



## 关于发布第三批临床急需境外新药名单的通知

发布日期：20201119

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），国家药品监督管理局、国家卫生健康委员会组织有关专家研究论证，遴选出了第三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 Cablivi 等 7 个品种作为第三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。

至此，对符合《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）规定情形的品种，国家药监局会同国家卫生健康委已组织进行了充分遴选，基本解决了临床急需境外上市新药在我国上市慢的历史遗留问题，并且随着审评审批制度改革的深化，ICH 指导原则的转化实施，我国已逐步建立了境外新药在境内同步研发申报的法规制度体系，鼓励境外新药在中国境内同步开展研发申报工作。

2020年11月19日

相关附件

序号	附件名称
1	临床急需境外新药名单（第三批）.docx

---

附件

临床急需境外新药名单（第三批）

序号	药品名称（活性成份）	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	Cablivi (Caplacizumab)	Ablynx NV	欧盟	2018-09-03	血液系统 疾病	血管性血友病因子 (Vwf) A1 结构域	获得性血栓性血小板减少性紫癜 (aTTP)	aTTP 发病率罕见，本品是目前该适应症唯一获批药物，临床急需。
2	Xospata (Gilteritinib fumarate)	Astellas Pharma Inc.	日本	2018-09-21	恶性血液 疾病	FLT3/AXL	用于治疗 FLT3 突变阳性的复发或难治性急性髓细胞白血病。	临床急需，临床优势明显，用于难治复发人群。

序号	药品名称（活性成份）	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	Tibsovo (ivosidenib)	Agios Pharmaceuticals, Inc.	美国	2018-07-20	恶性血液疾病	IDH1	急性髓系白血病	临床急需，具备临床优势，用于难治复发人群。
4	Brineura (cerliponase alfa) Injection	BioMarin Pharmaceutical Inc.	美国	2017-04-27	遗传代谢性疾病	酶替代疗法	晚发婴儿型神经元蜡样脂褐质沉积症 (CLN2)	罕见病用药

序号	药品名称（活性成份）	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	Tecfidera (dimethyl fumarate) Delayed-Release Capsules	Biogen Idec, Inc.	美国	2013-03-27	神经系统	Nrf2	多发性硬化	罕见病用药
6	Xofluza(Baloxavir marboxil)	(日本) Shionogi & Co., Ltd. 盐野义制药	日本	2018/2/23	感染性疾病	帽状结构 依赖性内 切酶抑制 剂	治疗甲型和乙型流感	1、涉及公共卫生；2、重症流感危及生命；3、本品较上市产品有治疗优势。
7	Verkazia(ciclosporin)	Santen OY	欧盟	2018/7/6	眼部疾病	N/A	4 岁以上儿童及青少年严重性春季角膜结膜炎 (VKC)	严重性春季角膜结膜炎可致角膜功能损害甚至导致视力丧失。 本品可为对现有疗法不耐受或无效的患者提供新的有效治疗手段。

