# 附件5

2020年临床试验阶段纳入突破性治疗通道的药物情况

| 序号 | 药品名称 | 纳入突破性治疗药物程序的原因 | 拟定适应症 |
| --- | --- | --- | --- |
| 1 | YY-20394片 | 1.中国目前尚没有针对该适应症的产品获批上市，也没有PI3K抑制剂上市。2.本品针对拟申报适应症人群已经获得超过50例受试者的有效性数据，超过20例受试者治疗时长超过6个月，有效性结果远优于已在境外获批相同适应症的同类产品。 | 用于既往接受至少二线治疗后复发难治的FL患者。 |
| 2 | 注射用普那布林浓溶液 | 1.本品为治疗拟申报适应症的全新机制产品。2.Ⅲ期研究数据中期分析结果获得显著优于对照组的结果。3.本品相比于传统的治疗药物，有效降低骨痛的发生率，具有安全性优势。 | 与粒细胞集落刺激因子（G-CSF）联用，用于非髓性恶性肿瘤患者中骨髓抑制性抗癌药物引起的重度中性粒细胞减少症（CIN）。 |
| 3 | TAK-788胶囊 | 1.本品拟定适应症为EGFR第20外显子插入突变的晚期非小细胞肺癌，无有效治疗药物获批。2.本品前期有效性数据较历史数据显著提高，复发难治患者中具有较高的客观缓解率和持久的缓解持续时间。 | 用于治疗既往至少接受过一次全身化疗的携带表皮生长因子受体（EGFR）20号外显子插入突变的局部晚期或转移性非小细胞肺癌（NSCLC）患者。 |
| 4 | JNJ-61186372注射液 | 1.本品拟定适应症为EGFR第20外显子插入突变的晚期非小细胞肺癌，无有效治疗药物获批。2.本品前期有效性数据较历史数据显著提高，复发难治患者中具有较高的客观缓解率和持久的缓解持续时间，本品基于相同数据已于境外监管机构获得BTD认定。 | 用于治疗含铂双药化疗期间或之后进展，或对含铂化疗不耐受的EGFR20号外显子插入突变的转移性或手术不可切除的NSCLC患者。 |
| 5 | AK104注射液 | 用于治疗末线宫颈癌，本品现有有效性数据体现出突出的治疗效果。 | 用于既往含铂治疗期间或治疗后疾病进展的复发或转移性宫颈鳞癌（含腺鳞癌）。 |
| 6 | 苹果酸法米替尼胶囊 | 用于治疗末线宫颈癌，本品联合治疗现有有效性数据体现出突出的治疗效果。 | 用于注射用卡瑞利珠单抗联合苹果酸法米替尼胶囊治疗经过一线级以上治疗失败的复发转移性宫颈癌。 |
| 7 | 注射用卡瑞利珠单抗 | 用于治疗末线宫颈癌，本品联合治疗现有有效性数据体现出突出的治疗效果。 | 用于注射用卡瑞利珠单抗联合苹果酸法米替尼胶囊治疗经过一线级以上治疗失败的复发转移性宫颈癌。 |
| 8 | 注射用重组人源化抗HER2单抗-MMAE偶联剂 | 本品拟定适应症HER-2阳性复发难治尿路上皮癌，本品单药较历史数据具有显著提高的客观缓解率。 | 用于HER2过表达局部晚期或转移性尿路上皮癌患者（包括膀胱、输尿管、肾盂及尿道来源），且为既往经过化疗失败后进展的患者。HER2过表达定义为经IHC检测原发灶或转移灶肿瘤组织HER2表达为IHC 2+或IHC 3+。 |
| 9 | DZD9008片 | 1.本品拟定适应症为EGFR第20外显子插入突变的晚期非小细胞肺癌，无有效治疗药物获批。2.本品前期有效性数据较历史数据显著提高，复发难治患者中具有较高的客观缓解率，且在同靶点产品耐药患者中显示出初步疗效。 | 用于既往至少接受过一次全身化疗的携带表皮生长因子受体（EGFR）20号外显子插入突变的局部晚期或转移性非小细胞肺癌（NSCLC）。 |
| 10 | 西奥罗尼胶囊 | 1.本品拟定适应症复发难治的广泛期小细胞肺癌属于难治疾病背景。2.本品当前有效性数据突出，与历史数据对照具有较高的客观缓解率和无进展生存期。 | 用于西奥罗尼胶囊单药治疗经过2线系统化疗方案治疗后疾病进展或复发的小细胞肺癌。 |
| 11 | BLU-667胶囊 | 1.本品拟定的RET融合阳性甲状腺髓样癌属于难治疾病背景。2.本品当前有效性数据突出，与历史数据对照具有较高的客观缓解率和持久的缓解持续时间。 | 用于转染重排（RET）突变阳性的晚期或转移性甲状腺髓样癌（MTC）患者的系统性治疗。 |
| 12 | DS-8201a | 1.本品目标适应症为既往接受过一种或一种以上治疗方案的HER2阳性局部晚期或转移性胃或食管胃结合部（GEJ）腺癌，疾病符合当前BTD程序的情形。2.本品疗效突出，与胃癌二线治疗历史对照数据相比具有较为突出的疗效优势。 | 用于既往接受过一种或一种以上治疗方案的HER2阳性局部晚期或转移性胃或食管胃结合部（GEJ）腺癌成人患者。 |
| 13 | AK0529肠溶胶囊 | 呼吸道合胞病毒引起的重症支气管肺炎可危及生命。目前国内尚无有效治疗手段，该药物已有临床试验数据显示，与安慰剂相比，显著提高了疗效。 | 用于呼吸道合胞病毒感染引起的上呼吸道感染和下呼吸道感染，包括病毒性支气管炎和肺炎。 |
| 14 | Nefecon缓释胶囊 | 原发性IgA肾病（IgAN）严重影响生存质量，尚无有效治疗手段。本品已有的临床试验数据显示，与安慰剂相比，在重要临床结局上具有显著临床意义的疗效。 | 用于原发性IgA肾病（IgAN）。 |
| 15 | TQJ230注射液 | 心血管疾病严重危及生命。脂蛋白（a）水平由遗传因素决定，是心血管疾病的独立危险因素之一。目前，尚无针对该指标的药物获准上市。本品已有临床试验数据显示，与安慰剂相比，显著降低脂蛋白（a）水平。 | 通过降低脂蛋白（a）水平减少心血管疾病的风险。 |
| 16 | PF-06651600片 | 斑秃（包括全秃）是严重影响生存质量的疾病，目前缺乏有效治疗手段，本品境外Ⅱa期数据初步显示其可显著提高此类患者生存质量。 | 用于≥12岁斑秃患者（包括全秃[AT]和普秃[AU]）的治疗。 |
| 17 | BN101片 | 慢性移植物抗宿主病属于严重影响生存质量的疾病，且尚无有效防治手段。本品已完成的Ⅱ期临床试验结果提示其用于治疗经过≥2线系统性治疗失败后的慢性移植物抗宿主病的总体缓解率为65%。 | 用于至少经过一线系统治疗的慢性移植物抗宿主病（Chronic Graft Versus Host Disease,cGVHD）患者的治疗。 |
| 18 | LCAR-B38M CAR-T细胞自体回输制剂（简称：LCAR-B38M细胞制剂） | 符合以下条件：1.拟申请适应症为经过至少3线且至少包括一种PI和一种IMiD治疗后疾病进展的多发性骨髓瘤，为病情严重危及患者生命的疾病。2.目前该疾病在临床无有效治疗手段，本品现有临床试验数据显示，本品能提供有效治疗手段，显著提高临床疗效。 | 用于单药治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，患者既往接受过至少三线治疗，其中包括至少一种蛋白酶体抑制剂和至少一种免疫调节剂。 |
| 19 | JWCAR029（CD19靶向嵌合抗原受体T细胞） | 用于防治严重危及生命或者严重影响生存质量的疾病；与现有治疗手段相比，该药物具有明显临床优势。 | 用于复发或难治性滤泡淋巴瘤。 |
| 20 | CT053全人抗BCMA自体CAR T细胞注射液 | 1.拟申请适应症为经过至少3线且至少包括一种PI和一种IMiD治疗后疾病进展的多发性骨髓瘤，为病情严重危及患者生命的疾病。2.目前该疾病在临床无有效治疗手段，本品现有临床试验数据显示，本品能提供有效治疗手段，显著提高临床疗效。 | 用于复发难治多发性骨髓瘤。 |
| 21 | 抗CD19嵌合抗原受体T细胞注射液 | 1.该品种所针对的适应症属于严重危及生命的疾病。2.该疾病目前尚无有效治疗手段，存在未满足的临床需求。本品已有的注册I期临床试验的数据，与良好证据的历史对照相比，该品种在主要临床结局（ORR）上能显著提高疗效疗效。 | 用于复发或难治性急性淋巴细胞白血病。 |
| 22 | Copanlisib注射用冻干制剂\* | 1.中国目前尚没有针对该适应症的产品获批上市。2.现有数据显示，本品可获得显著高于现有治疗手段历史数据的ORR。3.本品治疗相应适应症已经获得FDA授予突破性治疗药物资质。 | 用于治疗既往接受过至少两线治疗的复发性边缘区淋巴瘤（MZL）成人患者。 |
| 23 | Uproleselan注射液\* | 1.本品为治疗拟申报适应症的全新机制产品。2.Ⅱ期研究中，66例复发难治患者接受了本品联合MEC方案治疗，不区分既往是否已经接受移植，CR+CRi率、CR率、MRD阴性率和中位OS均相对于MEC方案历史数据有显著的改善。3.联合本品治疗后，口腔黏膜炎或重度口腔黏膜炎的发生率得到改善。4.本品相同适应症获FDA授予BTD。 | 用于成人复发或难治性急性髓系白血病(AML)。 |

注：“\*”为公示日期截止为2020年12月31日的品种，根据程序在2021年纳入突破性治疗程序，因此不纳入到2020年的统计范围。