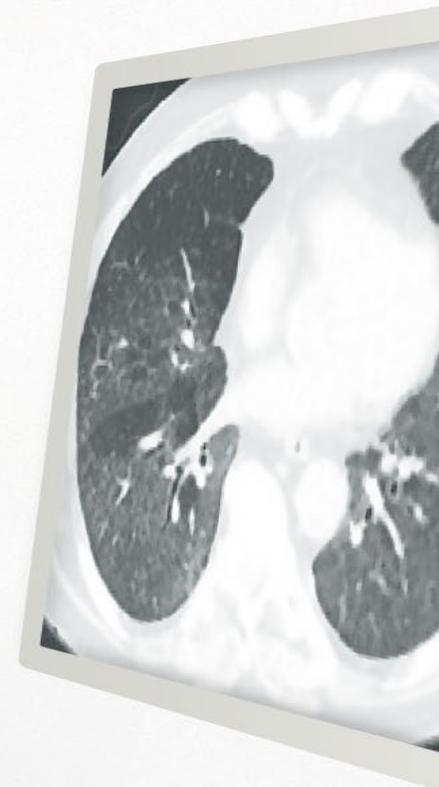




乙磺酸尼达尼布软胶囊 (维加特[®])

西药目录编号：877；乙类药品



维加特[®]
乙磺酸尼达尼布

CONTENTS

目 录

01

药品基本信息

02

疾病介绍及疾病负担

03

有效性

04

安全性

05

创新性

06

公平性

全球首个且唯一获批治疗具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病，显著延缓肺功能下降，填补临床空白

乙磺酸尼达尼布软胶囊



- 乙磺酸尼达尼布是**全球首个且唯一**用于治疗具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病药品
- 它是一种小分子酪氨酸激酶抑制剂，靶向作用于酪氨酸激酶受体，阻断成纤维细胞下游信号激活，从而达到抗纤维化作用。**填补了中国患者长期无针对性治疗的空白**

乙磺酸尼达尼布软胶囊基本信息

通用名	乙磺酸尼达尼布软胶囊
注册规格	按 $C_{31}H_{33}N_5O_4$ 计算, (1) 100mg (2) 150mg
中国大陆首次获批时间	2017年9月20日
适应症获批时间	2020年12月18日
全球首个上市国家/地区及上市时间	美国, 2014年10月
适应症	本次申报: 具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病 已在医保目录内: 特发性肺纤维化 (IPF)、 系统性硬化病相关间质性肺疾病 (SSc-ILD)
用法用量	本品推荐剂量为每次150mg, 每日两次, 给药间隔大约为12小时 本品应与食物同服, 并用水送服整粒胶囊
是否为 OTC 药品	否
专利情况	化合物专利于2020年10月9日到期, 非独家产品已有3个仿制药获批
参考药品建议	无参考品 医保内无治疗具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病药品

“不是癌症的癌症” 具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病为罕见疾病，确诊周期长，患者疾病负担大，可危及患者生命且生存时间短

具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病是危及患者生命的罕见病¹⁻³



患病率低

人群较少，患病率仅有**2.2~28.0/100,000**，符合**罕见病**的定义



疾病负担重

进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病**以肺功能下降、呼吸功能恶化、进行性肺纤维化**为主要临床特征，降低患者**生命质量**

严重影响患者生命质量

约48.1%

患者可能永久残疾

22.8%

患者因残疾而失业

带来巨大的经济负担

发生一次急性加重风险的比例是无/缓慢进展ILD患者的**2.7倍**，因急性加重的住院次数和医疗支出增加³

患者生存率低

ILD患者通常在进展为进行性表型的**9-12个月**后才能被医生识别，确诊后患者平均生存时间为**30-45个月**

1. Olson A, Hartmann N, Patnaik P, et al. Adv Ther. 2021 Feb;38(2):854-867.

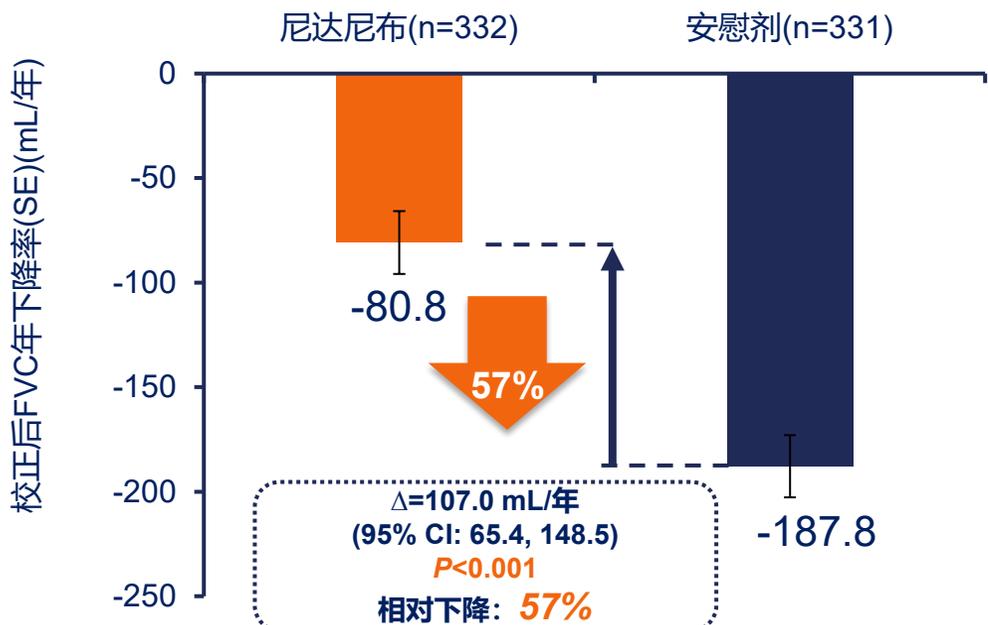
2. Kevin R Flaherty, et al. N Engl J Med. 2019 Oct 31;381(18):1718-1727. 2. Galli JA, et al. Respirology. 2017; 22(6): 1171.-1178

3. Wuyts WA, Papiris S, Manali E, et al. Adv Ther. 2020 Jul;37(7):3246-3264.

4. Marlies Wijsenbeek, Michael Kreuter, Amy Olson, et al. Curr Med Res Opin. 2019 Nov;35(11):2015-2022.

乙磺酸尼达尼布精准靶向具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病的治疗通路，显著延缓病程^{1,2}

试验证明，对比安慰剂，乙磺酸尼达尼布能有效延缓用力肺活量(FVC)年下降率57%



- 对比安慰剂，52周内乙磺酸尼达尼布治疗患者FVC年下降率更低，具有显著性差异(-80.8 vs. -187.8mL/年， $\Delta=107.0$ mL/年， $P<0.001$)，相对下降率为**57%**

《2022 ATS/ERS/JRS/ALAT临床实践指南：成人特发性肺纤维化和进展性肺纤维化》

Check for updates

AMERICAN THORACIC SOCIETY DOCUMENTS

Idiopathic Pulmonary Fibrosis (an Update) and Progressive Pulmonary Fibrosis in Adults
An Official ATS/ERS/JRS/ALAT Clinical Practice Guideline



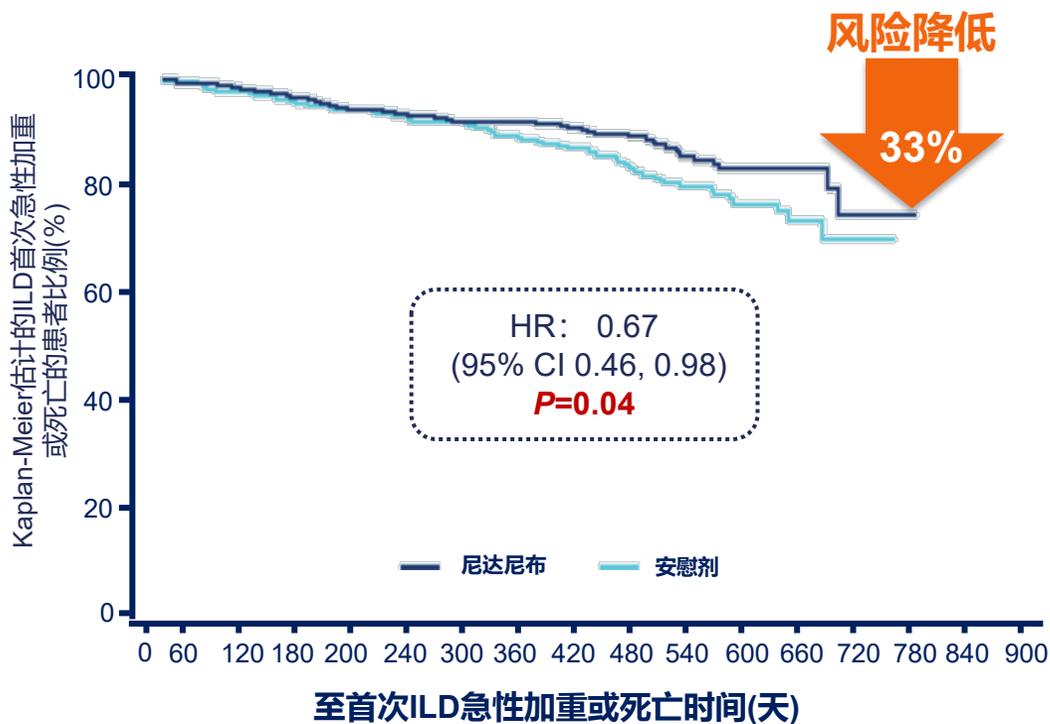
推荐使用尼达尼布治疗具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病

CDE技术审评报告

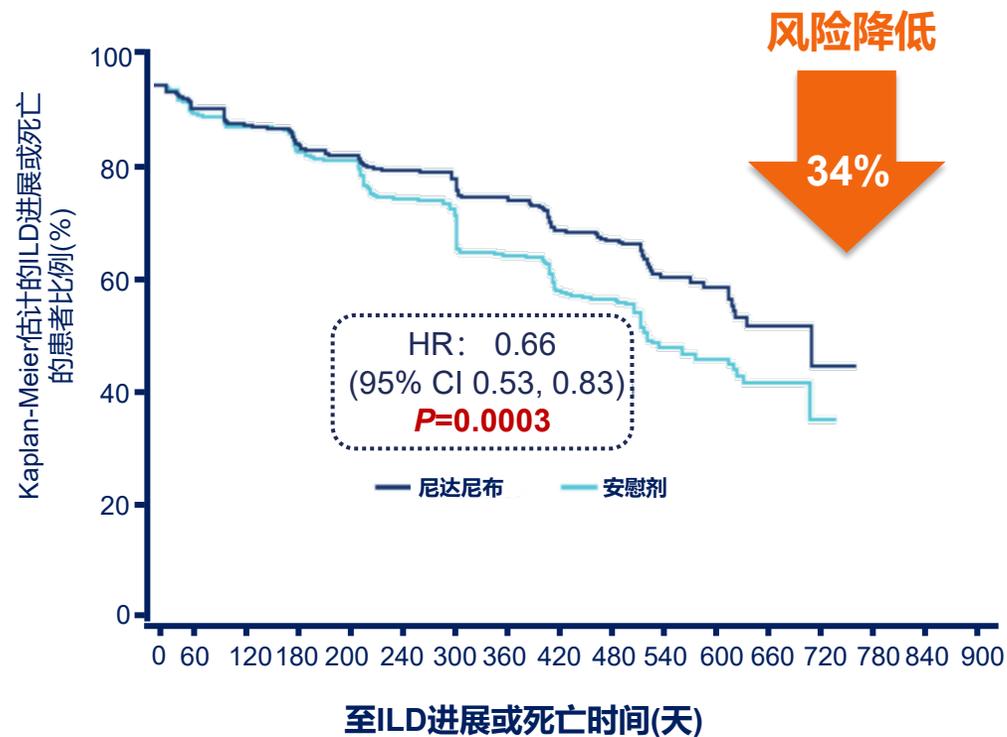
从整体试验结果来看，使用乙磺酸尼达尼布可以**明显减缓**“具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病”患者的肺功能恶化，同时可以**改善临床结局**

乙磺酸尼达尼布显著降低首次急性加重和死亡风险以及ILD进展或死亡风险^{1,2}

降低具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病患者
首次急性加重或死亡的风险约33%



降低具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病患者的
ILD进展*或死亡风险约34%



1. EMA_SmPC_ofev. https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/ofev-epar-product-information_en.pdf 2. 乙磺酸尼达尼布软胶囊说明书

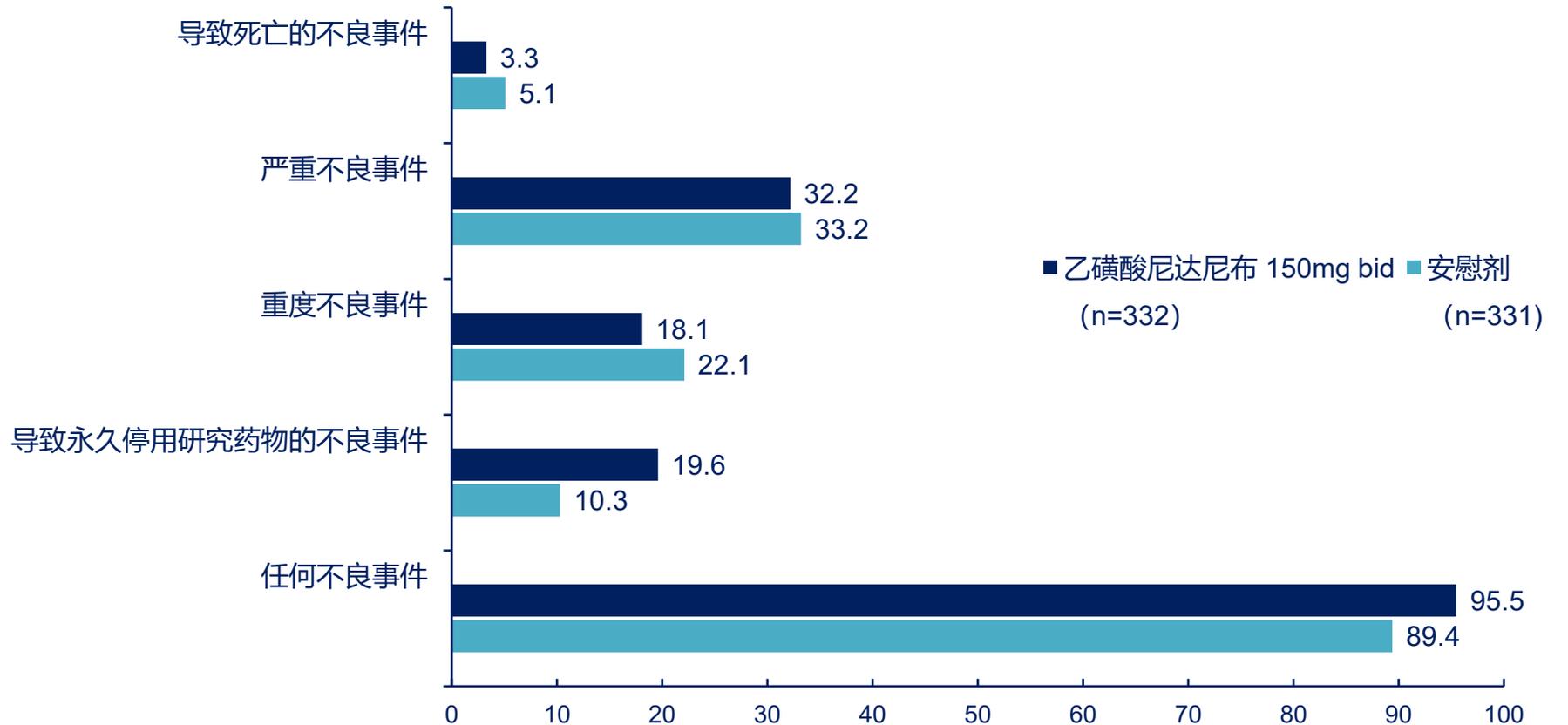
ILD进展*: FVC占预计值百分比绝对下降超过10%

临床实验中一致证实安全性良好，常见不良反应可控

- 临床实验中，在52周时尼达尼布和安慰剂组的任何不良事件发生率相似，且重度、严重及导致死亡的不良事件并未高于安慰剂组¹
- 临床试验中，最常见的不良事件为轻、中度胃肠道症状，可通过常规管理控制



INBUILD 研究中乙磺酸尼达尼布治疗常见不良反应 (AE)



首个且唯一治疗具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病的突破性靶向治疗药物，获得FDA突破性疗法认定



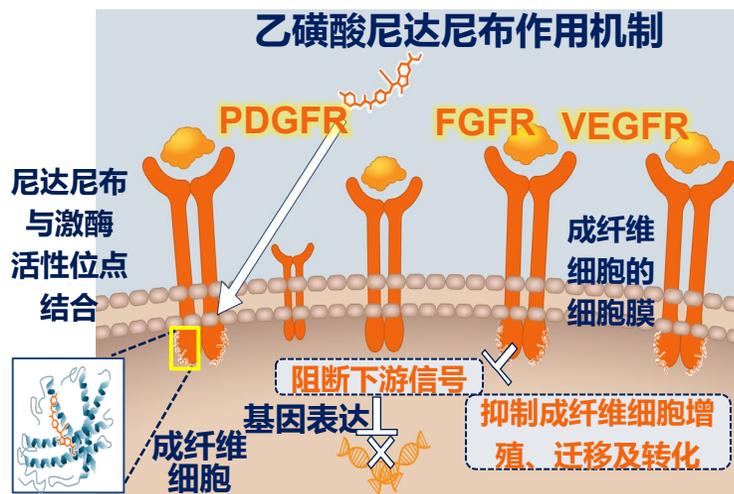
- ✓ 乙磺酸尼达尼布填补长期无针对性治疗的空白，**进入具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病治疗新时代**
- ✓ 2020年3月美国FDA批准具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病，同一年中国於12月获批仅相差九个月
- ✓ 乙磺酸尼达尼布获**FDA优先审批和突破性疗法认定**

药品注册分类: 2.4 类新药

乙磺酸尼达尼布结合络氨酸激酶受体¹⁻⁵

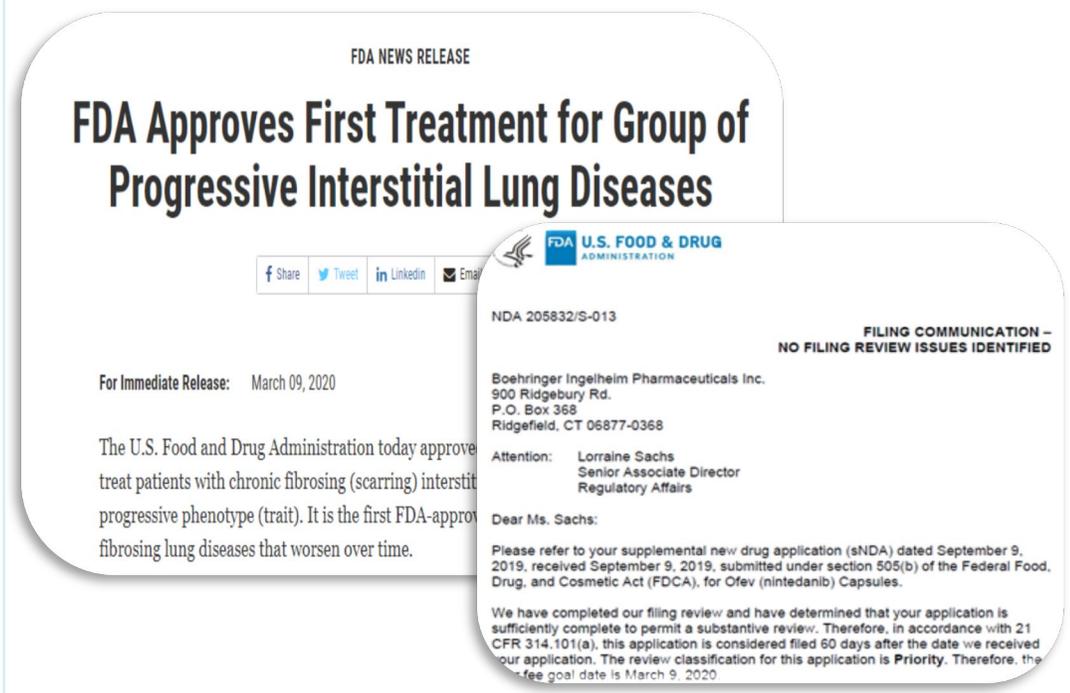
乙磺酸尼达尼布

- **唯一**一种有效的小分子酪氨酸激酶抑制剂，阻断导致肺纤维化的成纤维细胞下游信号激活，延缓肺纤维化病程
- 抗炎和抗血管生成活性的作用



- 促炎介质、淋巴细胞和中性粒细胞的减少
- 抑制促进血管生成的细胞类型以及VEGF和PDGF刺激的细胞的增殖

获FDA优先审批和突破性疗法认定



1. European Summary of Product Characteristics OFEV®, approved September 2019. Available at www.ema.europa.eu/ [accessed February 2021]
 2. Wollin L et al. J Pharmacol Exp Ther 2014;349:209-20

3. Wollin L et al. Eur Respir J 2015;45:1434-45
 4. Wollin L et al. Eur Respir J 2019;54:1900161
 5. Wollin L et al. J Scleroderma Relat Disord 2019;4:212-18

乙磺酸尼达尼布纳入医保可填补临床治疗空白，显着延缓患者肺功能下降，呼吸功能恶化

弥补目录短板



目前目录内无针对具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病的治疗药物



乙磺酸尼达尼布为唯一获批治疗成人具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病的药品，纳入医保将补齐目录短板

符合“保基本”原则



具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病患病率低，患者稀少且渴望缓解沉重疾病负担



乙磺酸尼达尼布纳入医保可显着降低患者疾病负担，保障患者最基本需求

临床管理难度低



具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病是罕见病，患者数量有限



疾病诊断标准和用法用量明确，医保易于管理，无滥用之虞

提升公共健康获益



具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病患者生活质量遭到严重影响，导致主要劳动力损失



乙磺酸尼达尼布疗效佳，显着提升患者生活质量，有效延缓疾病进展及提高健康获益



乙磺酸尼达尼布

具有进行性表型的慢性纤维化性间质性肺疾病
适应症纳入医保后, 使更多病人获益