附件

临床急需境外新药名单（第一批）

| **序号** | **药品名称 （活性成分）** | **企业名称 （持证商）** | **首次批准地** | **欧美日首次 批准日期** | **治疗领域** | **治疗靶点** | **适应症** | **列为临床急需原因** |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| 1 | Siltuximab | Janssen Biotech, Inc. | 美国 | 2014/4/23 | 免疫系统 | IL-6 | 多中心卡斯特莱曼病 | 罕见病用药 |
| 2 | Elosulfase Alfa | Biomarin Pharmaceutical Inc. | 美国 | 2014/2/14 | 内分泌和代谢病 | C6S,KS | IVA型黏多糖贮积症 | MPS IVA是罕见疾病。MPS IVA是一种遗传疾病，由于体内降解糖胺聚糖（GAG）的溶酶体酶N-乙酰半乳糖胺-6-硫酸酯酶（GALNS）缺失或活性不足，造成GAG及其代谢物硫酸角质素（KS）和6-硫酸软骨素在多器官和组织内逐渐贮积，进而导致器官功能减退。最常见特征为进展性骨骼发育不良、频繁手术以及活动能力、呼吸功能受限和早期死亡。MPS的治疗主要有骨髓移植或造血干细胞移植）、酶替代治疗。现目前中国尚无MPS IVA治疗药物或酶替代等治疗方法，本品是唯一一种适用于MPS IVA患者疾病缓解的药物，属临床急需。 |
| 3 | Selexipag | ActelionPharmaceuticalsLtd | 美国 | 2015/12/21 | 呼吸系统 | IPreceptor | 肺动脉高压 | 肺动脉高压是一种严重威胁生命的疾病，其中特发性肺动脉高压属于罕见病。 目前国内已经上市的用于成人PAH的特异性治疗药物仅有：吸入用伊洛前列素溶液、波生坦片、安立生坦片和曲前列尼尔注射液、马昔滕坦片和利奥西胍片，但临床仍存在未被满足的需求。本品已有研究显示用于治疗肺动脉高压（PAH，WHO第1组）以延缓疾病进展及降低因PAH而住院的风险。为临床提供更多选择。 |
| 4 | Brodalumab | Kyowa Hakko Kirin Co., Ltd. | 日本 | 2016/7/4 | 皮肤疾病；免疫系统 | IL17RA | 寻常型银屑病,银屑病关节炎,红皮病型银屑病,脓疱型银屑病,斑块状银屑病 | 银屑病是一种慢性、复发性、免疫介导多系统疾患，降低患者生活治疗，严重的致残。皮肤病变的类别为红皮型，表明其同时涉及脉管系统（红斑）和表皮（鳞屑形成增多）。传统药物（甲氨蝶呤（MTX）、阿维A、环孢素及其他药物）存在多种潜在毒性。本品国外研究中被证明具有治疗效果并且耐受性良好，目前国内暂无此作用机制药物上市用于银屑病治疗。 |
| 5 | Canakinumab | Novartis Pharmaceuticals Corporation | 美国 | 2009/6/17 | 免疫系统疾病 | IL-1&beta | 系统性幼年特发性关节炎,冷吡啉相关的周期性综合征，高免疫球蛋白D综合征,家族性地中海热,肿瘤坏死因子受体相关周期性综合症,关节炎 | 冷吡啉相关的周期性综合征是罕见病，为遗传性炎性疾病，包括家族性寒冷型自身炎症综合征、穆-韦二氏综合征、新生儿多系统炎症综合征等。主要表现为皮疹、发热、关节痛、肌痛等。病情日益加重在中国目前无有效治疗药物，临床急需。目前国内缺乏有效治疗药物 |
| 6 | Denosumab | Amgen Europe B.V. | 欧盟 | 2010/5/26 | 肿瘤 | RANKL | 骨转移性实体瘤, 骨癌, 实体瘤, 巨骨细胞瘤, 多发性骨髓瘤, 高钙血症, 类风湿性关节炎, 骨质疏松症 | 骨巨细胞瘤发病率低，3/100万，好发于青壮年，对手术切除可能导致严重功能障碍的患者以及不可切除的中轴骨病变患者确无有效的治疗手段，Denosumab国外研究显示达到70%以上的肿瘤缓解率 |
| 7 | Fingolimod Hcl Ora Lcapsules | Novartis Pharmaceuticals Corp | 美国 | 2010/9/21 | 免疫系统疾病 | S1PR1；S1PR3；S1PR5；S1PR4 | 多发性硬化症 | 罕见病用药 |
| 8 | Ponatinib | Ariad Pharmaceuticals Inc | 美国 | 2012/12/14 | 肿瘤 | EPH receptor,FGFR,Src,VEGFR,Kit,FLT-3,PDGFR,VEGFR,TIE2,RET | 慢性髓细胞性白血病; 急性淋巴细胞白血病; 白血病 | Ponatinib 为第三代Bcr-Abl激酶靶向抑制剂，对T315I突变型Bcr-Abl激酶具有高效特异性抑制作用，可有效解决现有以伊马替尼为代表的靶向抑制Bcr-Abl激酶的CML治疗药物普遍存在的、因激酶突变引起耐药性的缺陷。 |
| 9 | Vedolizumab | Takeda Pharmaceuticals U.S.A., Inc. | 美国 | 2014/5/20 | 消化系统 | Integrin &alpha;4&beta;7 | 溃疡性结肠炎; 克罗恩氏病 | 克罗恩病是一种原因不明的肠道炎症性疾病。该疾病病因不明，病情常有反复，急性重症病症预后较差，近期死亡率3%-10%左右。目前尚无根治疗法，主要为支持疗法和对症治疗，主要为SASP、5-ASA、肾上腺皮质激素、硫唑嘌呤、环孢素等。溃疡性结肠炎是一种原因不明的慢性结肠炎，病程漫长反复发作，合并结肠穿孔，病死率高达20%-50%，目前的治疗药物包括症治疗，主要为SASP、5-ASA、肾上腺皮质激素、ACTH。该品种抑制的靶点，在CD和UC介导炎症过程发挥重要作用，因此该品种为病因治疗，具有较好的有效性和安全性，具有一定临床优势，为临床提供选择。 |
| 10 | Eliglustat | Genzyme Corp | 美国 | 2014/8/19 | 内分泌和代谢病 | UGCG | 戈谢病 | 罕见病用药,用于1型戈谢氏病患者，临床急需。本品为第二代底物清除疗法SRT产品，用于更广泛的戈谢氏病I型患者。 |
| 11 | Secukinumab | Novartis Pharma K.K. | 日本 | 2014/12/26 | 皮肤疾病；免疫系统 | IL-17A | 银屑病,银屑病关节炎,强直性脊柱炎 | 银屑病是一种慢性、复发性、免疫介导多系统疾患，降低患者生活质量，严重的致残。传统药物（甲氨蝶呤（MTX）、阿维A、环孢素及其他药物）存在多种潜在毒性。本品国外研究中被证明具有治疗效果并且耐受性良好，目前国内暂无此作用机制药物上市用于银屑病治疗。 |
| 12 | Ixekizumab | ELILILLYANDCOMPANY | 美国 | 2016/3/22 | 皮肤病；免疫系统 | IL-17A | 斑块状银屑病; 银屑病关节炎; 红皮病型银屑病; 脓疱型银屑病; 寻常型银屑病 | 银屑病是一种慢性、复发性、免疫介导多系统疾患，银屑病是一种慢性、复发性、免疫介导多系统疾患。中至重度银屑病可降低降低生活质量甚至致残，传统药物（甲氨蝶呤（MTX）、阿维A、环孢素及其他药物）存在多种潜在毒性。本品国外研究中被证明具有治疗效果并且耐受性良好，本品为IL-17单抗药物，对IL-17A具有较高的亲和力和特异性。目前国内暂无此作用机制药物上市用于银屑病治疗。 |
| 13 | Enasidenib mesylate | CELGENECORP | 美国 | 2017/8/1 | 肿瘤 | IDH2 | 急性骨髓性白血病 | Enasidenib 是全球首个批准的针对IDH2突变的成人 AML 患者的药物，IDH2突变在AML中大约占17%。对于复发难治的AML目前尚无标准的有效治疗，国外研究显示本品在具有IDH2突变的复发难治的AML中获得23%的完全缓解率和8.2个月的缓解持续时间。 |
| 14 | Icatibant | Shire Orphan Therapies GmbH | 欧盟 | 2008/7/11 | 心脑血管疾病 | BDKRB2 | 遗传性血管性水肿 | 遗传性血管水肿是一种罕见、严重的常染色体显性遗传病，预计患病率为1/50000。在临床上，HAE患者会出现可累及多个解剖学部位（包括胃肠道、面部组织、声带和喉头、口咽、泌尿生殖区域和/或双臂和双腿）的软组织水肿复发性急性发作。喉部发作可因窒息之风险而危及生命。目前尚无有效治疗手段。 |
| 15 | Dalfampridine | Acorda Therapeutics Inc | 美国 | 2010/1/22 | 免疫系统疾病 | Potassium channel | 多发性硬化症 | 罕见病用药 |
| 16 | Vismodegib | Genentech Inc | 美国 | 2012/1/30 | 肿瘤 | SMO | 基底细胞癌 | 基底细胞癌为最常见的皮肤恶性肿瘤。Vismodegib为全球首个上市hedgehog通路抑制剂，首个被批准用于治疗基底细胞癌的药物。国外研究显示在无有效治疗的转移性基底细胞癌患者中可达到43%的肿瘤缓解率 |
| 17 | Apremilast | Celgene Corp | 美国 | 2014/3/21 | 免疫系统；皮肤病 | PDE4 | 银屑病关节炎; 银屑病 | 银屑病是一种慢性、复发性、免疫介导多系统疾患。中至重度银屑病可降低降低生活质量甚至致残，传统药物（甲氨蝶呤（MTX）、阿维A、环孢素及其他药物）有效性有限且存在多种潜在毒性。本品国外研究中被证明具有治疗效果并且耐受性良好。本品为口服途径给药，全新的作用靶点。目前国内暂无此作用机制药物上市用于银屑病治疗。 |
| 18 | Rilonacept | Regeneron | 美国 | 2008/2/27 | 免疫系统疾病 | IL-1&alpha;,IL-1&beta | 冷吡啉相关的周期性综合征,穆-韦二氏综合征,家族性寒冷型自身炎症综合征,家族性乳糜微粒血症 | 冷吡啉相关的周期性综合征是罕见病，为遗传性炎性疾病，包括家族性寒冷型自身炎症综合征、穆-韦二氏综合征、新生儿多系统炎症综合征等。主要表现为皮疹、发热、关节痛、肌痛等。病情日益加重在中国目前无有效治疗药物，临床急需。 |
| 19 | Tetrabenazine | Prestwick | 美国 | 2008/8/15 | 精神障碍；神经系统疾病 | VMAT2 | 亨廷顿氏舞蹈症 | 亨廷顿舞蹈症是一种罕见的常染色体显性遗传病，目前无有效治疗手段。本品为氘代丁苯那嗪，已有临床研究显示，本品用于治疗亨廷顿舞蹈症具有明确的疗效。 |
| 20 | Ecallantide | Dyax Corp. | 美国 | 2009/12/1 | 血液系统疾病 | KLKB1 | 遗传性血管性水肿 | 遗传性血管水肿是一种罕见、严重的常染色体显性遗传病，预计患病率为1/50000。在临床上，HAE患者会出现可累及多个解剖学部位（包括胃肠道、面部组织、声带和喉头、口咽、泌尿生殖区域和/或双臂和双腿）的软组织水肿复发性急性发作。喉部发作可因窒息之风险而危及生命。目前尚无有效治疗手段。 |
| 21 | Velaglucerase Alfa | Shire Human Genetic Therapies Inc | 美国 | 2010/2/26 | 内分泌和代谢疾病 | Glucosylceramidase replacements | 戈谢病 | 戈谢病(Gaucher disease)是属罕见病，为溶酶体贮积病，为常染色体隐性遗传病。戈谢病主要分为非神经病变型(I型)及神经病变型(Ⅱ型及Ⅲ型)。该病由于葡萄糖脑苷脂酶基因突变导致机体葡萄糖脑苷脂酶活性缺乏，造成其底物葡萄糖脑苷脂在肝、脾、骨骼、肺，甚至脑的巨噬细胞溶酶体中贮积，形成典型的贮积细胞即“戈谢细胞”，导致受累组织器官出现病变，临床表现多脏器受累并进行性加重。目前治疗有两种：酶替代疗法 (ERT) 及底物清除疗法 (SRT)。伊米苷酶是目前国内唯一可获得的戈谢病特异性治疗药物，为I型戈谢病治疗药物。本品属酶替代疗法，用于I型戈谢病，临床急需。 |
| 22 | Tafamidis | Pfizer Ltd | 欧盟 | 2011/11/16 | 神经系统 | TTR | 转甲状腺素蛋白家族性淀粉样多发性神经病,甲状腺素运载蛋白淀粉样变性 | 转甲状腺素蛋白家族性淀粉样多发性神经病为一种罕见病，由于基因突变而导致常染色体显性遗传的淀粉样变性疾病。目前无有效治疗手段。FDA和EMA因其可延缓神经损害优于安慰剂，批准其上市。 |
| 23 | Taliglucerase Alfa | Pfizer Inc | 美国 | 2012/5/10 | 内分泌和代谢病 | Glucosylceramide | 戈谢病 | 戈谢病(Gaucher disease)是属罕见病，为溶酶体贮积病，为常染色体隐性遗传病。目前治疗有两种：酶替代疗法 (ERT) 及底物清除疗法 (SRT)。本品用于I型戈谢病长期酶替代治疗药物，临床急需。 |
| 24 | Lomitapide | Aegerion Pharmaceuticals Inc | 美国 | 2012/12/21 | 心脑血管疾病 | MTP | 纯合子家族性高胆固醇血症; 高胆固醇血症 | 纯合子型家族性高胆固醇血症是一种遗传性疾病，属罕见病，并可威胁生命。早期发现诊断和治疗是关键。多种他汀类药物和依折麦布已有治疗纯合子型家族性高胆固醇血症（HoFH）的适应症，但是，由于该类患者基线血脂水平特别高，现有的降脂疗法无法满足本适应症患者的降脂需求，故目前对于本适应症尚无有效治疗手段。已有临床研究显示，本品用于治疗本适应症有效性明确。 |
| 25 | Mipomersen Sodium | Genzyme Corp | 美国 | 2013/1/29 | 心脑血管疾病 | APOB | 纯合子家族性高胆固醇血症 | 纯合子型家族性高胆固醇血症是一种遗传性疾病，属罕见病，并可威胁生命。早期发现诊断和治疗是关键。多种他汀类药物和依折麦布已有治疗纯合子型家族性高胆固醇血症（HoFH）的适应症，但是，由于该类患者基线血脂水平特别高，现有的降脂疗法无法满足本适应症患者的降脂需求，故目前对于本适应症尚无有效治疗手段。已有临床研究显示，本品用于治疗本适应症有效性明确。 |
| 26 | Dinutuximab | UnitedTherapeuticsCorporation | 美国 | 2015/3/10 | 肿瘤 | GD2 | 神经母细胞瘤 | 神经母细胞瘤发病率低，多发于儿童。Dinutuximab是FDA首个批准的针对高风险性的神经母细胞瘤的治疗药物。 |
| 27 | Sonidegib | NovartisPharmaceuticalsCorp | 美国 | 2015/7/24 | 肿瘤 | SMO | 基底细胞癌 | 基底细胞癌为最常见的皮肤癌。Sonidegib为hedgehog通路抑制剂，具有新的作用机制，在国外研究中显示对于既往治疗后复发的患者具有较高疗效（ORR，58%） |
| 28 | Olaratumab | 礼来 | 美国 | 2016/10/19 | 肿瘤 | PDGFRα (CD140A) | 软组织肉瘤 | 软组织肉瘤发病率低，2.63/10万，预后差，晚期患者中位生存1年左右，缺乏有效治疗药物。国外研究显示在现有化疗基础上联合Olaratumab可显著延长生存（26.5vs14.7月) |
| 29 | Nusinersen | BIOGENIDECINC | 美国 | 2016/12/23 | 肌肉骨骼系统 | SMN2 | 脊髓性肌萎缩 | 罕见病用药 |
| 30 | Deutetrabenazine | TEVABRANDEDPHARM | 美国 | 2017/4/3 | 肌肉骨骼系统 | VMAT2 | 迟发性运动障碍; 亨廷顿氏舞蹈症 | 亨廷顿舞蹈症是一种罕见的常染色体显性遗传病，目前无有效治疗手段。具体作用机制不详，但被认为与它可逆的单胺耗竭作用有关。已有临床研究显示，本品用于治疗本适应症有效性明确。 |
| 31 | Dinutuximab Beta | EUSA Pharma (UK) Limited | 欧盟 | 2017/5/8 | 肿瘤 | GD2 | 神经母细胞瘤 | 神经母细胞瘤发病率低，多发于儿童患者。Dinutuximab beta是欧盟首个批准的针对高风险性的神经母细胞瘤的治疗药物。在复发难治的神经母细胞瘤中显示了疗效 |
| 32 | Cenegermin（Recombinant Human Nerve Growth Factor） | Dompe farmaceutici s.p.a. | 欧盟 | 2017/7/6 | 眼部疾病 | NGFR | 角膜炎 | 神经营养性角膜炎是角膜上皮愈合障碍的一种变性疾病。它的特征是角膜感觉缺失，形成大面积的角膜上皮缺失和溃疡、溃疡进展严重的可造成角膜穿孔。由于神经营养性角膜炎患者数量少，该疾病被视为罕见病。目前国内缺乏有效治疗。本品含活性成分重组人神经生长因子，2015年12月14日被欧盟认定为“孤儿药”（用于罕见病的药物）。本品可帮助恢复眼部的正常愈合过程，并修复角膜的损伤。 |
| 33 | Guselkumab | JANSSENBIOTECH | 美国 | 2017/7/13 | 皮肤病；免疫系统 | IL23 | 红皮病型银屑病; 斑块状银屑病; 脓疱型银屑病; 银屑病关节炎; 寻常型银屑病 | 银屑病是一种慢性、复发性、免疫介导多系统疾患，皮肤病变的类别为红皮型，表明其同时涉及脉管系统（红斑）和表皮（鳞屑形成增多）。传统药物（甲氨蝶呤（MTX）、阿维A、环孢素及其他药物）存在多种潜在毒性。本品国外研究中被证明具有治疗效果并且耐受性良好，本品为IL-23单抗药物，国外大型临床试验证实本品安全有效。目前国内暂无此作用机制药物上市用于银屑病治疗。 |
| 34 | Vestronidase Alfa-Vjbk | ULTRAGENYXPHARMINC | 美国 | 2017/11/15 | 内分泌和代谢病 | GAG | VII型黏多糖贮积症 | 黏多糖贮积症属罕见病，本品为重组人β葡糖醛酸糖苷酶，为酶替代疗法。用于治疗儿童和成人VII型黏多糖贮积症。国内缺乏有效药物。 |
| 35 | Shingrix Zoster Vaccine Recombinant, Adjuvanted | GlaxoSmithKline Biologicals Rue de l"Institut 89, B1330 Rixensart, Belgium Lic # 1617 | 美国 | 2017/10/20 | 感染性疾病 | - | 带状疱疹病毒疫苗（50岁以上成人） | 带状疱疹为病毒感染性疾病，皮疹一般有单侧性和按神经节段分布的特点，由集簇性的疱疹组成，并伴有疼痛；年龄愈大，神经痛愈重。带状疱疹治疗后的后遗神经痛，是剧烈的顽固性的疼痛，严重影响患者的生活。本疫苗可预防带状疱疹的发病。 |
| 36 | Luxturna Voretigene Neparvovec | Spark Therapeutics, Inc. 3737 Market Street, Suite 1300, Philadelphia, PA, 19104 Lic# 2056 | 美国 | 2017/12/19 | 眼部疾病 | - | 双等位RPE65突变相关的视网膜营养不良 | 双等位RPE65突变相关的视网膜营养不良为罕见疾病，可导致视力丧失。本品为经过重组的腺相关病毒，将正常人的PRE65基因输送至视网膜细胞，使患者视力得到改善。 |
| 37 | Vernakalant Hydrochloride | Cardiome UK Limited | 欧盟 | 2010/9/1 | 心脑血管疾病 | Voltage-gated sodium channels,KCNH2 | 心房颤 | 本品为首个治疗药物，且具有明确的疗效。 |
| 38 | Vorapaxar | Merck Sharp And Dohme Corp | 美国 | 2014/5/8 | 心脑血管疾病 | PAR-1 | 心肌梗塞; 周边动脉血管疾病; 血栓性心血管病 | 本品为全新治疗靶点药物，疗效明显，且优于现有治疗药物。 |
| 39 | Ledipasvir And Sofosbuvir | Gilead Sciences Inc | 美国 | 2014/10/10 | 感染性疾病 | NS5B,NS5A | 丙肝 | 本品为全口服，治疗基因1b型丙肝药物，疗效可达90%以上。 |
| 40 | Sofosbuvir; Velpatasvir; Voxilaprevir | Gilead Sciences Inc | 美国 | 2017/7/18 | 感染性疾病 | NS3/NS4A; NS5B; NS5A | 丙肝 | 本品用于对现有治疗药物无效的丙肝治疗，为突破性治疗药物。 |