



维奈克拉片（唯可来®）

艾伯维医药贸易（上海）有限公司



abbvie

FOR INTERNAL USE ONLY.

目录

01 药品基本信息

02 安全性

03 有效性

04 创新性

05 公平性

01 药品基本信息

维奈克拉片申请目录外药品谈判准入

药品通用名称：维奈克拉片

中国大陆首次上市时间：2020年12月

目前大陆地区同通用名药品的上市情况：无，独家产品

药品全球首个上市国家及上市时间：美国，2016年4月

适应症全球首个上市国家及上市时间：美国，2018年11月

注册规格：10mg; 50mg; 100mg(拟谈判主规格)

是否为 OTC 药品：否

参照药品建议：空白参照



盖伦奖
“最佳药品”



国家药品监督管理局
“优先审评审批”



ACS Awards
Heroes of Chemistry
化学英雄奖

适应症¹

本品与阿扎胞苷联合用于治疗因合并症不适合接受强诱导化疗

或者年龄 75 岁及以上的新诊断的成人急性髓系白血病患者

用法用量¹

1

本品按疗程与阿扎胞苷联用给药，一日一次，每个疗程28天

- 第1个疗程的第1-3天为剂量爬坡期（第1天100mg，第2天200mg，第3天400mg，第4天及以后400mg）
- 在每个疗程的第1-7天本品需与阿扎胞苷联用，阿扎胞苷为皮下注射，剂量为75mg/m²。

2

维奈克拉与强效或中效CYP3A抑制剂或P-gp抑制剂伴随使用，说明书要求维奈克拉每日剂量减量至70-200mg

伴随用药	稳定的每日剂量
泊沙康唑	本品剂量降低至70mg
其他强效CYP3A抑制剂	本品剂量降低至100mg
中效CYP3A抑制剂	本品剂量降低至少50%
P-gp抑制剂	

3

如出现血液学不良反应，说明书要求本品给药时间减少7天，即用21天代替28天。

01 药品基本信息

不适合强诱导化疗的急性髓系白血病（AML）患者 亟需有效安全的创新药物改善预后

不适合强诱导化疗的中国AML患者群体小， 但五年生存率仅5%

<1万

不适合强诱导化疗的
发病人数/年^{1,2}

- 中国每年新诊断成人AML患者*约1.9万人¹
*:此处患者人数计算指去除APL亚型的成人AML患者
- 不适合强诱导化疗的AML患者人数每年~8,500人²

~5%

五年生存率³

- 因合并症或体能状态差等原因，不适合强化疗AML患者的生存期非常短，有报道中位总生存仅4个月⁴

40余年来无新药上市，治疗手段严重匮乏 临床缺乏统一有效的方案

>40年

AML治疗无创新药物上市⁵



- 相对其他恶性肿瘤，AML新药研发更加艰难缓慢，特别是针对不适合强诱导化疗的AML患者
- 无法接受治愈性治疗（如强化疗，异基因造血干细胞移植）⁶
- 只能接受低强度化疗或者姑息方案⁶

传统低强度药物治疗的
复合缓解率

<30%⁷

去甲基化药物（HMA）包括阿扎胞苷或地西他滨，对不适合强化疗AML患者的疗效差

传统低强度治疗的
输血依赖比例

~50%⁸

目前全国临床用血供应缺口5%~28%⁹，疫情期间血资源采供量锐减65%¹⁰

维奈克拉是中国唯一获批用于一线治疗不适合强化疗AML患者的创新靶向药物

- 1973 强诱导化疗 7天阿糖胞苷+3天蒽环类药物
- AML治疗40余年没有创新药物上市
- 2017 阿扎胞苷在华获批，但单药方案应用有限，疗效无显著提升
- 2020 维奈克拉获批引领了AML领域靶向药物治疗新篇章
- 全球首个口服BCL-2抑制剂，中国首个也是目前唯一获批的用于一线治疗不适合强化疗AML患者的靶向药物，跨越基因突变
 - 跨越基因突变，无需生物标记物基因检测

参照药品选择：空白参照



First-in Class
全球首个原研BCL-2抑制剂

- 1 全球注册三期试验中干预组为“维奈克拉+阿扎胞苷”，对照组为“安慰剂+阿扎胞苷”

维奈克拉

+

阿扎胞苷

VS.

安慰剂

+

阿扎胞苷

- 2 目录内外均无同适应症药品、无同机制药品

- 中国唯一获批一线治疗不适合强诱导化疗AML患者的靶向药物
- First-in-Class：全球首个、中国唯一的BCL-2抑制剂
- 维奈克拉获批前，针对不适合强诱导化疗的AML患者，**临床无统一有效的治疗策略**，但以多药联合居多

药品说明书刊载的安全性信息

本品联合阿扎胞苷在新诊断的AML患者中最常见的不良反应包括**恶心、腹泻、便秘、中性粒细胞减少症、血小板减少症、发生性中性粒细胞减少症、皮疹和贫血等**。接受本品治疗的患者用药前和爬坡期进行风险评估并作适当措施预防肿瘤溶解综合症（TLS）；治疗中须密切监测中性粒细胞水平和感染症状，并及时治疗；在本品治疗前后，不得接种减毒活疫苗；本品有胎儿毒性，治疗期间及末次给药后30天内应避孕，以及末次给药后1周内停止母乳喂养。

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

本品于2016年4月首次在美国获批上市至今，**已在全球77个国家或地区批准上市AML适应症，无因安全性事件撤药或撤市**。

根据上市后收集的安全性数据，**未发现新的或显著安全性问题**。本品上市以来的有效性-安全性数据证明，其获益-风险特征仍然有利，继续支持本品在获批适应症中的已确定获益。

治疗期间的血液学不良事件¹

血液学不良事件（%）	维奈克拉+ 阿扎胞苷	
	所有级别	≥3 级
血小板减少	46	45
中性粒细胞减少	42	42
粒细胞减少性发热	42	42
贫血	28	26
白细胞减少	21	21

来源：1. Dinardo, C.D. et al. New England Journal of Medicine, 2020, 383(7), 617-629.

03 有效性

维奈克拉联合阿扎胞苷获得国内外指南最高等级推荐

国内外权威指南	年份	推荐内容描述
中国临床肿瘤学会（CSCO）恶性血液病诊疗指南 ¹	2022	对于年龄≥60岁、不适合强诱导化疗AML患者，推荐维奈克拉联合阿扎胞苷或地西他滨或低剂量阿糖胞苷方案（I级推荐）
《美国国立综合癌症网络（NCCN）指南: 急性髓系白血病》 ²	2022	对于年龄≥60岁、不适合强诱导化疗（包括无特定基因突变、IDH1或IDH2、FLT-3突变类型）的AML患者，优先推荐维奈克拉为基础的联合方案（1级优先推荐）
中国成人急性髓系白血病（非急性早幼粒细胞白血病）诊疗指南 ³	2021	对于年龄≥60不适合强化疗AML患者，以及年龄≥75岁患者，或合并严重非血液学合并疾病的AML患者，推荐维奈克拉联合HMA方案（证据等级1a）

国家药监局药品审评中心
《技术审评报告》中
关于本药品有效性的描述

- 维奈克拉为2020年7月1日前受理品种，依据《总局关于鼓励药品创新实行优先审评审批的意见》，本品属于防治恶性肿瘤且具有明显临床优势的药品，故纳入优先审评审批程序。
- 在维奈克拉联合阿扎胞苷非随机研究M14-358 研究中（N=67 例），CR+CRh 为67.2%，中位OS 为14.7 个月，且不依赖RBC 输注的比例可以达到62.7%（阿扎胞苷历史数据为38.5%）。
- 上述数据说明，维奈克拉联合阿扎胞苷不仅提高了患者早期缓解，也具有改善长期生存获益的潜力。随机对照研究M15-656研究的第二次期中分析的初步结果也表明维奈克拉联合阿扎胞苷相较于单用阿扎胞苷可显著延长受试者的生存时间。

来源： 1.中国临床肿瘤学会（CSCO）恶性血液病诊疗指南. 2022； 2. NCCN Guidelines. Acute Myeloid Leukemia. 2022. Version 2； 3. 中国成人急性髓系白血病（非急性早幼粒细胞白血病）诊疗指南. 2021；

03 有效性

全球注册三期：显著提升总生存期，缓解率高且起效快

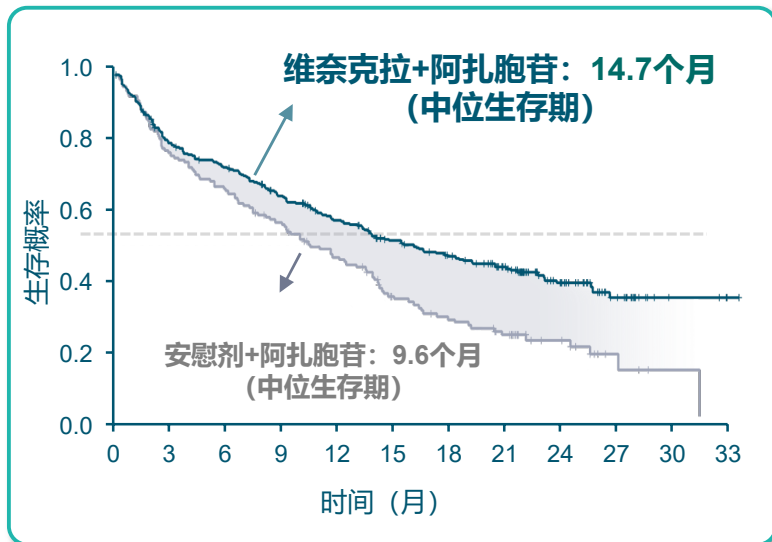
- 一项随机、双盲、安慰剂对照、3期临床试验
- 2: 1 入组，共纳入431名确诊为不适合接受强诱导化疗的急性髓系白血病初治患者
- 干预方案：维奈克拉+阿扎胞苷
- 对照方案：安慰剂+阿扎胞苷



患者中位生存期延长5.1个月

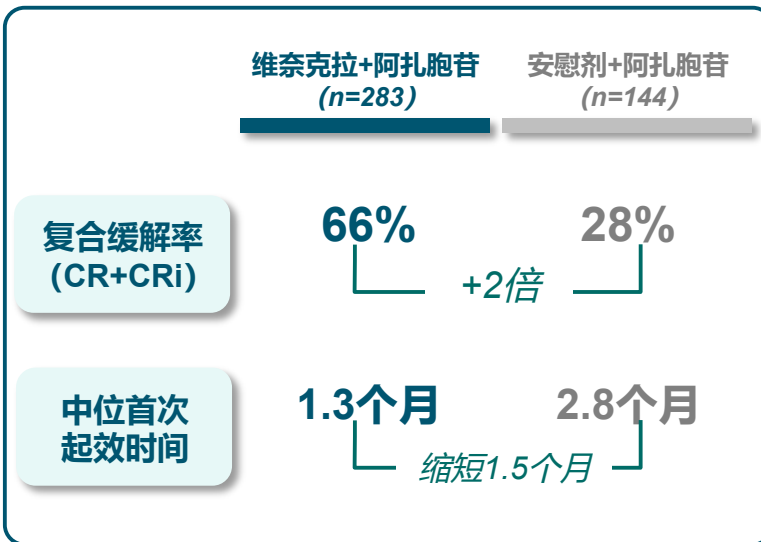
中位总生存期 ↑ **+53%**

HR=0.662, $P<0.001$, 95%CI: 0.518-0.845, 中位随访时间: 20.5个月



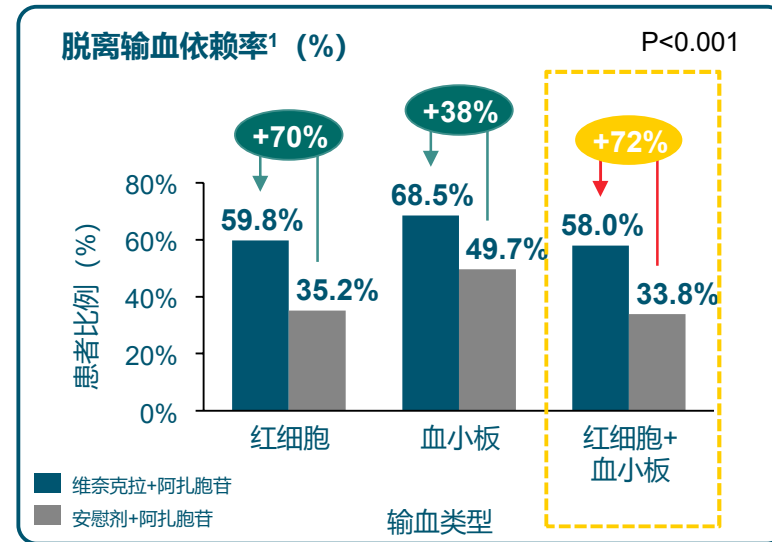
可显著提升患者的复合完全缓解率

缓解率高且起效快 ↑ **2倍以上**



可显著提高脱离输血依赖比例

脱离输血依赖比例 ↑ **72%**



03 有效性

国内已发表真实世界数据证实： 维奈克拉方案与全球三期试验一致的显著疗效

#	真实世界研究	发表年份	患者例数 *	中位随访 时间（月）	复合完全缓解 率 (CR+CRi)	中位总生存 (OS)
0	Viale-A Study（全球注册三期研究）	2020	283	20.5	66%	14.7个月
1	阿扎胞苷联合venetoclax治疗新诊断老年急性髓系白血病的临床观察 ¹	2021	14	12.5	71%	14个月
2	A Real World Study of Venetoclax Combined with Azacitidine in 64 Chinese Patients Newly Diagnosed Acute Myeloid Leukemia ²	2021	64	14.7	60.9%	15.5个月
3	维奈克拉联合阿扎胞苷治疗急性髓系白血病的近期疗效：单中心数据 ³	2022	24	4.8	70.8%	未报告
4	维奈克拉治疗急性髓系白血病的疗效与安全性的单中心真实世界研究 ⁴	2022	32	5	76%	8个月
5	维奈克拉治疗不适合强诱导化疗的新诊断急性髓系白血病：真实世界疗效、剂量以及医疗资源利用情况 ⁵	2022	~1,000	未报告	60%	未报告

疗效一致

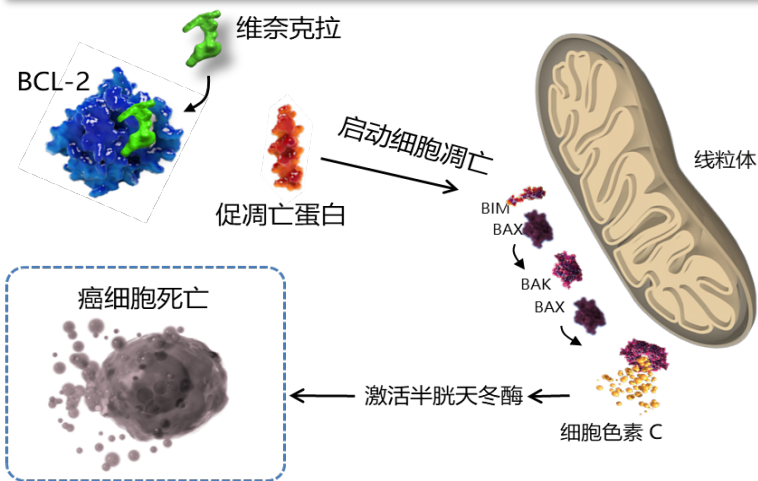
备注：*指使用维奈克拉联合阿扎胞苷方案的患者

来源：1.黄磊等，内科理论与实践，2021.；2. Blood(2021) 138 (Supplement 1): 4414.；3. 于文静等，中华血液学杂志，2022.；4. 龚敏等，临床血液学杂志，2022；5. 赵馨然等.，（已接收）中国药物经济学

04 创新性




高选择性和高亲和力与BCL-2(抗凋亡蛋白)结合，有效诱导肿瘤细胞凋亡

维奈克拉作用肿瘤细胞凋亡机制



- BCL-2过表达可**阻断促凋亡蛋白**，使肿瘤细胞**逃避凋亡**¹
- 维奈克拉与BCL-2(抗凋亡蛋白)结合，**释放出**原本与BCL-2结合的**促凋亡蛋白**，从而**启动肿瘤细胞凋亡**^{2,3}

全球First-in class，首个唯一获批BCL-2抑制剂
荣获盖伦奖、化学英雄奖、突破性疗法认证、优先审批

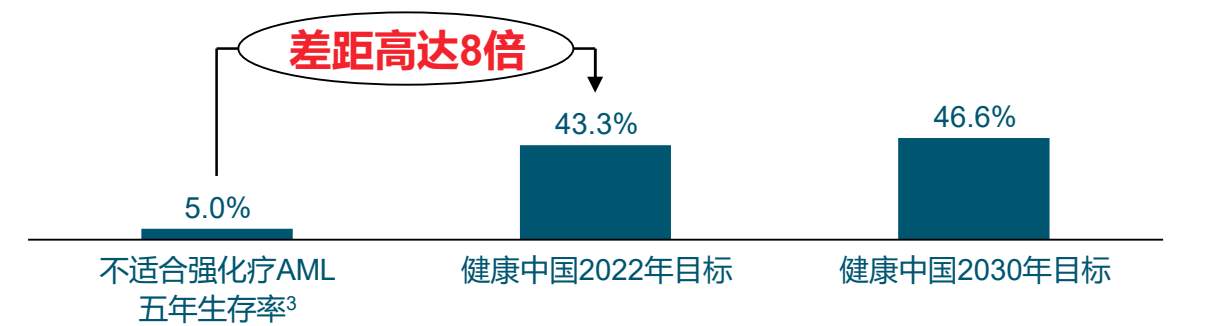
- 2015 • 连续2次获得FDA授予的突破性疗法认证
- 2016 • **全球首个BCL-2成功获批FDA上市**
• 第3次获得FDA授予的突破性疗法认证
- 2017 • 第4次获得FDA授予的突破性疗法认证
• **获得盖伦奖“最佳药品”** 
- 2019 • 第5次获得FDA授予的突破性疗法认证
- 2020 • 属于防治恶性肿瘤且具有明显临床优势的药品，中国国家药品审评中心**纳入优先审评审批程序** 
- 2021 • 第6次获得FDA授予的突破性疗法认证
• **获得化学英雄奖** 

05 公平性

维奈克拉可弥补目录空白，医保目录内尚无治疗急性髓系白血病的创新靶向药物

血液肿瘤类型	靶向药品数量	靶向药品名称 ¹
急性髓系白血病	0个	尚无靶向药物纳入医保
急性淋巴细胞白血病	1个	伊马替尼
骨髓增殖性肿瘤	1个	芦可替尼
慢性髓系白血病	4个	伊马替尼，达沙替尼，氟马替尼，尼洛替尼
多发性骨髓瘤	5个	硼替佐米，来那度胺，伊沙佐米，达雷妥尤单抗，泊马度胺
淋巴瘤	10个	利妥昔单抗，信迪利单抗，替雷利珠单抗，卡瑞利珠单抗，奥妥珠单抗，伊布替尼，泽布替尼，奥布替尼，西达本胺，硼替佐米

维奈克拉临床效果优越，获益显著，提升公共健康水平，助力实现健康中国行动²



口服制剂便于门诊随访管理，节约总体医疗资源

- 临床专家调研结果显示，维奈克拉联合阿扎胞苷方案相比其他化疗方案的住院患者比例更低，且每月住院天数较少，可减少住院花费，有成本节约的优势³
- 根据预算影响分析，维奈克拉纳入医保后可显著节约AML患者的输血、住院以及抗感染等费用

医保管理难度低

- 医保报销审核时，基于以下信息即可判断患者是否符合报销标准
- 临床病史及检查确认急性髓系白血病，有明确的ICD编码（C92.0）
 - 临床诊断证明或病史资料中提示患者有合并症或者年龄75岁及以上

来源：1. 2021版医保目录；2. 《健康中国行动（2019-2030）》；3. 赵馨然等.,（已接收）中国药物经济学