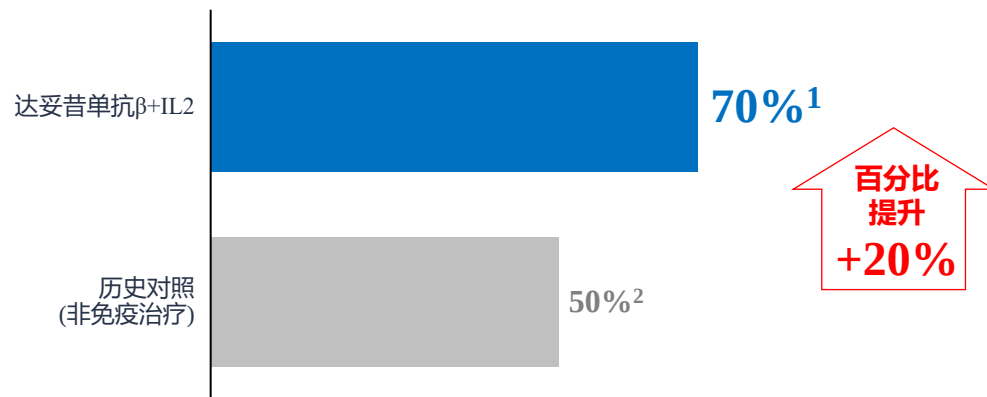
□ 国际多中心APN 311-302 R4研究¹ (N=408):

使用达妥昔单抗β治疗高危患者5年无事件生存率（EFS）达62%，5年总生存率（OS）达70%

**5年EFS率62%，
相比非免疫治疗提升20%**



**5年OS率70%，
相比非免疫治疗提升20%**



*非头对头比较

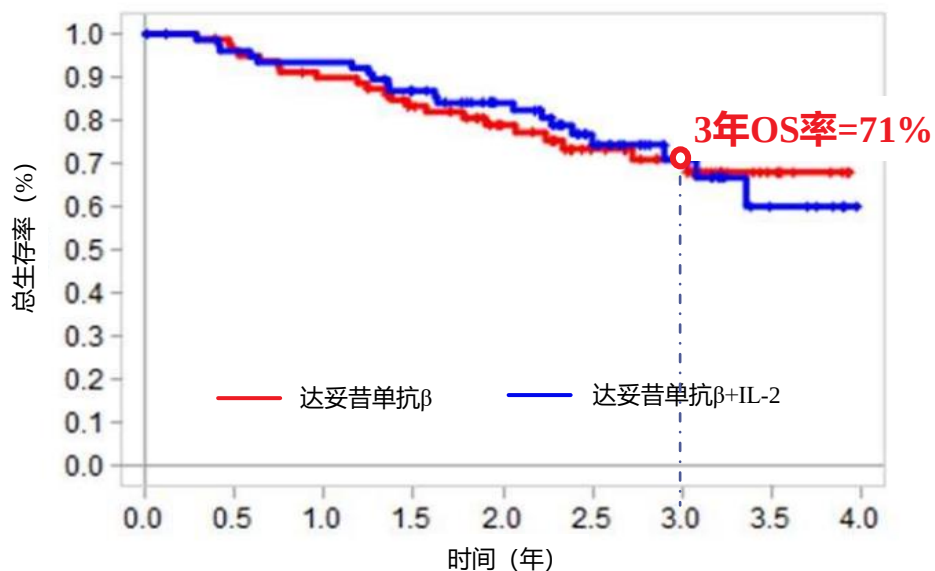


在复发/难治性患者中，达妥昔单抗β显著改善患者长期生存预后

1 国际多中心APN311-202 V3研究 (N=160) :

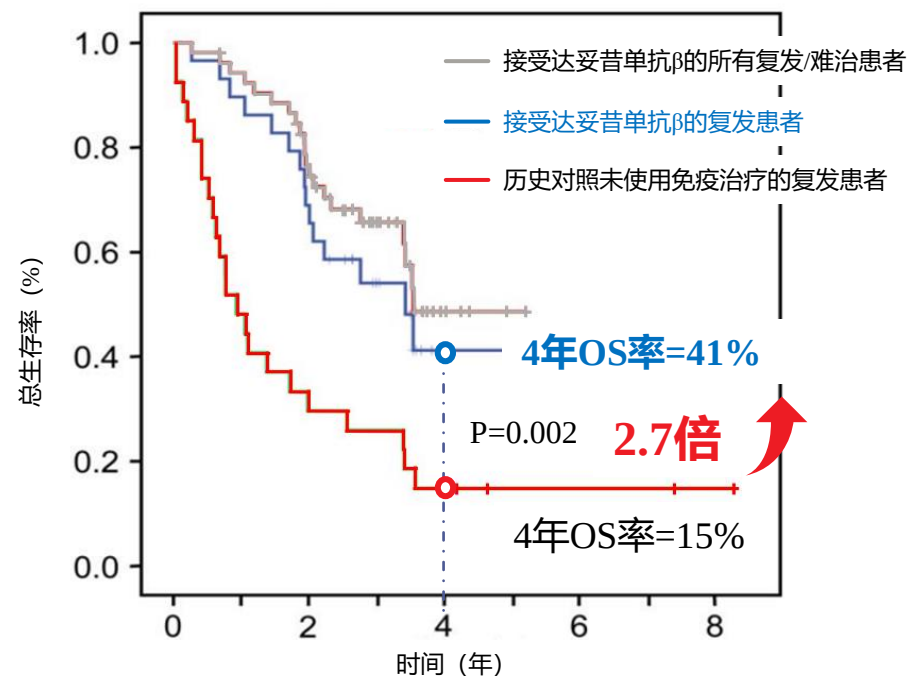
- ✓ 无论是否联合IL-2，达妥昔单抗β均可对复发及难治性神经母细胞瘤患者带来显著生存获益。

复发/难治性患者使用达妥昔单抗β，**3年OS率**
和EFS率高达71%和57%



2 APN311-303研究 (N=53) :

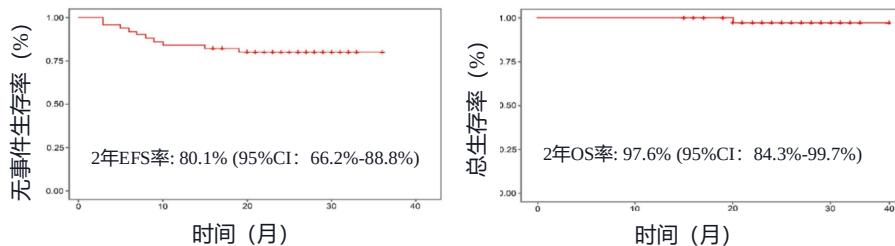
- ✓ 在复发神经母细胞瘤患者中，**达妥昔单抗β治疗组4年OS率为历史对照组2.7倍**
(41% vs. 15%, $p=0.002$)



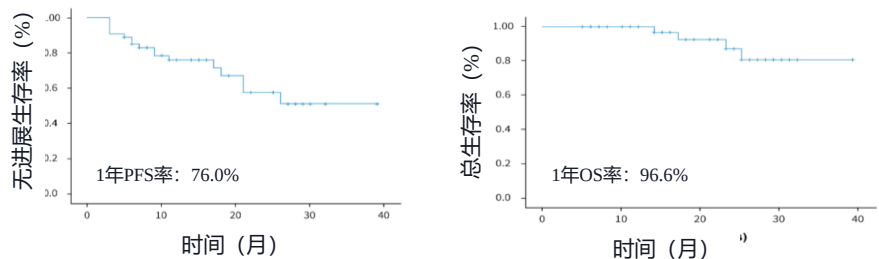
真实世界研究显示达妥昔单抗β在中国实际临床应用中疗效出色

1 中国单中心真实世界研究^{1,2} (N=108)

- ✓ 在中国**初治高危**神经母细胞瘤患者中¹ (N=51), 使用达妥昔单抗β, **2年EFS率80%, 2年OS率98%**

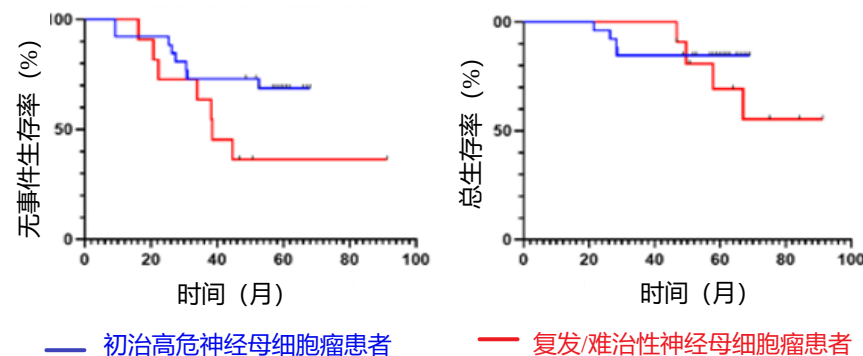


- ✓ 在中国**复发/难治性**神经母细胞瘤患者中² (N=57), 使用达妥昔单抗β, **1年PFS率76%, 1年OS率97%**



2 海南天津先行先试用药真实世界研究³ (N=37)

- ✓ 在**所有**神经母细胞瘤患者中, 使用达妥昔单抗β, **5年EFS率77% (vs.非免疫治疗组56%), 5年OS率79% (vs.非免疫治疗组58%)**
- ✓ 在**初治高危**神经母细胞瘤患者中 (N=26), 使用达妥昔单抗β, **5年EFS率接近70%, 5年OS率高于80%**
- ✓ 在**复发/难治性**神经母细胞瘤患者中 (N=11), 使用达妥昔单抗β, **5年OS率接近70%**



本品是唯一被国内外权威指南/共识共同推荐用于高危和复发/难治性神经母细胞瘤治疗的免疫治疗药物

技术审评报告

本品有效性描述：

- ✓ 对于高危神经母细胞瘤患者一线维持治疗，研究 APN311-302 R2中试验组5年OS率为65%，历史对照组5年OS率为50%。**两组之间OS差异具有统计学意义(P<0.0001)，表现出本品免疫疗法的优势。**
- ✓ 多项针对复发/难治性神经母细胞瘤的临床研究，**证实本品在ORR、EFS和OS方面表现出显著的临床获益。**
- ✓ 我国高危神经母细胞瘤尚无有效的靶向治疗药物获批上市，多项境外临床试验证实**本品具有明确的临床获益**，可延长经过诱导化疗和干细胞移植患者的无进展生存期，并可降低复发难治患者的疾病进展或死亡风险。

国内外临床指南/诊疗规范推荐

国内外指南均推荐达妥昔单抗β用于治疗高危和复发/难治性NB



《86个罕见病病种诊疗指南(2025年版)》



《NCCN神经母细胞瘤临床实践指南2025V1》



《2025版德国儿科肿瘤学与血液病学协会(GPOH)神经母细胞瘤诊断与一线治疗指南》

NICE National Institute for Health and Care Excellence

《达妥昔单抗β治疗神经母细胞瘤(TA538)》指南



《儿童神经母细胞瘤诊疗专家共识CCCG-NB-2021方案》

GD2 抗体达妥昔单抗 β 治疗神经母细胞瘤的临床应用专家共识
(2021年版)

《2021版GD2抗体达妥昔单抗β治疗神经母细胞瘤的临床应用专家共识》

GD2 单抗治疗神经母细胞瘤临床应用协作组



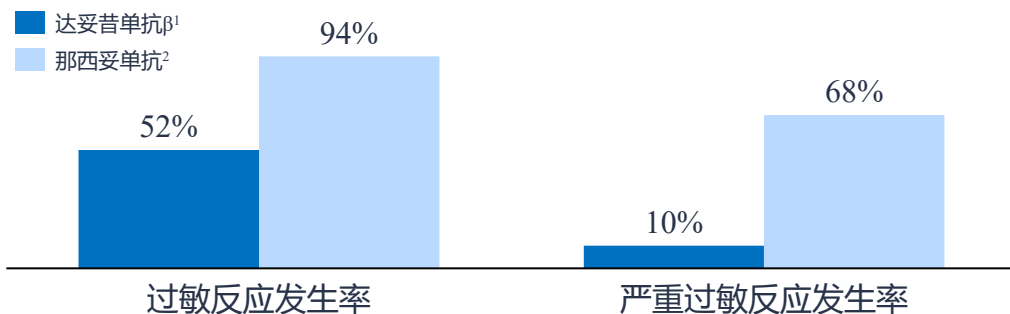
《2015版英国与冰岛儿童癌症与白血病协作组织(CCLG)诊疗规范》



安全性良好，已有超8年临床使用经验，获批以来无安全警告、黑框警告、撤市信息

达妥昔单抗β不良反应可控，耐受性良好

GD2单抗过敏事件及严重程度比较



- 达妥昔单抗β说明书中**无严重输注相关反应和神经毒性黑框警告**
- 抗过敏预处理用药使用常规抗组胺药物即可，无需使用免疫抑制剂皮质类固醇或肾上腺激素³

*非头对头比较

说明书刊载的安全性信息

【不良反应】

- 常见不良反应为发热、疼痛，超敏反应、呕吐、腹泻、毛细血管渗漏综合征、贫血、中性粒细胞减少症、血小板减少症和低血压。

药品不良反应监测情况

达妥昔单抗β于2017年5月8日于欧洲首次获批上市。2021年8月12日在中国获附条件批准上市。

药品上市后，各国家或地区药监部门未发布任何安全警告、黑框警告、撤市信息。相关安全性信息已在说明书【不良反应】【注意事项】章节进行详细解释说明。

在2023年11月09日至2024年11月08日年度定期获益-风险评估报告中，对本报告周期内收到的安全性数据进行了评价。对已批准的适应症，达妥昔单抗β的获益大于风险。



唯一同时覆盖初治高危和复发/难治性神经母细胞瘤的GD2单抗，填补国内神经母细胞瘤免疫治疗空白；固定疗程治疗，生存获益显著，耐受性良好

创新程度

全球唯一；优先审评； 临床急需境外新药



全球唯一同时获批“初治高危”和“复发/难治性”神经母细胞瘤适应症的抗GD2单抗：

- EMA孤儿药认证
- 国家《第一批临床急需境外新药名单》
- CDE优先审评



GD2抗原在神经母细胞瘤表达比例高达100%，是**治疗神经母细胞瘤的理想靶点**。本品通过ADCC和CDC双重免疫机制发挥抗肿瘤作用，在GD2高表达和中等表达神经母细胞瘤模型中，ADCC效应（抗肿瘤作用）分别比其他国内上市的GD2抗体高5倍和10倍¹

应用创新

说明书固定疗程用药； 患者生存获益显著；耐受性良好



仅需固定疗程用药：

- 固定仅需5个疗程的治疗方案，半年时间结束治疗，短期用药，长期获益



患者生存获益显著：

- 提升初治高危人群5年EFS率至62%，5年OS率至70%，复发/难治性人群3年OS率至71%



耐受性良好，提升患者依从性：

- 糖基化结构中不含α-半乳糖苷酶，降低过敏反应发生率和严重程度，提升患者依从性



储存优势降低患者用药成本：

- 有效期长达36个月，且注射液配制后累计最长可储存10天，储存优势减少药物浪费，降低患者用药成本



提升患儿治愈潜能，填补目录空白；发病罕见，固定疗程非长期用药，赔付金额可控

所治疗疾病 对公共健康的影响

- 高危神经母细胞瘤因异质性强、恶性程度高，被称为“儿童肿瘤之王”，儿童肿瘤的治疗目标是长期生存和治愈
- 本品可以**显著提高患儿的长期生存获益和治愈潜能，让患儿有更多机会回归家庭和校园，未来将为社会创造无限的价值**

符合“保基本”原则

- 达妥昔单抗β给患者带来治愈希望，是高危神母治疗的首选药物，也是神母患者最基本的保障需求
- 神经母细胞瘤发病罕见，为《第二批罕见病目录》病种，且产品为说明书5个疗程固定周期用药，**赔付金额可控**

弥补目录短板

- 国内首个上市的靶向GD2单抗，目前唯一获批“初治高危”和“复发/难治性”神经母细胞瘤两类适应症人群的免疫治疗药物，被列入国家《第一批临床急需境外新药名单》
- 医保目录内无任何治疗神经母细胞瘤药物，**亟需商保保障**

临床管理难度

- 临床适应症和处方条件明确，无临床滥用风险，不增加保险管理难度
- **说明书固定疗程用药，半年左右结束治疗，非长期用药**，不提高经办审核难度

期待达妥昔单抗 β 注射液纳入商保创新药目录

1 具有革新机制

- **国内首个上市的GD2单抗**：GD2抗原在神经母细胞瘤表达比例高达100%
- 国家《第一批临床急需境外新药名单》药品，CDE优先审评

2 填补临床空白

- **首个且唯一**获批“初治高危”和“复发/难治性”神经母细胞瘤的免疫治疗药物
- **明确的长期生存获益证据，给患者带来治愈希望**

3 贴合商保属性

- **儿童罕见病——商保的“战略高地”**：获客效率高、支付意愿刚性、易于风控、续保率高、数据价值高
- 纳入商保对广泛人群有吸引力：无治疗药物获基本医保保障

4 商保赔付可控

- **理赔成本有限、可控**：
 - 《第二批罕见病目录》病种
 - 产品说明书5个疗程固定周期用药
 - 全球最低价

社会价值显著

用于治疗恶性程度极高的儿童肿瘤罕见病，患者预后差，但规范诊疗后可治愈
本品显著提高患儿治愈潜能，让患儿有更多机会回归家庭和校园，未来将为社会创造无限的价值

建议评级为“突破”
建议“无参照药”

