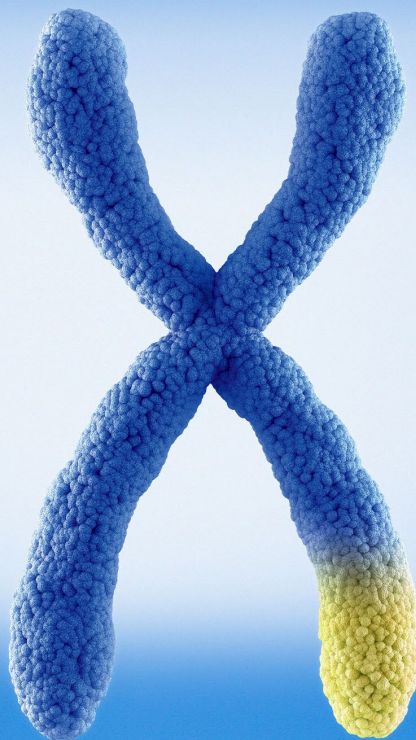


# 硫酸拉罗替尼口服溶液

(维泰凯®)

拜耳医药保健有限公司



精准靶向

重获新生



1

基本信息

全球目前唯一含婴幼儿适应症的NTRK基因融合不限瘤种精准靶向药

2

创新性

全球首个不限瘤种精准靶向治疗药物，填补治疗空白，权威指南推荐

3

有效性

适用于全年龄段人群，为患者提供快速、持久和转化性的治疗效果

4

安全性

含婴幼儿适应症，安全性良好，多数不良反应 $\leq 2$ 级，无黑框警告

5

公平性

针对肿瘤罕见病，填补目录空白，疗效显著且易于管理



# 基本信息:

## 全球目前唯一含婴幼儿适应症的 NTRK 基因融合不限瘤种精准靶向药 (1/3)

### 硫酸拉罗替尼口服溶液基本信息

#### 硫酸拉罗替尼口服溶液

维泰凯® (VITRAKVI®)



中国上市规格  
50ml/瓶  
20mg/ml

通用名	注册规格	是否为 OTC 药物
硫酸拉罗替尼口服溶液	50ml: 1.0g (按C21H22F2N6O2计)	否
全球首个上市国家/地区及上市时间	中国大陆首次上市时间	
美国, 2018 年 11 月 FDA 获批	2022 年 6 月获批	
大陆地区同通用名药品的上市情况	参照药品建议	
无同通用名药品	无参照药品 <sup>1</sup>	

1. 目录内无同适应症的治疗药品。建议无参照药品推荐

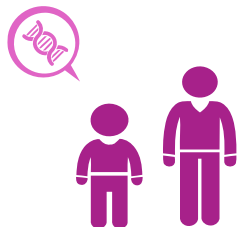
## 基本信息:

# 全球目前唯一含婴幼儿适应症的 NTRK 基因融合不限瘤种精准靶向药 (2/3)

## 适应症

硫酸拉罗替尼口服溶液适用于符合下列条件的成人  
和儿童实体瘤患者:

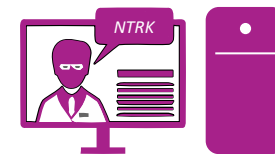
- 经充分验证的检测方法诊断为携带神经生长酪氨酸受体激酶 (NTRK) 融合基因且不包括已知获得性耐药突变。
- 患有局部晚期、转移性疾病或手术切除可能导致严重并发症的患者, 以及
- 无满意替代治疗或既往治疗失败的患者。



## 疾病基本情况

一项回顾性研究显示<sup>1</sup>:

- 实体瘤 NTRK 基因融合, 整体发生率仅为 0.3%, 属于肿瘤罕见病。
- 其中, 儿童实体瘤发病率相对较低, 且类型较为分散, 发病隐匿且生长快<sup>2,3</sup>
- 儿童实体瘤精准治疗水平严重滞后, 儿科用药缺乏, 手术化疗可能带来长期健康受损。





## 基本信息:

# 全球目前唯一含婴幼儿适应症的 NTRK 基因融合不限瘤种精准靶向药 (3/3)

## 用法用量



### 成人患者

推荐剂量为 100 mg 拉罗替尼，每日两次，直至出现疾病进展或出现不可接受的毒性。



### 儿童患者

剂量基于体表面积 (BSA)，推荐剂量为 100 mg/m<sup>2</sup> 拉罗替尼（口服溶液浓度按 20 mg/ml 计），最大剂量为 100 mg/次，每日两次，直至出现疾病进展或出现不可接受的毒性。

- 硫酸拉罗替尼口服溶液的治疗应由具有抗癌治疗经验的医生启动。
- 在使用本品治疗之前，必须确定患者肿瘤样本中携带 NTRK 融合基因。
  - 应采用验证过的检测方法确定患者的 NTRK 融合基因状态。
  - 经医院或实验室的检测结果显示为携带 NTRK 融合基因的患者能接受本品治疗，并且应经拜耳公司指定的独立第三方进行一次审核，证实患者确具有 NTRK 融合基因可继续用药。

# 创新性:

## 全球首个不限瘤种精准靶向治疗药物，填补治疗空白，权威指南推荐

### 填补空白

- 拉罗替尼是首款高选择性原肌球蛋白受体激酶 (TRK) 抑制剂，填补了 TRK 融合肿瘤领域治疗的空白

### 指南推荐

- 拉罗替尼被国内外多个权威指南推荐为 NTRK 融合阳性恶性肿瘤的标准治疗

### 优先评审

- 美国 FDA 授予拉罗替尼优先审评，突破性疗法和孤儿药认定，CDE 优先审评

### 优先获批

- 拉罗替尼以 II 期研究在全球多个国家/地区附条件获批上市，为目前唯一包含婴幼儿适应症的 TRK 融合肿瘤治疗药物

### 全人群覆盖

- 拉罗替尼适用于全年龄段人群，为患者提供快速、持久和转化性的治疗效果

### 优化剂型

- 拉罗替尼口服溶液剂型，剂量调整相较于片剂、胶囊精准便捷，更符合成长期患儿的用药需求，从而提高患者依从性



## 创新性



## 荣获奖项

- 2020 年荷兰盖伦奖
- 2020 年美国盖伦奖提名
- 第 4 届意大利科学信息和以患者为中心卓越一等奖

2022NCCN 非小细胞肺癌指南 [Guidelines Detail \(nccn.org\)](https://www.nccn.org/guidelines/guidelines/1.2022)

2022NCCN 结肠癌指南 [Guidelines Detail \(nccn.org\)](https://www.nccn.org/guidelines/guidelines/1.2022)

2020NIH-NCI 儿童软组织肉瘤指南 [Childhood Soft Tissue Sarcoma Treatment \(PDQ®\)-Patient Version - NCI \(cancer.gov\)](https://www.cancer.gov/pdq/cancer/childhood-soft-tissue-sarcoma-treatment)

2022CSCO 非小细胞肺癌诊疗指南

[FDA approves larotrectinib for solid tumors with NTRK gene fusions | FDA](https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-larotrectinib-for-solid-tumors-with-ntrk-gene-fusions)

CDE <https://news.yaozh.com/archive/34088.html>

硫酸拉罗替尼口服溶液说明书, 核准日期: 2022年06月23日

荷兰盖伦奖 [Winners – Galien Foundation](https://www.galienfoundation.org/)

美国盖伦奖 [100words\\_VITRAKVI®.pdf \(galienfoundation.org\)](https://www.galienfoundation.org/100words_VITRAKVI.pdf)

意大利卓越奖 [Larotrectinib e la nuova era dei farmaci agnostici - Premio Eccellenze dell'Informazione Scientifica \(eccellenzeinformazionescientifica.it\)](https://www.eccellenzeinformazionescientifica.it/)

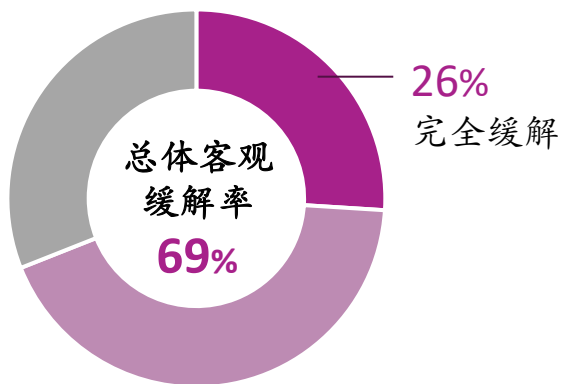
RESTRICTED

# 有效性:

适用于全年龄段人群，为患者提供快速、持久和转化性的治疗效果 (1/2)

## 244例整合数据集分析<sup>1</sup>

(2022年报道, 成人+儿童)



中位缓解持续时间 (月)



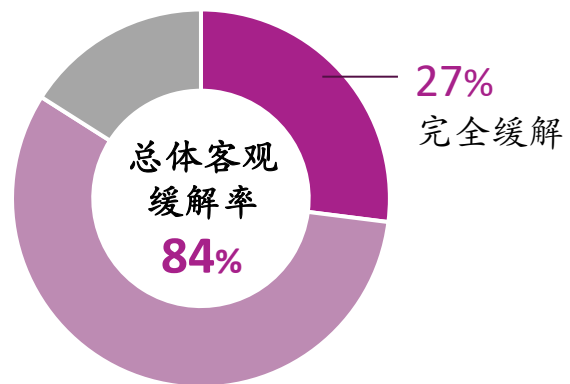
无进展生存期 (月)



48个月总生存率为**64%**

## 94例儿童数据集的有效性数据<sup>2</sup>

(2022年报道)



中位缓解持续时间 (月)



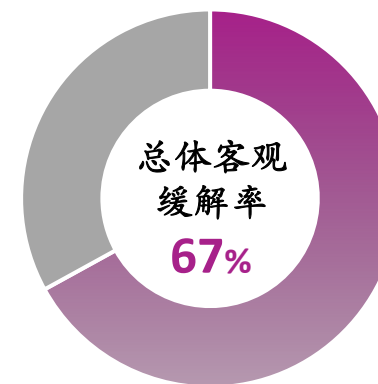
无进展生存期 (月)



48个月总生存率为**93%**

## 140例成人数据集的有效性数据<sup>3</sup>

(2021年报道)



中位缓解持续时间 (月)



无进展生存期 (月)



36个月总生存率为**66%**



有效性:

适用于全年龄段人群，为患者提供快速、持久和转化性的治疗效果 (2/2)

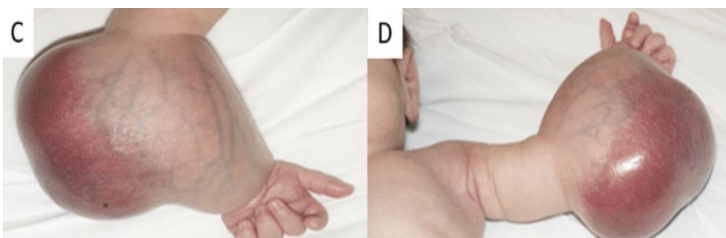
## 病例报道

出生 17 天男婴，左臂肿物确诊为 NTRK 基因融合婴儿纤维肉瘤

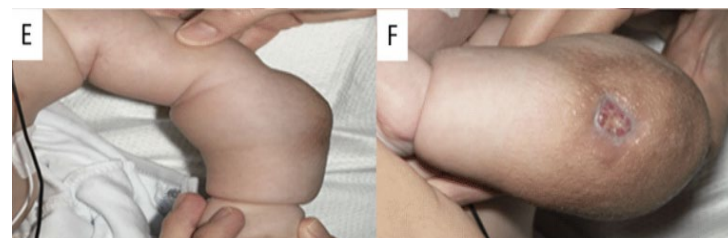
- 婴儿纤维肉瘤，通常需手术截肢，导致功能丧失，且手术后仍有复发可能。

患儿接受拉罗替尼  
治疗4个月后  
肿物完全消失

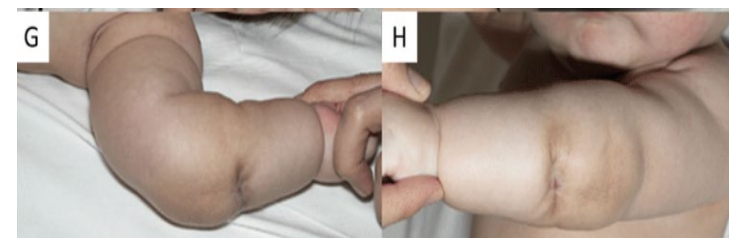
截至报道时，已接受拉罗替尼  
治疗 26 个月，随访无需手术，  
运动功能发育正常，无畸形。



治疗前



治疗2个月



治疗4个月



## 安全性:

含婴幼儿适应症, 安全性良好, 多数不良反应 $\leq 2$ 级, 无黑框警告

### 安全性

拉罗替尼大多数不良反应为 1 级或 2 级;

儿童患者人群 (<18 岁, 包括婴幼儿) 的安全性特征在报告的不良反应类型方面与在成人人群中观察到的一致

老年患者 ( $\geq 65$  岁) 的安全性特征与年轻患者的安全性特征一致

- 除贫血 (7%) 外, 所有报告为 3 级的不良反应均在不到 5% 的患者中发生。
- 仅 2% 的患者因治疗中出现的不良反应 (ALT 升高、AST 升高、步态障碍、中性粒细胞计数降低各 1 例) 永久停用本品。

#### 禁忌:

- 对活性成分或任一辅料发生超敏反应。



#### 药物相互作用:

- 避免与 CYP3A、P-gp 和 BCRP 抑制剂, 及 CYP3A 和 P-gp 诱导剂联合使用。



公平性：

拉罗替尼针对肿瘤罕见病，疗效显著且易于管理，纳入医保能够填补目录空白

## 拉罗替尼口服溶液纳入医保目录符合公平性原则

### 显著降低婴幼儿致死率

- 起效快且作用持久，不良反应率低。
- 婴幼儿总缓解率 84%，4 年总生存率达到 93%，成人患者 3 年总生存率 66%。  
减轻病患家庭负担



### 全球创新，填补目录空白

- 全球及中国首个获批上市的、不限瘤种的精准靶向 NTRK 基因融合的药物
- 在中国仅基于 II 期临床研究即获批上市，获得国际权威指南推荐

### 患者数量少，对基金影响极小

- 只针对特定基因融合
- NTRK 基因融合是肿瘤中的罕见靶点，在肿瘤患者中的融合率仅为 0.3%
- 可满足全年龄段的用药需求

### 临床管理难度低

- 在使用本品治疗之前，经医院或实验室的检测判断为携带 NTRK 基因融合的患者。并且应经拜耳公司指定的独立第三方进行一次审核方可接受本品治疗
- 用法用量明确，路径明确、无滥用风险





感谢您对 NTRK 基因融合实体瘤领域的关注  
和对硫酸拉罗替尼口服溶液的支持!