



关于发布第一批临床急需境外新药名单的通知

发布日期：20181101

为落实国务院常务会议有关会议精神，加快临床急需境外新药进入我国，国家药品监督管理局、国家卫生健康委员会制定了《临床急需境外新药审评审批工作程序》，并按程序组织专家遴选出 48 个临床急需境外新药，该名单前期已在我中心网站公示。其中，8 个品种已在近期获批上市，现将其他 40 个品种名单按程序对外公布（详见附件）。

列入临床急需境外新药名单的品种，可按照《临床急需境外新药审评审批工作程序》提交相关资料，直接提出上市申请，我中心建立专门通道加快审评。尚未申报的品种，可随时提出与我中心进行沟通交流，尽快提出上市申请。

附件：临床急需境外新药名单（第一批）

国家药品监督管理局药品审评中心

2018 年 11 月 1 日

相关附件

序号	附件名称
1	附件：临床急需境外新药名单（第一批）.docx

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。

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
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呱片，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。

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
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,冷吡淋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	冷吡淋相关的周期性综合征是罕见病,为遗传性炎症性疾病,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 Oral Capsules	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

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
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 α 4 β 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对症治疗, 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。

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
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	ELILILLYAND COMPANY	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。

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
13	Enasidenib mesylate	CELGENECOR P	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

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
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-1α, IL-1 β	冷吡琳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	冷吡琳相关的周期性综合征是罕见病，为遗传性炎症性疾病，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。

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
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。

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
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	Glucosyl ceramide	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。

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
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	United Therapeutics Corporation	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	Novartis Pharmaceuticals Corp	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	PDGFR α (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	BIOGEN IDEC INC	美国	2016/12/23	肌肉骨骼系统	SMN2	脊髓性肌萎缩	罕见病用药

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
30	Deutetrabenazine	TEVABRANDE DPHARM	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。

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
33	Guselkumab	JANSSENBIOT ECH	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	ULTRAGENYX PHARMINC	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 葡萄糖醛酸糖苷酶，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。

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
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。

