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。 |
| 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 |
| 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。 |