2019-02-18

**陳如月**

**2019年值得關注的上市新藥 (2之1)**

**預計今年將有13種改變市場的藥品進入歐洲市場。**

1. **Zolgensma – 每一名患者的基因治療費用為400萬美元**

第一個CAR-T細胞療法，Novartis的Kymriah和Gilead/Kite的Yescarta於2018年在歐洲上市，而Spark的基因治療Luxturna也在同年年底在歐洲取得許可。

Novartis已經和Spark達成協議，將在歐洲銷售Luxturna。因此，Novartis不僅處於細胞和基因療法突破性研發的最前沿，而且還尋求引領定價和報價方面的革命，以使Luxturna獲得商業成功。

這一過程的下一步是上市脊髓性肌肉萎縮症(SMA)基因療法– Zolgensma (AveXis)，該療法目前已經向USFDA和EMA申請查驗登記，並將於2019年上半年在這兩個地區取得許可。

Novartis表示，Zolgensma的售價將在400萬美元左右，輕鬆使其成為有史以來最昂貴的生物製劑，這消息一出，成了各大媒體的頭條。該公司表示，這個價格是合理的，因為患者只需要一次輸注這種基因療法，而不是使用Biogen的Spinraza–這種唯一可用的SMA療法進行長期治療。

該公司認為，目前SMA第一型患者使用Spinraza的照護費用和額外的護理費用在250萬～500萬美元之間。

Novartis執行長Vas Narasimhan表示，該公司正在探索一種新的再保險模式，在這種模式下，第三方將包銷患有這些罕病之一的兒童的「重大傷病案例」。

1. **AR101 –** 第一**個治療花生過敏**

在世界各地，對食物和其他日常物質的潛在致命過敏正在增加，目前幾乎沒有治療方法可以幫助預防可能導致危及生命的過敏反應。如今，美國生技公司Aimmune，似乎準備在今年年底前將第一種治療方法推向市場。

美國有150多萬花生過敏患者，歐洲也有類似的數字。分析師表示，該市場可能一年價值48億美元。

USFDA於2014年9月授與AR101快速通道，並於2015年6月授與4~17歲花生過敏的突破性治療。

Aimmune於2018年12月21日向USFDA申請該藥。然而，和許多其他公司一樣，該公司也受到美國政府關門的影響，這意味著許多FDA員工無薪休假，如果再拖延，就會使藥品核准時間延長。

在歐洲，該公司預計在2019年上半年向EMA提出申請。

1. **Epidiolex – 引領大麻類藥品市場的繁榮**

過去12個月，人們對大麻治療潛力的興趣大增，相關部門現在允許受監管的人使用新一代產品。

少數合法公司目前正在開拓這些產品，由GW Pharma帶頭。GW Pharma總部位於英國，自上世紀90年代末以來一直在該地區開展業務。該公司2018年6月獲得USFDA的歷史性許可，成為有史以來第一個從大麻中提取的處方藥。

Epidiolex是第一個缺乏與大麻相關以高度純化的植物衍生大麻二酚（Cannabidiol；CBD） 為基礎的藥品，是新一類抗癲癇藥品的第ㄧ個。該藥口服用於治療兩歲或兩歲以上的Lennox-Gastaut症候群或Dravet症候群相關的癲癇發作，這是兩種最難治療的癲癇相關疾病。

分析們相信，如果GW Pharma能夠成功在美國和其他主要全球市場將該藥商品化，並增加更多適應症，它可能會是獲得一年價值20~30億美元的重磅藥。

不過，該公司不得不等到11月才能上市該產品，因為根據美國法律，其活性成分CBD需要重新安排上市時間。

歐洲也需要做出類似的改變，但現在看来，該公司有望在2019年第一季度獲得監管機構核准，並於今年晚些時候上市。

該公司正在迅速建立一個由執行長Chris Tovey領導的歐洲企業基本架構。他正在招聘醫學事務、市場准入和行銷方面的員工，並挑選有強的癲癇或專科疾病經驗的候選人。

1. **Mayzent –最近加入競爭激烈的MS市場**

Novartis的Mayzent (siponimod) 預計將於今年第一季度在美國上市，用於治療多發性硬化症 (multiple sclerosis；MS) ，隨後將於今年晚些時候在歐盟上市。該公司表示，其最新的試驗結果是首次也是唯一一次在續發漸進型MS中顯示出有意義的結果。它的成功至關重要，因為Novartis的32億美元的Gilenya特許專利正面臨日益激烈的競爭。分析師預測，最高銷售額將達到30億美元。

1. **Ultomiris – Alexion跟進Soliris**

Alexion正準備迎接重磅藥Soliris (eculizumab)即將專利到期，該藥用於治療陣發性夜間血紅素尿症（paroxysmal nocturnal hemoglobinuria；PNH）和重症肌無力，2018年營收約30億美元。跟進的Ultomiris ALXN1210是第二代PNH療法，淨現值為109億美元。該藥療效與Soliris相當，且具有優勢的趨勢，並改善了用量。2018年12月21日獲得USFDA核准的時間比預期早。

1. **Takhzyro – 合併後Takeda的首次上市**

Takeda總裁Christophe Weber將自己的聲譽寄託在該公司對Shire的460億英鎊 (合610億美元)的收購上，現在他需要證明，合併後的公司將擁有比以往更多的行銷實力。這方面的第一個測試將是Shire未來的新重磅藥Takhzyro，它在2018年11月獲得EMA核准，用於治療遺傳性血管水腫 (Hereditary angioedema；HAE) ，是一種罕病。

歐盟監管機構已經批准Takhzyro (lanadelumab) 預防性治療12歲以上的HAE患者，根據臨床資料顯示，該藥可以減少HAE發作–通常是在腹部、臉、腳、生殖器、手和喉嚨等身體部位的腫脹，比安慰劑高出87%。

分析師們預測，該藥的最高銷售額可能達到20億美元，使其成為Shire的研發線中最光明的前景之一。在歐盟批准之前，美國在2018年8月已經許可了。

Takhzyro是HAE在目前為數不多的治療方法市場上獲得批准的第一個抗體藥，包括Shire現有的三種產品 (Cinryze、Firazyr和Kalbitor) ，2018年前9個月的總銷售額超過10億美元。

幾乎所有的銷售都來自美國市場，主要是因為Cinryze近年來的供應吃緊，合併後的公司將致力於解決這一問題。

該公司認為Takhzyro有潛力擴大HAE預防市場，特別是在國際市場上，因為它比其他藥更容易投藥。它是皮下注射給藥，每兩周注射時間少於一分鐘，比其他HAE預防藥的注射時間少75%。

Shire表示，其在美國的早期銷量令人鼓舞，第三季度銷售額為5100萬美元。目前，Shire在HAE的最大競爭對手是CSL公司的 Haegarda產品，這是一種2017年上市的皮下注射藥，一直試圖搶奪Cinryze市場，Cinryz是每週靜脈注射二次。

Bernstein的分析師最近預測，Takhzyro最終將以70%市佔率主導HAE預防藥市場。

(取材自PMLiVE)

–待續–