

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： 达妥昔单抗 β 注射液

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	2025-07-18 17:39:15	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）	达妥昔单抗β注射液	医保药品分类与代码	XL01FXD354B002010183716
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	治疗用生物制品		
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	20mg(4.5ml)/瓶		
上市许可持有人（授权企业）	Recordati Netherlands B.V.		
说明书全部适应症/功能主治	达妥昔单抗β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。在治疗复发性神经母细胞瘤之前，应采取适当措施使活动性进展性疾病保持稳定。		
说明书用法用量	达妥昔单抗 β 仅限医院使用，且必须在有抗肿瘤治疗经验医生的监督下给药。使用环境必须配备可立即使用的复苏设备，由可处理严重过敏反应（包括速发过敏反应）的医疗专业人员进行给药。 在开始各疗程前，应评估下述临床参数，达到如下标准后才可开始治疗： ● 不吸氧状态下血氧饱和度> 94% ● 骨髓功能：绝对中性粒细胞计数≥ 0.5×109/L，血小板计数≥ 20×109/L， 血红蛋白> 80 g/L ● 肝脏功能：丙氨酸氨基转移酶（ALT）和天冬氨酸氨基转移酶（AST）均< 5 倍正常上限（ULN） ● 肾功能：肌酐清除率或肾小球滤过率（GRF）> 60 mL/min/1.73 m2 ● 在启动治疗前患者应无全身感染迹象，且任何已确定感染应该得到控制。 【剂量】： 达妥昔单抗β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/m2。 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 达妥昔单抗 β 的剂量调整： 基于医生对达妥昔单抗 β 药物不良反应严重程度的评价，可将输注速度降低 50%或暂时中断输注。在后续恢复输注时，为了达到总的给药剂量，可以考虑延长给药时间，在患者耐受的情况下将输注速度提高至 3 ml /h（连续输注）。 如果发生下述毒性，应永久终止达妥昔单抗 β 治疗： ● 3 级或 4 级速发过敏反应 ● 持续的 2 级周围运动神经病变 ● 3 级周围神经病变 ● 3 级眼毒性 ● 即使进行了适当的液体治疗，仍然表现为 4 级低钠血症 ● 复发性或 4 级毛细血管渗漏综合征（需要呼吸机支持） ● 严重中枢神经毒性，包括 3 级或 4 级，无任何可检测原因的严重长期神经功能缺损，复发的 1-3 级神经毒性和永久性神经功能缺损 ● 所有级别的可逆性后部脑病综合征和横贯性脊髓炎。 因字数限制，说明书【用法用量】中关于【预处理】、【抗过敏】、【预防疼痛】、【特殊人群】、【给药方法】、【给药前药品稀释】的详细信息不在此展示，可参见说明书。		
所治疗疾病基本情况	①神经母细胞瘤是好发于儿童的颅外实体恶性肿瘤，为《第二批罕见病目录》内病种，在我国0-14岁儿童中发病率7.72/100万，患者总数占儿童恶性肿瘤的8%~10%，死亡人数占比却高达15%，被称为儿童肿瘤之王； ②高危和复发/难治性神经母细胞瘤恶性程度高，对患儿生命造成严重威胁，高危患儿5年无事件生存率仅37.7%，5年总生存率仅48.9%，复发		

	发和难治性患儿中位OS分别仅11.0和27.9个月； ③达妥昔单抗β可显著提升患儿治愈潜能。		
中国大陆首次上市时间	2021-08	注册证号/批准文号	国药准字SJ20210023
该通用名全球首个上市国家/地区	欧盟	该通用名全球首次上市时间	2017-05
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	目前共2个GD2单抗在我国获批上市用于神经母细胞瘤治疗，均为医保目录外品种。其中达妥昔单抗β为首个且唯一同时获批于“初治高危”和“复发或难治性”神经母细胞瘤免疫治疗的药品（上市时间2021.8），另一药品那西妥单抗注射液于2022.11获批用于伴骨/骨髓转移的复发或难治性神经母细胞瘤患者。达妥昔单抗β有明确长期生存获益数据，且不良反应可控，无说明书黑框警告。		
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药品最新法定说明书.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《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 1-3所有进口药品注册证.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 达妥昔单抗β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 达妥昔单抗β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）	用法用量	费用类型	金额（元）	疗程/周期
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：唯一获批“初治高危”和“复发/难治性”神经母细胞瘤的GD2单抗，填补神母免疫治疗药物空白；两个适应症均无国家医保目录内药品；国内上市的另一GD2单抗那西妥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。

其他情况请说明：-

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	达妥昔单抗β+IL-2
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究为一项国际多中心、随机对照的临床试验，评估达妥昔单抗β长时程输注方案联合或不联合IL-2的有效性，共纳入初治高危神经母细胞瘤患者408例。疗效分析结果显示，达妥昔单抗β长时程输注方式用于高危神经母细胞瘤一线维持治疗时，达妥昔单抗β联合或不联合IL-2具有相似的生存结局，5年EFS率分别为62%、62%，5年OS率分别为70%、67%。
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 2-1-1APN311-302R4.pdf
试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	异维甲酸
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究以SIOPEN HR-NBL1研究中未接受免疫治疗的患者466例为历史对照，将APN311-302R2研究中接受达妥昔单抗β免疫治疗患者378例与之进行比较，共844例患者纳入分析。研究结果显示，达妥昔单抗β免疫治疗组及未接受免疫组的5年EFS率分别为57%和42%，p<0.001；5年OS率分别为64%和50%，p<0.001。该研究表明达妥昔单抗β给高危神经母细胞瘤患者带来明确生存获益。
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 2-1-2APN311-302-历史对照研究.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	达妥昔单抗β+IL-2
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究为一项国际多中心、随机对照的临床试验，评估达妥昔单抗β长时程输注方案联合或不联合IL-2治疗复发/难治性神经母细胞瘤的有效性，共纳入复发/难治性神经母细胞瘤患者160例。疗效分析结果显示，达妥昔单抗β联合或不联合IL-2具有相似的生存结局，3年EFS率分别为57%和54%，3年OS率分别为71%和71%。
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 2-1-3APN311-202V3研究.pdf
试验类型4	其他
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	该研究为欧洲同情用药项目，在53例高危神母患者（其中48例复发或难治患者）中评估了达妥昔单抗β免疫治疗的临床疗

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（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）	试验类型5	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	该研究为回顾性真实世界研究，评估了在中国初治高危神经母细胞瘤患者中使用达妥昔单抗β进行治疗的真实世界疗效，共纳入51例患者。疗效分析显示，中位随访时长26个月，使用达妥昔单抗β进行治疗的2年EFS率为80.1%，2年OS率为97.6%，结果表明达妥昔单抗β作为初治高危神经母细胞瘤患者一线维持免疫治疗的出色疗效。
	↓ 下载文件 2-1-4APN311-303研究.pdf	
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）	试验类型6	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	该研究为回顾性真实世界研究，评估了在中国复发/难治性神经母细胞瘤患者中使用达妥昔单抗β进行治疗的真实世界疗效，共纳入54例患者。疗效分析显示，中位随访时长14个月，使用达妥昔单抗β进行治疗的1年PFS率为74.3%，1年OS率为95.7%。
	↓ 下载文件 2-1-5中国高危患者真实世界研究.pdf	
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）	试验类型7	真实世界数据
	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	该研究为回顾性真实世界研究，在37例中国初治高危和复发/难治性神经母细胞瘤患者中，评估了使用达妥昔单抗β进行治疗的疗效。中位随访57.8个月，疗效分析显示，在全部患者中，使用达妥昔单抗β进行治疗的5年EFS率和OS率分别达77.0%和78.8%。历史对照组（由全国 8 家医疗中心的 277 例未接受 GD2 免疫疗法的高危神经母细胞瘤患者组成）的数据分别为55.6%和58.1%。
	↓ 下载文件 2-1-7海南天津先行先试用药真实世界研究.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1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	达妥昔单抗β+IL-2
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究为一项国际多中心、随机对照的临床试验，评估达妥昔单抗β长时程输注方案联合或不联合IL-2的有效性，共纳入初治高危神经母细胞瘤患者408例。疗效分析结果显示，达妥昔单抗β长时程输注方式用于高危神经母细胞瘤一线维持治疗时，达妥昔单抗β联合或不联合IL-2具有相似的生存结局，5年EFS率分别为62%、62%，5年OS率分别为70%、67%。
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 2-1-1APN311-302R4.pdf
试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	异维甲酸
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究以SIOPEN HR-NBL1研究中未接受免疫治疗的患者466例为历史对照，将APN311-302R2研究中接受达妥昔单抗β免疫治疗患者378例与之进行比较，共844例患者纳入分析。研究结果显示，达妥昔单抗β免疫治疗组及未接受免疫组的5年EFS率分别为57%和42%，p<0.001；5年OS率分别为64%和50%，p<0.001。该研究表明达妥昔单抗β给高危神经母细胞瘤患者带来明确生存获益。
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 2-1-2APN311-302-历史对照研究.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	达妥昔单抗β+IL-2
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	该研究为一项国际多中心、随机对照的临床试验，评估达妥昔单抗β长时程输注方案联合或不联合IL-2治疗复发/难治性神经母细胞瘤的有效性，共纳入复发/难治性神经母细胞瘤患者160例。疗效分析结果显示，达妥昔单抗β联合或不联合IL-2具有相似的生存结局，3年EFS率分别为57%和54%，3年OS率分别为71%和71%。
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 2-1-3APN311-202V3研究.pdf
试验类型4	其他
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	该研究为欧洲同情用药项目，在53例高危神母患者（其中48例复发或难治患者）中评估了达妥昔单抗β免疫治疗的临床疗效。分析显示，入组患者4.9年PFS率和5.2年OS率分别为33.1%和47.7%。研究还基于AIEOP数据库未使用免疫治疗复发患者数据构建历史队列，相比历史对照，达妥昔单抗β使复发患者4年OS率从15%提高至41%，远期生存获益显著。
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 2-1-4APN311-303研究.pdf
试验类型5	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	该研究为回顾性真实世界研究，评估了在中国初治高危神经母细胞瘤患者中使用达妥昔单抗β进行治疗的真实世界疗效，共纳入51例患者。疗效分析显示，中位随访时长26个月，使用达妥昔单抗β进行治疗的2年EFS率为80.1%，2年OS率为97.6%，结果表明达妥昔单抗β作为初治高危神经母细胞瘤患者一线维持免疫治疗的出色疗效。
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 2-1-5中国高危患者真实世界研究.pdf
试验类型6	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	该研究为回顾性真实世界研究，评估了在中国复发/难治性神经母细胞瘤患者中使用达妥昔单抗β进行治疗的真实世界疗效，共纳入54例患者。疗效分析显示，中位随访时长14个月，使用达妥昔单抗β进行治疗的1年PFS率为74.3%，1年OS率为95.7%。
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 2-1-6中国复发难治患者真实世界研究.pdf
试验类型7	真实世界数据
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	该研究为回顾性真实世界研究，在37例中国初治高危和复发/难治性神经母细胞瘤患者中，评估了使用达妥昔单抗β进行治疗的疗效。中位随访57.8个月，疗效分析显示，在全部患者中，使用达妥昔单抗β进行治疗的5年EFS率和OS率分别达77.0%和78.8%。历史对照组（由全国 8 家医疗中心的 277 例未接受 GD2 免疫疗法的高危神经母细胞瘤患者组成）的数据分别为55.6%和58.1%。

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 2-1-7海南天津先行先试用药真实世界研究.pdf
--	---

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《86 个罕见病病种诊疗指南（2025 年版）》：国内推荐 Ch14.18/CHO（达妥昔单抗β）联合 13-顺式维 A 酸±粒细胞巨噬细胞集落刺激因子（GM-CSF）用于初治高危神经母细胞瘤维持治疗，共 5 个疗程，每个疗程35 天。Ch14.18/CHO（达妥昔单抗β）单药或联合伊立替康+替莫唑胺治疗复发/难治性高危神经母细胞瘤，均显示了较好客观缓解率。
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 2-2-1-86个罕见病病种诊疗指南2025年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《NCCN神经母细胞瘤临床实践指南2025V1》： 建议高危神经母细胞瘤患者巩固治疗后使用达妥昔单抗β联合异维甲酸作为维持治疗；基于研究已证实联合IL-2不具有生存获益反而增加治疗毒性，建议不联合IL-2使用；诱导治疗及巩固治疗后发生疾病进展的高危神经母细胞瘤患者，推荐可采用GD2单抗联合化疗方案；对于诱导治疗后未达CR的高危患者，推荐可尽早采用GD2单抗联合化疗的桥梁治疗方案。
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 2-2-2NCCN神经母细胞瘤临床实践指南2025V1.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《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》：达妥昔单抗β被证实可提升高危神经母细胞瘤患者的生存结局，被作为当前高危神经母细胞瘤的一线维持的标准治疗，且无需联合IL-2。达妥昔单抗β的输注方式优先推荐采用10天的长时程持续性输注方案。对于一线治疗，达妥昔单抗β被推荐用于维持治疗和巩固前的化免联合的桥梁治疗。
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 2-2-3-2025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.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《儿童神经母细胞瘤诊疗专家共识CCCG-NB-2021方案》：达妥昔单抗β在国内已获批进入临床应用，适应证为：①治疗年龄≥12个月的高危患儿，这些患儿既往接受过诱导化疗且至少获得部分缓解，并随后进行了清髓性治疗和干细胞移植治疗；②治疗伴或不伴有残留病灶的复发性或难治性神母患儿。在治疗复发性神母患儿之前，应采取适当措施使活动性、进展性疾病保持稳定。
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	↓ 下载文件 2-2-4儿童神经母细胞瘤诊疗专家共识CCCG-NB-2021方案.pdf

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）	
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《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》：推荐达妥昔单抗β用于经过规范治疗（须包含诱导化疗、清髓性治疗和造血干细胞移植）后的高危神经母细胞瘤患者，以及复发或难治性神经母细胞瘤患者。
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 2-2-5-2021年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.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《86 个罕见病病种诊疗指南（2025 年版）》：国内推荐 Ch14.18/CHO（达妥昔单抗β）联合 13-顺式维 A 酸+粒细胞巨噬细胞集落刺激因子（GM-CSF）用于初治高危神经母细胞瘤维持治疗，共 5 个疗程，每个疗程35 天。Ch14.18/CHO（达妥昔单抗β）单药或联合伊立替康+替莫唑胺治疗复发/难治性高危神经母细胞瘤，均显示了较好客观缓解率。
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 2-2-1-86个罕见病病种诊疗指南2025年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《NCCN神经母细胞瘤临床实践指南2025V1》： 建议高危神经母细胞瘤患者巩固治疗后使用达妥昔单抗β联合异维甲酸作为维持治疗；基于研究已证实联合IL-2不具有生存获益反而增加治疗毒性，建议不联合IL-2使用；诱导治疗及巩固治疗后发生疾病进展的高危神经母细胞瘤患者，推荐可采用GD2单抗联合化疗方案；对于诱导治疗后未达CR的高危患者，推荐可尽早采用GD2单抗联合化疗的桥接治疗方案。
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 2-2-2NCCN神经母细胞瘤临床实践指南2025V1.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《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》：达妥昔单抗β被证实可提升高危神经母细胞瘤患者的生存结局，被作为当前高危神经母细胞瘤的一线维持的标准治疗，且无需联合IL-2。达妥昔单抗β的输注方式优先推荐采用10天的长时程持续性输注方案。对于一线治疗，达妥昔单抗β被推荐用于维持治疗和巩固前的化免联合的桥接治疗。
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	↓ 下载文件 2-2-3-2025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.pdf

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）	
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《儿童神经母细胞瘤诊疗专家共识CCCG-NB-2021方案》：达妥昔单抗β在国内已获批进入临床应用，适应证为：①治疗年龄≥12个月的高危患儿，这些患儿既往接受过诱导化疗且至少获得部分缓解，并随后进行了清髓性治疗和干细胞移植治疗；②治疗伴或不伴有残留病灶的复发性或难治性神母患儿。在治疗复发性神母患儿之前，应采取适当措施使活动性、进展性疾病保持稳定。
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 2-2-4儿童神经母细胞瘤诊疗专家共识CCCG-NB-2021方案.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《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》：推荐达妥昔单抗β用于经过规范治疗（须包含诱导化疗、清髓性治疗和造血干细胞移植）后的高危神经母细胞瘤患者，以及复发或难治性神经母细胞瘤患者。
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 2-2-5-2021年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.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	对于高危神经母细胞瘤患者一线维持治疗，研究APN311-302中的R2期 MAT后接受免疫治疗患者（367例）的生存期数据与历史对照人群（R1期仅接受MAT治疗的450例）进行比较。历史对照组中，5年OS率为50%。APN311-302中，5年OS率为65%，两组之间的OS差异具有统计学意义（P < 0.0001），表现出达妥昔单抗β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，证实了达妥昔单抗β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。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 2-3技术审评报告节选.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	对于高危神经母细胞瘤患者一线维持治疗，研究APN311-302中的R2期 MAT后接受免疫治疗患者（367例）的生存期数据与历史对照人群（R1期仅接受MAT治疗的450例）进行比较。历史对照组中，5年OS率为50%。APN311-302中，5年OS率为65%，两组之间的OS差异具有统计学意义（P < 0.0001），表现出达妥昔单抗β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，证实了达妥昔单抗β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。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 2-3技术审评报告节选.pdf

三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	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。禁忌急性3级或4级、或广泛性慢性移植物抗宿主病。治疗期间注意监测超敏反应，疼痛，毛细血管渗漏综合征，眼部神经类疾病，周围神经病变，中枢神经毒性，全身感染，血液学毒性和实验室检查（肝功能、电解质）。避免在给药期间至最后一个疗程后10周内接种疫苗。不建议合并使用静脉注射免疫球蛋白。不建议在首个疗程前2周到末个疗程后1周内进行皮质类固醇合并治疗，用于危及生命的病症除外。
---------------	--

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	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。基于本报告期内获得的安全性信息，达妥昔单抗β的安全性特征保持不变。
相关报导文献	↓ 下载文件 3-1定期获益-风险评估报告节选-中文.pdf

四、创新性信息

创新程度	本品是目前唯一获批治疗“初治高危”和“复发/难治性”神经母细胞瘤两类适应症人群的GD2单抗，填补国内神母免疫治疗空白。被列入国家《第一批临床急需境外新药名单》，纳入CDE优先审评，EMA孤儿药认证。GD2抗原在神母100%特异性表达，是神母治疗理想靶点。在GD2高表达和中等表达神母模型中，本品抗肿瘤作用分别比国内上市的另一GD2单抗高5和10倍。
创新性证明文件	↓ 下载文件 4-1创新程度.pdf
应用创新	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，方便临床制定治疗计划和控制用药成本。患者生存获益显著，提升高危患者5年OS率至70%，复发难治患者3年OS率至71%。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，提高患者依从性。有效期长达36个月，注射液配制后累计最长可储存10天，储存优势可以减少药物浪费。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 4-2应用创新.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	高危神经母细胞瘤异质性强、恶性程度高，被称为“儿童肿瘤之王”，患者生存预后差，给患儿和家庭带来极其沉重的负担，若患儿死亡对家庭来说又将是不可磨灭的打击。达妥昔单抗β可以显著提高患儿的长期生存获益，让患儿有更多机会回归家庭和校园，给患者和家庭带来治愈希望，未来将为社会创造无限的价值。
符合“保基本”原则描述	①达妥昔单抗β显著提升患者的长期生存获益，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；②神经母细胞瘤发病罕见，已被列入《第二批罕见病目录》，且产品为说明书5个疗程固定周期用药，赔付金额可控。
弥补目录短板描述	①达妥昔单抗β是国内首个上市的靶向GD2单抗，目前唯一获批用于“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》；②医保目录内无任何治疗神经母细胞瘤药物，亟需商保保障。
临床管理难度描述	①达妥昔单抗β为固定疗程一次性用药，半年左右结束治疗，非长期用药，不会提高经办审核难度；②达妥昔单抗β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。