



关于发布第二批临床急需境外新药名单的通知

发布日期：20190529

为落实国务院常务会议精神，加快临床急需境外新药进入我国，根据《关于临床急需境外新药审评审批相关事宜的公告》（2018 年第 79 号）工作程序，国家药品监督管理局、国家卫生与健康委员会组织有关专家研究论证，遴选出了第二批临床急需境外新药，该名单前期已在我中心网站公示。现将 Biopten Granules 等 26 个无异议的品种作为第二批临床急需境外新药品种名单正式对外发布。

列入上述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（第二批）

国家药品监督管理局药品审评中心

2019 年 5 月 29 日

相 关 附 件

序号	附件名称
1	临床急需境外新药名单（第二批）.doc

临床急需境外新药名单(第二批)

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	Biopten Granules 10%, 2.5% (sapropterin hydrochloride)	Daiichi Sankyo Co., Ltd.	日本	2013/8/20	内分泌和代谢病	BH4 替代	1. 降低因二氢喋啶合成酶和二氢喋啶还原酶缺乏导致的高苯丙氨酸血症患者的血清苯丙氨酸水平 (a 型高苯丙氨酸血症)。 2. 降低四氢喋啶反应性高苯丙氨酸血症患者的血清苯丙氨酸水平 (BH4 反应性高苯丙氨酸血症)。	罕见病用药。
2	NORDITROPIN (somatropin) injection,	NOVO NORDISK INC	美国	1.Noonan 适应症于 2007 年批准 2.Prader-Willi 适应症于 2018 年批准	内分泌和代谢疾病	IGF-1	1.Noonan 综合症 2.Prader-Willi 综合症	罕见病用药。
3	Crysvita (Burosumab)	Kyowa Kirin Limited	欧盟	2018/2/19	内分泌和代谢病	FGF23	X 连锁低磷佝偻病	罕见病用药。目前尚无有效治疗药物。

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
4	Increlex (Mecasermin [rDNA origin]) Injection	IPSEN INC	美国	2005/8/30	内分泌	生长激素受体-胰岛素样因子 1 轴	儿童严重原发性胰岛素样因子 1 缺乏；生长激素受体基因缺陷；体内出现生长激素中和抗体导致的生长不足的患儿。	罕见病用药。儿童用药
5	Aldurazyme (Iaronidase)	BIOMARIN PHARMACEUTICAL INC.	美国	2003/4/30	遗传代谢性疾病	α -L-iduronidase (IDUA) 缺乏, 酶替代疗法	黏多糖贮积症 I 型	罕见病用药。
6	Elaprase (Indursulfase) Injection	Shire Human Genetic Therapies, Inc.	美国	2006/7/24	遗传代谢性疾病	iduronate-2-sulfatase (I2S) 缺乏, 酶替代疗法	黏多糖贮积症 II 型	罕见病用药。
7	Fabrazyme (Agalsidase Beta)	Genzyme Europe B.V.	欧盟	2001/3/8	遗传代谢性疾病	α -半乳糖苷酶 A 缺乏, 酶替代疗法	法布雷病	罕见病用药。
8	Replagal (Agalsidase alfa)	Shire Human Genetic Therapies AB	欧盟	2001/3/8	遗传代谢性疾病	α -半乳糖苷酶 A 缺乏, 酶替代疗法	法布雷病	罕见病用药。
9	Galafold (Migalastat hydrochloride)	Amicus Therapeutics UK Ltd	欧盟	2016/5/25	遗传代谢性疾病	GL-3	法布雷病	罕见病用药。
10	Erleada (apalutamide)	Janssen Biotech, Inc.	美国	2018/2/14	肿瘤	雄激素受体 (AR)	非转移性去势抵抗性前列腺癌 (NM-CRPC)	临床优势明显。

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
11	Lysodren(mitotane)	HRA Pharma	美国	1970/7/8	肿瘤	StAR he P450	肾上腺皮质癌	目前尚无有效治疗药物。
12	ALPROLIX [Coagulation Factor IX (Recombinant), Fc Fusion Protein]	Bioverativ Therapeutics Inc	美国	2014/3/28	血液系统 疾病	凝血因子IX 缺乏	乙型血友病	罕见病用药。本品为长效制剂，半衰期延长，可减少给药频次，较目前治疗手段有明显临床优势；已有亚洲国家和地区的使用经验。
13	Maviret(Glecaprevir/Pibrentasvir)	AbbVie Deutschland GmbH Co. KG	欧盟	2017/7/26	感染性疾病	NS3/4A, NS5A	丙肝	1、涉及公共卫生；2、重症丙肝危及生命；3、本品较上市产品有治疗优势。
14	BIKTARVY(bictegravir, emtricitabine, and tenofovir alafenamide) Tablets	Gilead Sciences,Inc.	美国	2018/2/7	感染性疾病	HIV integrase	艾滋病	本品适用于作为一种完整方案，用于对整合酶类药物恩曲他滨或替诺福韦无现有或既往耐药证据的 HIV 成人感染者，具有长期疗效和安全性。
15	Tracleer 32 mg dispersible tablets	Janssen-Cilag International N V	欧盟	2009/6/3	呼吸系统	Eta 和 ETb	肺动脉高压	罕见病用药。儿童用剂型
16	Revatio (Sildenafil Citrate)	Pfizer Inc.	美国	2009/11/18	呼吸系统	特异性 5 型 磷酸二酯酶 (PED5)	肺动脉高压	罕见病用药。
17	Careload LA (Beraprost sodium)	東レ株式会社	日本	2007/10/19	呼吸系统	PGI2	肺动脉高压	罕见病用药。
18	Ruconest (Recombinant human C1-inhibitor)	Pharming Group N.V.	欧盟	2010/10/28	皮肤疾病	C1 酯酶抑制 剂	遗传性血管性水肿	罕见病用药。本品为境外已上市的防治严重危及生命疾病的药物。
19	STELARA (ustekinumab) Injection	Janssen Biotech, Inc.	美国	2016/9/23	消化系统	抗人白细胞 介素 (IL) - 12 和 IL-23	克罗恩病 (CD)	本品为 IL-12 和 IL-23 拮抗剂。获批准的适应症是用于中重度克罗恩病，包括一种或者多种 THE 拮抗剂治疗失败或者不耐受者。区别于已经上市单抗制剂。无特殊安全性警告。有临床价值。

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	Lokelma(sodium zirconium cyclosilicate)	AstraZeneca AB	欧盟	2018/3/22	高钾血症	N/A	高钾血症的成年患者的治疗	现有治疗药物仅有聚苯乙烯磺酸钠/钙, 未满足临床需求。本品具有临床优势。
21	Humira (adalimumab)	AbbVie Deutschland GmbH Co. KG	欧盟	2016/6/24	眼部疾病	TNF	非感染性中间葡萄膜炎、后葡萄膜炎和全葡萄膜炎。	该疾病是一种公认的严重致盲性眼病。临床尚缺乏有效治疗手段, 本品可为此类患者提供新的有效治疗药物选择。
22	Lemtrada (Alemtuzumab)	Sanofi Belgium	欧盟	2013/9/12	神经系统	CD52	多发性硬化	罕见病用药。
23	Radicava (Edaravone)	Mitsubishi Tanabe Pharma Corporation	日本	2015/6/1	神经系统	自由基	肌萎缩侧索硬化	罕见病用药。
24	Vigadrone(vigabatrin)	Lundbeck Inc.	美国	2009/8/21	神经系统	γ -aminobutyric acid transaminase	1 个月到 2 岁婴儿的婴儿痉挛症 (IS) ; 与其他疗法一起用于治疗 10 岁及以上成年人和儿童的顽固性复合部分发作性癫痫 (CPS)	儿童用药。罕见病用药。
25	DUPIXENT Injection	Regeneron Pharmaceuticals, Inc.	美国	2017/3/28	皮肤疾病	IL-4 α	中至重度特应性皮炎	中至重度特应性皮炎可导致严重临床后果, 包括严重精神问题(抑郁、自杀等)。目前治疗手段有限, 本品可为对现有疗法不耐受或无效患者提供一种新作用机制的有效药物选择。
26	Eucrisa (crisaborole) Ointment	Anacor Pharmaceuticals, Inc.	美国	2016/12/14	皮肤疾病	PDE4	2 岁及以上轻度至中度特应性皮炎	该疾病为一种慢性复发性炎症性皮肤病, 目前治疗手段有限, 本品可为对现有疗法不耐受或无效患者提供一种新作用机制的有效药物选择。