

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：艾美赛珠单抗注射液

企业名称：上海罗氏制药有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-19 12:16:11	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）	艾美赛珠单抗注射液	医保药品分类与代码	30mg(1mL)/瓶，XB02BXA318B002020182529；60mg(0.4ml)/瓶，XB02BXA318B002030182529；150mg(1ml)/瓶，XB02BXA318B002010182529
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1类		
核心专利类型1	ZL201180065133.1化合物专利	核心专利权期限届满日1	2031-11
核心专利类型2	ZL201610299812.X化合物专利	核心专利权期限届满日2	2031-11
核心专利类型1	ZL201180065133.1化合物专利	核心专利权期限届满日1	2031-11
核心专利类型2	ZL201610299812.X化合物专利	核心专利权期限届满日2	2031-11
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	30 mg (1 ml) /瓶，60 mg (0.4 ml) /瓶，105 mg (0.7 ml) /瓶，150 mg (1 ml) /瓶		
上市许可持有人（授权企业）	Roche Pharma (Schweiz) AG		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于以下成人及儿童患者的常规预防治疗，以防止出血或降低出血发作的频率：存在凝血因子 VIII 抑制物的 A 型血友病（先天性凝血因子 VIII 缺乏）；或不存在凝血因子 VIII 抑制物的重度 A 型血友病（先天性凝血因子 VIII 缺乏，FVIII<1%）		
说明书用法用量	本品仅用于皮下注射。最初 4 周的推荐剂量为 3 mg/kg，每周一次（负荷剂量），后续的维持剂量为：● 1.5 mg/kg每周一次，或 ● 3 mg/kg每两周一次，或 ● 6 mg/kg每四周一次		
所治疗疾病基本情况	①血友病A属于罕见严重出血性疾病。国内外权威指南（WFH及中国血友病诊疗指南等）均推荐标准预防治疗，尤其是儿童/婴幼儿患者。但国内目前预防治疗比例严重不足，仅约16%。传统rFVIII等因子疗法抑制物产生风险高、需频繁静脉给药等问题制约了预防治疗应用；临床亟需非因子类、长效、皮下制剂。②我国血友病A患病率2.32/10万人，基于本品适应症及考虑诊断、治疗率等，预估适用人群约2500人		
中国大陆首次上市时间	2018-11	注册号/批准文号	国药准字SJ20180025（30mg（1ml）/瓶），国药准字SJ20180026（60mg（0.4ml）/瓶） 国药准字SJ20180027

			(105 mg (0.7 ml) /瓶) , 国药准字 SJ20180028 (150 mg (1 ml) /瓶)
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	2017-11
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	艾美赛珠单抗是血友病A领域全球首创、目前国内唯一的非因子类药物、双特异性抗体, 疾病领域无同机制、同药理品种; 本品可用于有抑制物血友病A患者的预防治疗, 国内无同适应症品种。①艾美赛珠单抗可填补目录内预防治疗空白: a. 抑制物患者无预防用药: 当前医保目录内, 存在抑制物的儿童及成人血友病A患者均缺乏预防治疗药物。b. 非抑制物患者用药存在严重局限性: 目录内仅有的预防治疗药物(重组/人凝血因子FVIII) 仅限于无抑制物的儿童患者, 且存在显著局限: 抑制物产生风险高、需频繁(每周2-3次)、静脉给药, 临床需求远未满足。非抑制物成人患者同样无预防治疗用药覆盖。c. 旁路药物仅限按需: 其他医保药物(rFVIIa、PCC) 仅获批用于按需治疗(止血), 无预防适应症。②目录外选择有限且覆盖不足: 目录外仅有两款FVIII类药物: 一款用于≥12岁患者(按需及预防), 一款仅限成人按需治疗。均无法用于存在抑制物患者或12岁以下儿童的预防治疗。因此, 对存在抑制物的患者及不适合频繁静脉给药的儿童/婴幼儿患者, 艾美赛珠单抗可精准满足临床/患者迫切需求, 填补抑制物患者预防治疗及非因子长效预防的保障空白		
企业承诺书	↓ 下载文件 1-1企业承诺书-已盖章.pdf		
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 1-2艾美赛珠单抗最新版法定说明书-20250605.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进口药品注册证-艾美赛珠单抗.pdf		
申报药品摘要幻灯片(含价格费用信息)	↓ 下载文件 艾美赛珠单抗注射液【PPT1】.pptx		
申报药品摘要幻灯片(不含价格费用信息) 将同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 艾美赛珠单抗注射液【PPT2】.pdf		

参照药品信息

说明:

- 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。
- 中成药: 一律填写日均费用。
- 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	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由: 本品是“First-in-Class”药物, 是血友病A全球首创、目前国内唯一非因子类药物、唯一靶向FIXa/FX的双特异性抗体, 当前国内无同适应症、同机制、同治疗模式的药物

其他情况请说明：艾美赛珠单抗也是目前血友病A领域国内唯一非因子类药物、唯一可用于抑制物儿童及成人预防治疗、唯一可皮下给药、唯一可最长4周给药一次的药物

二、有效性信息

试验类型1	单臂临床实验
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	全球多中心III期、单臂、开放标签临床试验（纳入85例患者，HAVEN 2研究）证实，<12岁存在FVIII 抑制物血友病A儿童接受艾美赛珠单抗预防治疗，中位随访时间57.6周，年化出血率为0.3；患者自身前后对比分析：既往接受旁路药物预防治疗时年化出血率为21.1，转至艾美赛珠单抗预防治疗后年化出血率为0.3，出血风险降低99%。
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 2-1-1HAVEN2存在FVIII抑制物的A型血友病儿童患者-中英.pdf
试验类型2	单臂临床实验
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	全球多中心III期、单臂、开放标签试验（纳入55例婴幼儿，HAVEN 7研究）证实。≤12个月、≥3kg不存在FVIII 抑制物的重度血友病A婴幼儿患者接受艾美赛珠单抗预防治疗，中位随访时间101.9周，年化出血率为0.4（治疗性出血事件），发生颅内出血事件为0。没有不良事件导致治疗变更。未发生死亡、血栓栓塞事件或血栓性微血管病。
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 2-1-2HAVEN7不存在FVIII抑制物的A型血友病儿童患者-中英.pdf
试验类型3	单臂临床实验
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	全球多中心、随机、开放性试验（HOHOEMI 研究）：<12岁不存在抑制物的重度血友病A儿童患者（基线年龄为4个月-10岁），接受每2周1次或每4周一次艾美赛珠单抗预防治疗，年化出血率分别为1.3次和0.7次。未发生血栓栓塞事件或血栓性微血管病。所有护理者均倾向选择艾美赛珠单抗而非患者之前的治疗方案。对不伴抑制物严重血友病A儿童患者，每2周或每4周给药一次的艾美赛珠单抗治疗方案有效且安全耐受性良好
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 2-1-3HOHOEMI不存在FVIII抑制物的重度A型血友病儿童患者-中英.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	无预防治疗

试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	全球多中心III期、随机、对照、开放性试验（纳入109例患者，HAVEN 1研究）：≥12岁存在抑制物的血友病A患者接受每周1次艾美赛珠单抗皮下注射预防治疗后，与未接受预防治疗相比：出血风险降低87%，年化出血率2.9次（对比无预防治疗 23.3次），治疗零出血率达62.9%（对比无预防治疗 6%）。患者内对比分析，既往接受旁路药物预防治疗患者，后续转至艾美赛珠单抗预防治疗后，出血风险进一步降低79%
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 2-1-4HAVEN1存在FVIII抑制物的A型血友病成人患者-中英.pdf
试验类型5	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	无预防治疗
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	全球多中心III期、随机、对照、开放性试验（纳入152例患者，HAVEN 3研究）。≥12岁不存在FVIII抑制物血友病A患者，每周或每两周接受艾美赛珠单抗预防治疗，与未接受预防治疗患者相比，年化出血率仅1.5和1.3，出血分别减少96%和97%，在出血相关的各项终点均显示出了显著降低的结果，安全性良好。患者自身对比，相较既往接受FVIII预防治疗，接受艾美赛珠单抗预防治疗的出血率降低（68%）
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 2-1-5HAVEN3不存在FVIII抑制物的A型血友病成人患者-中英.pdf
试验类型6	单臂临床实验
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	全球多中心、III期、单臂试验（共41例患者，HAVEN 4研究），≥12岁存在或不存在FVIII抑制物的血友病A患者接受艾美赛珠单抗每4周一次预防治疗，中位随访时间25.6周，90%患者经历3次或更少治疗出血。艾美赛珠单抗显著控制出血的同时表现出良好耐受性，减轻负担、提升预防治疗依从性，从而可能预防血友病A患者继发性并发症的发生。相较静脉注射FVIII或旁路制剂方案，患者更倾向于使用艾美赛珠单抗
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 2-1-6HAVEN4存在或不存在FVIII抑制物的A型血友病成人患者-中英.pdf
试验类型7	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	无预防治疗
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	艾美赛珠单抗首个专注于中国人群的III期、随机对照试验（共70例患者，其中60例为中国人，HAVEN 5研究），接受艾美赛珠单抗预防治疗的患者（存在或不存在FVIII抑制物）不同给药方案（每周、每两周或每周一次治疗）患者年化出血率

中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

艾美赛珠单抗预防治疗的患者（存在或不存在FVIII抑制物）不同给药方案（每周一次或每四周一次治疗）患者年化出血率均为1.0，而无预防治疗组年化出血率组为27.0，出血风险降低达96%，具有显著统计学意义和临床意义。

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

2-1-7HAVEN5亚太地区存在或不存在FVIII抑制物的A型血友病成人患者-中英.pdf

试验类型8

其他

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

本研究为HAVEN 1-4研究的长期随访汇总数据用于评估艾美赛珠单抗预防治疗的长期疗效，纳入401例含/不含FVIII抑制物的儿童及成人患者，中位随访120.4周，平均治疗出血ABR为0.7，82.4%患者实现零治疗出血，97.6%患者年治疗出血≤3次，94.1%患者无靶关节治疗出血。药物耐受性良好。艾美赛珠单抗预防治疗在所有年龄段（无论是否伴FVIII抑制物）的血友病A患者中均维持低出血率。

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

2-1-8HAVEN1-4长期随访数据-中英.pdf

试验类型1

单臂临床实验

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

全球多中心III期、单臂、开放标签临床试验（纳入85例患者，HAVEN 2研究）证实，<12岁存在FVIII抑制物血友病A儿童接受艾美赛珠单抗预防治疗，中位随访时间57.6周，年化出血率为0.3；患者自身前后对比分析：既往接受旁路药物预防治疗时年化出血率为21.1，转至艾美赛珠单抗预防治疗后年化出血率为0.3，出血风险降低99%。

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

2-1-1HAVEN2存在FVIII抑制物的A型血友病儿童患者-中英.pdf

试验类型2

单臂临床实验

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

全球多中心III期、单臂、开放标签试验（纳入55例婴幼儿，HAVEN 7研究）证实。≤12个月、≥3kg不存在FVIII抑制物的重度血友病A婴幼儿患者接受艾美赛珠单抗预防治疗，中位随访时间101.9周，年化出血率为0.4（治疗性出血事件），发生颅内出血事件为0。没有不良事件导致治疗变更。未发生死亡、血栓栓塞事件或血栓性微血管病。

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，

↓ 下载文件

2-1-2HAVEN7不存在FVIII抑制物的A型血友病儿童患者-中英.pdf

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3	单臂临床实验
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	全球多中心、随机、开放性试验 (HOHOEMI 研究) : <12岁不存在抑制物的重度血友病A儿童患者 (基线年龄为4个月-10岁) , 接受每2周1次或每4周一次艾美赛珠单抗预防治疗, 年化出血率分别为1.3次和0.7次。未发生血栓栓塞事件或血栓性微血管病。所有护理者均倾向选择艾美赛珠单抗而非患者之前的治疗方案。对不伴抑制物严重血友病A儿童患者, 每2周或每4周给药一次的艾美赛珠单抗治疗方案有效且安全耐受性良好
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 2-1-3HOHOEMI不存在FVIII抑制物的重度A型血友病儿童患者-中英.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	无预防治疗
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	全球多中心III期、随机、对照、开放性试验 (纳入109例患者, HAVEN 1研究) : ≥12岁存在抑制物的血友病A患者接受每周1次艾美赛珠单抗皮下注射预防治疗后, 与未接受预防治疗相比: 出血风险降低87%, 年化出血率2.9次 (对比无预防治疗 23.3次) , 治疗零出血率达62.9% (对比无预防治疗 6%) 。患者内对比分析, 既往接受旁路药物预防治疗患者, 后续转至艾美赛珠单抗预防治疗后, 出血风险进一步降低79%
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 2-1-4HAVEN1存在FVIII抑制物的A型血友病成人患者-中英.pdf
试验类型5	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	无预防治疗
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	全球多中心III期、随机、对照、开放性试验 (纳入152例患者, HAVEN 3研究) 。≥12岁不存在FVIII 抑制物血友病A患者, 每周或每两周接受艾美赛珠单抗预防治疗, 与未接受预防治疗患者相比, 年化出血率仅1.5和1.3, 出血分别减少96%和97%, 在出血相关的各项终点均显示出了显著降低的结果, 安全性良好。患者自身对比, 相较既往接受FVIII预防治疗, 接受艾美赛珠单抗预防治疗的出血率降低 (68%)
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 2-1-5HAVEN3不存在FVIII抑制物的A型血友病成人患者-中英.pdf
试验类型6	单臂临床实验

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	全球多中心、III期、单臂试验（共41例患者，HAVEN 4研究），≥12岁存在或不存在FVIII抑制物的血友病A患者接受艾美赛珠单抗每4周一次预防治疗，中位随访时间25.6周，90%患者经历3次或更少治疗出血。艾美赛珠单抗显著控制出血的同时表现出良好耐受性，减轻负担、提升预防治疗依从性，从而可能预防血友病A患者继发性并发症的发生。相较静脉注射FVIII或旁路制剂方案，患者更倾向于使用艾美赛珠单抗
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 2-1-6HAVEN4存在或不存在FVIII抑制物的A型血友病成人患者-中英.pdf
试验类型7	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	无预防治疗
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	艾美赛珠单抗首个专注于中国人群的III期、随机对照试验（共70例患者，其中60例为中国人，HAVEN 5研究），接受艾美赛珠单抗预防治疗的患者（存在或不存在FVIII抑制物）不同给药方案（每周一次或每四周一次治疗）患者年化出血率均为1.0，而无预防治疗组年化出血率组为27.0，出血风险降低达96%，具有显著统计学意义和临床意义。
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 2-1-7HAVEN5亚太地区存在或不存在FVIII抑制物的A型血友病成人患者-中英.pdf
试验类型8	其他
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	本研究为HAVEN 1-4研究的长期随访汇总数据用于评估艾美赛珠单抗预防治疗的长期疗效，纳入401例含/不含FVIII抑制物的儿童及成人患者，中位随访120.4周，平均治疗出血ABR为0.7，82.4%患者实现零治疗出血，97.6%患者年治疗出血≤3次，94.1%患者无靶关节治疗出血。药物耐受性良好。艾美赛珠单抗预防治疗在所有年龄段（无论是否伴FVIII抑制物）的血友病A患者中均维持低出血率。
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 2-1-8HAVEN1-4长期随访数据-中英.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	中国儿童血友病诊疗规范（2019版）：艾美赛珠单抗治疗不会产生FVIII抗体，其作用也不受抑制物表达的影响，同时皮下注射、半衰期长，解决了儿童血友病接受预防治疗时需要频繁静脉穿刺的不便利性。
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	↓ 下载文件 2-2-1中国儿童血友病诊疗规范-2019版.pdf

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2

血友病治疗中国指南（2020版）：非因子类产品的上市彻底改变了血友病A替代治疗模式。相比旁路制剂艾美赛珠单抗预防治疗在控制出血、恢复靶关节、提高血友病患者生活质量上都有显著改善；减轻低龄儿童患者治疗负担

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](#) 2-2-2血友病治疗中国指南-2020年版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

中国罕见病诊疗指南（2019版）：艾美赛珠单抗可以将激活天然凝血级联所需的 FIXa 和 FX 聚集在一起，恢复HA患者的凝血反应，推荐用于血友病A合并FVIII抑制物患者的预防治疗

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中国罕见病治疗指南-2019-.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

世界血友病联盟(WFH) 血友病管理指南（第三版，2020）：推荐艾美赛珠单抗用于有/无抑制物的血友病A 患者的预防治疗

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](#) 2-2-4世界血友病联盟WFH-血友病管理指南第三版2020年.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

美国国家血友病基金会(NHF)指南推荐（2020版）推荐任何年龄、严重程度，有/无抑制物的血友病A患者使用艾美赛珠单抗进行预防治疗。

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](#) 2-2-5美国国家血友病基金会NHF-指南推荐2020版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

中国儿童血友病诊疗规范（2019版）：艾美赛珠单抗治疗不会产生FVIII抗体，其作用也不受抑制物表达的影响，同时皮下注射、半衰期长，解决了儿童血友病接受预防治疗时需要频繁静脉穿刺的不便利性。

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中国儿童血友病诊疗规范-2019版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

血友病治疗中国指南（2020版）：非因子类产品的上市彻底改变了血友病A替代治疗模式。相比旁路制剂艾美赛珠单抗预防治疗在控制出血、恢复靶关节、提高血友病患者生活质量上都有显著改善；减轻低龄儿童患者治疗负担

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

2-2-2血友病治疗中国指南-2020年版.pdf

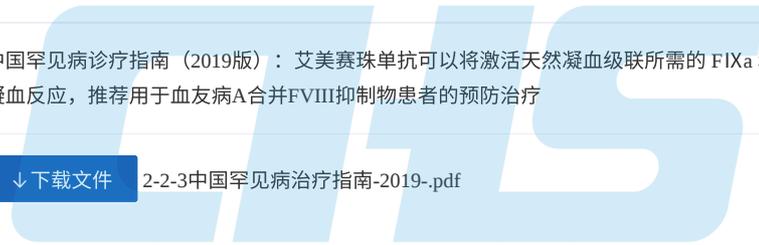
临床指南/诊疗规范推荐情况3

中国罕见病诊疗指南（2019版）：艾美赛珠单抗可以将激活天然凝血级联所需的 FIXa 和 FX 聚集在一起，恢复HA患者的凝血反应，推荐用于血友病A合并FVIII抑制物患者的预防治疗

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中国罕见病治疗指南-2019-.pdf



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

临床指南/诊疗规范推荐情况4

世界血友病联盟(WFH) 血友病管理指南（第三版，2020）：推荐艾美赛珠单抗用于有/无抑制物的血友病A 患者的预防治疗

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

2-2-4世界血友病联盟WFH-血友病管理指南第三版2020年.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

美国国家血友病基金会(NHF)指南推荐（2020版）推荐任何年龄、严重程度，有/无抑制物的血友病A患者使用艾美赛珠单抗进行预防治疗。

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

↓ 下载文件

2-2-5美国国家血友病基金会NHF-指南推荐2020版.pdf

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

①抑制物适应症审评报告“在有抑制物的血友病A儿童、青少年和成人患者中的临床研究，表明艾美赛珠单抗预防治疗与现有治疗相比，可有效降低出血频率，改善患者生存，给患者带来确切的临床获益。本品属于急需药物，临床疗效确切，风险可控，耐受性良好、给药便利依从性好，在不同种族患者之间未见明确疗效及安全性差异。”②非抑制物适应症审评报告“当前可用的 FVIII 替代疗法和旁路疗法是 A 型血友病治疗的基础，但不能恢复患者的正常健康和生活方式。艾美赛珠单抗...，显著增加凝血酶的生成，使 FVIII 功能障碍或完全缺乏 FVIII 的 A 型血友病患者的出血部位止血。艾美赛珠单抗预防治疗在伴有和不伴有 FVIII 抑制物的 A 型血友病亚洲患者中使得出血率出现一致且具有临床意义的降低。与无预防治疗相比，艾美赛珠单抗不同给药方案治疗后接受治疗的出血率均降低 96%。在儿童患者中开展的研究的主要分析结果证实，接受艾美赛珠单抗 Q2W 和 Q4W 剂量治疗的<12 岁 A 型血友病儿童患者具有良好的安全性特征。艾美赛珠单抗预防性治疗安全且耐受性良好。”

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 2-3艾美赛珠单抗-申请上市技术审评报告.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

①抑制物适应症审评报告“在有抑制物的血友病A儿童、青少年和成人患者中的临床研究，表明艾美赛珠单抗预防治疗与现有治疗相比，可有效降低出血频率，改善患者生存，给患者带来确切的临床获益。本品属于急需药物，临床疗效确切，风险可控，耐受性良好、给药便利依从性好，在不同种族患者之间未见明确疗效及安全性差异。”②非抑制物适应症审评报告“当前可用的 FVIII 替代疗法和旁路疗法是 A 型血友病治疗的基础，但不能恢复患者的正常健康和生活方式。艾美赛珠单抗...，显著增加凝血酶的生成，使 FVIII 功能障碍或完全缺乏 FVIII 的 A 型血友病患者的出血部位止血。艾美赛珠单抗预防治疗在伴有和不伴有 FVIII 抑制物的 A 型血友病亚洲患者中使得出血率出现一致且具有临床意义的降低。与无预防治疗相比，艾美赛珠单抗不同给药方案治疗后接受治疗的出血率均降低 96%。在儿童患者中开展的研究的主要分析结果证实，接受艾美赛珠单抗 Q2W 和 Q4W 剂量治疗的<12 岁 A 型血友病儿童患者具有良好的安全性特征。艾美赛珠单抗预防性治疗安全且耐受性良好。”

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 2-3艾美赛珠单抗-申请上市技术审评报告.pdf

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息

①总体安全性良好。艾美赛珠单抗在中国患者人群中具有良好的获益-风险比，该药在中国患者中的安全性特征与中国说明书已列明的一致，与全球患者的安全性特征保持一致。②儿童/婴幼儿可用。已在儿童患者中确立了艾美赛珠单抗的安全性和有效性。四项临床试验支持艾美赛珠单抗用于儿童患者。试验人群包含1个月至<2岁年度组的儿童患者。③说明书存在血栓性微血管病和血栓栓塞警示语，III期临床试验的汇总分析数据显示其整体发生率<1%；血栓性微血管病和血栓栓塞与活化凝血酶原复合物（aPCC）的使用相关，可通过避免在艾美赛珠单抗预防治疗期间使用 PCC/aPCC 规避。

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

①艾美赛珠单抗已在全球超过120个国家/地区上市，自全球上市以来具有超过3万患者用药经验和安全性验证。②各国家或地区药监部门5年内未发布新的安全性警告、黑框警告、撤市信息。③定期对全球安全性数据库的信号探测和安全性（2018-2024PBRER报告）分析显示艾美赛珠单抗总体安全性良好，上市后观察到的安全性特征与临床试验中观察到的安全性特征一致。具有良好的获益-风险比。④CDE审评报告：“艾美赛珠单抗...临床疗效确切，风险可控，耐受性良好...”。“...艾美赛珠单抗在儿童患者具有良好的安全性特征”。

相关报导文献

-

四、创新性信息

创新程度

①艾美赛珠单抗是血友病领域全球first in class 品种，也是国内目前唯一非因子类药物、唯一双抗，非同机制、同药理、同靶点、同适应症品种；②1类新药（治疗用生物制品1类）、作为急需品种获优先审评；FDA突破性疗法

创新性证明文件

[↓ 下载文件](#) 4-1创新性证明文件-艾美赛珠单抗.pdf

应用创新

①适用特殊人群：儿童/婴幼儿可用，≥65岁老年患者可用，轻中度肾/肝功能损伤患者可用。②优化给药途径，可皮下注射（对比因子类药物需静脉注射）。③减少给药次数：全年可最少13次（对比因子类预防治疗全年超100次）

应用创新证明文件

[↓ 下载文件](#) 4-2应用创新证明文件-艾美赛珠单抗.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	① 显著提升疾病群体健康水平：艾美赛珠单抗的突破性疗效推动患者从生存迈向“正常人生活水平”跃升，尤其为婴幼儿及儿童患者提供“功能性治愈”可能。② 降低治疗痛苦与用药负担：皮下注射（最长四周一次）替代传统频繁静脉输注（每周2-3次），大幅提升婴幼儿/儿童患者用药依从性，减轻治疗痛苦与家庭护理负担。③ 减少长期医疗成本：显著降低出血导致的关节损伤及残疾风险，直接降低相关医疗成本，优化医疗资源投入。
符合“保基本”原则描述	① 精准覆盖婴幼儿/儿童和成人参保人迫切核心需求：艾美赛珠单抗作为国内唯一覆盖伴抑制物血友病A患者的预防治疗药物，彻底解决该群体长期“无药可用保”困境；同步填补婴幼儿及儿童非抑制物患者对长效皮下制剂的迫切临床需求。② 多层次保障体系准入情况验证准入和保障的紧迫性：作为罕见病产品，已被广泛纳入全国地方惠民保，直接反映地方保障体系与患者对本品纳入多层次保障的的双重迫切诉求。
弥补目录短板描述	① 填补抑制物儿童/成人患者无预防治疗用药的空白：艾美赛珠单抗是国内目前唯一可用于抑制物患者的预防治疗药物。② 优化非抑制物患者预防治疗不足：提供长效皮下注射方案（最长可每周给药一次），突破传统因子类药物需频繁（每周2-3次）且需静脉输注限制，特别惠及静脉给药不耐受的婴幼儿/儿童患者，弥补非因子类长效预防治疗的目录空缺。
临床管理难度描述	① 经办审核难度小：艾美赛珠单抗适应症描述清晰，用药规范性强，潜在超适应证使用风险低，保障临床用药合规性。② 临床用药难度降低：艾美赛珠单抗的给药便捷性革命性突破，可通过皮下注射替代传统静脉频繁输注，降低给药频次、优化给药途径，临床用药难度低。③ 临床管理成本优化：可居家给药、减少医院往返，释放医疗资源，降低医疗系统管理负担。